

3rd international conference

SANFILIPPO SYNDROME AND RELATED DISEASES

A digital event

November 12-13, 2020

PROGRAMME SCIENTIFIQUE - 12 & 13 novembre 2020

Inscription en ligne : <https://fondation-sanfilippo.optionk.com>

La Fondation Sanfilippo Suisse remercie ses sponsors

- Official Sponsors -



- Executive Sponsor -



- Associate Sponsors -



Our partners / Nos partenaires :

Fondation
privée des



Jeudi 12 novembre 2020
(Heure d'Europe Centrale)

9:45 Prof. Stylianos Antonarakis, Président et Professeur Emérite de Médecine Génétique, Université de Médecine, Genève, Suisse
Introduction et discours de bienvenue

➤ **Session 1 - Dépistage et diagnostic**

10:00 Prof. Lucy Raymond, Dépt. de Génétique Médicale, Université de Cambridge, RU
Etude sur la prochaine génération d'enfants : Séquençage du génome entier pour un diagnostic rapide des enfants gravement malades en soins intensifs

10:30 Dr Francisco del Castillo, Service de Génétique, Hôpital Ramon y Cajal, Madrid, Espagne
Efficacité des panels de gènes basés sur le NGS comme tests de dépistage de première ligne pour le diagnostic rapide des maladies lysosomales

➤ **Session 2 - Traitements précoces et expérimentaux**

11:30 Dre Maria Francisca Coutinho, Unité de Recherche et de Développement, Dépt. de Génétique Humaine, Institut National de la Santé, Porto, Portugal
Cibler les siRNAs formulés par des particules lipidiques d'acide nucléique stable (SNALP) dans le cerveau comme approche thérapeutique dans la neuropathie associée à une maladie de stockage lysosomal

12:00 Dr Brian Bigger, Faculté des Sciences Médicales et Humaines, Université de Manchester, RU
L'immunité innée dans la maladie de Sanfilippo permet d'identifier les thérapies susceptibles d'améliorer le comportement

12:30 Dre Anastasia Henry, Denali Therapeutics, South San Francisco, USA
Administration dans le cerveau et activité d'une enzyme injectée par voie intraveineuse à travers la barrière hémato-encéphalique à l'aide d'un moyen de transport

➤ **Session 3 - MPS et maladies apparentées**

15:00 Dre Bettina Cockroft, Sangamo Therapeutics, Richmond, California, USA
Le programme ST-920 pour la maladie de Fabry

15:30 Dre Mireille Tallandier, Inventiva Pharma, Daix, France
IMProveS : un essai clinique de phase IIa sur l'odiparcil pour le traitement des adultes atteints de MPS VI

Vendredi 13 novembre 2020
(Heure d'Europe Centrale)

➤ **Session 4 - Essais cliniques sur les MPS III : la thérapie génique**

10:00 Mme Samantha Parker, Lysogene, Paris, France

Programme de thérapie génique de Lysogène pour les MPS IIIA

10:30 Dr Juan Ruiz, Abeona Therapeutics, Dallas, Texas, USA & Dre Maria José de Castro, Hôpital Universitaire de Saint-Jacques-de-Compostelle, Espagne

Les programmes de thérapie génique d'Abeona pour les MPS IIIA et MPS IIIB

11:00 Prof. Robert Wynn, Unité de Transplantation de Sang et de Moelle, Hôpital des Enfants Royal Manchester, Université de Manchester, RU

Rapport sur le tout premier vecteur lentiviral, la greffe de cellules souches génétiquement modifiées chez un patient atteint de MPS IIIA

➤ **Session 5 - Études cliniques en MPS III : ERT, SRT et molécules chaperons**

14:00 Dr Steve Maricich, Allievex Corporation, Marblehead, Massachusetts, USA

Thérapie de substitution enzymatique intracérébroventriculaire d'Allievex avec tralesenidase alfa pour le traitement des MPS IIIB

14:30 Dr Raj Mehra, Seelos Therapeutics, New York, USA

Tréhalose (SLS-005), une molécule chaperon pour MPS III, OPMD et SCA3

➤ **Session 6 - Table ronde Q & R**

15:30 Session avec des experts scientifiques (90mn) - Ouvert à tous les participants inscrits
Modérateur : **Dr Armand Bottani, Hôpital du Valais, Institut Central des Hôpitaux, Service de Génétique Médicale, Sion, Suisse**

17:00 Mr Frédéric Morel, Fondateur & Président Fondation Sanfilippo Suisse, Genève, Suisse

Discours de clôture