

#COLLOQUES
Pharmaceutiques

MALADIES RARES

Des traitements pour tous ?

Web conférence | Jeudi 8 février 2024 | 09h00-12h30

Programme



« Un traitement pour tous » était l'une des ambitions du 3e plan national maladies rares (2018-2022). Mais aujourd'hui encore, 95 % des quelques 7 000 maladies rares identifiées n'ont pas de traitement curatif. « Innovations et traitements » sera l'une des grandes thématiques du PNMR 4, qui doit être présenté prochainement. Toutes les parties prenantes doivent être mobilisées.

9h00-9h05 : Ouverture

Pierre SANCHEZ, Directeur de la publication de *Pharmaceutiques*

9h05-9h25 - Introduction

LES ENJEUX DES TRAITEMENTS DANS LE PNMR 4

Pr Guillaume CANAUD, Chercheur en médecine translationnelle à l'Hôpital Necker Enfants Malades / Université Paris Cité, co-pilote de la préparation du PNMR4

9h30-10h20 - Table ronde 1

COMMENT ADRESSER DAVANTAGE DE MALADIES ?

Quels sont les leviers qui poussent un industriel à développer un médicament dans une maladie rare en particulier ? Pourquoi certaines pathologies rares disposent-elles de plusieurs traitements efficaces quand dans la majorité il n'y a aucun produit en développement ? Comment inciter à orienter la R&D vers les maladies réellement orphelines (y compris ultra-rares) ou à repositionner dans ces indications des médicaments existants ?

Modérateur : Julie WIERZBICKI, Journaliste, *Pharmaceutiques*

Terence BEGHYN, Président & Co-fondateur de APTEEUS

Elsa BRILAUD, Co-fondatrice et Directrice Générale de PannTheraPi

Dr Christine FETRO, Responsable valorisation recherche & partenariats industriels, Fondation Maladies Rares

Céline KHALIFE, General Manager France & BeLux, Alexion, AstraZeneca Rare Disease

Sophie SAUNIER, Chef d'équipe, Laboratoire des Maladies Rénales Héritaires, Institut Imagine, Directrice de recherche à l'Inserm

10h25-10h40 - Keynote

LE BIOCLUSTER GENOTHER AU SERVICE DU DEVELOPPEMENT DE LA THERAPIE GENIQUE EN FRANCE : IMPLICATION POUR LES MALADIES RARES

Angela COLUMBANO, Directrice Business Development et Partenariat, Genethon

10h45-11h35 - Table ronde 2

COMMENT GERER LE HORS-AMM ?

Pour les 95 % de maladies rares sans traitement curatif dédié, le recours au hors-AMM est souvent la seule option, mais comporte de nombreux risques. Quels sont les enseignements des Observatoires des Traitements mis en place par le PNMR3 dans chacune des filières MR ? Quelles avancées suite à la création du cadre de prescription compassionnelle et quelles améliorations doivent être apportées ? Comment les laboratoires pharmaceutiques peuvent-ils contribuer à améliorer la remontée d'information sur l'usage hors AMM de leurs produits ? Comment favoriser le recueil de données, qui pourront éventuellement appuyer un dossier de repositionnement ?

Modérateur : Juliette BADINA, Journaliste, *Pharmaceutiques*

Sébastien BOUCLÉ, Chef de pôle accès précoces et compassionnels à l'ANSM

Jean-Philippe PLANÇON, Responsables des affaires publiques, référent médicaments, Alliance maladies rares

Laura TOURVIELHE, Pharmacien en charge de l'observatoire des traitements - Filières MHEMO et FAVA-Multi, Hospices Civils de Lyon

11h40-12h30 – Table ronde 3

COMMENT GARANTIR L'ACCES AUX TRAITEMENTS ?

Comment faire en sorte que tous les patients éligibles à un traitement approuvé puissent en bénéficier. Au-delà du nécessaire renforcement du diagnostic, quels leviers organisationnels et réglementaires actionner ? Quelles sont les pistes à l'étude à l'échelle européenne dans le cadre des débats sur le paquet pharmaceutique (imposer une demande de remboursement dans les 27 Etats membres ? aller vers des achats conjoints ?) ou déjà adoptées (évaluation HTA commune pour les médicaments orphelins à partir de janvier 2028) ? Comment s'appuyer sur les réseaux européens de référence ? En France, que peut-on attendre de la réforme de l'accès précoce ? Comment renforcer le dialogue avec les autorités et gagner en souplesse dans les évaluations ?

Modérateur : Hervé REQUILLART, Directeur de la rédaction de *Pharmaceutiques*

Simone BOSELLI, Directeur Affaires Publiques, EURORDIS - Rare Diseases Europe

Anne-Sophie LAPOINTE, Cheffe de projet mission Maladies Rares, DGOS - Ministère de la Santé et de la Prévention

Souad MAZARI, Fondatrice et Présidente de l'association NMO France

Floriane PELON, Directrice de l'évaluation et de l'accès à l'innovation, Haute Autorité de Santé

Valérie RIZZI-PUÉCHAL, Directrice Business Unit Maladies Rares – Pfizer France

Avec le soutien de :

