

Mai
11-12
2017

FORMATION



« Orphan drug and rare disease - Accelerating access to therapeutic innovation » 4^{ème} édition

Les 11 et 12 mai 2017, l'Université Claude Bernard EUDIPHARM, la plate-forme de service OrphanDev labellisée F-CRIN et l'antenne Formation de la Coordination de F-CRIN co-organisent la 4^{ème} édition de la formation «Orphan drug and rare disease - Accelerating access to therapeutic innovation».

Bien que la méthodologie demeure l'objectif principal du programme, cette année sera également l'occasion d'aborder plus spécifiquement les outils EMA dans le développement de médicaments mais également les questions autour de la médecine personnalisée.

Pour qui ?

Cette formation s'adresse aux professionnels de la recherche clinique, aux porteurs de projets mais aussi aux associations de patients, impliqués dans les maladies rares et dans le développement de médicaments orphelins.

Pourquoi ?

Cette formation vise à sensibiliser les acteurs de la recherche clinique sur les spécificités du développement de médicaments pour les maladies rares :

- Identifier les outils pour le développement de médicaments
- Consolider les pratiques
- Appréhender les enjeux

Comment ?

Les participants auront l'opportunité de discuter et approfondir les sujets proposés par le biais de :

- Capitalisation des connaissances
- Retours d'expériences
- Projection des pratiques
- Interactions et échanges avec les acteurs de la recherche clinique

LES



Méthodes participatives actives
Interventions d'experts du domaine
Approche outils et méthodologie
Participation des acteurs de la recherche clinique

Acteurs de la formation

Intervenants

European Medicines Agency
ANSM
Experts académiques
Experts du secteur privé
Associations de patients
[...]

Comité de pilotage

Eudipharm
Behrouz Kassaï & Catherine Cornu
OrphanDev
Olivier Blin & Cécile Colombar
F-CRIN
Vincent Diebolt & Allan Wilsdorf

Partenaires



Date : 11 et 12 mai 2017

Lieu : Marseille – Hôpital La Timone

Formation en anglais

Inscription en ligne : [lien](#)

Contact: leila.bachir@inserm.fr



Mai
11-12
2017

PROGRAMME



« Orphan drug and rare disease - Accelerating access to therapeutic innovation » 4^{ème} édition

Journée 1 – Jeudi 11 mai 2017

Ouverture - 13:30

- **Café d'accueil** 
- **Discours d'ouverture**
Pr Behrouz Kassai, CHU de Lyon

Développement du médicament : les outils de l'EMA

- **Désignation orpheline et assistance à l'élaboration de protocole: des incitations pour le développement de traitements dans le domaine des maladies rares**
Annie Lorence, ANSM, membre du COMP (Committee for Orphan Medicinal Products - Comité pour les médicaments orphelins) à l'EMA (European Medicines Agency - Agence européenne du médicament)
- **Un retour d'expérience académique dans le développement thérapeutique : Fraction Vasculaire Stromale issue du tissu adipeux pour le traitement de la sclérodémie**
Dr Jérémy Magalon, Laboratoire de thérapie et culture cellulaire, Hôpital de la Conception, AP-HM

Discussions



- **Plan d'investigation pédiatrique**
Sylvie Benchetrit, ANSM
- **Retour d'expérience : développement du Macitentan pour le traitement de l'hypertension artérielle pulmonaire chez l'enfant**
Catherine Lesage, Directrice principale, Responsable du programme de science clinique pédiatrique, Actelion

Discussions

Zoom Actualité - PedCRIN : un projet de renforcement des capacités pour les essais cliniques pédiatriques multinationaux

Salma Malik, PedCRIN

Clôture - 17:30

Mai
11-12
2017

PROGRAMME



« Orphan drug and rare disease - Accelerating access to therapeutic innovation » 4^{ème} édition

