

Mardi 3 décembre 2024  
Maison de la Chimie, Paris 7<sup>e</sup>

8<sup>es</sup> Rencontres sur les

# MALADIES RARES

Présidées par

**Jérémie  
Patrier-Leitus**

*Député du Calvados*

**Maud  
Petit**

*Députée du Val-de-Marne*

**Nicolas  
Turquois**

*Député de la Vienne  
Vice-président de la commission  
des Affaires sociales*

Organisées par

**M&M CONSEIL**

En partenariat avec

**Inserm**

La science pour la santé  
From science to health

Un événement animé par  
**Thierry Guerrier**, journaliste

9 heures

### TABLE-RONDE // Comment gagner la bataille du diagnostic ?

Présidée par

**Maud Petit**, députée du Val-de-Marne

Avec la participation de

**Émilie Bugeat-Toussaint**, directrice générale France-Benelux de Kyowa Kirin

**Christine Contré**, directrice médicale de Chiesi France

**Pr Laurent Mesnard**, médecin néphrologue à l'Hôpital Tenon, enseignant-chercheur à Sorbonne Université

9h40

### FOCUS // Comment accélérer la recherche grâce aux données de santé ?

Présidé par

**Jérémy Patrier-Leitus**, député du Calvados

Avec la participation de

**Théo Bernhardt**, député du Bas-Rhin

**Dr Gisèle Bonne**, directrice adjointe de l'Institut thématique Génétique, génomique et bioinformatique de l'Inserm

**Pr Hélène Dollfus**, directrice du Laboratoire de génétique médicale de l'université de Strasbourg, coordinatrice de RaReTIA

**Mélina Gilberg**, directrice HEOR d'Amgen

**Pr Rima Nabbout**, neurologue pédiatrique, coordinatrice du centre de référence des épilepsies rares (CRéER) de l'Hôpital Necker-Enfants malades, présidente du comité scientifique de la Banque nationale des données de Maladies Rares (BNDMR)

10h40

### FOCUS // Quelle efficacité dans le traitement de la myasthénie auto-immune généralisée ?

Avec la participation de

**Dr Anne-Sophie Jannot**, directrice médicale de la Banque nationale de données maladies rares (BNDMR)

**François Rauch**, directeur général France d'argenx

**Dr Emmanuelle Salort-Campana**, neurologue au Centre de référence des maladies neuromusculaires (Hôpital de la Timone, AP-HM)

11 heures

## **TABLE-RONDE // Quelles solutions pour renforcer l'accès aux traitements ?**

Avec la participation de

**Dr Hélène Berrué-Gaillard**, présidente de l'Alliance Maladies Rares  
**Pr Guillaume Canaud**, professeur à l'hôpital Necker Enfants Malades, chercheur en médecine translationnelle à l'Université Paris Cité, pilote du quatrième plan national maladies rares (PNMR4)

**Marie-Christine Dalloz**, députée du Jura

**Virginie Lasserre**, directrice des affaires externes de Janssen France

**Fabien Mselati**, vice-président Maladies rares de Novo Nordisk France

**Yannick Neuder**, député de l'Isère, rapporteur général de la commission des Affaires sociales

**Thierry Nouvel**, directeur général de Vaincre la Mucoviscidose

11h50

## **FOCUS// Comment faire de la pratique sportive adaptée une priorité pour les maladies rares ?**

**Sébastien Guérard**, président de la Fédération française des masseurs kinésithérapeutes rééducateurs (FFMKR)

**Marina Vasiliou**, présidente-directrice générale de Biogen France

12h10

## **SESSION PROSPECTIVE // IA, thérapies géniques, ARN : quels sont les nouveaux territoires de l'innovation ?**

Présidée par

**Nicolas Turquois**, député de la Vienne, vice-président de la commission des Affaires sociales

Avec la participation de

**Pierre-Olivier Boyer**, directeur général France de PTC Therapeutics

**Agnès Firmin Le Bodo**, députée de la Seine-Maritime

**Pr Sylvie Odent**, coordinatrice de la plateforme d'expertise Maladies Rares de Bretagne « Rares Breizh », PU-PH de Génétique médicale, responsable du service de Génétique Clinique, CHU de Rennes

**Pr Daniel Scherman**, directeur de la Fondation Maladies rares

12h50

## **DÉJEUNER DÉBAT (sur invitation)**

autour de

**Virginie Bros-Facer**, directrice générale d'EURORDIS-Rare Diseases Europe

# INFORMATIONS PRATIQUES

Ces Rencontres auront lieu le :  
**MARDI 3 DÉCEMBRE 2024**

Maison de la Chimie  
28, rue Saint-Dominique  
75 007 Paris

RER C : Invalides  
Métro : Invalides – Assemblée nationale  
Bus : 63 • 69 • 83 • 93 • 94  
Parking : Invalides

INSCRIPTIONS & RENSEIGNEMENTS

M&M CONSEIL

sec@mmconseil.com / www.mmconseil.com  
41 - 43 rue Saint-Dominique – 75 007 Paris  
Tél : 01 44 18 64 60

EN PARTENARIAT AVEC

# Inserm

La science pour la santé  
From science to health

AVEC LE SOUTIEN DE

**AMGEN**

argenx

**Biogen**

**Chiesi**

FONDATION  
Groupama  
vaincre les maladies rares

**Janssen**  
PHARMACEUTICAL COMPANIES OF  
Johnson & Johnson

**KYOWA KIRIN**

**novo nordisk**

**PTC**  
THERAPEUTICS

**ucb** Inspired by patients.  
Driven by science.