



## Pré-programme

« La recherche : une nécessité pour les maladies rares »

### Mardi 5 novembre :

Séance inaugurale

PNMR3, Plan France Médecine Génomique 2025 : où en est-on ?

La recherche : un outil pour le diagnostic

Les enjeux du repositionnement thérapeutique pour les maladies rares

Les essais cliniques : comment promouvoir l'accès aux patients français ?

Du patient autonome à la prise en charge digitalisée : opportunités de la e-santé

### Mercredi 6 novembre :

Modification du génome : quelles applications ? Focus sur les enjeux

La recherche sur les maladies rares : un outil pour trouver de nouvelles thérapies pour les maladies plus fréquentes

La recherche en SHS au service du parcours de vie des patients

Thérapie génique : de la phase pré-clinique à l'AMM

Les enjeux du modèle économique de la thérapie génique

### Ils ont confirmé leur présence :

**Marie-Pierre BICHET** (Vice-Présidente de l'Alliance Maladies Rares), **Caroline BLANC-CROUZIER** (Vice-Présidente du Comité Maladies Rares du LEEM), **Christine BODEMER** (Euro-Skin, filière Fimarad, AP-HP), **Guillaume CANAUD** (Inst. Necker Enfants Malades, AP-HP), **Nathalie CARTIER** (INSERM), **Christine DE KALBERMATTEN** (association MaRaVal), **Christian DELEUZE** (Sanofi-Genzyme), **Jean-François DELEUZE** (CNR Génomique Humaine/CEA), **Christophe DUGUET** (AFM-Téléthon), **Sylvie ESCALON** (DGOS), **Alain Fischer** (Collège de France, APHP), **Olivier HERMINE** (Institut Imagine, AP-HP), **Géraldine HONNET** (Institut des Biothérapies), **Alain HOVNANIAN** (Institut Imagine, AP-HP), **Cyrille ISAAC-SIBILLE** (Assemblée Nationale), **Guillaume JONDEAU** (AP-HP, filière Fava-Multi, VASC-ERN), **Yann LE CAM** (EURORDIS), **Paul LEVESQUE** (Pfizer), **Nizar MAHLAOUI** (AP-HP), **Jean-Louis MANDEL** (Président de la Fondation Maladies Rares), **Alexandre MEJAT** (EURORDIS), **Marie-Anne MONTCHAMP** (CNSA), **Régis PEFFAULT DE LATOUR** (AP-HP, filière MaRih), **Jean-Philippe PLANÇON** (Alliance Maladies Rares), **Hélène PUCCIO** (IGBMC), **Sébastien RUFFIE** (Université des Antilles), **Damien SANLAVILLE** (Auragen, HC de Lyon), **Nicolas SIREAU** (AKU Society), **Laurence TIENNOT-HERMENT** (AFM-Téléthon)