

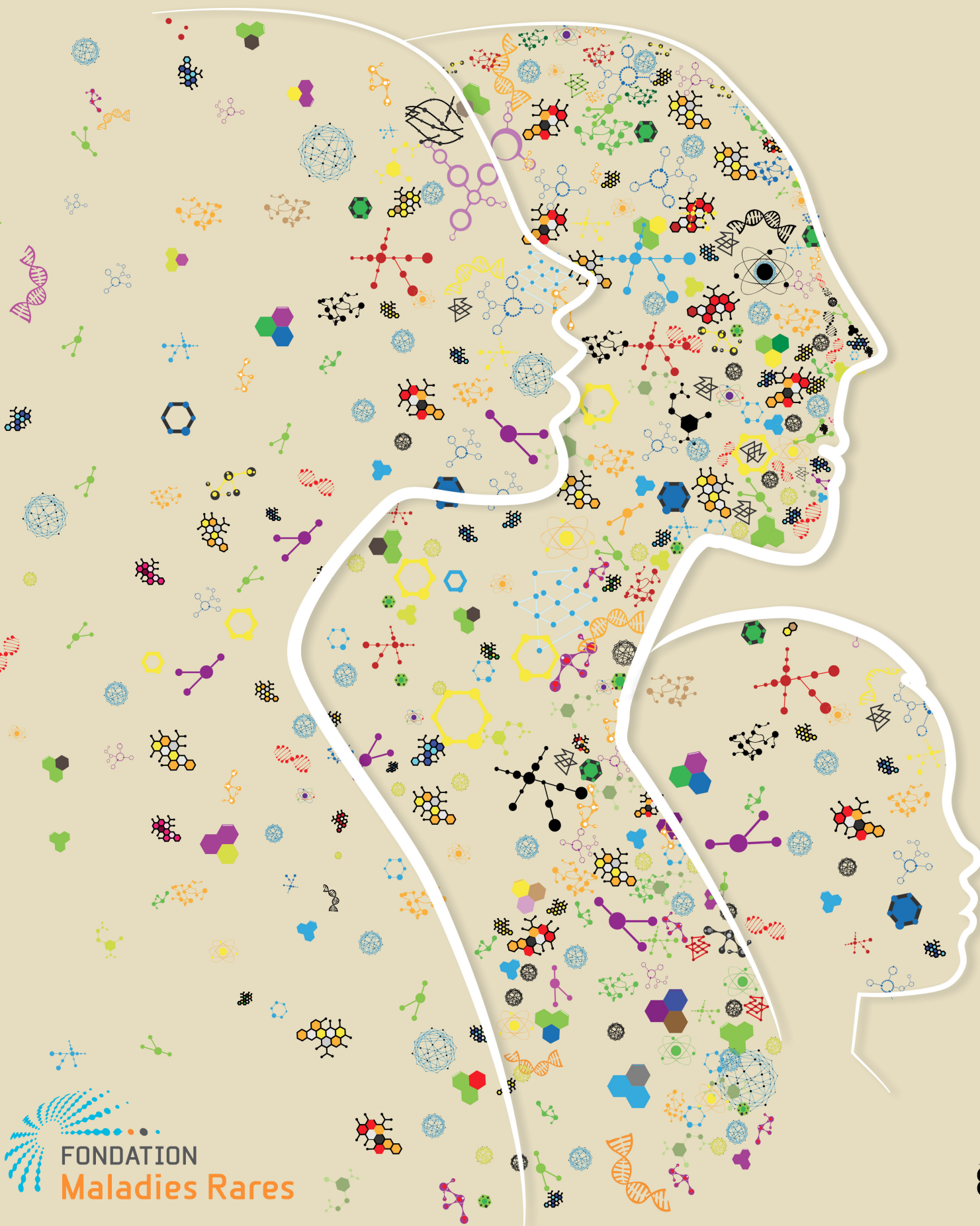
rare 2025

les rencontres des maladies rares

7 & 8 oct. PARIS

CITÉ INTERNATIONALE
UNIVERSITAIRE DE PARIS

► www.rareparis.com



FONDATION
Maladies Rares

Mardi 7 octobre 2025

08H00 > 9H00 | ACCUEIL CAFÉ & VISITE DES STANDS



— 09H00 > 09H30 | ESPACE ADENAUER

SESSION INAUGURALE

— 09H30 > 10H30 | **SESSION 1** | ESPACE ADENAUER

LE 4^{EME} PLAN NATIONAL MALADIES RARES (PNMR4)

