



Table ronde
Pharmaceutiques
POLITIQUE, ÉCONOMIE, INNOVATION EN SANTÉ

**Maladies rares, améliorer le parcours
patient grâce à la donnée**

Mercredi 20 septembre 2023
17h00-18h30

La prise en charge des maladies rares connaît des progrès spectaculaires, grâce à l'arrivée de thérapies de nouvelles générations. Thérapies ciblées, thérapies géniques et cellulaires, fragments d'anticorps... les nouveaux médicaments s'accompagnent aujourd'hui d'une révolution technologique majeure : la donnée de santé. Recueillie avec l'accord du patient selon des protocoles validés, stockée dans des registres, structurée pour être « parlante », la donnée constitue un fabuleux accélérateur de l'innovation.

Prélevée en vie réelle, elle permet de vérifier la valeur effective d'un traitement une fois mis sur le marché. Réutilisée à des fins secondaires, elle alimente des travaux de recherche destinés à préparer les prochains « bonds en avant » thérapeutiques. Axée sur l'expérience patient, elle apporte des informations déterminantes sur l'adhésion aux traitements, les risques d'effets secondaires, les bénéfices de vie... contribuant à compléter la définition de valeur des stratégies thérapeutiques proposées aux patients.

Les maladies rares ont beaucoup à gagner à l'intégration des données de santé dans les parcours de soins. Encore faut-il que les pouvoirs publics parviennent à bâtir un modèle économique, permettant de les prendre en compte dans la valorisation de l'innovation. *Pharmaceutiques* s'associe à argenX, laboratoire innovant dans le domaine des maladies rares, pour illustrer ces thématiques à partir d'un exemple : la myasthénie auto-immune, une pathologie rare... parmi les plus fréquentes





Introduction

LA MYASTHENIE AUTO-IMMUNE : DEFINITION, INCIDENCES, MODALITES DE PRISE EN CHARGE

Dr Emmanuelle SALORT-CAMPANA, Neurologue au centre de référence des maladies neuromusculaires, Hôpital de la Timone (AP-HM), Chargée de mission à la Filière Maladies Rares FILNEMUS

Table Ronde

QUELLE PLACE POUR LA DONNEE DANS LES MALADIES RARES ? L'EXEMPLE DE LA MYASTHENIE AUTO-IMMUNE

Animée par Hervé REQUILLART, Rédacteur en chef de *Pharmaceutiques*

Pascal CLISSON, Bénévole délégation régionale Grand Est de l'Alliance maladies rares

François RAUCH, Directeur Général France, argenx

Arnaud SANDRIN, Directeur opérationnel de la Banque Nationale de Données Maladies Rares (AP-HP)

Dr Guilhem SOLÉ, Coordonnateur du centre de référence des maladies neuromusculaires AOC, Président de la Société Française de Myologie

Conclusion

DONNEES AUGMENTEES ET MALADIES RARES : UN MODELE POUR LE SYSTEME DE SANTE ?

Dr Lise ALTER, Directrice Générale de l'Agence de l'Innovation en Santé

Pr Olivier BLIN, Chef du Service Pharmacologie Clinique et Pharmacovigilance de l'AP-HM, Coordinateur, OrphanDev

Avec le soutien de :

