

3^e CONFÉRENCE INTERNATIONALE

**LE SYNDROME DE SANFILIPPO ET LES
MALADIES APPARENTÉES**

VISIOCONFÉRENCE

LES 12 & 13 NOVEMBRE 2020



SOMMAIRE

Programme scientifique provisoire.....	p. 3
Organisation de la conférence.....	p. 5
Budget prévisionnel.....	p. 6
Plan de financement.....	p. 7
Propositions de sponsoring.....	p. 8
Conférence 2015, quelques données.....	p. 9
Contacts.....	p. 11

PROGRAMME SCIENTIFIQUE PROVISoire

Jeudi 12 novembre 2020

Matin

➤ **Session 1 - Essais cliniques sur les MPS III : la thérapie génique**

- 1) **Prof. Robert Wynn (keynote), Unité de transplantation de sang et de moëlle, Hôpital des enfants Royal Manchester et Université de Manchester, UK (CONFIRMÉ)**
Rapport sur le tout premier vecteur lentiviral, la greffe de cellules souches génétiquement modifiées chez un patient atteint de MPS IIIA
- 2) **Dr Simon Jones, Unité Willink, Centre de Manchester pour la Médecine Génique, Hôpital Ste Mary, Centre Universitaire des Sciences de la Santé de Manchester, Université de Manchester, UK (CONFIRMÉ)**
Conception d'un essai clinique pour le traitement des mucopolysaccharidoses de type III
- 3) **Mme Karen Pignet-Aiach, Lysogène, Paris, France**

➤ **Session 2 - Essais cliniques sur les MPS III : ERT, SRT, molécules chaperons**

- 1) **Prof. Frits Wijburg (keynote), Dept de Pédiatrie, Centre Médical Universitaire, Amsterdam, Pays-Bas**
Enseignements tirés des études cliniques sur le genisteine et l'héparan-N-sulfatase
- 2) **M. Stephen Maricich, Allievex Corporation, Etats-Unis (CONFIRMÉ)**
Etude 250-202 de la tralectinidase alfa dans les MPS IIIB
- 3) **Seelos Therapeutics, New York, Etats-Unis (CONFIRMÉ)**
Trehalose (SLS-005), une molécule chaperon pour MPS III, OPMS et SCA3

Après-midi

➤ **Session 3 - Autres maladies MPS**

- 1) **Dre Bettina Crockroft, Sangamo Therapeutics, Etats-Unis (CONFIRMÉE)**
Le programme ST-920 pour la maladie de Fabry
- 2) **Inventiva Pharma, Daix, France (CONFIRMÉ)**
IMProveS : un essai clinique de phase IIA de l'odiparcil pour le traitement des adultes atteints de MPS VI
- 3) **Roche/Spark Therapeutics, Bâle, Suisse (CONFIRMÉ)**
SPK-3006, une thérapie génique expérimentale pour le traitement de la maladie de Pompe

➤ **Session 4 - Premiers traitements expérimentaux**

- 1) **Mme Anastasia Henry, Denali Therapeutics USA (CONFIRMÉE)**
Enzyme lysosomale administrée par voie intraveineuse à l'aide d'un véhicule de transport de la barrière hémato-encéphalique
- 2) **Mme Maria Francisca Coutinho, Portugal (CONFIRMÉE)**
Cibler les siRNAs formulés par les particules lipidiques d'acide nucléique stable (SNALP) dans le cerveau comme approche thérapeutique dans la neuropathie associée à la maladie de stockage lysosomale
- 3) **Dr Brian Bigger, Faculté des sciences médicales et humaines, Université de Manchester, UK (CONFIRMÉ)**
Immunité innée dans les MPS - ou - Impact du système immunitaire sur la sécurité et l'efficacité de l'ERT dans les LSDs

Vendredi 13 novembre 2020

Matin

> **Session 5 - Dépistage et diagnostic**

1) Dr Zoltan Lukacs, Institut de chimie clinique / Département de pédiatrie, Centre médical universitaire de Hambourg-Eppendorf, Allemagne (CONFIRMÉ)

Dépistage ciblé des maladies de stockage lysosomales

2) Prof. Lucy Raymond, Université de Cambridge, UK (CONFIRMÉ)

Projet de la prochaine génération d'enfants : séquençage du génome entier pour le diagnostic rapide des enfants gravement atteints par le type III et en soins intensifs

3) M. Francisco J. del Castillo, Espagne (CONFIRMÉ)

