



Congrès 2023

Programme préliminaire

Vendredi 2 et Samedi 3 juin 2023

**Hôtel Novotel Paris Sud Porte de Charenton
3-5 Place des Marseillais
94227 Charenton-le-Pont**

Vendredi 2 juin 2023

- **9h00 : Accueil des participants**
- **9h45 : Ouverture par Hélène Berrué-Gaillard, présidente de l'Alliance maladies rares**
- **10h00-12h30 : Plénière d'ouverture « Les défis d'un 4^{ème} plan national maladies rares (PNMR) »**

Animation: Hélène Berrué-Gaillard, présidente de l'Alliance maladies rares.

Le 3^{ème} PNMR va bientôt faire l'objet d'une évaluation, il y a une urgence à maintenir les maladies rares dans l'agenda politique.

Un 4^{ème} PNMR s'impose mais ne peut se résumer à la simple continuité des actions maladies rares.

Les maladies rares nécessitent toujours une approche globale, qui justifie un 4^{ème} PNMR, avec des moyens importants, un renforcement stratégique des filières de santé maladies rares, une dynamique interministérielle et un fort pilotage.

- **12h30-14h00 : Pause déjeuner**

● 14h00-15h30 : 1^{ère} série d'ateliers thématiques

PARCOURS DE SOINS • TRAITEMENTS • DIAGNOSTIC

Atelier 1 « Développer l'Éducation Thérapeutique du Patient (ETP) »

Animation : Marie-Pierre Bichet, membre du bureau de l'Alliance maladies rares

Grâce aux appels à projets des PNMR, plus de 200 programmes d'éducation thérapeutique du patient ont été conçus ou mis à jour pour les maladies rares. Ils sont en cours d'évaluation. Comment renforcer les rôles des associations, des filières de santé maladies rares et des centres de référence ? Il est nécessaire de continuer à soutenir l'ETP dans le 4^{ème} PNMR, à la fois pour la conception et pour la mise en œuvre des programmes. Quelles évolutions méthodologiques, règlementaires et financières défendrez-vous demain ?

Atelier 2 « Renforcer l'accès aux traitements »

Animation : Jean-Philippe Plançon, vice-président de l'Alliance maladies rares

L'accès aux traitements est un enjeu majeur pour les personnes atteintes d'une maladie rare. Par exemple, des dispositifs d'accès dérogatoires simplifiés sont désormais en place et remplacent les Autorisations Temporaires d'Utilisation (ATU) et les Recommandations Temporaires d'Utilisation (RTU) : l'Accès Précoce (AP) et l'Accès Compassionnel (AC). Des enjeux peuvent aussi exister autour des ruptures de stocks. Le 3^{ème} PNMR a prévu la mise en place d'observatoires des traitements par les filières de santé maladies rares. Quel bilan peut-on faire de ces différents outils ? Quels rôles peuvent jouer les associations et les filières dans leur mise en œuvre ? Comment le 4^{ème} PNMR peut-il encore renforcer ces mesures pour faciliter l'accès au traitement ?

Atelier 3 « Lutter contre l'impasse diagnostique »

Animation : Xavier Broutin, trésorier de l'Alliance maladies rares

La réduction des impasses diagnostiques fait partie des actions prioritaires du 3^{ème} PNMR. L'impasse diagnostique résulte de l'échec à définir la cause précise de la maladie après avoir mis en œuvre l'ensemble des investigations disponibles. Limiter les impasses diagnostiques, imposent de développer des techniques diagnostiques innovantes et d'améliorer les connaissances scientifiques et médicales. S'il est nécessaire de faire un premier point d'étape, quelles évolutions structurelles doit-on porter dans un 4^{ème} PNMR ?

Atelier 4 « Accélérer la recherche »

Animation : Maryse Roger et Agnès Farrugia, membres du conseil national de l'Alliance maladies rares

Les filières de santé maladies rares sont des dispositifs de co-construction de réponses aux enjeux posés par les maladies rares, avec l'ensemble des acteurs qui y participent. Les filières ont des missions étendues à la formation, au soin et à la recherche. Dans la mesure où les filières couvrent un champ large et cohérent de maladies rares et rassemblent les acteurs de la recherche et du soin, elles peuvent jouer un rôle déterminant pour identifier et combler les besoins de recherche. Comment renforcer le rôle des filières dans cette mission et quelle coordination prévoir avec la Fondation maladies rares ?

- 15h30-16h00 : Pause
- 16h00-17h30 : 2nde série d'ateliers thématiques

Atelier 5 « Améliorer le lien Ville-Hôpital »

Animation : Cécile Foujols-Gaussot, vice-présidente de l'Alliance maladies rares
Maggy Surace, membre du conseil national de l'Alliance maladies rares

La qualité des centres experts et des filières de santé maladies rares a rendu possible une prise en charge d'excellence pour les maladies rares. Cependant, la connexion entre ce réseau d'expertises maladies rares, la médecine de ville et les réseaux médico-sociaux ne satisfait pas encore pleinement les malades et leurs familles. Des actions et initiatives existent déjà, souvent à l'échelle régionale. S'il est indispensable de proposer une réflexion à l'échelle nationale, quelles actions concrètes prévoir dans le 4^{ème} PNMR pour améliorer le lien ville-hôpital ?

Atelier 6 « Favoriser l'émergence et l'accès à l'innovation »

Animation : Jean-Philippe Plançon, vice-président de l'Alliance maladies rares

Dans les maladies rares, il est nécessaire d'augmenter le nombre de traitements disponibles sur le marché.

Un très grand nombre de ces maladies ont un très faible nombre de patients par maladie, conduisant à des marchés de faibles voire de très faibles tailles.

La France a été pionnière pour l'accès aux traitements innovants.