Modérateur : Daniel SCHERMAN

Genèse du PNMR4 : Aspects santé. Anne-Sophie LAPOINTE

Genèse du PNMR4 : Aspects recherche. Véronique PAQUIS

Mise en oeuvre du PNMR4 : aspects santé. Sylvie ODEnt

Mise en oeuvre du PNMR4 : aspects recherche. Alexandre BELOT

— 10H30 > 12H20 | **SESSION 2** | ESPACE ADENAUER

ENJEUX EUROPÉENS ET INTERNATIONAUX

Modérateur : Daniel SCHERMAN

Programme de Recherche Européen ERDERA. Daria JULKOWSKA

Programme Clinique Européen JARDIN. Anne-Sophie LAPOINTE

Réglementation Européenne. Anne-Sophie CHALANDON

Code ORPHA. Ana RATH

Rare Disease International. Alexandra HEUMBER

International Rare Disease Research Consortium IRDiRC. Daniel SCHERMAN

Discussion.

SESSION PLÉNIÈRES DES INDUSTRIELS | ESPACE ADENAUER

— 12H20 > 12H25 | **UCB** - L'ENGAGEMENT D'UCB DANS LES MALADIES RARES

Intervenante : Myriam GEHCHAN

— 12H25 > 12H35 | **NOVO NORDISK**

— 12H35 > 12H50 | **VERTEX**

12H50 > 13H50 | PAUSE DÉJEUNER & VISITE DES STANDS



13H50 > 14H20 | POSTERS COMMENTÉS & VISITE DES STANDS

— 14H20 > 14H50 | **SESSION 3.1** | ESPACE ADENAUER

GÉNÉTIQUE : ÉVOLUTION ET RÉVOLUTION - DÉPISTAGE NÉONATAL

Modérateurs : Guilaine BOURSIER & Alexandre BELOT

Introduction. Éric HACHULLA

Projet PERIGENOMED et quelles questions pour la médecine prédictive ? Laurence FAIVRE

Discussion.

— 14H50 > 15H35 | **SESSION 3.2** | ESPACE ADENAUER

GÉNÉTIQUE : ÉVOLUTION ET RÉVOLUTION - SESSION SPÉCIALE VUS

Modérateurs : Sophie GEORGIN-LAVIALLE & Éric HACHULLA

MEFV : un gène pour des maladies. Véronique HENTGEN

Le casseur de VUS : exemple de la FMF. Thomas HENRY

Discussion.

SESSION PLÉNIÈRES DES INDUSTRIELS | ESPACE ADENAUER

— 15H35 > 15H50 | **PFIZER** - NOMMER L'INVISIBLE : AGIR POUR LES MALADIES RARES

Intervenants : Dimitri GALLE & Joséphine JAPY

— 15H50 > 15H55 | **KYOWA KIRIN** - PRÉSENTATION DU LABORATOIRE KYOWA KIRIN

15H55 > 16H35 | PAUSE CAFÉ & VISITE DES STANDS



— 16H35 > 17H20 | **SESSION 3.3** | ESPACE ADENAUER

SESSION 3.3 - GÉNÉTIQUE : ÉVOLUTION ET RÉVOLUTION - SESSION SPÉCIALE MALADIES AUTO INFLAMMATOIRES

Modérateurs : Véronique HENTGEN & Éric HACHULLA

La mosaïque des maladies auto inflammatoires. Guilaine BOURSIER

Genotyping first & maladie autoinflammatoire somatique : la folle histoire du VEXAS. Sophie GEORGIN-LAVIALLE

Discussion.

— 17H20 > 18H30 | **SESSION 3.4** | ESPACE ADENAUER

GÉNÉTIQUE : ÉVOLUTION ET RÉVOLUTION - SESSION TRAITEMENT DES MALADIES GÉNÉTIQUES

Modérateurs : Guilaine BOURSIER & Thomas HENRY

Dissection génétique du lupus : les formes monogéniques pour expliquer les maladies complexes.

Alexandre BELOT

AFM-Téléthon ; directeur stratégie neuromusculaire de Généthon : histoire des thérapies géniques : avancées et limites (phénomènes inflammatoires et problématiques immunitaires) - Hommage à Michel Fardeau.

