

MÉDICAMENTS, en développement ou mis sur le marché avec le soutien de l'AFM-Téléthon

MALADIES	TYPE DE THÉRAPIE	PRODUIT	PHASE
Amyotrophie spinale proximale liée au gène <i>SMN1</i>	P	Olésoxime	Phase II terminée*
	TG	AAV-SMN	Dév. préclinique
Dystrophie musculaire de Duchenne	P	Nebivolol	Phase III
	P	Riméporide	Phase Ib terminée
	TG	Oligonucléotides antisens morpholinos (sauts d'exon 53 et 45)	Phase III*
	TG	AAV-microdystrophine	Dév. préclinique
	TG	AAV-CAPN3	Dév. préclinique
Dystrophie musculaire des ceintures de type 2A (LGMD2A) ou Calpaïnopathie	TG	AAV-SGCG	Dév. préclinique
Dystrophie musculaire des ceintures de type 2C (LGMD2C) ou Gamma-sarcoglycanopathie	TG	AAV-FKRP	Dév. préclinique
Dystrophie musculaire des ceintures de type 2I (LGMD2I)	TG	Myoblastes	Phase II
Dystrophie musculaire oculopharyngée (DMOP)	P	Metformine	Phase II terminée
Dystrophie myotonique de Steinert	P	PXT3003	Phase III*
Maladie de Charcot-Marie-Tooth	P	IFB-088	Phase I
	TG	AAV-MTM	Phase I/II*
Myopathie myotubulaire	P	Rapamycine	Phase IIb terminée
Myosite à inclusions	P	Méxilétiline	AMM Europe*
Myotonies non dystrophiques	TG	AAV-SOD1	Dév. préclinique
Sclérose latérale amyotrophique liée au gène <i>SOD1</i>	TG		

MALADIES NEUROMUSCULAIRES

L'AFM-Téléthon a soutenu et soutient 11 bases de données de recherche qui collectent les données médicales de près de 16 500 de personnes atteintes de maladie neuro-musculaire.

AUTRES MALADIES RARES	Anémie de Fanconi	TG	Cellules hématopoïétiques + LV-FANCA	Phase I/II*	
	Ataxie de Friedreich	TG	AAV-FXN	Dév. préclinique	
	Déficits immunitaires	Déficit en Artemis	TG	Cellules hématopoïétiques + LV-Artemis	Dév. préclinique
		Déficit immunitaire combiné sévère lié à l'X	TG	Cellules hématopoïétiques + LV-XSCID	Phase I/II*
		Déficit en adénosine désaminase	TG	Strimvelis	AMM Europe*
		Granulomatose chronique	TG	Cellules hématopoïétiques + LV-CGD	Phase I/II
		Syndrome de Wiskott-Aldrich	TG	Cellules hématopoïétiques + LV-WAS	Phase I/II
	Épidermolyse bulleuse jonctionnelle	TG	Cellules souches embryonnaires modifiées génétiquement	Étude pilote*	
	Infarctus du myocarde	TC	Cellules souches embryonnaires	Phase I/II terminée	
	Lupus érythémateux disséminé	TC	Cellules souches mésenchymateuses	Dév. préclinique	
Maladie de Crigler-Najjar	TG	AAV-UGT1A1	Phase I/II		
Maladie de Huntington	TC	Cellules souches embryonnaires	Dév. préclinique		
Maladie de Sanfilippo (MPS III b)	TG	AAV-NaGlu	Extension de la phase I/II		
Pathologies de la rétine	Neuropathie optique de Leber	TG	AAV-ND4	Phase III*	
	Rétinites pigmentaires	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	Étude pilote		
Ulcères cutanés de la drépanocytose	TC	Cellules souches embryonnaires	Dév. préclinique		

TG Thérapie du gène

TC Thérapie cellulaire

P Pharmacologie

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