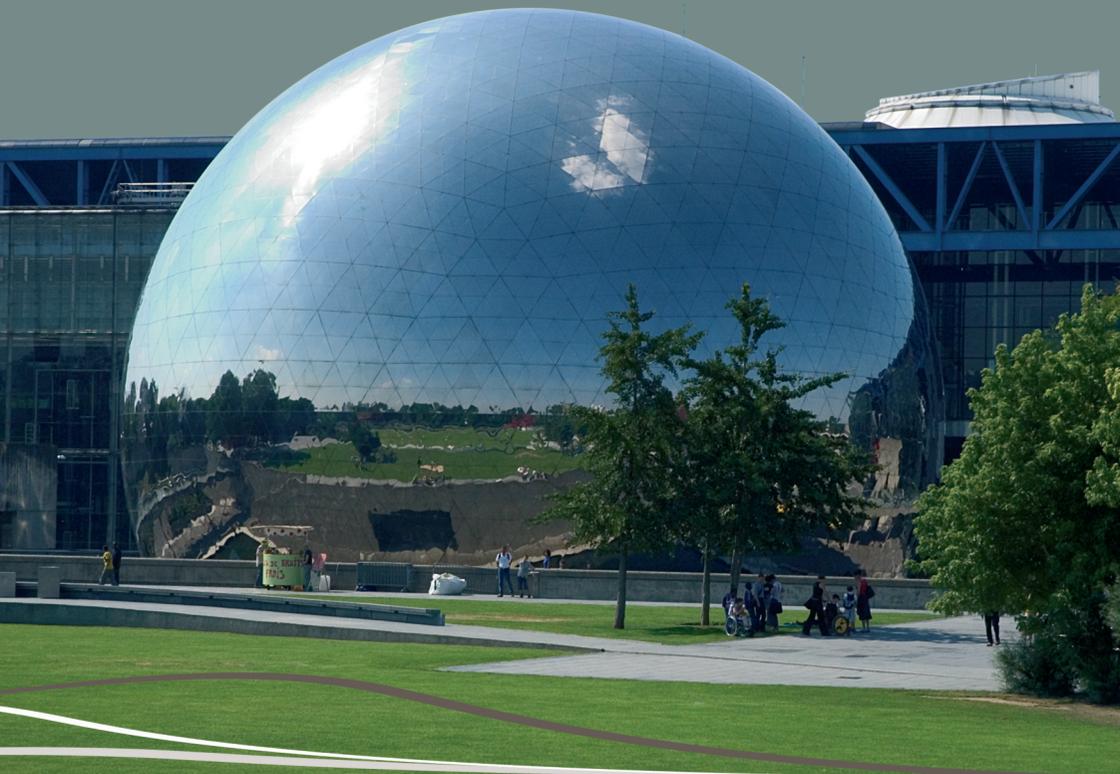




rare 2017

Les 5^{èmes} rencontres des maladies rares

en partenariat avec



Programme préliminaire

20 et 21 Novembre 2017
Cité des sciences
& de l'industrie
Paris, France
www.rare2017paris.fr

/ rare 2017

rare 2017 est la 5^{ème} édition des rencontres des maladies rares qui a pour but de promouvoir en France une politique de santé et de recherche au service des personnes atteintes de maladies rares.

rare 2017 réunit tous les acteurs : décideurs publics, représentants de malades, professionnels de la santé et de la recherche, industriels du médicament, des dispositifs médicaux et des technologies de santé, tous réunis par la conviction que les solutions aux multiples problèmes supplémentaires que posent la rareté des maladies, ne peuvent être identifiées et surtout mises en œuvre que collectivement.

Ces rencontres, portées par la Fondation maladies rares en partenariat avec Eurobiomed, seront une fois de plus un laboratoire d'idées et d'analyses pour avancer vers un système de santé plus équitable et performant, plus de connaissances pour la prise de décision en santé, des innovations au service des besoins non satisfaits, et plus de qualité de vie pour les malades et leur famille.

/ PRÉSENTATION

Les 5^{èmes} rencontres **rare** sont un lieu privilégié d'échanges, d'informations et de discussions.

