

# Les essais soutenus par l'AFM

Maladies	Produits de santé	Préclinique	Phase I/II Toxicité + Faisabilité + Efficacité	Phase II Dose + Efficacité	Phase III Efficacité + Nombre	ATU/AMM*
<b>MALADIES NEUROMUSCULAIRES</b>						
Dystrophies musculaires de Duchenne et de Becker	Plasmide + dystrophine complète		(Ph I)			
	Saut d'exon avec oligonucléotides					
	Saut d'exon avec AAV-U7					
	Myoblastes		(Ph I)			
	Perindopril					
Dystrophies musculaires des ceintures	AAV gamma-sarcoglycane					
	AAV alpha-sarcoglycane					
	AAV Calpaïne 3					
Dystrophie musculaire facio-scapulo-humérale	Myoblastes					
Myotonie de Steinert	DHEA					
	Méthylphénidate					
Sclérose latérale amyotrophique	Minocycline					
	TRO19622					
Amyotrophies spinales	TRO19622		(Ph I)			
	Riluzole					
Dystrophie musculaire oculo-pharyngée	Myoblastes					
Polymyosites	Rituximab					
	Cellules Treg					
Myasthénie	3,4 diaminiopyridine					ATU-Demande AMM à venir
Syndrome de Lambert-Eaton						
Maladie de Charcot-Marie-Tooth	Vitamine C					
Déficit en CPT2	Bézafigibrate					
Paralysies périodiques	Dichlorophenamide					
	Et Acétazolamine					
<b>AUTRES MALADIES</b>						
Adrénoleucodystrophie	Cellules hématop. + Lentivirus ALD					
Maladie de Huntington	Neurones foetaux					
Infarctus du myocarde	Cellules hématopoïétiques					
	Cellules mésenchymateuses					
Épidermolyses bulleuses (EB)	Cellules + rétrovirus-laminine Bêta 3					
	EB Jonctionnelle					
EB Dystrophique	Cellules + vecteur - collagène VII					
Déficits immunitaires	Cellules hématop. + Lentivirus ȲC					
	SCID					
	ADA					
	WASP					
Drépanocytose et Bêta-thalassémie	Cellules hématop. + Lentivirus bêta-globine					
Ataxie de Friedreich	Idébénone					
	Déféripnone					
	Pioglitazone					
Maladie de Sanfilippo	AAV-SGSH					
	MPS III a					
MPS III b	AAV-NaGlu					
Amaurose de Leber et rétinite pigmentaire liée à un déficit en RPE 65	AAV4-RPE 65					
Porphyrie érythropoïétique congénitale (PEC)	Cellules hématop. + Lentivirus UROS					
Progéria	Combinaison de 2 molécules					

■ Thérapie génique ■ Thérapie cellulaire ■ Pharmacologie \* Autorisation temporaire d'utilisation (ATU) / Autorisation de mise sur le marché (AMM).