

Journée thématique « Thérapies innovantes »

Jeudi 12 décembre 2024

Programme



13h50 Le mot d'ouverture **Shahram ATTARIAN**

- **Leçons apprises sur les essais de thérapies géniques, sur leur efficacité et leur tolérance** **Modératrice de la session** : Isabelle DESGUERRE

14h00 Thérapies innovantes : bilan de 7 ans d'expérience dans la SMA

Susana QUIJANO-ROY & PASCAL CINTAS

14h20 Thérapie génique dans la SMA : expérience en France

Caroline ESPIL-TARIS & Claude CANCES

14h35 Thérapie génique dans la maladie de Duchenne

Serge BRAUN, Directeur scientifique de l'AFM-Téléthon

- **Evolution des thérapies géniques et thérapies innovantes**

14h45 Focus sur l'expérience hématologique

Jean-Hugues DALLE, Chef du service d'hémo-immunologie pédiatrique, APHP Robert Debré

15h00 Vecteurs non-viraux d'acides nucléiques : focus sur les nanoparticules lipidiques

Marie MORILLE, Maître de Conférences Universitaire, Université de Montpellier

15h15 Les Thérapies ARN innovantes : application à la Dystrophie Myotonique

Arnaud KLEIN, Chargé de recherche INSERM, Centre de Recherche en Myologie

15h30 Pause

- **Quelles sont les limites actuelles de la thérapie génique en France ?**

15h45 Présentation des résultats de l'enquête adulte nationale Filnemus sur la thérapie génique

Guilhem SOLE

15h55 Présentation des résultats de l'enquête Filnemus sur la thérapie génique en neuropédiatrie

Claude CANCES

16h05 Les MTI dans les établissements de santé : quelles perspectives ?

Sylvain AUVITY, Pharmacien, APHP Necker

16h20 Les CIC en recherche clinique : challenges et organisation, exemple de Toulouse

Fabian GROSS, Ingénieur en Biologie Médicale - Chef de projet Biothérapies, CIC module Biothérapies CHU Toulouse

- **Table ronde : La thérapie génique dans un monde idéal – quelles ambitions pour demain ?**

Modérateur : Shahram ATTARIAN

Intervenante : Anne-Sophie LAPOINTE, Chargée de mission maladies rares, DGOS

17h30 Clôture de la journée