

Programme du colloque du 26 juin 2006

"Traiter les maladies rares : un espoir hier, une réalité aujourd'hui..."

Colloque co-organisé par l'Alliance Maladies Rares, Eurordis,
le Gis-Institut des maladies rares, Maladies Rares Info Services, Orphanet
et Les Entreprises du Médicament

Centre International des Epizooties
12, rue de Prony - Paris 17ème

9h00-9h20 : Ouverture - Pierre le Sourd, Président des Entreprises du Médicament et
un porte-parole de l'Alliance Maladies Rares

- Matin -

- **Première session du matin** : Evolution du contexte en France et en Europe depuis le vote
du règlement européen

Modérateur : Yves Juillet, Les Entreprises du Médicament

- 9h20-9h40 : **Françoise Weber**, Mission des Médicaments Orphelins et des Médicaments
Pédiatriques - Limites et enjeux 5 ans après le vote du règlement européen.
9h40-9h55 : **Channa Debruyne**, EMEA - Protocole assistance, AMM et post AMM
9h55-10h10 : **Marie-Christine Fortun**, Orphan Europe - Les facteurs clefs du succès dans
le développement des médicaments orphelins

10h10-10h45 : Discussion/Questions

- **Deuxième session du matin** : Accès de tous les malades à tous les médicaments orphelins

Modérateur : Françoise Antonini, Alliance Maladies Rares

- 10h45-11h00 : Un représentant de l'HAS (*à confirmer*) - Prise en charge et bonnes pratiques
dans les maladies rares
11h00-11h15 : **Noël Renaudin**, Comité d'Evaluation des Produits de santé - Expérience et
décisions du Comité Economique des Produits de Santé sur les médicaments
orphelins disponibles
11h15- 11h30 : **Delphine Genevaz**, Vaincre les Maladies Lysosomales - La problématique de
la prise en charge du coût des ATU
11h30- 11h45 : **Yann le Cam**, Eurordis - Améliorer l'accès aux médicaments orphelins en
France et en Europe
11h45-12h00 : **Ségolène Aymé**, Orphanet et Vice-Présidente du Groupe de Travail Maladies
Rares des Entreprises du Médicament : les médicaments orphelins, un choix
de société ?
12h00-12h30 : Discussion/Questions
12h30-14h00 : Déjeuner

- Après-midi -

➤ **Première session de l'après-midi : Recherche thérapeutique - Des obstacles aux solutions**

Modérateur : Catherine Lassale, Les Entreprises du Médicament

- 14h00-14h20** : **Elisabeth Tournier-Lasserve**, GIS - Institut des maladies rares : L'évolution des voies de recherche
- 14h20-14h40** : Deux exemples de réponses et de partenariats public/privé
Pascale Borensztein, Erditi
Valérie Thibaudeau, Orphan Xchange
- 14h40-15h00** : Deux exemples de développement industriel :
Antoine Ferry, Hespérus - Le parcours du développement d'un médicament orphelin
Patrick Dupuy, Orfagen- Comment intégrer les médicaments orphelins dans une stratégie de développement ?
- 15h00-15h30** : Discussion/questions

➤ **Deuxième session de l'après-midi : Les études de population - Des outils d'amélioration de la connaissance de la maladie**

Modérateur : Jérôme Soletti, Les Entreprises du Médicament

- 15h30-15h45** : **Jean Donadieu**, INVS - Les différents outils disponibles : intérêt et finalité
- 15h45-16h00** : **Irène Maire**, CETL - Le point de vue des professionnels de santé
- 16h00-16h15** : **Annick Schwebig**, Actélium et Présidente du Groupe de Travail Maladies Rares des Entreprises du Médicament : le rôle des industriels
- 16h15-16h30** : **Sophie Ravilly**, Vaincre la Mucoviscidose - l'observatoire national de la mucoviscidose
- 16h30-17h00** : Discussion/Questions

17h00 : **Conclusion - Docteur Yves Juillet, Les Entreprises du Médicament, et Jacques Bernard, Association François Aupetit et Alliance Maladies Rares, Vice-Président du Groupe de Travail Maladies Rares des Entreprises du Médicament**