Organisation

Organisée tous les 2 ans, par Eurobiomed à Montpellier, les rencontres **rare** ont connu un succès croissant avec de plus en plus de participants et sont devenues l'événement français de référence en termes de partenariats sur les maladies rares. Fort de cette réussite, cette 5^{ème} édition des rencontres rare aura lieu pour la première fois à Paris les 20 et 21 novembre 2017 et sera portée par la Fondation maladies rares en partenariat avec Eurobiomed.

Objectifs

Ces rencontres visent à développer les partenariats entre les acteurs des maladies rares. Cette manifestation est très originale par son approche terrain et par ses aspects opérationnels orientés vers les entreprises et vers le partenariat public-privé. Elle s'articule autour de conférences plénières et de tables-rondes scientifiques, d'une convention d'affaires (ou rencontres partenariales), de présentation de posters.

Participants

Tout acteur de la santé et de la recherche : équipes de recherche académiques, équipes médicales experts de la prise en charge des maladies rares, associations de malades, pouvoirs publics (Autorités de santé, Ministère de la santé, Ministère de la recherche), laboratoires pharmaceutiques ...

Le Comité Scientifique

POUR LES ASSOCIATIONS DE MALADES :

Hélène Bérrué-Gaillard,
Association Maladies Foie Enfants (AMFE)

Mathieu Boudes,
EURORDIS

Christophe Duguet,
AFM-Téléthon

Mélanie Gallant-Dewavrin,
Association Hypertension Artérielle
Pulmonaire France (HTAP France)

Gérard Viens,
Association Francophone du Syndrome
d'Angelman (AFSA)

POUR LES ACTEURS ACADÉMIQUES ET INSTITUTIONNELS :

Dr Anne D'Andon,
Haute Autorité de Santé

Dr Pascal Barbry,
Institut de Pharmacologie Moléculaire
et Cellulaire, Sophia-Antipolis

Dr Chantal Bélorgey,
Haute Autorité de Santé

Pr Philippe Berta,
Université de Nîmes

Pr Eric Hachulla,
CHRU de Lille

Pr Emmanuel Jacquemin,
Hôpital Bicêtre

Pr Stanislas Lyonnet,
Institut Imagine

Dr François Meyer,
Haute Autorité de Santé

Pr Christophe Verny,
CHU d'Angers

POUR LES ACTEURS INDUSTRIELS :

Antoine Bernasconi,
Orphan Europe

Caroline Blanc Crouzier,
Shire

Anne-Sophie Chalandon,
Sanofi Genzyme

Armel de Gouvello,
Intercept Pharma

Catherine Raynaud,
Pfizer

Le Comité d'Organisation

Ségoène Aymé,
Co-présidente pour les académiques

Nathalie Triclin-Conseil,
Co-présidente pour les associations de ma-
lades

Antoine Ferry,
Co-président pour les industriels

Pour la Fondation maladies rares :

Audrey Tranchand,
Responsable des affaires économiques
et institutionnelles

Ludovic Dupont,
Directeur adjoint

/ LUNDI 20 NOVEMBRE

10:00-11:00 **SESSION n°1 INAUGURALE : « La nouvelle feuille de route pour la France après les Plans Nationaux Maladies Rares »**

Intervenants :

- **Ministre de la Santé ou son représentant**
- **Ministre de la Recherche ou son représentant**
- **Co-présidents du Comité d'Organisation : Ségolène Aymé, Nathalie Triclin-Conseil et Antoine Ferry**
- **Jean-Louis Mandel, Président de la Fondation maladies rares**

11:00-12:30 **SESSION n°2 « Vers une meilleure organisation des soins pour les maladies rares »**

Modérateurs : **Christophe Verny** (filiale Brain-Team) et **Nathalie Triclin-Conseil** (Alliance Maladies Rares)

Le nouveau dispositif « centres de référence, centres de compétences, filières de santé maladies rares, réseaux européens de référence et secteur médico-social : ce qui fonctionne, ce qui reste à faire ou à améliorer »

