

# LES ESSAIS, en cours ou à venir, soutenus par l'AFM-Téléthon en 2016

MALADIES		TYPE DE THÉRAPIE	PRODUIT	PHASE		
MALADIES NEUROMUSCULAIRES	Amyotrophie spinale proximale liée au gène <i>SMN1</i>		P	Olésoxime	Phase II/III*	
			TG	AAV-SMA	Dév. préclinique	
	Dystrophies musculaires congénitales		P	Omigapil	Phase I*	
	Dystrophie musculaire oculopharyngée (DMOP)		TC	Myoblastes	Phase II	
	Dystrophie myotonique de Steinert		P	Chlorhydrate de N,N-diméthyl-biguanide	Phase II	
	Dystrophie musculaire de Duchenne		P	Nebivolol	Phase III	
			P	Riméporide	Phase Ib	
			TG	AAV-U7	Dév. préclinique	
			TG	Oligonucléotides antisens (saut d'exon 44)	Phase I/II	
			TG	Oligonucléotides antisens (saut d'exon 45)	Phase IIb	
			TG	Oligonucléotides antisens (saut d'exon 51)	Phase III*	
			TG	Oligonucléotides antisens (saut d'exon 53)	Phase IIb	
	TG	Oligonucléotides antisens morpholinos (saut d'exon 53)	Phase I/II*			
	TG	AAV-microdystrophine	Dév. préclinique			
	Maladie de Charcot-Marie-Tooth		P	PXT3003	Phase III*	
Myopathie myotubulaire		TG	AAV-MTM	Dév. préclinique		
Myosite à inclusions		P	Rapamcyne	Phase IIb		
Myotonies non dystrophiques		P	Méxilétine	Phase III		
AUTRES MALADIES	Anémie de Fanconi		TG	Cellules hématopoïétiques + LV-FANCA	Phase I/II	
	Ataxie de Friedreich		P	Pioglitazone	Phase III	
			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	Phase I/II	
	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	Phase I/II	
	Pathologies de la rétine	Amaurose de Leber		TG	AAV-RPE65	Phase I/II
		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		
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.