

Journée thématique Thérapies innovantes

09:15 - 09:45

Pourquoi ces journées thématiques ?

Synergie OrphanDev et Pedstart

Régis HANKARD, Vincent LAUGEL, Olivier BLIN et Christine TRILLOU



09:45 - 11:00

Les « Thérapies innovantes en pédiatrie » - Retour d'expériences

Modérateur Vincent LAUGEL et Christine TRILLOU

- Etat des lieux des essais pédiatriques en thérapie génique en France (15min)
Michaela SEMERARO
- Modélisation des thérapies innovantes dans les maladies rares pédiatriques (15min)
Naïm BOUAZZA
- Thérapie innovante sur la maladie de Duchenne en pédiatrie (15min)
Helge AMTHOR
- Thérapie génique des maladies hématopoïétiques : obstacles à résoudre pour favoriser leur utilisation (15min)
Marina CAVAZZANA
- Discussion

11:30 - 13:00

La réglementation des thérapies innovantes

Modérateur Olivier Blin

- Coordination pharmaceutique des MTI expérimentaux, comment l'anticiper et la pérenniser (15min)
Sylvain AUVITY
- Rôle de l'Inserm comme animateur de la recherche médicale (15min)
Hélène ESPEROU
- Rôle de l'infrastructure F-CRIN dans l'animation des MTI (15min)
Olivier RASCOL
- Retour d'expérience de l'ARS Grand Est (15min)
Valérie STEVANCE et Séverine DAVESNE
- Accélérateur de Recherche Technologique, un laboratoire unique en France (10min)
Chantal PICHON
- Discussion

Pause déjeuner et échanges

14:15 - 16:00

Table ronde « Rôle des acteurs des thérapies innovantes : industriels, start-up, réseaux »

Modérateur Régis HANKARD

- Agence de l'innovation en santé (15min)
Anne JOUVENCEAU
- Le LEEM (15min)
Juliette MOISSET et Laurent PETIT
- Les aspects médico-économiques et organisationnels des MTI du point de vue de l'industriel (15min)
Isabelle BROCARD, Pfizer
- Intervention Novartis
- Perte de poids chez les patients pédiatriques souffrant d'obésité hypothalamique lésionnelle traités par setmélanotide pendant 12 mois (15min)
Sophie PAPAILHAU, RHYTHM Pharmaceuticals
- Discussion

16:00-16:30

Rendez-vous industriels/académiques

SYNTHESE GENERALE (15min)