

Web-émission

MALADIES RARES

12 février 2026 | 9h00-12h20



LA SCIENCE DES MALADIES RARES AU SERVICE DES MALADIES FREQUENTES

Les découvertes issues des travaux dans les maladies rares peuvent être utiles au développement thérapeutique dans des maladies fréquentes. Quelles pathologies en ont déjà bénéficié ? Comment gérer cette transition ? Si le marché d'un médicament « orphelin » s'élargit, comment faire en sorte que les premiers patients atteints d'une maladie rare ne soient pas oubliés ?

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

Serge BRAUN, Directeur de la stratégie neuromusculaire de Généthron

Pr Sylvie ODENT, Vice-Présidente "soin" pour le PNMR4, Coordinatrice centre maladies rares au CHU de Rennes

Jean-Philippe PLANCON, Président de l'Alliance maladies rares

Timothy WAI, Responsable de l'unité biologie mitochondriale, Institut Pasteur

LA NOUVELLE APPLICATION FRANCE MALADIES RARES

Victor HANNOTHIAUX, Responsable de l'équipe France Maladies Rares, BNDMR

MALADIES ULTRA-RARES : QUEL MODELE ECONOMIQUE ?

85 % des maladies rares concernent moins d'une personne sur un million. Pour ces pathologies, pas de modèle économique ! Comment encourager les chercheurs, les start-up et même les grandes entreprises à prendre ce risque ? Quelles incitations jugeraient-ils pertinentes ? Quels partenariats public-privé mettre en place ?

Modérateur : Juliette BADINA, Journaliste, *Pharmaceutiques*

Carol BRUCKER, Présidente - Directrice Générale Ascendis Pharma France BeNeLux

Nicolas DOULET, Responsable du développement précoce des innovations de l'Institut Imagine

Christophe DUGUET, Directeur des affaires publiques, AFM-Téléthon

Cécile LE GAL FONTES, Professeur de Droit et économie de la santé, Université de Montpellier

RADAR, LA FILIERE IA ET MALADIES RARES

Modérateur : Julie WIERZBICKI, Journaliste, *Pharmaceutiques*

Hélène CHAUTARD, Directrice de l'Innovation et de la Valorisation, Institut Imagine

Thibaud GUYMARD, Directeur Innovation, Services et Digital, Biogen

EVALUATION : ETRE INNOVANT DANS LA METHODE

« Gold standard » pour l'accès au marché, l'étude de phase III randomisée peut être difficile à mettre en place dans des indications rares. Quelles stratégies adopter pour ne pas freiner le développement tout en satisfaisant aux exigences des autorités ? Ces exigences peuvent-elles être plus flexibles ? Que peut-on attendre des dispositions de la future législation pharmaceutique européenne comme les « bacs à sable réglementaires » ? Et comment faire marche arrière quand le « pari de l'innovation » est perdu ?

Modérateur : Julie WIERZBICKI, Journaliste, *Pharmaceutiques*

Virginie HIVERT, Directrice intérimaire d'Eurordis

Anne-Catherine PERROY, Avocate Simmons&Simmons

Pr Gilles VASSAL, Oncopédiatre, Gustave Roussy

Dr Dana VIGIER, General Manager France & BeLux d'Alexion, AstraZeneca Rare Disease

9h00
9h50
Table-ronde 1

9h55
10h10
Keynote

10h15
11h05
Table-ronde 2

11h10
11h25
Focus

11h30
12h20
Table-ronde 3

Avec le soutien de :