BRAUN Serge

Discussion.

Conclusion. Alexandre BELOT

Mercredi 8 octobre 2025

08H00 > 9H00 | ACCUEIL CAFÉ & VISITE DES STANDS



— 9H00 > 11H00 | **SESSION 4** | ESPACE ADENAUER

ACCÈS À L'INNOVATION : DE LA RECHERCHE CLINIQUE À L'ACCÈS DES INNOVATIONS AUX PATIENTS

Modérateur : Jean-Philippe PLANÇON

La Recherche Clinique en France et les actions mises en place en Europe pour développer la Recherche Clinique - Partie France. *Frédéric LAVIE*

La Recherche Clinique en France et les actions mises en place en Europe pour développer la Recherche Clinique - Partie Europe. *intervenant à venir*

Table ronde : l'innovation pour les patients dans les maladies rares :

- **IA et jumeaux numériques.** *Jean-Louis FRAYSSE*
- **ERN.** *Guillaume JONDEAU*
- **ANSM.** *Catherine PAUGAM-BURTZ*
- **HAS.** *Floriane PELON*
- **Industriel.** *Elodie WILMET*
- **Patients.** *Christophe DUGUET*
- **Questions / réponses.** *Jean-Philippe PLANÇON*
- **Conclusion.** *Jean-Philippe PLANÇON*

SESSION PLÉNIÈRES DES INDUSTRIELS | ESPACE ADENAUER

— 11H00 > 11H20 | **SANOFI - VERS UNE PRISE EN CHARGE ORGANISÉE DE LA GVH, UNE MALADIE CHRONIQUE ET RARE**
Intervenants : Jean-Hugues DALLE, David MICHONNEAU & Dominique CHAUVET

— 11H20 > 11H25 | **SOBI - ACTEUR ENGAGÉ DANS LES MALADIES RARES**
Intervenante : Valérie BASTARD

— 11H25 > 11H35 | **IPSEN**

— 11H35 > 11H50 | **ALEXION**

— 11H50 > 12H00 | **BIOGEN**

12H00 > 12H30 | PAUSE DÉJEUNER & VISITE DES STANDS



12H30 > 13H30 | POSTERS COMMENTÉS & VISITE DES STANDS

— 13H30 > 15H00 | **SESSION 5** | ESPACE ADENAUER

PRISE EN CHARGE ET SUIVI VILLE-HÔPITAL

Modérateur : Shahram ATTARIAN

Quelle coordination ville- hôpital-ville pour une équité dans l'accès aux soins ? (introduction). *Shahram ATTARIAN*

Suivi et articulation des liens Ville/Hôpital/Ville et Ville/ville et empowerment des malades (ETP) : Grande enquête plaidoyer de l'AMR. *Cécile FOJJOLS GAUSSOT*

La coordination Ville – Hôpital – Ville et quid de la coordination Ville-Ville : Comment faire du médecin traitant un vrai partenaire de soin dans la prise en charge suivi et l'articulation des liens Ville/Hôpital/Ville dans les maladies rares ? *Marc BAYEN*

Table ronde : retour d'expérience des différents acteurs :

- **Expérience d'un praticien.** *Shahram ATTARIAN*
- **Expérience d'une infirmière en HAD.** *Marion TELLIER*
- **Expérience d'un industriel.** *Aymeric DUVIVIER*
- **Expérience dans les établissements médico-sociaux.** *Arnaud GOASGUEN*
- **Expérience d'un réseau.** *Hélène DE CHATEAU-THIERRY*
- **Expérience patient.** *Alexandre FERRAND*

Discussion & conclusion.

— 15H00 > 16H00 | **SESSION 6** | ESPACE ADENAUER

NOUVEAUX OUTILS POUR LE DIAGNOSTIC ET LE SUIVI

Modérateurs : Hélène BERRUÉ-GAILLARD & Antoine FERRY

Système d'aide au Diagnostic : RDK. *Ana RATH*

Système d'aide au Diagnostic : AccelRare. *Hubert DE BOYSSON*

Système d'aide au Diagnostic : AIDY. *Antoine FERRY & Roman Hossein KHONSARI*

Questions / Réponses

BNDMR pour le suivi des patients. *Solange ROUMEGOUS*

Questions / Réponses

— 16H00 > 16H30 | **CLÔTURE DU CONGRÈS** | ESPACE ADENAUER

