

**Formation :**  
**La preuve de concept en recherche maladies rares et sa protection**

8h45 Accueil

<b>9h - 10h45</b>		<b>Module Pré-clinique</b>
9h -10h15	La preuve de concept préclinique : <ul style="list-style-type: none"> <li>• Du mécanisme moléculaire à la preuve de concept</li> <li>• Développement de modèles in vitro et vivo</li> <li>• Expérimentations précliniques à visée réglementaire</li> </ul>	<b>Eric Dessaud</b> , Responsable Développement Clinique - Progelife
10h15 – 10h45	Retour d'expérience du développement d'un modèle pré-clinique dans le syndrome de Rett	<b>Jean-Christophe Roux</b> , Directeur de Recherche, UMR_S 910, Génétique Médicale et Génomique Fonctionnelle.

10h45 -11h Pause Café

<b>11h -12h30</b>		<b>Module Clinique</b>
11h – 12h	La preuve de concept clinique dans les maladies rares : <ul style="list-style-type: none"> <li>• Contexte réglementaire des essais cliniques dans les maladies rares</li> <li>• Particularité de la recherche clinique et de l'évaluation d'un candidat médicament</li> <li>• Médicaments expérimentaux</li> <li>• Méthodologie et outils statistiques disponibles pour les essais à faible effectif</li> </ul>	<b>Olivier Blin</b> , Coordonnateur OrphanDev, et chef de Service de Pharmacologie Clinique et de Pharmacovigilance, CHU Timone  <b>Maya Allouche</b> , Chef de projet, OrphanDev
12h – 12h30	Retour d'expérience : « <i>le développement de médicament, quelle vérité ?</i> »	<b>Frederic Marin</b> , Fondateur OP2 Drugs

12h30-14h Déjeuner : Buffet sur place

<b>14h – 16h</b>		<b>Module Protection de la preuve de concept</b>
14h – 14h45	<ul style="list-style-type: none"> <li>• De la preuve de principe à la valorisation : quelles étapes ?</li> </ul>	<b>Nicolas Pineau</b> – Responsable Régional Sud-Ouest Fondation Maladies Rares
14h45-15h30	<ul style="list-style-type: none"> <li>• La protection de l'innovation, la brevetabilité</li> </ul>	<b>Dien Vinh Hoang Dinh</b> , Ingénieur Brevets – SATT Sud-Est
15h30 -16h	Retour d'expérience	<b>Pierre Cau</b> , Professeur Emérite - UMR_S 910, Génétique Médicale et Génomique Fonctionnelle.