Détection précoce des maladies lysosomales par le dépistage des cas de splénomégalie idiopathique et/ou de thrombocytopénie grâce à un panel de gènes de séquençage de nouvelle génération

4) Mme Ana Carolina Brusius-Facchin, Brésil

Sensibilité, avantages, limites et utilité clinique des panels de séquençage ciblés de la prochaine génération pour le diagnostic de certains troubles du stockage lysosomal

> **Session 6 - Familles / Questions-réponses avec les experts scientifiques**

Table ronde animée par le **Dr Armand Bottani, Hôpital du Valais, Institut Central des Hôpitaux, Service de Génétique Médicale, Sion, Suisse (CONFIRMÉ)**

ORGANISATION DE LA CONFÉRENCE

Le Comité d'organisation

- Dre Danielle Bertola-Reymond, Membre du Comité scientifique Fondation Sanfilippo Suisse
- Dr Armand Bottani, Médecin-chef, service de génétique médicale, Hôpital du Valais, Sion, Suisse ; Membre du Comité scientifique Fondation Sanfilippo Suisse
- Mme Isabelle Costes, Directrice Fondation Sanfilippo Suisse
- Mme Corinne Féry-von Arx, Membre du Conseil Fondation Sanfilippo Suisse
- Dr Ron Hogg, Consultant scientifique, Rédacteur médical, Omniscience SA, Genève, Suisse
- Mr Frédéric Morel, Président Fondation Sanfilippo Suisse

Le Comité scientifique

- Dre Danielle Bertola-Reymond
- Dr Armand Bottani
- Dre Susan Hill
- Dr Nicolas Lantz

Nos partenaires



BUDGET PRÉVISIONNEL

180-200 participants

Visioconférence

Forfait d'organisation de la conférence virtuelle 30'000.-

Equipement technique

3 traducteurs de conférence 4'200.-

Location de matériel pour la traduction simultanée 10'000.-

Communication & graphisme

Inscription en ligne (site Internet), flyers, programme 15'000.-

Relations Medias

Contacts avec la presse locale et internationale,
Communiqués de Presse 12'000.-

Coûts indirects

Consultant scientifique, coordinateur, divers 12'000.-

Total **CHF 83'200.-**

=====

PLAN DE FINANCEMENT

1) Fondations sollicitées

Fondation Adrian et Simone Frutiger

Fondation Aga Khan

Fondation Allegra

Fondation Anita Chevalley

Fondation Beausobre et Jayet

Fondation Cyril de Coulon

Gebert Rüt Stiftung

Fondation Hans Wilsdorf

Fondation privée des HUG

Fondation Roger de Spoelberch

StopSanfilippo Fundacion

Fondation Hubert Tuor

Sanfilippo Children's Foundation

2) Entreprises sollicitées

Allievex Corporation

Denali Therapeutics

Inventiva

Lysogene

Orchard Therapeutics

Roche / Spark Therapeutics

Sangamo

Seelos Therapeutics

LES PROPOSITIONS DE SPONSORING

Sponsor Principal CHF 15'000.-

- Possibilité de prendre la parole lors de l'ouverture du congrès ;
- Sponsor officiel de la conférence ;
- Page de publicité soit une couverture soit une double page dans le programme ;
- Inscription à la conférence ;
- Logo (grand format) de votre société projeté sur les écrans plasma pendant l'événement ;
- Société mentionnée comme un des sponsors officiels dans toutes les brochures d'informations ;
- Inclusion dans les annonces de presse et de radio ;
- Liens du site de la conférence au site du sponsor ;
- Nom et logo mentionnés dans le rapport annuel de la Fondation.

Sponsor Exécutif CHF 7'500.-

- Possibilité d'être un modérateur lors d'une session ;
- Page de publicité dans le programme ;
- Inscription à la conférence ;
- Logo (grand format) de votre société projeté sur les écrans plasma pendant l'événement ;
- Inclusion dans les annonces de presse et de radio ;
- Liens du site de la conférence au site du sponsor ;
- Nom et logo mentionnés dans le rapport annuel de la Fondation.

Sponsor Associé CHF 2'500.-

- Demi-page de publicité dans le programme ;
- Inscription à la conférence ;
- Logo (format moyen) de votre société projeté sur les écrans plasma pendant l'événement ;
- Inclusion dans les annonces de presse et de radio ;
- Liens du site de la conférence au site du sponsor ;
- Nom et logo mentionnés dans le rapport annuel de la Fondation.

