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

MALADIES NEURO-MUSCULAIRES	TYPE DE THÉRAPIE	PRODUIT	PHASE
Amyotrophie spinale proximale liée au gène *SMN1*	P	Olésoxime	Phase II terminée*
	TG	Zolgensma®	AMM États-Unis*
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
	P	BIO101	Dév. préclinique
	P	Tamoxifène	Phase III*
Dystrophie musculaire des ceintures de type 2A (LGMD2A) ou Calpaïnopathie	TG	AAV-CAPN3	Dév. préclinique
Dystrophie musculaire des ceintures de type 2C (LGMD2C) ou Gamma-sarcoglycanopathie	TG	AAV-SGCG	Dév. préclinique
Dystrophie musculaire des ceintures de type 2I (LGMD2I)	TG	AAV-FKRP	Dév. préclinique
Dystrophie musculaire oculopharyngée (DMOP)	TC	Myoblastes	Phase II
Dystrophie myotonique de Steinert	P	Metformine	Phase II terminée
Maladie de Charcot-Marie-Tooth	P	PXT3003	Phase III*
	P	IFB-088	Phase I
Myopathie centronucléaire	TG	Oligonucléotide antisens	Phase I/II
Myopathie myotubulaire	TG	AAV-MTM	Phase I/II*
Myosite à inclusions	P	Rapamycine	Phase IIb terminée
Myotonies non dystrophiques	P	Méxilétine	AMM Europe*
Sclérose latérale amyotrophique liée au gène *SOD1*	TG	AAV-SOD1	Dév. préclinique

L'AFM-Téléthon soutient 10 bases de données de recherche qui collectent les données médicales de près de 14 500 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.

AFMTÉLÉTHON INNOVER POUR GUÉRIR

JUIN 2019