Le point de vue de la Direction Générale de l'Organisation des Soins. **Anne Chevrier, DGOS**
Le point de vue d'un acteur académique. **Guillaume Jondeau, filière FAVA-Multi, CHU Paris Nord-Val de Seine**
Le point de vue des associations. **Marie-Pierre Bichet, Alliance Maladies Rares**

TABLE-RONDE :

- Comment mieux définir les missions de chaque structure et optimiser leur articulation ?
- Comment améliorer la lisibilité du dispositif pour les non-spécialistes ?
- Quelle gouvernance pour faciliter le pilotage ?
- Quelle place pour les associations de malades ?

Anne Chevrier, Direction Générale de l'Offre de Soins (DGOS)

Guillaume Jondeau, filière FAVA-Multi

Evelyne Milor, Agence Régionale de Santé, Nouvelle Aquitaine

Marie-Pierre Bichet, Alliance Maladies Rares

Sophie Bernichtein, Groupe inter-filières

Christian Deleuze, Sanofi Genzyme

12:25-12:30 **CONCLUSION** Christophe Verny (Brain Team) et Nathalie Triclin-Conseil (Alliance Maladies Rares)

12:30-14:00 **PAUSE DÉJEUNER ET VISITE DE L'EXPOSITION**

14:00-14:45 **SESSION n°3 : « Vers des réponses ciblées aux problèmes des situations d'urgence »**

Modérateur : **Christophe Duguet, AFM-Téléthon**

Présentation de la situation actuelle: **Christophe Duguet, AFM-Téléthon**

TABLE-RONDE :

- Quel bilan des cartes d'urgences du PNMR 1 et des fiches d'urgence Orphanet ?
- Quel bilan des permanences « urgences » des centres de référence ?
- Quelles mesures nécessaires pour couvrir les besoins ?
- Quelle organisation des soins d'urgence au niveau régional ?
- Quelle articulation avec l'ASIP Santé et le projet SI SAMU ?

Gilles Bagou, Lyon, Société Française de Médecine d'Urgence et SAMU-Urgences de France

Christophe Leroy, Société Française de Médecine d'Urgence

Janine-Sophie Giraudet-Le Quintrec, Orphanet

14:45-15:30 **SESSION n°4 : « Pour un dépistage néonatal évolutif en fonction des avancées scientifiques et technologiques »**

Animation : *Alain Perez, Journaliste*

- Présentation de l'état des lieux

Régis Coutant (président de la Société Française de Dépistage Néonatal, CHU Angers)

TABLE-RONDE :

- Quelle nouvelle organisation du dépistage en France (calendrier, gouvernance..) ?
- Quel processus pour réviser la liste des maladies à dépister ?
- Comment s'inspirer des meilleurs exemples européens ?

François Feillet, Centre de Référence des Maladies Héritaires du Métabolisme, Nancy

Représentant de la Direction Générale de la Santé

Antoine Bernasconi, Orphan Europe

Représentant de l'Haute Autorité de Santé

Clotilde Mallard, Vaincre la Mucoviscidose

15:30-16:00 **PAUSE**

16:00-17:30 **SESSION n°5 «Vers une optimisation de la collecte et de l'exploitation des données pour la recherche et la prise de décision en santé dans Les maladies rares»**

Animation : *Alain Perez, Journaliste*

16:00-16:30 Etats des lieux des registres, cohortes, BDD dans les maladies rares, accessibilité des dossiers médicaux, interopérabilité, nouvelles contraintes réglementaires.

Ségolène Aymé, Institut du Cerveau et de la Moelle, Paris

TABLE-RONDE :

- Quelles options organisationnelles pour une gouvernance multi-parties prenantes des collections de données ?
- Comment optimiser l'utilisation des données de santé pour alimenter les bases de données recherche et permettre les études d'évaluation des thérapies en vie réelle ?
- Comment aider à la professionnalisation de la collecte de données, de l'analyse et la soutenabilité des collections de données ?

