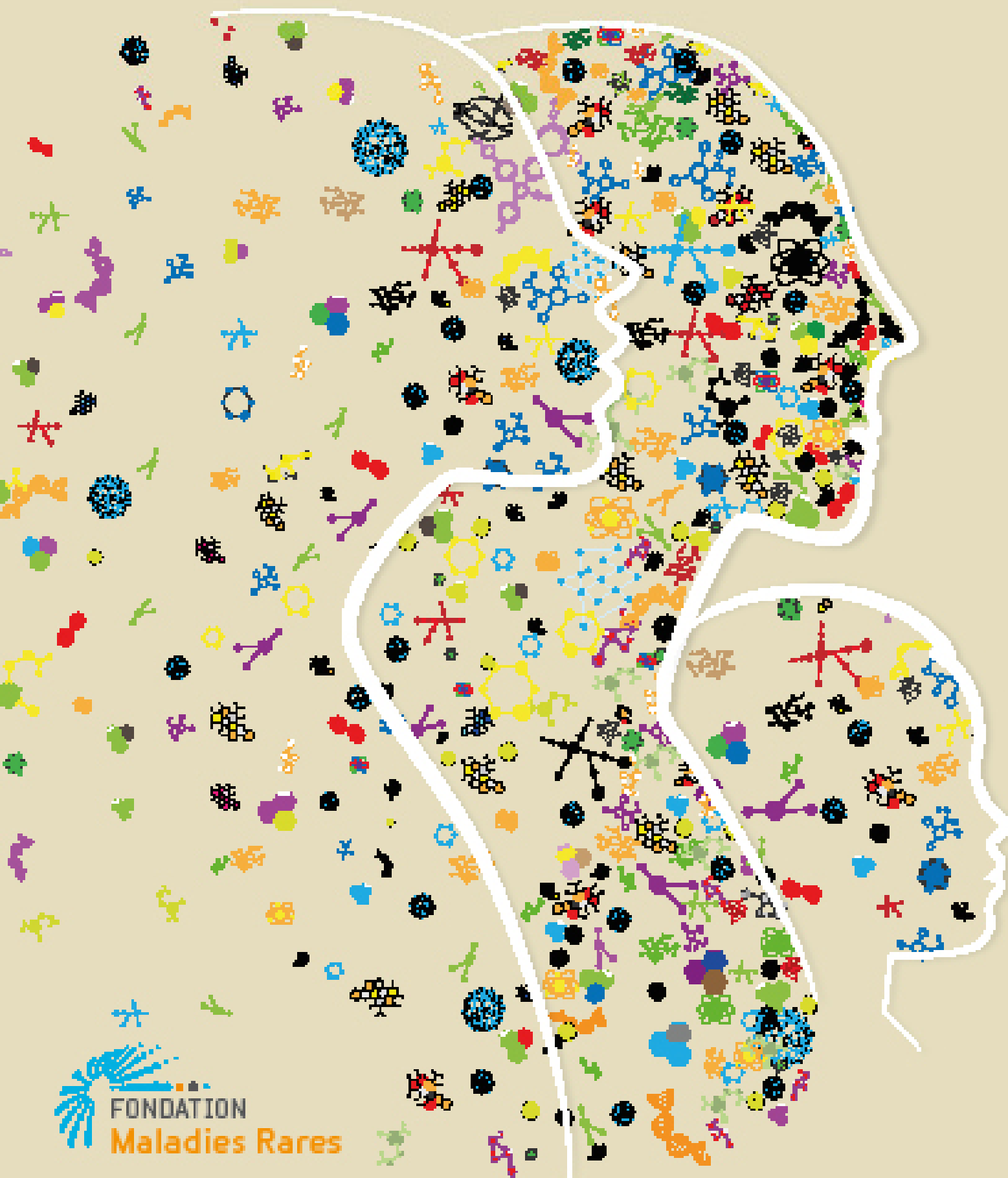


rare 2023

3 & 4 oct. PARIS

CENTRE INTERNATIONAL DE
CONFÉRENCES SORBONNE
UNIVERSITÉ (CICSU)

Les rencontres des maladies rares ► www.rareparis.com



Mardi 3 octobre 2023

ACCUEIL CAFÉ & VISITE STANDS



— 09h00 > 09h30 | **SESSION 1** | AUDITORIUM

SESSION INAUGURALE

en présence de Sylvie RETAILLEAU - Ministre de l'Enseignement supérieur et de la Recherche

Avec l'intervention de : Hélène BERRUÉ-GAILLARD, Catherine RAYNAUD & Sylvie ODENT

— 09h30 > 11h00 | **SESSION 2** | AUDITORIUM

BILAN DU PNMR3 - QUELLES PRIORITÉS POUR LE PNMR4 ?

Modérateur : Daniel SCHERMAN

Bilans des activités de recherche (15mn) par Véronique PAQUIS

Volet international (15mn) par Bertrand SCHWARTZ

Titre intervention à venir (15mn) par Anne-Sophie LAPOINTE

Bilan du PNMR3 (15mn) par Sylvie ODENT

PNMR4 (15mn) par Intervenant à venir

Echanges - Débat (15mn)

11h00-11h30 | PAUSE - VISITE STANDS - SESSIONS AGORA - POSTERS COMMENTÉS



— 11h30 > 13h00 | **SESSION 3** | AUDITORIUM

L'EUROPE ⁽²⁾

Modérateur : Yann LE CAM

Introduction (10mn). par Yann LE CAM

Table ronde 1. (40mn). Le point sur les législations européennes en cours de débat ayant une pertinence pour la France. et le PNMR4. avec Anne-Sophie CHALENDON & Simone BOSSELI

