

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
			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	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.