

FORMATION

## THERAPIES GENIQUES

Du prototype à la clinique :  
Prérequis réglementaires

**Judi 10 et Vendredi 11 Janvier 2019**  
(1,5 jour)

Hôtel Warwick - PARIS



APPROVED





# PRÉSENTATION

Contact : ifep@white-tillet.com ou au 01.60.08.43.85

## Intervenants :

### **Isabelle PENGUE KOYI**

Regulatory Affairs Manager, GenSight Biologics

### **Nicole BRUMENT**

Production Manager, Horama

### **Nicolas FERRY**

Consultant, Praticien Hospitalier, Département de Thérapie Cellulaire, Hôpital Saint-Louis

### **Frédéric LALLEMAND** - Expert CMC, Consultant

Tél : +33 (0)6 60 72 64 03; Email : fl@lallemandconseil.fr

### **Aurelio ZERIAL** - Expert Affaires Réglementaires et Formation, Consultant

Tél : +33 (0)6 77 79 74 05; Email : aurelio.zerial@free.fr

## Date :

Judi 10 et Vendredi 11 Janvier 2019 (une journée et demie)

## Lieu :

Hôtel Warwick  
5 rue de Berri  
75008 Paris

## Personnes concernées :

Cette formation a pour objectif de former cadres et techniciens d'entreprises biomédicales (start-ups, PME) au développement de produits de thérapie génique, de la conception à la clinique.

## Qu'attendre de cette formation :

### Le participant trouvera :

- Une compréhension du cadre réglementaire régissant ces produits.
- Comment bâtir le développement de ces produits sur les plans pharmaceutique, préclinique et clinique.
- Moyen d'interagir avec des spécialistes du domaine et récolter leurs conseil

## Moyen pédagogiques :

Ordinateur  
Écran 90"  
Présentations  
Tableau effaçable  
Questionnaire d'évaluation

## Méthodes pédagogiques :

Exposés, exemples concrets et discussions

## Modalité de reconnaissance de la formation :

Remise d'une attestation de fin de formation



# PROGRAMME

Contact : ifep@white-tillet.com ou au 01.60.08.43.85

---

## 08h30 Accueil des participants et tour de table de leurs attentes

---

## 09h00 Définitions et Cadres Réglementaires - Isabelle PENGUE KOYI

- Médicaments de thérapie innovante, médicaments de thérapie génique ou autre : comment s'y retrouver.
- Analyse d'impacts de la classification #1 : cadre réglementaire.
- Exemples d'applications thérapeutiques et de produits commercialisés.
- Analyse d'impact de la classification #2: développement pharmaceutique (différences avec autres médicaments).

---

## 11H15 Pause

---

## 11h45 Les essais précliniques - Nicolas FERRY

- Principes généraux. Cadres Réglementaires.
- Particularités de la thérapie génique.
- Méthodes analytiques.
- Modèles animaux. Preuve de concept.

---

## 13h00 Pause Déjeuner

---

## 14h15 Les essais préclinique (suite)

- Pharmacocinétique et biodistribution.
- Toxicologie.
- Approche par le risque.
- Discussion à partir d'exemples.

---

## 15h00 Les essais cliniques - Nicolas FERRY

- Généralités, types d'essais cliniques.
- Cadres Réglementaires.

---

## 15h45 Pause

---

## 16h15 Les essais cliniques (suite)

- Utilisation confinée des OGM.
- Stratégies de développement des CAR-T cells.
- Discussion à partir d'exemples

---

## 17h30 Fin de la session de la 1ère journée

---

## 08h30 Accueil des participants (2ème journée)

---

## 08h45 Les Données CMC - Nicole BRUMENT

- Généralités : pourquoi la thérapie génique?
- Processus « générique » (logigramme standard): Starting materials, Phase de culture/expansion , Downstream process, Fill and Finish, Storage, QC, Supply.
- Challenges relatifs aux MP: Choix et qualité des cellules et plasmides, Conformité aux BPF, Lots précliniques et cliniques.

---

## 10h45 Pause

---

## 11h15 Les Données CMC (suite)

- Challenges relatifs au process : Design, Validation et conséquences, Environnement de production, Clearance virale, Formulation et conditionnement, Sous-traitance.
- Challenges relatifs au Contrôle Qualité : IPC, DS, DP, Sécurité virale, Test d'expression de l'insert et activité biologique.
- Challenges relatifs à la stabilité.
- Challenges relatifs au stockage et à la distribution.
- Challenges relatifs à la certification: Spécifications, Vue d'ensemble de la procédure de certification,
- Discussion

---

## 13h00 Fin de la formation



# FORMULAIRE

Contact : ifep@white-tillet.com ou au 01.60.08.43.85

Bulletin individuel à compléter en ligne ou à photocopier, compléter et nous retourner par fax au 01.60.08.00.22 (A l'attention du Cabinet White-Tillet -IFEP) ou par mail (ifep@white-tillet.com).

FORMATION : THGE 10 -11 Janvier 2019

Merci de joindre un justificatif en cours de validité pour les tarifs préférentiels

Prix HT : Participant en Poste 1200€ HT Participant en recherche d'emploi 600€ HT

## Entreprise ou organisme du participant

Le Cabinet WHITE-TILLET est enregistré pour la formation sous le n°11755548575 auprès du préfet de région d'Ile-de-France. Cette formation sera prise sur le budget formation de l'entreprise, aussi merci de m'envoyer:

Une convention de formation Une attestation de présence

Raison social : .....

