

# Quels enjeux pour un 3<sup>ème</sup> Plan National Maladies Rares ?



Coopération Santé

Association loi 1901

## Colloque organisé par COOPERATION SANTE - Mardi 4 octobre 2016

Salle Colbert – Assemblée Nationale – 126 rue de l'Université – Paris

Ce colloque est présidé par **Dominique Orliac**, Présidente du Groupe d'Etudes Maladies Orphelines à l'Assemblée Nationale, Présidente du Conseil Départemental de l'Ordre des Médecins du Lot et animé par **Alain Coulomb**, Président de Coopération Santé

### Programme

A partir de 16h30 - Accueil des participants

17h – Introduction par le Docteur Dominique Orliac et Alain Coulomb

17h10 – 1<sup>ère</sup> table ronde – Quelle action politique dans les Maladies Rares ?

Bilan de deux premiers Plans Nationaux (PNMR) : quelles avancées et quelles attentes pour la communauté ?

- Bilan des 2 premiers PNMR : les avancées, les retards, dysfonctionnements et attentes de la communauté
- L'amélioration de la connaissance de la maladie : la question des registres/bases de données/dossiers médicaux électroniques. Comment mieux organiser l'enregistrement, l'accès et l'utilisation des données, la coordination et la coopération de tous les acteurs ?
- La question de l'ouverture du dépistage néonatal aux maladies disposant d'un traitement
- Réduction de l'errance diagnostique : la question de la formation et de l'information sur les maladies rares

Modérateur : **Alain Perez**, Journaliste

#### Intervenants :

- **Antoine Bernasconi**, Directeur Général France/Benelux Orphan Europe, Membre du Comité Maladies Rares du LEEM
- **Anne Chevrier**, Chef de Projet Maladies Rares, Direction Générale de l'Offre de Soins
- **Rémy Choquet**, Directeur Opérationnel Banque Nationale de Données Maladies Rares
- **Thomas Heuyer**, Délégué général de Maladies Rares Info Services
- **Professeur Xavier Junemaître**, Coordinateur du Centre de Références Maladies Vasculaires Rares, hôpital Georges Pompidou Paris
- **Docteur Ana Rath**, Directrice d'Orphanet
- **Nathalie Triclin**, Vice-présidente Alliance Maladies Rares

Discussion avec la salle

## Quels enjeux pour un 3<sup>ème</sup> Plan national Maladies Rares ?

### 18h20 – La place et le rôle de la France en Europe : réseaux européens de référence, comment s'inscrire dans une dimension européenne ?

Intervention de **Ségolène Aymé**, médecin généticienne, directrice de Recherche émérite à l'Inserm et créatrice d'Orphanet

---

### 18h35 – 2<sup>ème</sup> Table ronde – Comment favoriser l'accès des malades aux traitements ? Les enjeux de la recherche, de l'évaluation et du financement :

- Les spécificités des maladies rares et des médicaments orphelins
- Quelles actions pour une politique de recherche coordonnée dans les maladies rares ?
- L'accès au traitement : comment évaluer et financer l'innovation dans les maladies rares ?

#### Modérateur : Alain Coulomb

##### Intervenants :

- **Docteur Anne d'Andon**, Chef de Service Evaluation des Médicaments, Haute Autorité de Santé
- **Christian Deleuze**, Président de Sanofi Genzyme France et du Comité Maladies Rares du Leem
- **Ludovic Dupont**, Directeur adjoint de la Fondation Maladies Rares
- **Professeur Jean-Yves Fagon**, Délégué Ministériel à l'Innovation
- **Docteur Pierre Gabach**, médecin conseil, responsable du département des prestations et maladies chroniques de la CNAMTS
- **Anne-Sophie Lapointe**, Représentante de l'association Eurordis
- **Laurence Tiannot-Herment**, Présidente de l'AFM Téléthon

#### Discussion avec la salle

---

### 19h50 – Conclusion par Geneviève Fioraso, Députée de l'Isère, ancienne Ministre de l'Enseignement Supérieur et de la Recherche

---

#### Fin du Colloque

---

#### Avec le soutien institutionnel des laboratoires :

*Actelion Pharmaceuticals France – Alexion – Biogen – CTRS – GlaxoSmithKline  
Intercept Pharma – Janssen – Novartis – Orphan Europe – Pfizer – Sanofi Genzyme  
Shire – Sobi – Sigma-Tau Rare Disease – Vertex Pharmaceuticals*



**Coopération Santé**

Association loi 1901