De nombreuses thérapies innovantes ont montré leur efficacité dans des premières maladies rares, ouvrant la voie pour d'autres, et des maladies fréquentes.

Mais il nous faut aller plus loin :

Comment renforcer la réglementation européenne

sur les médicaments orphelins ?

Comment rendre accessible les thérapies géniques et cellulaires ?

Comment favoriser l'innovation pour des traitements ultra rares sans perspective de rentabilité commerciale ?

Atelier 7 « Vaincre l'errance diagnostique »

Animation : Gilles Brabant, membre du conseil national de l'Alliance maladies rares

L'errance diagnostique se définit comme la période allant de l'apparition des premiers symptômes à la date à laquelle un diagnostic précis est posé. Pour la réduire, il faut pouvoir agir à tous les niveaux possibles du territoire national et auprès de l'ensemble des professionnels de santé. Les filières de santé MR ont été, notamment créées afin de réduire l'errance diagnostique. Comment les renforcer et les rendre stratégiques sur ce sujet en complément des autres acteurs ?

Atelier 8 « Capitaliser sur les données de santé »

Animation : Mado Gilanton, membre du conseil national de l'Alliance maladies rares

Développée grâce aux PNMR, la Banque Nationale de Données Maladies Rares (BNDMR) est aujourd'hui déployée dans la majorité des centres de référence et de compétence. Comment est structurée cette base de données ? Quelle utilisation des données peut être proposée aux différents acteurs des maladies rares ? Dans quelle mesure les données de santé pourront révolutionner les maladies rares dans un 4^{ème} PNMR ?

- **17h30-18h00 : Pause**

- **18h00-18h30 : « Pitcher c'est gagner ! »**

Afin que chacun puisse s'approprier des grands combats de l'Alliance, chaque animateur reviendra en 180 secondes sur les grandes victoires souhaitées dans un futur 4^{ème} PNMR.

- **18h30-19h30 : « La conférence mystère » par notre conférencier « mystère »**

Une chose est sûre,
elle sera inédite, remuante et inspirante !

- **19h30-22h00 : La soirée de l'Alliance « Petites bouchées, musique et compagnie » !**

A tout moment

Retrouvez les acteurs des maladies rares tout au long de la journée sur l'espace « Stands » :



Alliance maladies rares



Maladies Rares Info Services



Fondation Maladies Rares



Orphanet



Eurordis



Les 23 Filières de Santé Maladies Rares



Les 19 Plateformes d'Expertise Maladies Rares en régions



La Banque Nationale de Données Maladies Rares (BNDMR)



L'Association Française des Conseillers en génétique

Samedi 3 juin 2023

- **9h15 : Accueil des participants**
- **9h45 : Ouverture par la présidente de l'Alliance maladies rares**
- **9h45-10h00: Paroles aux nouvelles associations de l'Alliance**
- **10h00-14h00 : Assemblée plénière**

L'assemblée plénière sera l'occasion d'aborder ensemble les actions de l'Alliance et de partager les perspectives. Elle permettra également de renouveler une partie du Conseil National.

Une pause collation sera prévue vers 11h45.

- **14h00-16h00 : « Déjeunons à l'heure espagnole ! »**

Déjeuner plancha en musique ! Retrouvons-nous sur la terrasse !

- **16h00-16h30 : « Ensemble en 2023 »**
- **16h30 : Le verre de l'amitié !**

Infos pratiques



Date et lieu

Vendredi 2 et samedi 3 juin 2023

Hôtel Novotel Paris Sud Porte de Charenton
3-5 Place des Marseillais
94227 Charenton-le-Pont

+ d'info sur le site internet :
<https://all.accor.com/hotel/1549/index.fr.shtml>

Plan d'accès : <https://alliance-maladies-rares.org/wp-content/uploads/2023/04/Plan-dacces-Novotel-Paris-Sud-Porte-de-Charenton.pdf>

Parking et accès transports

Le Novotel est situé à proximité des transports en commun et accès parking.

Transports en commun
MÉTRO : ligne 8, liberté
TRAMWAY : T3A Porte de Charenton
BUS : 111 Charenton École

Parking
Liberté Valmy

Prise en charge de votre venue

Les inscriptions sont gratuites et uniquement ouvertes aux Présidents ou à leurs représentants, dans la limite d'une personne par association (nombre limité de places)

Frais pris en charge directement par l'Alliance :

- L'Alliance a pré-réservé des chambres pour la nuit du 2 au 3 juin 2023, sur le lieu du congrès, au Novotel de Charenton-le-Pont. Les horaires d'accès à votre chambre vous seront communiqués.
- L'Alliance organise et prend en charge les déjeuner et dîner du vendredi et les petit-déjeuner et déjeuner du samedi.

Par ailleurs, l'Alliance rembourse les frais de transport des participants de province sur la base du tarif SNCF aller/retour 2e classe. Toute demande de sortie de ce cadre doit faire l'objet d'un accord préalable de l'Alliance maladies rares

Inscriptions

<https://congresalliance2023.teamresa.net/>

Des questions ?

Inscriptions et infos pratiques

Domitille Bergot, chargée des inscriptions, se tient à votre disposition
domitille.bergot@comm-sante.com / 05 57 97 19 19

Coordination générale de l'évènement

*Vous souhaitez partager une expérience ou témoigner lors du congrès ?
Vous souhaitez plus d'informations sur un atelier ?*

Fanny CLAVIER, Responsable de l'animation du réseau, se tient à votre disposition : fclavier@maladiesrares.org

Les partenaires

Avec le soutien déterminant de

AFMTELETHON
INNOVER POUR GUÉRIR



et avec le soutien de



FONDATION
Groupama
vaincre les maladies rares

et de



sanofi