Adresse : .....

Code Postal : ..... Ville : ..... Pays : .....

Établissement à facturer Prise en charge par organisme collecteur

Il vous appartient de vérifier l'imputabilité de votre formation auprès de votre OPCA et de faire votre demande de prise en charge avant la formation

Raison social : .....

Adresse : .....

Code Postal : ..... Ville : ..... Pays : .....

## Participant

Médecin Pharmacien Inscrit à l'ordre No de RPPS / AMELI : .....

Mme M. Docteur Professeur

Nom : ..... Prénom : .....

Adresse de convocation : .....

Code Postal : ..... Ville : ..... Pays : .....

Téléphone ligne directe : ..... Fax ligne directe : .....

E-mail : .....

Fonction : .....

Service : .....

## Responsable formation ou chargée de la gestion administrative

Mme M. Nom : ..... Prénom : .....

Fonction : .....

Adresse : .....

Code Postal : ..... Ville : ..... Pays : .....

Téléphone ligne directe : ..... Fax ligne directe : .....

E-mail : .....

N° bon de commande à reporter sur la facture : .....

## Mode de règlement

Par Chèque libellé à l'ordre du cabinet WHITE-TILLET

Par virement bancaire à l'ordre de :

« WHITE-TILLET », LCL Bourges Chancellerie – Banque : 30 002

Guichet : 05 738 - No de compte : 00 000 702 12 Q - Clé : 75

IBAN FR74 3000 2057 3800 0007 0212 Q75

Votre inscription ne sera considérée comme définitive qu'après réception de votre bulletin d'inscription signé et du règlement des frais d'inscriptions. La signature de ce bulletin d'inscription vaut bon de commande et signifie acceptation sans réserve des conditions de participation mentionnées dans le programme de cette formation.

Déclare avoir pris connaissance des conditions de vente.

Nom : ..... Prénom : ..... Date : .....

Fonction : ..... Signature :



# INFORMATION

Contact : [ifep@white-tillet.com](mailto:ifep@white-tillet.com) ou au 01.60.08.43.85

## Lieu

Hôtel Warwick - 5, rue de Berri - 75008 - Paris  
Téléphone : 01 45 63 14 11  
Métro : George V à 250m

## Horaires

Accueil : 08h30  
Formation : 9h00 - 17h30 (Jour 1) 9h00 - 13h00 (Jour 2)  
Déjeuner : 13h00 - 14h15

## Renseignements

WHITE-TILLET-IFEP  
24, rue Gambetta  
77400 Lagny-sur-Marne  
Tél : 01.60.08.43.85  
Fax : 01.60.08.00.22  
E-mail : [ifep@white-tillet.com](mailto:ifep@white-tillet.com)

## Participation

Participant en poste : 1200€ HT (+ TVA 20%)  
Participant en recherche d'emploi : 600€ HT (+ TVA 20%)

## Questions écrites préalables

Si vous souhaitez poser certaines questions aux intervenants préalablement à la session de formation, merci de les faire parvenir à l'adresse suivante :

WHITE - TILLET - IFEP  
24, rue Gambetta - 77400 Lagny-sur-Marne  
Ou par :  
Fax : 01 60 08 00 22

E-mail : [ifep@white-tillet.com](mailto:ifep@white-tillet.com)

Les réponses aux questions, transmises sous anonymat aux intervenants, seront apportées par ces derniers lors de la formation

## Inscription

Dès réception de votre bulletin d'inscription (accompagné de votre règlement par chèque sauf si le paiement se fait par virement), une convention de formation vous sera adressée, accompagnée de votre convocation et d'un plan d'accès. Votre inscription ne sera considérée comme définitive qu'après réception de votre bulletin d'inscription et règlement de vos frais d'inscription.

## Mode de paiement

Vous nous adressez lors de votre inscription un chèque à l'ordre du cabinet WHITE-TILLET, ou un virement après réception de la facture, en mentionnant le nom du ou des participants sur le bulletin d'inscription. Toute formation commencée sera due en totalité.

## Annulation

Annulation : pour toute annulation reçue deux semaines au moins avant la formation, seuls les frais d'inscription payés seront remboursés. Au-delà, ils seront dus en totalité quel que soit le motif de l'annulation (y compris en cas de mouvements de grève ou de difficultés techniques ou climatiques perturbant les transports).

Transfert d'inscription sur une autre session de formation : les transferts seront acceptés moyennant des frais supplémentaires de 90 € par journée de formation.

Remplacements : les remplacements de stagiaire seront admis.

Les demandes d'annulation, de transfert et de remplacement devront être formulées par écrit et adressées impérativement par e-mail ([ifep@white-tillet.com](mailto:ifep@white-tillet.com)) pour être prises en compte.

Annulation des organisateurs : les organisateurs se réservent la possibilité d'annuler cette formation à tout moment et pour quelque raison que ce soit. Dans la mesure du possible, les stagiaires inscrits seront avertis par écrit. Seuls les frais d'inscription payés seront remboursés, tout comme dans l'hypothèse d'une annulation due à un cas de force majeure survenu notamment le jour même de la formation.