

eTableau 9-1 – Divers essais cliniques de thérapie génique déclarés dans le monde (selon <https://clinicaltrials.gov>).

Maladie	Gène	Phase	Numéro de l'essai	Essai/recrutement	Critères d'inclusion*	Lieu
ACL	<i>RPE65</i>	I/II	NCT00749957	Actif mais plus de recrutement	> 6 ans, mutation <i>RPE65</i> , AV < 20/60	Orégon, États-Unis
ACL	<i>RPE65</i>	I	NCT01208389	Actif mais plus de recrutement	Ayant participé essai NCT00516477	Philadelphie et Iowa, États-Unis
		I	NCT00516477	Actif mais plus de recrutement	> 8 ans, mutation <i>RPE65</i> , AV > PL	
		III	NCT00999609	Actif mais plus de recrutement	> 3 ans, mutation <i>RPE65</i> , AV < 20/60 ou CV < 20°	
ACL	<i>RPE65</i>	I	NCT00821340	Recrutement en cours	> 8 ans, mutation <i>RPE65</i> , AV < 20/50	Jérusalem, Israël
ACL	<i>RPE65</i>	I/II	NCT00643747	Terminé	8–30 ans, mutation <i>RPE65</i> , AV < 6/36	Hôpital Moorfiels, Londres, Grande-Bretagne
ACL	<i>RPE65</i>	I	NCT00481546	Actif mais plus de recrutement	> 8 ans, mutation <i>RPE65</i> , AV < 20/40	Philadelphie, États-Unis
ACL	<i>RPE65</i>	I/II	NCT01496040	Terminé	6–50 ans, mutation <i>RPE65</i> , AV < 0,32	CHU Nantes, France
Choroïdémie	<i>CHM</i>	I/II	NCT01461213	Actif mais plus de recrutement	> 18 ans, mutation <i>CHM</i> , AV < 1/10, atteinte maculaire	Oxford, Grande-Bretagne
Choroïdémie	<i>CHM</i>	II	NCT02407678	Pas encore ouvert au recrutement	> 18 ans, mutation <i>CHM</i> , AV < 20/200, < 20/32, pas d'atteinte maculaire	Oxford, Grande-Bretagne
Choroïdémie	<i>CHM</i>	I/II	NCT02077361	Pas encore ouvert au recrutement	> 18 ans, mutation <i>CHM</i> , atteinte maculaire	Edmonton, Canada
Choroïdémie	<i>CHM</i>	I/II	NCT02341807	Recrutement en cours	> 18 ans, mutation <i>CHM</i> , CV < 30° sur 6 méridiens sur 24 au III4	Philadelphie et Boston, États-Unis
Choroïdémie	<i>CHM</i>	II	NCT02553135	Recrutement en cours	> 18 ans, AV < 20/200, < 20/200	Miami, États-Unis
Choroïdémie	<i>CHM</i>	II	NCT02671539	Recrutement par invitation	> 18 ans, mutation <i>CHM</i> , AV < 20/200, < 20/32, pas d'atteinte maculaire	Tübingen, Allemagne
Stargardt	<i>abcr</i>	I/II	NCT02065011	Recrutement en cours	> 6 ans, mutation <i>ABCA4</i> , AV < 20/100	Portland, États-Unis et XV-XX, France
Usher 1B	<i>MYO7A</i>	I/II	NCT01367444	Recrutement en cours	Mutation <i>MYO7A</i>	Portland, États-Unis et XV-XX, France
Mertk RP AR	<i>Mertk</i>	I	NCT01482195	Recrutement en cours	14–70 ans, mutation <i>MERTK</i> , AV < 20/100	Riyadh, Arabie saoudite
Rétinoschisis lié X	<i>RS1</i>	I/II	NCT02317887	Recrutement en cours	> 18 ans, AV < 20/63	4 centres aux États-Unis
Achromatopsie	<i>CNGB3</i>	I/II	NCT02599922	Pas encore ouvert au recrutement	> 6 ans, mutation <i>CNGB3</i> , AV < 55 lettres ETDRS	5 centres aux États-Unis
LHON	<i>ND4</i>	I	NCT02161380	Recrutement en cours	> 18 ans–< 60 ans, mutation <i>G11778A</i> . Trois groupes : atteinte chronique, atteinte récente bilatérale, atteinte unilatérale récente	Miami, États-Unis
LHON	<i>ND4</i>	I/II	NCT02064569	Actif mais pas de recrutement	> 18 ans, mutation <i>G11778A</i> , AV < 1/10	Paris (CIC XV-XX), France
LHON	<i>ND4</i>	III	NCT02652767	Recrutement en cours	> 18 ans, mutation <i>G11778A</i> , baisse de l'AV datant de moins de 180 jours pour un ou deux yeux. AV > CLD	Paris (CIC XV-XX), France

ACL : amaurose congénitale de Leber ; AV : acuité visuelle ; CIC : Centre d'investigation clinique ; CV : champ visuel ; CLD : compte les doigts ; LHON : *Leber hereditary optic neuropathy* ; PL : perception lumineuse.

* Condensé des critères d'inclusion ; pour plus de détails, voir sur le site internet avec le numéro de l'essai.