



Theme Day 2026


ICM, Paris | 17 March 2027

Programme

Tuesday 17 March

10:00-10:30	Registration & welcome coffee
10:30-12:15	<p>Session 1: AAV vector manufacturing</p> <p>Chairs: Caroline Le Guiner, Laura Giersch</p> <p>10:30 Welcome</p> <p>10:40 Eduard Ayuso, Dinamiqs INV01: 5 strategies to be successful in AAV manufacturing</p> <p>11:10 Vu Hong, Genethon, INSERM U951, University Paris-Saclay OR01: AI-designed AAV capsid delivers high-efficiency muscle gene transfer for low-dose therapy</p> <p>11:25 Mathieu Mevel, Laboratoire TaRGeT INSERM UMR1089 OR02: Carbohydrates modified adeno-associated virus-derived vectors: an alternative to enhance gene expression in targeted tissues</p> <p>11:40 Lisa Le Dortz, CEA, Paris OR03: Improving Adeno-associated virus (AAVs) vectors purification: a novel affinity chromatography approach</p> <p>11:55 Poster Pitches (10 x 2 min) P01 to P10</p>
12:30-13:15	Lunch
13:15-14:00	Poster session
14:00-15:15	<p>Session 2: AAV vector efficacy</p> <p>Chairs: Capucine Trollet, Haniyeh Youssef Zadeh</p> <p>14:00 Thierry VandenDriessche, VUB, Brussels INV02: Next-generation AAV gene therapy for muscle and bleeding disorders</p> <p>14:30 Louisa Jauze, Genethon, Evry OR04: Liver-specific hAAT-driven G6PC1 expression achieves durable metabolic correction with a favorable safety profile in a murine model of glycogen storage disease type Ia</p> <p>14:45 Justine Mittler, Institut du Cerveau, Paris OR05: Combine intravenous gene therapy over expressing CYP46A1 and BBB opening can rescue Parkinson disease in a NHP induces PD model</p> <p>15:00 Marion Derome, Genethon, Evry OR06: Intra-CSF AAV9-mediated ASAH1 gene delivery prevents neurological manifestations in P361R-Farber mice</p>



15:15-15:45	Coffee break and posters
15:45-17:05	Session 3: AAV vector safety  Chairs: Gloria Gonzalez Asequinolaza, Malo Journou 15:45 Laurence Jeanson , <i>Genosafe</i> Sponsor presentation 15:50 Gwladys Gernoux , <i>TaRGeT (Translational Research in Gene Therapy)</i> INV03: Immune-Mediated Toxicities in AAV Gene Therapy 16:20 Allwyn Pereira , <i>Nantes Université, CHU Nantes, INSERM, TaRGeT (Translational Research in Gene Therapy - UMR 1089)</i> OR07: The impact of AAV serotypes on microglia-mediated inflammation in retinal gene therapy 16:35 Pedram Moeini Gavgani , <i>CIMA Universidad de Navarra, Pamplona</i> OR08: DNA damage/p53, innate immune, and unfolded protein responses activated in primate liver after toxic high-dose AAV-SMN1 delivery 16:50 Pauline Vidal , <i>Genethon, Evry</i> OR09: Synergistic Double-Muscle Promoter Engineering Enhances AAV Gene Therapy for Neuromuscular Diseases
17:05-17:15	Closing and awards
17:15-18:00	Interlude breton
18:00-19:30	Table ronde sur les traitements de thérapie génique et cellulaire, avec les associations de patients et échanges avec les experts du domaine (lieu accessible aux personnes à mobilité réduite) Chairs: Françoise Piguet, Oumeya Adjali <ul style="list-style-type: none">• Enjeux économiques : pourquoi les thérapies géniques et cellulaires sont-elles si coûteuses ?• Accessibilité : comment garantir un accès équitable à ces traitements ?• Mise sur le marché : quelles étapes avant la mise à disposition (essais, autorisations, remboursement, délais) ? <p>Un moment d'échange pour croiser les points de vue des associations de patients, des patients, des cliniciens, des pouvoirs publics et des industriels.</p> <p>Famille Hooge en présence de d'Augustin, traité par thérapie génique pour la leucodystrophie métachromatique (MLD)</p> <p>Pr Alain Fischer, médecin pédiatre et chercheur en immunologie, Hôpital Necker et Institut Imagine, membre du Collège de France</p> <p>Pr Kumaran Deiva, médecin neuropédiatre et chercheur, Hôpital Kremlin-Bicêtre, membre de l'Institut Universitaire de France</p> <p>Mr Alain Olympie, administrateur de l'Alliance Maladies Rares</p> <p>Dr Laura Benkemoun, conseillère recherche à la Fondation Maladies Rares</p> <p>Mmes Cécile Sourdon et Pascale Vincendon, directrice générale et directrice des affaires médicales, Orchard Therapeutics France</p> <p>En présence du Dr Anne Jouvenceau, Agence de l'Innovation en Santé, coordinatrice de la stratégie nationale d'accélération des biothérapies auprès du gouvernement</p>
19:30-20:30	Cocktail et échanges informels suite à la table ronde

With thanks to our sponsors and partners

Or

GenoSafe

Argent



Bronze



Partenaires