CONFÉRENCE 2015, QUELQUES DONNÉES

La conférence de **deux jours** s'est ouverte par **deux discours de bienvenue** et **une conférence plénière**.

3 keynotes : Prof. John Hopwood, Prof. Marc Tardieu, Prof. Hans Aerts.

17 présentations orales et **4 posters** exploraient les questions suivantes :

- 1) Dépistage et diagnostic du LSD
- 2) Options de traitement
- 3) Aspects cliniques particuliers du SMP III et nouvelles approches thérapeutiques
- 4) Développement clinique et préclinique du SPM et du LSD connexe
- 5) Règlements

La session avec les familles a consisté en **3 présentations** :

- 1) Conseil génétique et diagnostic prénatal
- 2) Points principaux de la conférence
- 3) Table ronde de questions réponses

Dans le cadre de la conférence, un programme d'activités pour les enfants Sanfilippo était prévu et assuré par une équipe d'animateurs spécialisés de la Fondation Cap Loisirs.

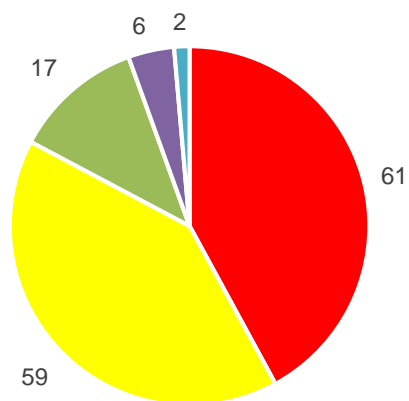
8 entreprises présentes : Abeona Therapeutics (USA), Amicus Therapeutics (USA), Armagen (USA), Dorphan SA (Switzerland), Genzyme (USA), Lysogene (France), Minoryx Therapeutics (Spain), Waypoint Capital (Switzerland).

6 universités présentes : Université Paris Sud (France), Université de Manchester (UK), Université Hambourg-Eppendorf (Allemagne), Université de Manchester (UK), Université de Leiden (Pays-Bas), Université de Genève (Suisse).

145 participants en provenance **de 19 pays** :

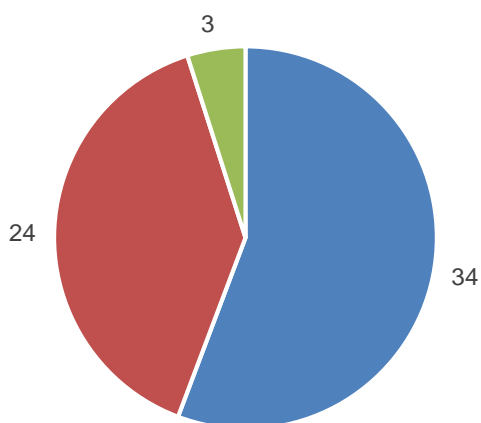
Arabie Saoudite	Etats-Unis	Kazakhstan	Russie
Allemagne	France	Pays-Bas	Suède
Australie	Grèce	Pologne	Suisse
Bosnie	Irlande	Portugal	Turquie
Espagne	Italie	Grande-Bretagne	

Nombres de Participants 2015



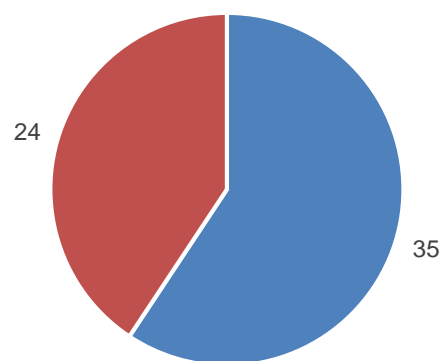
■ Professionnels ■ Familles ■ Fondations
■ Enfants Sanfilippo ■

61 Professionnels



■ Industriels
■ Universitaires
■ Autorités de régulation

59 Familles



■ Familles ■ Groupe de Patients

CONTACTS

Fondation Sanfilippo Suisse

2 rue de Jargonant
1207 Genève
+41 22 700 1822
www.fondation-sanfilippo.ch

Contact medias et sponsors

Mme Isabelle Costes
Directrice
+41 79 751 9300
isabelle.costes@fondation-sanfilippo.ch

Coordonnées bancaires

Montant payable en faveur de la Fondation Sanfilippo Suisse
Avec la référence : Conférence 2020
UBS Genève
Case postale
1211 Genève 2
IBAN : CH67 0024 0240 6121 5302 D
BIC : UBSWCHZH80A
Clearing : 0240