Elisa Salamanca, Directeur de la Banque Nationale de Données Maladies Rares

Charles Persoz, INSERM, pôle Santé Publique/données de santé

Armel de Gouvello, Intercept Pharma

Anne-Sophie Lapointe, Association Vaincre les Maladies Lysosomales

Nicolas Garcelon, Institut Imagine

Conclusion : *Ségolène Aymé, Institut du Cerveau et de la Moelle, Paris*

17:30-18:30 **SESSION n°6 «L'implication du malade expert dans toutes les étapes du développement des thérapies »**

Modérateur : *Christelle Ratignier-Carbonneil, Agence Nationale de Sécurité du Médicament et des produits de santé*

- Présentation synthétique des avancées dans ce domaine : *Karen Aïach, Lysogene*

TABLE-RONDE :

- Quelles sont les conditions de la prise en compte de la parole du malade expert ?
- La place réservée aux malades est-elle suffisante dans la prise de décision des instances de régulation du médicament ?
- Les malades ont-ils des attentes différentes des instances de régulation du médicament ?

Représentant de la Haute Autorité de Santé

Hélène Berrué-Gaillard, Association Maladies Foie Enfants

Catherine Raynaud, Pfizer

Gérard Viens, Association Française du syndrome d'Angelman

Mathieu Boudes, Eurordis

Conclusion : *Christelle Ratignier-Carbonneil, Agence Nationale de Sécurité du Médicament et des produits de santé*

/ MARDI 21 NOVEMBRE

09:00-10:30 **SESSION n°7 : « Vers une meilleure prise en charge des maladies grâce aux outils de la e-santé »**

Animation : *Isabelle Bikart, HAVAS*

- Présentation des technologies innovantes en e-santé par *Jérôme Leleu, SimforHealth, Commission Santé de Renaissance Numérique.*

- Présentation des expérimentations innovantes en télémédecine.

Représentant de la Société Française de Télémédecine

TABLE-RONDE :

- Quel bilan pour les expérimentations déjà menées ?

- Quelle contribution à la réduction des inégalités territoriales ? à l'amélioration de la qualité des soins ? à la participation des malades à la gestion de leurs soins ?

- Que faire pour que les maladies rares bénéficient de toutes les opportunités qu'offre la technologie ?

Jean-Yves Fagon, délégué ministériel à l'innovation

Anne Chevrier, Direction Générale de l'Offre de Soins (DGOS)

Sylvie Odent, filière AnDDI-Rares, CHU de Rennes

Eric Hachulla, filière FAI2R

Isabelle Vitali, SANOFI

Marie-Noëlle Billebot, ARS Nouvelle-Aquitaine

10:30-11:00 PAUSE

11:00-12:30 **SESSION n°8 « Vers des diagnostics plus précoces des maladies rares »**

Modérateur : *Stanislas Lyonnet, Fondation Imagine, Paris*

La génomique au service du diagnostic des maladies rares et de la recherche :

- L'évolution des connaissances et des outils en génomique par *Thierry Frebourg, CHU Rouen*

- Le plan France Médecine Génomique 2025 et les maladies rares par *Hélène Dollfus, CHU Strasbourg*

TABLE-RONDE :

- Quelle organisation des laboratoires (y compris pour le DPN) et articulation avec les centres experts ?

- Calendrier d'extension à toutes les maladies rares d'origine génétique

- Plan d'action pour les cas non-résolus

- Nomenclature des actes, financement

- Articulation avec les efforts internationaux

Damien Sanlaville, CHU de Lyon

Pascale Lévy, Agence de Biomédecine, Paris

Benoît Arveiler, Association Nationale des Praticiens de Génétique Moléculaire (ANPGM), Bordeaux

Hélène Dollfus, CHU Strasbourg

Christian Cottet, AFM-Téléthon

Conclusion : Stanislas Lyonnet, Fondation Imagine, Paris

12:30-14:00 PAUSE DÉJEUNER ET VISITE DE L'EXPOSITION

14:00-16:00 **SESSION n°9 « Vers plus de thérapies pour les maladies rares dans un système de santé contraint »**

Animation : *Olivier Mariotte, Consultant*

Point sur la situation Française et internationale des traitements des maladies rares et pistes de réflexion pour assurer la pérennité de notre système de santé.