Journée 2 – Vendredi 12 mai 2017

Ouverture - 08:30

- Café d'accueil



Zoom Actualité - Définition des priorités de recherche en santé

Pr Behrouz Kassai, CHU de Lyon

Méthodologie

- **Présentation et retours d'expérience: exemple d'un essai de taille 1 et de leur méta-analyse dans la maladie de Wilson**

Pr Stéphane Thobois et Pr Behrouz Kassai, CHU de Lyon



Repositionnement du médicament

- **Repositionnement du médicament: de nouvelles indications pour des médicaments existants**

Pr Olivier Blin, Responsable du département de pharmacologie clinique, Hôpital de la Timone, AP-HM, Coordinateur d'Orphandev

- **Retour d'expérience: repositionnement du Rimeporide dans la myopathie de Duchene**

Florence Porte Thomé, Directrice R&D, Fondation EspeRare

Médecine personnalisée [1/2]

- **Atelier participatif [1/2]**

Leïla Bachir, F-CRIN

12:30 – Pause déjeuner – 13h30

Médecine personnalisée [2/2]

- **Médecine personnalisée dans le traitement de la mucoviscidose**

Dr François Vermeulen, Université catholique de Louvain

- **Développement de médicament dans le traitement de la progeria**

Pr Nicolas Levy, Responsable du département de génétique médicale, Hôpital de la Timone, AP-HM

- **Atelier participatif [2/2]**

Leïla Bachir, F-CRIN

- **Table ronde** avec des acteurs universitaires et de l'industrie ainsi que des représentants des patients, des enfants experts et des autorités réglementaires

Clôture - 15:30

Mai
11-12
2017

INFORMATION



Orphan drug and rare disease Accelerating access to therapeutic innovation

Inscriptions en ligne

Site web de l'infrastructure F-CRIN : [formulaire d'inscription](#)

Tarifs

Académiques/institutionnels

Première inscription: 300€ (J2 seul) / 450€ (J1+J2)

Inscription supplémentaire pour une même structure: 250€ (J2 seul) / 400€ (J1+J2)

Etudiants

Tarif unique : 50€ (J2 seul) / 80€ (J1+J2)

Pause café et déjeuner inclus

Organisation du secteur privé

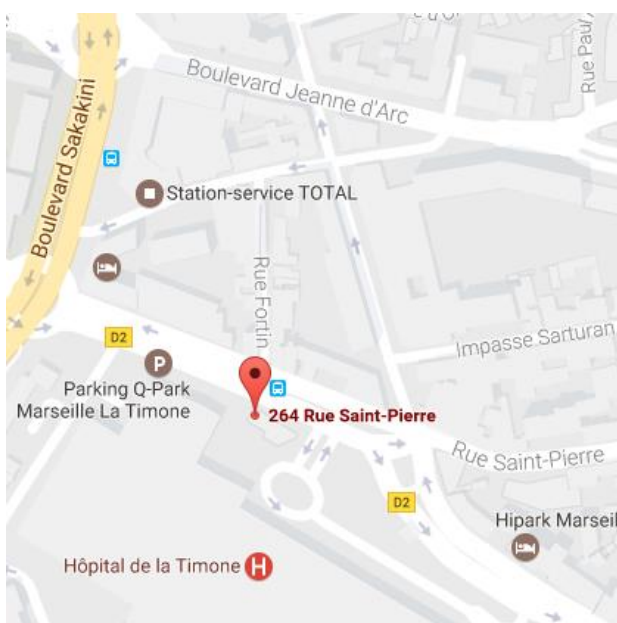
Première inscription: 450€ (J2 seul) / 650€ (J1+J2)

Inscription supplémentaire pour une même structure: 400€ (J2 seul) / 600€ (J1+J2)

Associations de patients

Tarif unique : 50€ (J2 seul) / 80€ (J1+J2)

Accès au site



Adresse

Amphithéâtre HA2
Hôpital La Timone
264 Rue Saint-Pierre - 13005 Marseille

Coordonnées GPS

43.291712, 5.402719

Contact téléphonique

Votre contact sur place
Leïla Bachir
05 34 55 75 87

Métro

Ligne 1, station Timone