

# 5 ÈME JOURNÉE DE RECHERCHE THÉMATIQUE "THÉRAPIE GÉNIQUE"

**19 SEPTEMBRE 2023 DE 9H30 À 17H30**  
EN PRESENTIEL À PARIS ET EN WEBCONFERENCE LIVE

## PROGRAMME

**9h30 - 10h00** • Accueil café et viennoiserie

**10h00 – 13h00** • Présentation de l'actualité recherche en Thérapie Génique par la filière MHEMO

- INSERM – Université de Nantes - Oumeya Mia Adjali : AAV-based Gene Therapy : From Bench to Bedside
  - INSERM - GENETHON - Mario Amendola : Gene therapy for haemophilia, progress and remaining challenges
- CHU-Strasbourg - Yvan Deferaudy : Amyotrophie spinale et thérapie génique : retour d'expérience en pédiatrie

**13h00 – 13h45** • Pause déjeuner

**13h45 – 17h30** • Présentations

- AFH - Geneviève Piètu : présentation des résultats de l'enquête sur la connaissance des patients de la Thérapie Génique
  - CRH – Yesim Dargaud : présentation du parcours de soin pour la Thérapie Génique (Hub&Spoke) et présentation de l'outil de prise de décision partagée (PDP)
  - FranceCoag – Roseline D'Oiron : recueil des données de Thérapie Génique en France par le dispositif FranceCoag

**PAUSE DE 10 MINUTES**

- Steven Pipe (University of Michigan) Strategies to improve efficacy and safety of hemophilia gene therapy
- Table ronde avec les tutelles, l'AFH et les professionnels de santé