Mondher Toumi, Université d'Aix-Marseille

TABLE-RONDE :

- Les pistes de solutions pour permettre à notre système de santé de continuer à couvrir les coûts liés à l'afflux d'innovations thérapeutiques
- Les méthodologies d'évaluation et de fixation du prix : comment concilier les intérêts divergents des parties-prenantes
- Le système des ATU à préserver malgré les défis

Chantal Belorgey, Haute Autorité de Santé (HAS)

Maurice-Pierre Planel, Comité Economique des Produits de Santé (CEPS)

Antoine Ferry, Laboratoire CTRS

Pierre Lévy, Université Paris Dauphine

Laurence Tiennot-Herment, AFM-Téléthon

Gérard Viens, Association Francophone du Syndrome d'Angelman

15:30-16:30 **SESSION n°10 : « Vers une collaboration internationale renforcée autour des maladies rares »**

Animateur : Evelyne Nguyen, CEO de ANM Partners

- Présentation du bilan de l'action de la France en Europe et de ce que l'Europe pourrait inspirer à la France, du point de vue des malades. *Yann Le Cam, Eurordis*

- La France dans la recherche maladies rares européennes et internationales.

Daria Julkowska, Agence Nationale de Recherche (ANR), e-RARE et IRDiRC

- La France dans la coopération européenne pour l'évaluation des technologies.

François Meyer, Haute Autorité de Santé (HAS) et EUnetHTA

Conclusion : *Yann Le Cam, Eurordis*

16:30-16:45 **SESSION n° 11 : « Conclusion de rare 2017 et feuille de route pour tous les acteurs »**

Co-présidents du Comité d'Organisation : Ségolène Aymé, Nathalie Triclin-Conseil et Antoine Ferry

BULLETIN D'INSCRIPTION

À retourner accompagné de votre règlement à MCO Congrès - **rare 2017**, 285 Corniche JF Kennedy
13007 Marseille, avant le 9 novembre 2017. E-mail : audrey.soulier@mcocongres.com

Nom : Prénom :

Adresse :

.....

Code Postal : Ville :

Pays : Téléphone :

E-mail (obligatoire pour la confirmation) :

INSCRIPTION

Tarifs jusqu'au 31/08/2017

Tarifs à partir du 01/09/2017

<input type="checkbox"/> Industriels non sponsors :	510 Euros TTC	600 Euros TTC
<input type="checkbox"/> Consultants indépendants :	255 Euros TTC	300 Euros TTC
<input type="checkbox"/> Institutionnels :	204 Euros TTC	240 Euros TTC
<input type="checkbox"/> Académiques :	204 Euros TTC	240 Euros TTC
<input type="checkbox"/> Chefs de projets filières :	82 Euros TTC	96 Euros TTC
<input type="checkbox"/> Associations de malades :	51 Euros TTC	60 Euros TTC
<input type="checkbox"/> Internes :	51 Euros TTC	60 Euros TTC
<input type="checkbox"/> Chefs de cliniques :	51 Euros TTC	60 Euros TTC

Total :Euros TTC

Conditions d'annulation : jusqu'au 14 juillet 2017 - 50% de remboursement. Aucun remboursement après cette date.

Si votre inscription est prise en charge dans le cadre de la formation continue, merci de nous envoyer un bulletin d'inscription accompagné d'une lettre de prise en charge de votre établissement avant le 9 novembre 2017. E-mail : audrey.soulier@mcocongres.com

RÈGLEMENT

- Par chèque (en euros) libellé à l'ordre de MCO Congrès
- Par virement RIB : MCO CONGRÈS BANQUE : BANQUE PALATINE
CODE BANQUE : 40978 - AGENCE : 00023
N° DE COMPTE : 1111784V001 - CLE RIB : 73
IBAN : FR15 4097 8000 2311 1178 4V00 173
BIC/SWIFT : BSPFFRPPXXX

- Par Carte Bancaire en ligne :
<http://rare2017.mycongressonline.net/>

Signature :