

JOURNÉE RECHERCHE MPS III-SANFILIPPO SAMEDI 29 MARS 2025

Institut du Cerveau et de la Moëlle
Hôpital Pitié Salpêtrière
47/83 boulevard de l'Hôpital
75013 à Paris.

1990 -2025
**VAINCRE LES MALADIES
LYSOSOMALES**
RARE MAIS PAS SEUL! -35 ANS-
Le combat continue!

ORGANISÉ PAR VAINCRE
LES MALADIES LYSOSOMALES

01 69 75 40 30

SCIENTIFIQUE@VML-ASSO.ORG

WWW.VML-ASSO.ORG

PROGRAMME

9h30 Accueil des participants

9h
50

Introduction de la journée par David Jannetta, président VML

10h

Compréhension des stratégies
et enjeux thérapeutiques

- Différences biologiques entre les MPS III – Physiopathologie et stratégies thérapeutiques communes (ex d'une approche anti-inflammatoire) et individuelles (ex d'une thérapie génique) – *Jérôme Ausseil, Stéphanie Trudel*
- Quelles thérapies géniques ? les défis à surmonter (vecteurs, ciblage du Système Nerveux Central,...) – *Françoise Piguet*
- Enseignement et conclusion de l'essai clinique MPS IIIB précédent – *Deiva Kumaran*
- Questions / Réponses

Pause

11h
55

Où en est-on dans le projet de thérapie génique MPS IIIB
(et A) financé par VML

- Résultats obtenus chez les souris – *Nissrine Ballout, Jérôme Ausseil*
- Biodistribution chez le singe et résultats obtenus chez le modèle canin MPS IIIB – *Françoise Piguet*
- Transposition dans le développement d'une thérapie génique pour MPS III A – *Françoise Piguet*
- Questions / Réponses

13h

Déjeuner avec possibilité de visite des laboratoires

- **GENOV** : unité d'innovation de thérapie génique et cellulaire de l'institut du cerveau qui réalise les essais MPSIII 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 de l'institut du cerveau

14h
30

Vers un essai clinique

- De la « Bonne Pratique de Laboratoire » (BPL) à la « Bonne Pratique Clinique » (BPC) – *Françoise Piguet*
- Les défis des dernières étapes, vous – *VML*
- Questions / Réponses

Pause

16h

MPS IIIC et autres actualités thérapeutiques pour MPS III

- Point d'avancement des projets pour MPS IIIC avec financement VML
 - Résultats des étapes précliniques de thérapie génique – *Merve Emecen Sali du Steve Gray's Lab*
 - Etude d'une molécule neuroprotectrice à délivrance par spray nasal – *Alexei Pshchetsky*
- Autres points d'actualité thérapeutique dans les MPS III – *Bénédicte Héron*
- Questions / Réponses

17h30 Clôture de la journée

