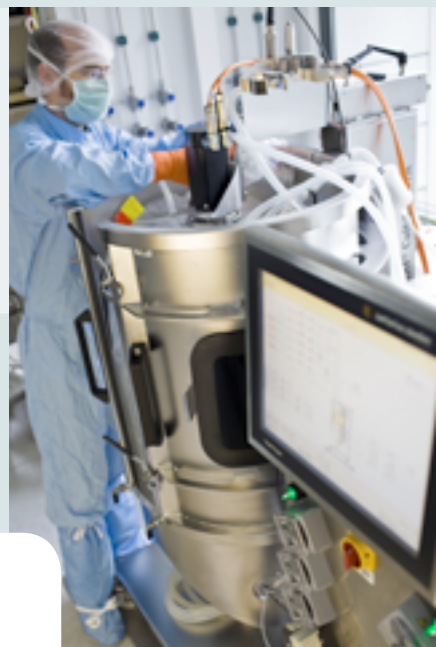




**INSTITUT^{DES}
BIOTHÉRAPIES**
INNOVER POUR GUÉRIR



INVITATION

Colloque de lancement **INSTITUT** **DES BIOTHÉRAPIES** **DES MALADIES RARES**

Ouverture par Madame Geneviève Fioraso,
Ministre de l'enseignement supérieur
et de la recherche

Le 27 septembre 2012

de 9h00 à 18h00

Collège de France

Amphithéâtre Marguerite de Navarre
11, place Marcelin Berthelot
75005 Paris



INSCRIPTION

avant le 21 septembre :
hduarte@afm.genethon.fr

AFMTÉLÉTHON
INNOVER POUR GUÉRIR



PROGRAMME

Colloque de lancement

INSTITUT DES BIOTHÉRAPIES DES MALADIES RARES

27 Septembre 2012

9h00-10h00

DISCOURS INTRODUCTIFS

10h00-12h00

PROGRAMMES MULTIDISCIPLINAIRES COLLABORATIFS DANS L'INSTITUT DES BIOTHÉRAPIES DES MALADIES RARES

Chairman : Serge Braun (AFM-Téléthon)

- **Anne Galy (Généthon/UMR951)** : 'L'Institut des Biothérapies, une vaste et solide base d'actions collaboratives pour le traitement des maladies rares'
- **Cécile Martinat (I-Stem/UMR861)** : 'Modélisation pathologique de la myotonie dystrophique de type 1 (maladie de Steinert) à partir de cellules souches provenant d'embryons porteurs de la mutation et identification de composés à potentiel thérapeutique'
- **Laurent Servais (Institut de Myologie)** : 'Construction d'un essai de thérapie génique par AAV dans la dystrophie de Duchenne : Ecueils, spécificités et ébauches de solutions'
- **Pierre Carlier (Institut de Myologie)** : 'RMN musculaire dans l'évaluation et dans le suivi de la thérapie génique'
- **Frédéric Revah (Généthon)** : 'Développer les biothérapies pour les maladies rares, du laboratoire à la mise à disposition du patient : enjeux et défis'

DÉJEUNER

13h30-14h45

INNOVATIONS TECHNOLOGIQUES

Chairman : Philippe Moullier (Atlantic Gene Therapies)

- **Adrien Léger (Atlantic Gene Therapies/UMR1089)** : 'Caractérisation par séquençage à très haut débit de l'ADN contaminant et du génome présent dans les particules défectives interférentes dans un lot clinique d'AAV'
- **Mathilde Girard (I-Stem/CECS)** : 'Production et validation des cellules souches induites à la pluripotence par reprogrammation génique (iPS), un outil de choix pour l'étude des maladies monogéniques'
- **Isabelle Richard (Généthon/UMR951)** : 'L'interactome des protéines du muscle squelettique impliquées dans la dystrophie musculaire'

14h45-16h00

INNOVATIONS THÉRAPEUTIQUES DANS LES MALADIES NEUROMUSCULAIRES

Chairman : Fulvio Mavilio (Généthon)

- **Thibaut Larcher (Atlantic Gene Therapies/UMR703)** : 'La dystrophie musculaire de Duchenne : de la preuve de concept à l'efficacité thérapeutique des cellules souches MuStem'
- **Anna Buj-Bello (Généthon/UMR951)** : 'Thérapie génique de la myopathie myotubulaire'
- **Bruno Pitard (Atlantic Gene Therapies/UMR1087)** : 'Transfert de gène systémique par voie vasculaire chez la souris mdx'
- **Gillian Butler-Browne (Institut de Myologie/UMR974)** : 'La cellule satellite humaine dans la régénération et la thérapie'

16h00-17h30

INNOVATIONS THÉRAPEUTIQUES DANS D'AUTRES MALADIES MONOGÉNIQUES

Chairman : Marc Peschanski (I-Stem)

- **Lolita Monnier (Atlantic Gene Therapies/UMR703)** : 'Traitement d'un déficit en PDE6B chez le chien par transfert de gène dans les photorécepteurs'
- **Xavier Nissan (I-Stem/CECS)** : 'Utilisation des cellules souches induites à la pluripotence pour l'identification de mécanismes moléculaires et de traitements dans le syndrome d'Hutchinson-Gilford Progeria'
- **David Fenard (Généthon)** : 'Optimisation du transfert de gènes dans les cellules souches hématopoïétiques humaines'
- **Hélène Puccio (IGBMC)** : 'Thérapie génique de la maladie de Friedreich, études pré-cliniques chez la souris'

17h30

CONCLUSIONS