

# LES ESSAIS, en cours ou à venir, soutenus par l'AFM-Téléthon en 2015

MALADIES		TYPE DE THÉRAPIE	PRODUIT	PHASE	
MALADIES NEUROMUSCULAIRES	Amyotrophie spinale proximale liée au gène <i>SMN1</i>	P	Olésoxime	Phase II	
		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 I
			TG	AAV-U7	Dév.préclinique
			TG	Oligonucléotides antisens (saut d'exon 51)	Phase III*
			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 53)	Phase IIb
			TG	Oligonucléotides antisens morpholinos (saut d'exon 53)	Phase I/II*
		TG	AAV-microdystrophine	Dév.préclinique	
	Myopathie myotubulaire	TG	AAV-MTM	Dév.préclinique	
	Myosite à inclusions	P	Rapamycine	Phase IIb	
	Myotonies non dystrophiques	P	Méxilétiline	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
		Granulomatose chronique	TG	Cellules hématopoïétiques + LV-CGD	Phase I/II
		Syndrome de Wiskott-Aldrich	TG	Cellules hématopoïétiques + LV-WAS	Phase I/II
		Déficit immunitaire combiné sévère	TG	Cellules hématopoïétiques + LV-XSCID	Dév.préclinique
Épidermolyse bulleuse dystrophique		TG	Cellules de l'épiderme + vecteur collagène VII	Dév.préclinique	
Infarctus du myocarde		TC	Cellules souches embryonnaires	Phase I/II	
Leucodystrophie métachromatique		TG	AAV-ARSA	Phase I/II*	
Lupus érythémateux disséminé		TC	Cellules souches mésenchymateuses allogéniques	Phase I/II	
Maladie de Crigler-Najjar		TG	AAV-UGT1A1	Dév.préclinique	
Maladie de Huntington		TG	LV-CNTF	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
		Rétinites pigmentaires	TC	Cellules souches embryonnaires	Dév.préclinique
		Neuropathie optique de Leber	TG	AAV-ND4	Phase III
Progeria		P	Amino-biphosphonates et statines	Phase I/II	
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 au cours du développement préclinique.