

MÉDICAMENTS développés avec le soutien de l'AFM-Téléthon

Essais cliniques en cours ou à venir

| MALADIES | TYPE DE THÉRAPIE | PRODUIT | PHASE |
|---|------------------|----------------------|-------------------|
| Amyotrophie spinale avec épilepsie myoclonique progressive (SMA-PME) et Maladie de Farber | TG | AAV-ASAH1 | Dév. Préclinique |
| Dystrophie musculaire de Duchenne | P | Nebivolol | Phase III |
| | P | Riméporide | Phase Ib terminée |
| | TG | AAV-microdystrophine | Phase I/II/III |
| | P | BIO101 | Phase I/II |
| | P | Tamoxifène | Phase III* |
| Dystrophie musculaire des ceintures R1 liée à la calpaïne (ex-LGMD2A) | TG | AAV-CAPN3 | Dév. préclinique |
| Dystrophie musculaire des ceintures R3 liée à l' α -sarcoglycane | P | Givinostat | Dév. préclinique |
| Dystrophie musculaire des ceintures R5 liée au γ -sarcoglycane | TG | AAV-SGCG | Dév. préclinique |
| | P | Givinostat | Dév. préclinique |
| Dystrophie musculaire des ceintures R9 liée à FKRP | TG | AAV-FKRP | Dév. préclinique |
| Dystrophie musculaire oculopharyngée (DMOP) | TC | Myoblastes | Phase II |
| Dystrophie myotonique de type 1 (Maladie de Steinert) | TG | AAV-MBNLΔ | Dév. préclinique |
| Glycogénose de type 3 (Maladie de Cori-Forbes) | TG | AAV-GDE | Dév. préclinique |
| Maladie de Charcot-Marie-Tooth | P | PXT3003 | Phase III* |
| | P | IFB-088 | Phase I |
| Maladie de Pompe | TG | AAV-GAA | Phase I/II |
| Myopathies centronucléaires | TG | DYN101 | Phase I/II |
| Myopathie myotubulaire | TG | AAV-MTM | Phase I/II* |
| Sarcopénie | P | recGDF5 | Dév. préclinique |
| | TG | AAV-SOD1 | Dév. préclinique |
| | TG | AAV-C9 | Dév. préclinique |
| Sclérose latérale amyotrophique | TG | AAV-C9 | Dév. préclinique |
| | P | Interleukine 2 | Phase IIb |

MALADIES NEUROMUSCULAIRES

Médicaments déjà disponibles

Cuprior® P
Maladie de Wilson

Firdapse® P
Syndrome de Lambert-Eaton

Lumevoq® TG
Neuropathie optique de Leber

Namusla® P
Syndromes myotoniques

Metformine P
Dystrophie myotonique de Steinert

Skysona® TG
Adrénoleucodystrophie

Strimvelis® TG
Déficit immunitaire combiné sévère lié à l'X

Zynteglo® TG
 β -thalassémie

Zolgensma® TG
Amyotrophie spinale liée à SMN1

| MALADIES | TYPE DE THÉRAPIE | PRODUIT | PHASE |
|--|------------------|--|---------------------------|
| Anémie de Fanconi | TG | Cellules hématopoïétiques + LV-FANCA | Phase I/II* |
| Déficits immunitaires | TG | Cellules hématopoïétiques + LV-Artemis | Dév. préclinique |
| | TG | Cellules hématopoïétiques + LV-XSCID | Phase I/II* |
| | TG | Cellules hématopoïétiques + LV-CGD | Phase I/II |
| | TG | Cellules hématopoïétiques + LV-WAS | Étude de suivi sur 15 ans |
| Drépanocytose | TG | Cellules hématopoïétiques + Drepaglobe | Phase I/II |
| Épidermolyse bulleuse dystrophique | TG | Cellules cutanées autologues modifiées génétiquement | Phase I/II* |
| Épidermolyse bulleuse jonctionnelle | TG | Cellules cutanées autologues modifiées génétiquement | Étude pilote* |
| Lupus érythémateux disséminé | TC | Cellules souches mésenchymateuses | Phase I/II |
| Maladie de Crigler-Najjar | TG | AAV-UGT1A1 | Phase I/II |
| Maladie de Sanfilippo (MPS III b) | TG | AAV-NaGlu | Phase I/II |
| Rétinites pigmentaires | TC | Cellules souches embryonnaires | Phase I/II |
| | 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 | Phase I/II |
| Syndrome de Wolfram | P | Acide valproïque | Phase II |
| Ulcères cutanés de la drépanocytose | TC | Cellules souches embryonnaires | Dév. préclinique |

AUTRES MALADIES

Bases de données

L'AFM-Telethon soutient **10 bases de données** de recherche qui collectent les données médicales de près de 14 500 de personnes atteintes de maladie neuro-musculaire.

TG Thérapie du gène

TC Thérapie cellulaire

P Pharmacologie

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