

LES ESSAIS, en cours ou à venir, soutenus par l'AFM-Téléthon en 2017

		MALADIES	TYPE DE THÉRAPIE	PRODUIT	PHASE	
MALADIES NEUROMUSCULAIRES	Amyotrophie spinale proximale liée au gène <i>SMN1</i>		P	Olésoxime	Extension de la phase II/III*	
			TG	AAV-SMN	Dév. préclinique	
	Dystrophie musculaire de Duchenne		P	Nebivolol	Phase III	
			P	Riméporide	Phase Ib	
			TG	AAV-U7	Dév. préclinique	
			TG	Oligonucléotides antisens morpholinos (saut d'exon 53)	Phase I/II*	
			TG	AAV-microdystrophine	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	Chlorhydrate de N,N-diméthyl-biguanide	Extension de la phase II	
	Maladie de Charcot-Marie-Tooth		P	PXT3003	Phase III*	
			P	IFB-088	Dév. préclinique	
	Myopathie myotubulaire		TG	AAV-MTM	Dév. préclinique	
	Myosite à inclusions		P	Rapamycine	Phase IIb	
Myotonies non dystrophiques		P	Méxilétiline	Phase III terminée		
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	Dév. préclinique
		Granulomatose chronique		TG	Cellules hématopoïétiques + LV-CGD	Phase I/II
		Syndrome de Wiskott-Aldrich		TG	Cellules hématopoïétiques + LV-WAS	Phase I/II
	Épidermolyse bulleuse dystrophique		TG	Cellules de l'épiderme + vecteur collagène VII	Dév. préclinique	
	Infarctus du myocarde		TC	Cellules souches embryonnaires	Phase I/II	
	Lupus érythémateux disséminé		TC	Cellules souches mésenchymateuses	Dév. préclinique	
	Maladie de Crigler-Najjar		TG	AAV-UGT1A1	Dév. préclinique	
	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	Amaurose de Leber		TG	AAV-RPE65	Phase I/II terminée
		Neuropathie optique de Leber		TG	AAV-ND4	Phase III*
		Rétinites pigmentaires		TC	Cellules souches embryonnaires	Dév. préclinique
			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 des phases cliniques précédentes.