

MÉDICAMENTS développés avec le soutien de l'AFM-Téléthon

Essais cliniques en cours ou à venir

MALADIES	TYPE DE THÉRAPIE	PRODUIT	PHASE
MALADIES NEUROMUSCULAIRES	TG	AAV-ASAH1	Dév. préclinique
	TG	AAV-microdystrophine	Phase I/II/III
	TG	AAV-CAPN3	Dév. préclinique
	P	Bazedoxifène	Dév. préclinique
	P	Givinostat	Dév. préclinique
	TG	AAV-SGCG	Phase I/II
	P	Givinostat	Dév. préclinique
	TG	AAV-FKRP	Phase I/II
	TG	AAV-MBNLΔ	Dév. préclinique
	TG	AAV-GDE	Dév. préclinique
	P	PXT3003	Phase III*
	P	IFB-088	Phase I terminée
	TG	AAV-GAA	Phase I/II
	TG	AAV-MTM	Phase I/II*
	P	Rapamycine (Sirolimus)	Phase III
	P	Ruxolitinib	Phase II* en préparation
	P	recGDF5	Dév. préclinique
	TG	AAV-SOD1	Dév. préclinique
P	IFB-088	Phase II	
P	Interleukine 2	Phase IIb	

AUTRES MALADIES	TG	Cellules hématopoïétiques + LV-FANCA	Phase II*	
	TG	AOM-skipex10	Dév. préclinique	
	TC	Sécrétome enrichi en vésicules extracellulaires de cellules progénitrices cardiaques	Phase I*	
	Déficits immunitaires	TG	Cellules hématopoïétiques + LV-Artemis	Phase I/II
		TG	Cellules hématopoïétiques + LV-XSCID	Phase I/II*
		TG	Cellules hématopoïétiques + LV-CGD	Suivi sur 15 ans Phase I/II USA
		TG	Cellules hématopoïétiques + LV-WAS	Suivi sur 15 ans
	TG	Cellules cutanées autologues modifiées génétiquement	Phase I/II*	
	TG	Cellules cutanées autologues modifiées génétiquement	Étude pilote*	
	TG	AAV-G6PC	Dév. préclinique	
	TG	ARSA	Dév. préclinique	
	TC	Cellules souches mésenchymateuses	Phase I/II	
	TG	AAV-UGT1A1	Phase III (essai confirmatoire)	
		IDES + AAVUGT1A1	Dev. préclinique	
	TC	Cellules souches embryonnaires	Phase I/II	
		AAV-RdCVF	Phase I/II	
TC	Lymphocytes T cytotoxiques	Phase I		
P	Lithium	Phase III*		
P	Acide valproïque	Phase II		
TC	Cellules souches embryonnaires	Dév. préclinique		

Médicaments avec AMM

Cuprior® P
Maladie de Wilson

Firdapse® P
Syndrome de Lambert-Eaton

Namuscla® P
Syndromes myotoniques

Skysona® TG
Adrénoleucodystrophie

Strimvelis® TG
Déficit immunitaire combiné sévère lié à l'X

Zynteglo® TG
β-thalassémie

Zolgensma® TG
Amyotrophie spinale liée à SMN1

Médicaments hors AMM

Lumevoq® TG
Neuropathie optique de Leber (ATU)

Metformine P
Dystrophie myotonique de Steinert

Bases de données

L'AFM-Téléthon soutient des bases de données de recherche qui collectent les données médicales de personnes atteintes de maladies neuromusculaires. Elle a créé en 2023 un **entrepôt de données de santé**.

TG Thérapie du gène

TC Thérapie cellulaire

P Pharmacologie

* Financement AFM-Téléthon du développement préclinique ou de phases cliniques précédentes.