

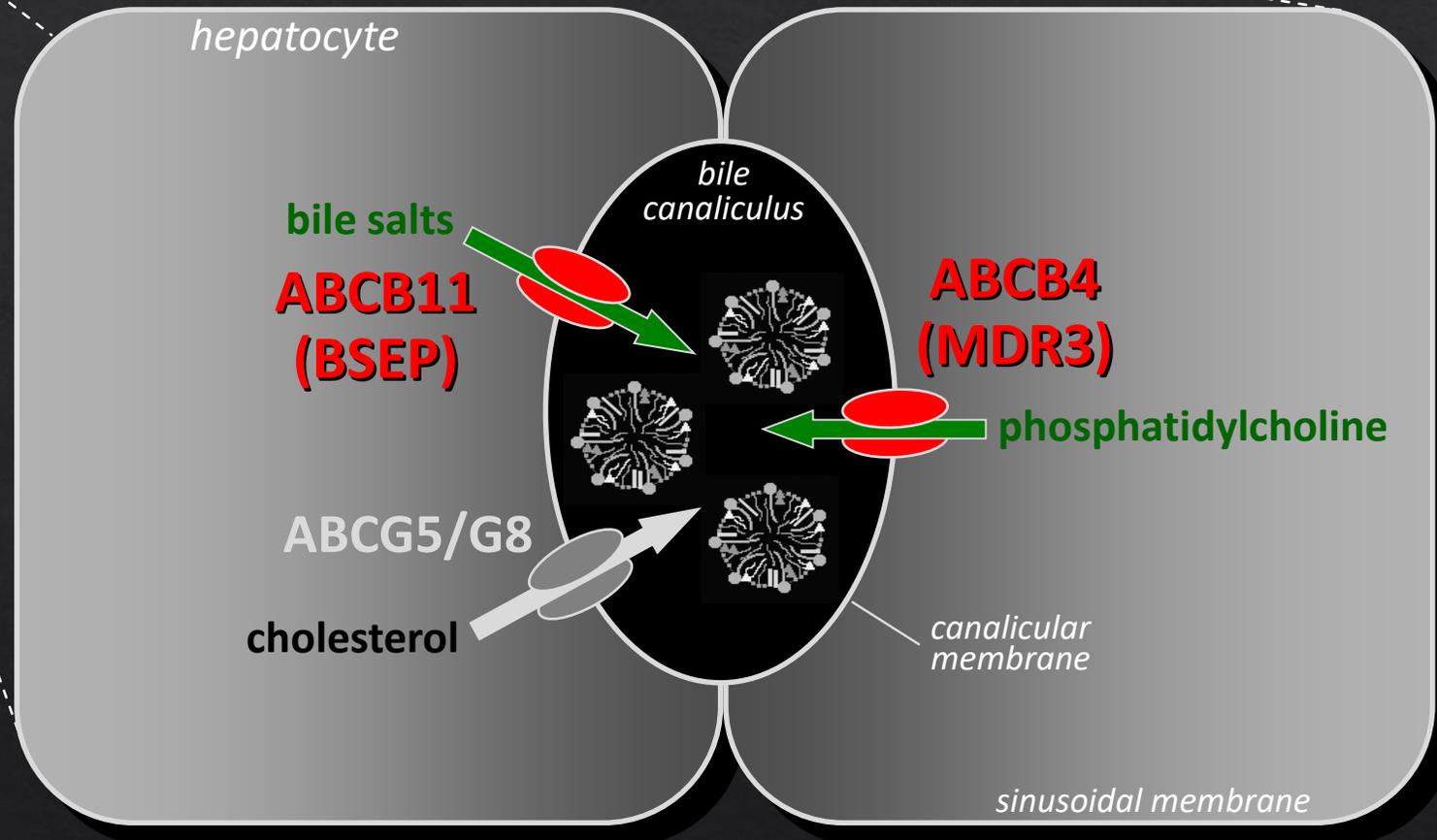
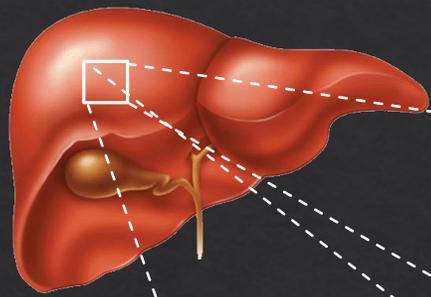
# Enjeux du développement des traitements pour les maladies rares du foie et comment les surmonter

Thomas Falguières, PhD

UMR\_S 1193 Inserm / Université Paris-Saclay  
Laboratory « Biliary homeostasis and Liver repair »  
Faculty of Science – Orsay, FRANCE

[thomas.falguieres@inserm.fr](mailto:thomas.falguieres@inserm.fr)

