

# Maladies rares

## Agir "collectif" sur des enjeux communs

Capital 8 – 32, rue Monceau, Paris 8<sup>e</sup>, le 10 octobre 2018 de 15h30 à 19h30



Une maladie est dite « rare » quand elle touche moins d'une personne sur 2 000. En France ce sont quelque trois millions de personnes qui sont atteintes par l'une d'entre elles : « les maladies sont rares mais les malades sont nombreux ». Grâce à la mobilisation des malades et de leurs familles, la France a été fer de lance, en Europe et dans le monde, dans l'impulsion d'une politique des maladies rares. Celle-ci s'est traduite par la mise en œuvre de deux plans nationaux de santé publique, qui ont notamment permis la structuration des filières de prise en charge.

Le troisième plan national maladies rares a été lancé officiellement le 4 juillet dernier et sera co-piloté par les ministères de la Recherche et de la Santé. Parmi les priorités affichées, nous en avons retenu trois, dont les enjeux nécessitent une collaboration de l'ensemble des acteurs. Il s'agit de l'errance diagnostique, que trop de patients et de familles subissent encore ; de la structuration des bases de données et des registres, qui demande un pilotage national et une réflexion sur leur modèle économique ; de l'innovation thérapeutique, porteuse d'espoirs mais dont les coûts croissants suscitent l'inquiétude quant à leur garantie d'accès rapide aux patients. En donnant la parole à l'ensemble des parties prenantes, le colloque organisé par *Pharmaceutiques* sera l'occasion de confronter les points de vue et de mettre en lumière des pistes de solutions pour relever ces défis.

**15h30 - 16h00** : Accueil des participants

**16h00** : Mot de bienvenue de Pierre SANCHEZ, Directeur Général de *Pharmaceutiques*

**16h00-16h20** : Ouverture du colloque par **Christian DELEUZE**, Président du Comité Maladies Rares du Leem & Président de Sanofi-Genzyme



## Maladies rares Agir "collectif" sur des enjeux communs

### 16h20-17h10 : Table ronde 1

#### En finir avec l'errance diagnostique

**Modérateur : Hervé REQUILLART, Rédacteur en chef de *Pharmaceutiques***

*Plus de 7 000 maladies rares ont été identifiées à ce jour. Les plans nationaux ont permis de structurer le parcours des patients, avec la création des centres de référence, centres de compétence et filières maladies rares. Pourtant aujourd'hui encore, plus de 25 % des personnes touchées par une MR attendent leur diagnostic 5 ans ou plus. Le 3<sup>e</sup> Plan maladies rares veut réduire l'errance diagnostique à un an. Quels leviers activer pour atteindre cet objectif ?*

**Dominique BATOU**, Président, Shire France

**Bernard DELORME**, Président de Maladies Rares Info Services

**Sylvie ESCALON**, Chargée du pilotage du 3<sup>ème</sup> plan national maladies rares, Direction générale de l'offre de soins

**Pr Eric HACHULLA**, Coordinateur du centre de référence des maladies auto-immunes et systémiques rares, CHU de Lille

### 17h10-18h00 : Table ronde 2

#### Données et registres : à la recherche d'un modèle viable

**Modérateur : Julie WIERZBICKI, Journaliste de *Pharmaceutiques***

*Connaître l'histoire naturelle d'une maladie, savoir où trouver les files actives de patients, s'assurer des bénéfices de son produit en vie réelle, sont des facteurs clés pour les industriels engagés dans les maladies rares. En France, si les bases de données sont nombreuses, seule une dizaine de registres a été labellisée, faute de pilotage national et de financement pérenne. Le 3<sup>e</sup> Plan maladies rares va financer pour quatre ans de nouveaux entrepôts de données « interopérables ». Comment structurer ce domaine en France pour lui permettre de prendre toute sa part dans les réseaux européens ? Quel modèle économique permettrait d'assurer la pérennité des registres ?*

**Dr Ségolène AYME**, Fondatrice d'Orphanet, chargée de mission Maladies rares à l'ICM

**Antoine BAROUKY**, Directeur général France, Alnylam

**Pr Jean-Louis MANDEL**, Président de la Fondation Maladies Rares, IGBMC/U. de Strasbourg

**Alexandre MEJAT**, Chargé des Affaires Scientifiques Internationales de l'AFM-Téléthon

**18h00-18h20 : pause-café**





## Maladies rares Agir "collectif" sur des enjeux communs

### 18h20-19h10 : Table ronde 3

#### Accélérer l'innovation et garantir l'accès

Modérateur : Olivier MARIOTTE, Président de nile

*Sans traitement adapté, nombre de maladies rares sont mortelles à brève échéance. Le 3<sup>e</sup> Plan maladies rares prévoit la création d'un groupe de coordination de l'innovation, multi-parties prenantes, dont l'une des missions sera d'accompagner l'accès au marché de l'innovation pour les maladies rares. La reconnaissance de la valeur apportée par ces traitements est légitime. Mais le système actuel pourra-t-il tenir longtemps face à l'escalade des prix constatée depuis quelques années ? L'accès précoce via les ATU pourrait-il être remis en cause ? Faut-il engager un débat de société sur ce que le système de santé est prêt à payer ?*

**Christophe DUGUET**, Directeur des affaires publiques, de l'AFM-Téléthon

**Dr Diane KLEINERMANS**, Conseillère du ministre belge de la Santé et des Affaires sociales

**Catherine LE GALES**, Vice-Présidente, Commission Évaluation Économique & Santé Publique de la HAS

**Maurice-Pierre PLANEL\***, Président du Comité Economique des Produits de Santé

**Valérie RIZZI-PUECHAL**, Directrice du Département Maladies Rares, Pfizer

**19h10-19h30** : Clôture par **Philippe BERTA**, Député du Gard, Président du groupe d'études Maladies orphelines

**19h30** : Cocktail de clôture

(\* ) Orateurs en attente de confirmation

**Organisation & inscriptions** : Emmanuelle BERREBI  
eberrebi@pharmaceutiques.com - +33 (0)1.73.20.50.15

Avec le soutien de :