Table ronde 2. (40mn). Le point sur les grands projets européens ayant une pertinence pour la France et le PNMR4. avec Roseline FAVRESSE & Magda CHLEBUS

13h00-14h30 | PAUSE DÉJEUNER - SESSIONS AGORA



— 14h30 > 16h00 | **SESSION 4** | AUDITORIUM

DES DONNÉES FOISSONNANTES D'AUJOURD'HUI AUX PERSPECTIVES OFFERTES PAR L'INTELLIGENCE ARTIFICIELLE

Modérateurs : Arnaud SANDRIN & Olivier DEMARCO

Introduction - Tour d'horizon de l'existant sur les données de santé (10mn). par Intervenant à venir

Mardi 3 octobre 2023

Table ronde 1. (35mn). Ecosystème des données de santé. avec Anne-Sophie JANNOT, Pascale AUQUIER, Nadia BELMATOUG & François RAUCH.

Table ronde 2. (35mn). Présentations de projets d'application pratique de l'IA. avec Yedidia LEVY-ZAUBERMAN, Véronique STOVEN, Hossein KHONSARI & Marc CUGGIA

Clôture - Ethique médicale et garantie humaine (10mn). par David GRUSON

16h00-16h30 | PAUSE - VISITE STANDS - SESSIONS AGORA - POSTERS COMMENTÉS



— 16h30 > 18h00 | **SESSION 5** | AUDITORIUM

LE PARCOURS DE SOIN ET DE VIE

Modératrice : Sylvie ODENT

Table ronde. (90mn). Le parcours de soin et de vie avec Hélène de CHÂTEAU-THIERRY, Séverine DAVESNE, Valérie STEVANCE, Anne PRESTEL, Guenaelle MAHE, Cécile FOUJOLS, Eric SCHOULER & Alexandre MOERMAN.

⁽¹⁾ Nom de la personnalité présente à confirmer
⁽²⁾ Titre de session susceptible d'être modifié

Mercredi 4 octobre 2023

ACCUEIL CAFÉ & VISITE STANDS



— 09h00 > 10h30 | **SESSION 6** | AUDITORIUM

TABLE RONDE - DE L'INNOVATION AUX NOUVEAUX ENJEUX DE RECHERCHE DANS LES MALADIES RARES

Modératrices : Paola DE CARLI & Béatrice PARFAIT

Table Ronde. (90mn). Spécificités de la maladie et le processus de recherche ayant amené aux avancées de la prise en charges. Les modératrices questionneront les intervenants sur les opportunités ouvertes par les succès thérapeutiques et les nouveaux défis de recherche à relever. avec Marcella GARGIULIO & Pierre Régis BURGEL.

10h30-11h00 | PAUSE - VISITE STANDS - SESSION AGORA - POSTERS COMMENTÉS



— 11h00 > 12h00 | **SESSION 7** | AUDITORIUM

TABLE RONDE - ENJEUX ET SPÉCIFICITÉS DE LA PRISE EN CHARGE DES ENFANTS DANS LES MALADIES RARES

Modératrices : Hélène BERRUÉ-GAILLARD & Agnès LINGLART

Retour des assises de la pédiatrie (15mn). par Intervenant à venir

Médecine préventive chez l'enfant : présentation de l'application Tekkare/Orphanet (15mn). par Ana RATH & Bruno SARFATI

Médicaments pédiatriques : enjeux et difficultés (15mn). par Intervenant à venir

Parcours de vie des enfants : Enjeux des études en sciences humaines et sociales (15mn). par Intervenant à venir

12h00-13h30 | PAUSE DÉJEUNER - SESSION AGORA



— 13h30 > 15h00 | **SESSION 8** | AUDITORIUM

DIAGNOSTIC, DÉPISTAGE & MÉDECINE PRÉVENTIVE

Modérateur : Christian COTTET

Le registre des impasses diagnostiques : un outil pour l'action BNDMR/FILNEMUS. par Intervenant à venir

Les avancées et les actions du PFMG 2025 avec les filières pour le diagnostic des maladies rares ; la vision et les projets pour l'extension des capacités de séquençage et d'interprétation. par Christelle THAUVIN

Le dépistage génétique néonatal de l'amyotrophie spinale : DEPISMA retour d'expérience ; le déploiement national ; les promesses du DNN génétique. par Intervenant à venir

L'utilisation du NGS pour le dépistage néonatal : de nouveaux outils pour une médecine plus préventive. par Laurence FAIVRE

Mercredi 4 octobre 2023

Le dépistage pré-conceptionnel, enjeux et débat. par Laurent PASQUIER
Echanges - Débat

— 15h00 > 16h00 | **SESSION 9** | AUDITORIUM

DIAGNOSTIC ET TRAITEMENT EN MÉDECINE FŒTALE : PRÉSENT ET FUTUR.

Modérateurs: Sandrine MARLIN & Antoine FERRY

Table Ronde. (60mn). Diagnostic et traitement en médecine foetale: présent et futur. avec Tania ATTIE-BITACH, Marie-France MAMZER & Jean-Hugues TROUVIN

16h00-16h30 | PAUSE - VISITE STANDS - SESSION AGORA - POSTERS COMMENTÉS



— 16h30 > 18h00 | **SESSION 10** | AUDITORIUM

COMMENT ASSURER LA DISPONIBILITÉ ET L'ACCÈS AUX INNOVATIONS EN FRANCE ?

Modérateurs : Catherine RAYNAUD & Stanislas LYONNET

Table Ronde (90mn) portant sur l'ensemble du cycle médicament les Essais cliniques, évaluation et modèle économique, production, cas spécifiques des ultra-rares, PPP... avec Lise ALTER, Jean-Yves BLAY & Christophe DUGUET