# Bile secretion and ABC transporters

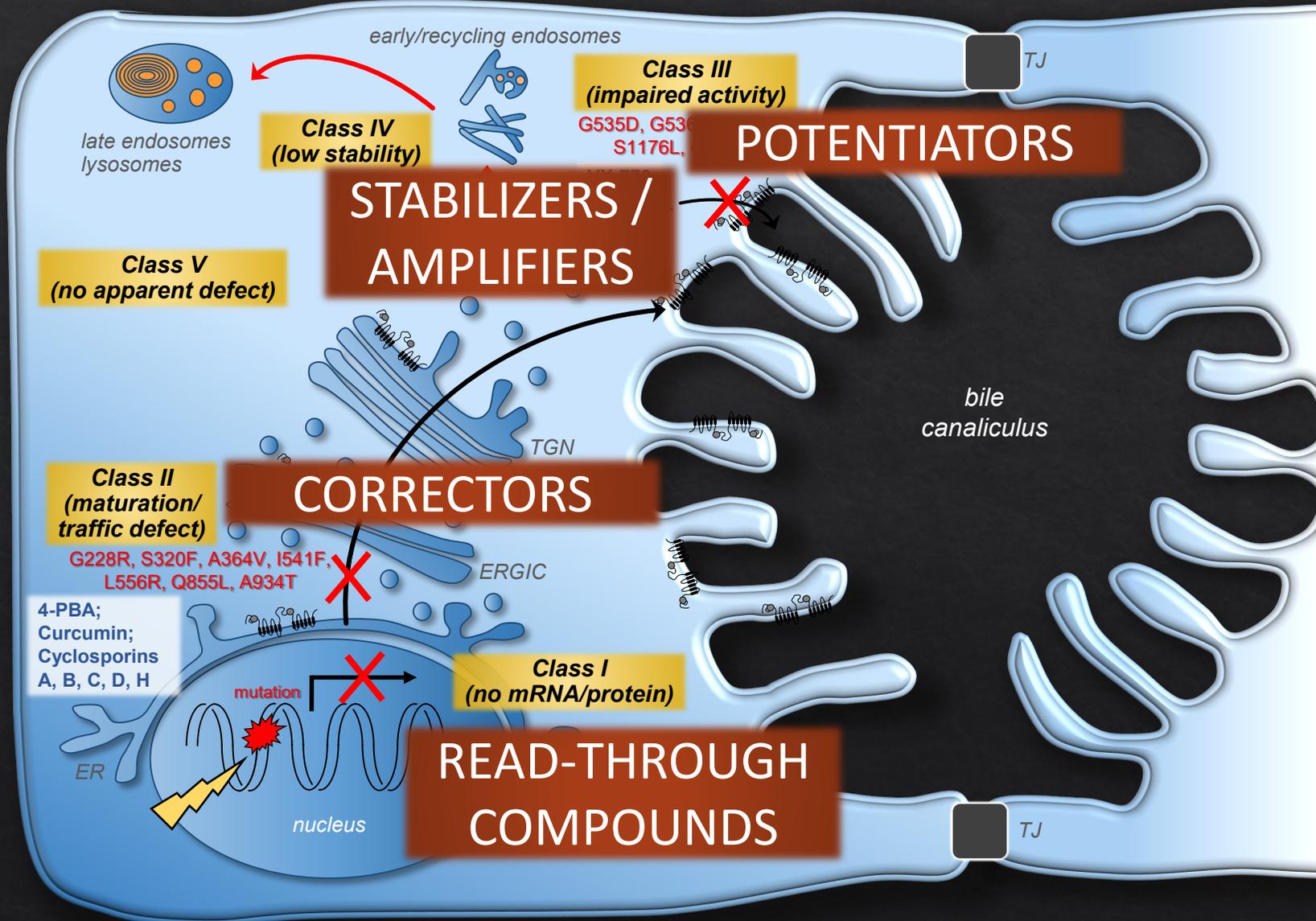


→ Genetic variations in rare cholestatic human diseases (PFIC2/3, LPAC syndrome, BRIC, ICP)

→ Development of targeted pharmacotherapies (small molecules)

# Enjeux du développement des traitements pour les maladies rares du foie et comment les surmonter

## 1. Comprendre les mécanismes moléculaires dans des conditions normales et pathologiques



# Enjeux du développement des traitements pour les maladies rares du foie et comment les surmonter

## 1. Comprendre les mécanismes moléculaires dans des conditions normales et pathologiques

→ Recherche fondamentale (modèles cellulaires)

## 2. Recherche de molécules correctrices mais non-inhibitrices

→ Recherche fondamentale (modèles cellulaires)

## 3. Potentialiser l'efficacité des molécules candidates

→ Optimisation chimique des molécules (synthèse chimique et modélisation *in silico*)

→ Combinaison avec d'autres thérapies (autres molécules, thérapie génique...)

## 4. Validation préclinique (modèles animaux)

→ Développement de modèles murins mimant la pathologie humaine

→ Analyse de la restauration de la sécrétion +/- traitement

## 5. Développement industriel des molécules

→ Valoriser les travaux de recherche (brevets)

→ Démarcher et intéresser les industriels

