

Forum Recherche Clinique et Développement du médicament : Tous Acteurs !

Programme - Mardi 11 octobre 2016



Avec l'aimable
collaboration



En partenariat avec les filières de santé maladies rares présentes à l'hôpital Necker-Enfants Malades :

AnDDI-Rares, NeuroSphinx, OSCAR, Fimarad, TeteCou, SENSGENE, DefiScience, Filnemus, G2M, MaRIH, FAI2R, MCGRE, MUCO/CFTR, Cardiogen, ORKID, Fimatho, FIRENDO, RespiFIL

Avec le soutien institutionnel du Leem pour le repas

08h30 Accueil des participants (20')

**Modérateur de la matinée
Nadia Bahi-Buisson**

08h50 Introduction de la journée - *Stanislas Lyonnet*

Alliance Maladies Rares : Mise en perspective du point de vue des associations - *Alain Donnart*

Clés de compréhension entre soin et recherche - Présentation de la direction de la recherche clinique d'Imagine

- ❖ Éthique et réglementaire, la transparence - *Élisabeth Hulier-Ammar*
- ❖ Le développement du médicament : la désignation orpheline, ATU et compassionnel, RTU et AMM - *Caroline Tuchmann-Durand*
- ❖ Questions de la salle

Présentation Espace Maladies Rares / Maladies Chroniques (Necker, AP-HP) - *Véronique Richard*

Mission Associations (INSERM) : Mise en place et dynamique du collège des relecteurs, témoignage à trois voix - *Bernadette Bréant/Flavie Mathieu/Une association relectrice*

Exemple d'essai clinique : Centre de référence des Maladies Osseuses Constitutionnelles (MOC)

Partenariats Associations/Promoteurs/Investigateurs : Quels atouts pour le malade ? - *François Houyez*

11h00 Pause (15')

11h15 Rôle des associations dans le développement du médicament – À l'international, dans les instances réglementaires, exemples (AFM-Téléthon) – *Serge Braun, Christophe Duguet, Géraldine Honnet*

Impact médico-social et qualité de vie dans l'évaluation des prises en charge en vie réelle [Partie 1/2]

Modérateur : *Gérard Viens*

- ❖ Orphanet - Projet CNSA et le retentissement médico-social dans les maladies rares - *Ana Rath*
- ❖ Fondation Maladies Rares et les projets de recherche en Sciences Humaines et Sociales
- ❖ Douze ans de coopération européenne : quel bilan et quel avenir ? Quelles conséquences futures pour l'accès au médicament ? *François Meyer*
- ❖ Questions de la salle

12h35 Pause déjeuner sur place / Présentation de la Toolbox Eupati - *Claudie Baleydiér et les « trainees » du Patient Expert Training Course d'Eupati*

13h20 Atelier Delphi : Data sharing / Partage de données / Accès aux données de santé : prérequis au partage des données – *Allan Wilsdorf*

Impact médico-social et qualité de vie dans l'évaluation des prises en charge en vie réelle [Partie 2/2]

Modérateur : *Gérard Viens*

- ❖ Rare Connect - Rare Barometer Voices, les recueils d'enquêtes : Parlons des maladies rares ! - *Sandra Coubrier*
- ❖ Maladies Rares Info Services - Contribution des personnes atteintes de maladies rares à la vie réelle du médicament - *Jacques Bernard*
- ❖ Session de questions

Bases de Données / Registres / Cohortes : Enjeu de santé et de recherche, données ouvertes, information et consentement, résultats globaux et individuels [Partie 1/2]

Modérateur : *Grégoire Moutel*

- ❖ Introduction
- ❖ Fondation Imagine - *Nicolas Garcelon*
- ❖ Orphanet - *Ana Rath*
- ❖ Radico - *Jérôme Weinbach et Laure Jamot*
- ❖ BNDMR - *Rémy Choquet*
- ❖ ITMO Santé Publique - *Frédérique Lesaulnier*
- ❖ Groupe Maladies Rares du Leem, les partenariats public-privé - *Christian Deleuze*

**Modérateur de L'après-midi
Sandrine Marlin**

15h15 Pause (15')

15h30 Bases de Données / Registres / Cohortes : Enjeu de santé et de recherche, données ouvertes, information et consentement, résultats globaux et individuels [Partie 2/2]

Modérateur : *Grégoire Moutel*

- ❖ Table ronde
- ❖ Questions

Les filières de santé maladies rares, un atout pour la recherche clinique : États des lieux - *NeuroSphinx, OSCAR, fimarad, TeteCou, SENSGENE, AnDDI-Rares, DefiScience, G2M, MaRIH, MUCO/CFTR, Filnemus, FAI2R, Cardiogen, ORKID, Fimatho, FIRENDO, MCGRE, RespiFIL*

Conclusion de la journée - *Anne Chevrier et Laurence Faivre*

18h00 Clôture de la journée