

MÉDICAMENTS développés avec le soutien de l'AFM-Téléthon

Essais cliniques en cours ou à venir

MALADIES	TYPE DE THÉRAPIE	PRODUIT	PHASE
Amyotrophie spinale proximale liée au gène <i>SMN1</i>	P	Olésoxime	Phase II terminée*
Dystrophie musculaire de Duchenne	P	Nebivolol	Phase III
	P	Riméporide	Phase Ib terminée
	TG	AAV-microdystrophine	Dév. préclinique
	P	BIO101	Phase I/II
	P	Tamoxifène	Phase III*
Dystrophie musculaire des ceintures R1 liée à la calpaïne (ex-LGMD2A)	TG	AAV-CAPN3	Dév. préclinique
Dystrophie musculaire des ceintures R3 liée à l' α -sarcoglycane (ex-LGMD2D)	P	Givinostat	Dév. préclinique
Dystrophie musculaire des ceintures R5 liée au γ -sarcoglycane (ex-LGMD2C)	TG	AAV-SGCG	Dév. préclinique
	P	Givinostat	Dév. préclinique
Dystrophie musculaire des ceintures R9 liée à FKRP (ex-LGMD2I)	TG	AAV-FKRP	Dév. préclinique
Dystrophie musculaire oculopharyngée (DMOP)	TC	Myoblastes	Phase II
Dystrophie myotonique de type 1 (Steinert)	TG	AAV-MBNLΔ	Dév. préclinique
Maladie de Charcot-Marie-Tooth	P	PXT3003	Phase III*
	P	IFB-088	Phase I
Maladie de Pompe	TG	AAV-GAA	Phase I/II
Myopathie centronucléaire	TG	Oligonucléotide antisens	Dév. préclinique
Myopathie myotubulaire	TG	AAV-MTM	Phase I/II*
Myosite à inclusions	P	Rapamycine	Phase IIb terminée
Sarcopénie	P	recGDF5	Dév. préclinique
Sclérose latérale amyotrophique liée au gène <i>SOD1</i>	TG	AAV-SOD1	Dév. préclinique

MALADIES NEUROMUSCULAIRES

Médicaments déjà disponibles

Cuprior® P
Maladie de Wilson

Firdapse® P
Syndrome de Lambert-Eaton

Mexilétine P
Syndromes myotoniques

Metformine P
Dystrophie myotonique de Steinert

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

Zynteglo® TG
 β -thalassémie

Zolgensma® TG
Amyotrophie spinale liée à *SMN1*

MALADIES	TYPE DE THÉRAPIE	PRODUIT	PHASE
Anémie de Fanconi	TG	Cellules hématopoïétiques + LV-FANCA	Phase I/II*
Déficits immunitaires	TG	Cellules hématopoïétiques + LV-Artemis	Dév. préclinique
	TG	Cellules hématopoïétiques + LV-XSCID	Phase I/II*
	TG	Cellules hématopoïétiques + LV-CGD	Phase I/II
	TG	Cellules hématopoïétiques + LV-WAS	Phase I/II
Drépanocytose	TG	Cellules hématopoïétiques + Drepaglobe	Phase I/II
Épidermolyse bulleuse dystrophique	TG	Cellules cutanées autologues modifiées génétiquement	Phase I/II
Épidermolyse bulleuse jonctionnelle	TG	Cellules cutanées autologues modifiées génétiquement	Étude pilote*
Lupus érythémateux disséminé	TC	Cellules souches mésenchymateuses	Phase I/II
Maladie de Crigler-Najjar	TG	AAV-UGT1A1	Phase I/II/III
Maladie de Sanfilippo (MPS III b)	TG	AAV-NaGlu	Extension de la phase I/II
Pathologies de la rétine	TG	AAV-ND4	Phase III*
	TC	Cellules souches embryonnaires	Phase I/II
	TG	AAV-RdCVF	Dév. préclinique
Sclérose en plaques	TC	Lymphocytes T cytotoxiques	Phase I
Syndrome de Phelan-McDermid (forme rare d'autisme génétique)	P	Lithium	Phase I/II
Ulcères cutanés de la drépanocytose	TC	Cellules souches embryonnaires	Dév. préclinique

AUTRES MALADIES

Bases de données

L'AFM-Telethon soutient **10 bases de données** de recherche qui collectent les données médicales de près de 14 500 de personnes atteintes de maladie neuro-musculaire.

TG Thérapie du gène

TC Thérapie cellulaire

P Pharmacologie

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