

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	Extension de la phase II/III*
	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-FKRP	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
Maladie de Charcot-Marie-Tooth	P	PXT3003	Phase III*
	P	IFB-088	Dév. préclinique
Myopathie myotubulaire	TG	AAV-MTM	Phase I/II*
Myosite à inclusions	P	Rapamycine	Phase Ib terminée
Myotonies non dystrophiques	P	Méxilétine	Phase III terminée

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.

MALADIES	TYPE DE THÉRAPIE	PRODUIT	PHASE
Anémie de Fanconi	TG	Cellules hématopoïétiques + LV-FANCA	Phase I/II*
Ataxie de Friedreich	TG	AAV-FXN	Dév. préclinique
Déficits immunitaires	TG	Cellules hématopoïétiques + LV-Artemis	Dév. préclinique
	TG	Cellules hématopoïétiques + LV-XSCID	Phase I/II*
	TG	Strimvelis	AMM Europe*
	TG	Cellules hématopoïétiques + LV-CGD	Phase I/II
	TG	Cellules hématopoïétiques + LV-WAS	Phase I/II
	TG	Cellules souches embryonnaires modifiées génétiquement	Étude pilote*
Épidermolyse bulleuse jonctionnelle	TG	Cellules souches embryonnaires	Phase I/II
Infarctus du myocarde	TC	Cellules souches mésenchymateuses	Dév. préclinique
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	TG	AAV-ND4	Phase III*
	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

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

TG Thérapie du gène

TC Thérapie cellulaire

P Pharmacologie