



**FAMILLES-CHERCHEURS, UNIS POUR VAINCRE LES MALADIES LYSOSOMALES**

**Pré-Programme de la Journée** susceptible de modifications  
Des temps d'échanges questions-réponses seront proposés lors de chaque session

**9h30 : Accueil des participants**

**10h00 : Compréhension des stratégies et enjeux thérapeutiques  
par Jérôme Ausseil, Françoise Piguet et Deiva Kumaran**

Différences biologiques entre les MPS III et stratégies thérapeutiques communes  
(approche anti-inflammatoire) et individuelles (thérapie génique),  
Quelles thérapies géniques ? les défis à surmonter,  
Enseignement et conclusion de l'essai clinique MPS IIIB précédent,

**11h45 : Point sur le projet de thérapie génique MPS IIIB (et A)  
financé par Vaincre les Maladies Lysosomales  
par Nissrine Ballout, Jérôme Ausseil et Françoise Piguet**

Résultats chez les souris MPS IIIB,  
Résultats chez le modèle canin MPS IIIB,  
Résultats de l'étude toxicologique chez le primate non humain et optimisation du vecteur,  
Transposition dans le développement d'une thérapie génique pour MPS III A,

**13h00 : Déjeuner**

**avec possibilité de visite des laboratoires de l'institut du cerveau**

GENOV : unité d'innovation de thérapie génique qui réalise les essais MPS III A et III B,  
Plateforme histomics : préparation et traitement échantillons marquages sur coupes de  
cerveau et étude anatomopathologie,  
CENIR : centre d'imagerie IRM préclinique et clinique,

**14h30 : Vers un essai clinique**

De la « Bonne Pratique de Laboratoire » (BPL) à la « Bonne Pratique Clinique (BPC),  
Les défis des dernières étapes d'un essai,

**16h00 : MPS IIIC et autres actualités thérapeutiques pour MPS III**

Point d'avancement des projets pour MPS IIIC avec financement VML :  
o Thérapie génique en développement par **Phoenix Nest - Visio avec les US**  
o Étude d'une molécule neuroprotectrice par spray nasal – **Alexei Pshezhetsky**

Autres points d'actualité thérapeutique dans les MPS III - **Bénédicte Héron**

**17h30 : Clôture de la journée**

**ORGANISÉE PAR VAINCRE LES MALADIES LYSOSOMALES**  
ASSOCIATION DE PATIENTS ET FAMILLES - RECONNUE D'UTILITÉ PUBLIQUE

CONTACT 01 69 75 40 30 - SCIENTIFIQUE@VML-ASSO.ORG - WWW.VML-ASSO.ORG