



Colloque
universitaire

Les maladies rares, une voix pour la santé de demain ?



JEUDI

11

SEPTEMBRE

2014

Université de Toulouse 1 - Capitole
Manufacture des Tabacs - Amphithéâtre Guy Issac

Avec le partenariat de

Association des étudiants du Master 2,
Droit de la santé et de la protection sociale
Université Toulouse Capitole



[CLIQUEZ ICI POUR
VOUS INSCRIRE](#)

8h30

Accueil des participants

9h00

Discours d'ouverture

Bruno SIRE, *Président de l'Université Toulouse 1 Capitole*
Thierry LANG, *Directeur de l'IFERISS, Faculté de médecine*
Isabelle POIROT-MAZERES, *Directrice du Master 2 Droit de la santé et de la protection sociale, Institut Maurice Hauriou, UT1 Capitole*
Paul GIMENES, *Directeur adjoint chargé du plaidoyer de l'Alliance Maladies Rares*

Projection film : **La Marche des Maladies Rares 2013**

9h30

Le combat de l'Alliance Maladies Rares, la voix des personnes atteintes de maladies rares en France

Jacques BERNARD, *Co-fondateur de l'Alliance Maladies Rares*

I. DE L'ENJEU DE SANTÉ PUBLIQUE À UNE ORGANISATION PUBLIQUE MODÈLE DU SYSTÈME DE SANTÉ

Présidence : **Gérard BAPT**, *Député (à confirmer)*
 Animation : **Alain FONTAINE**, *Directeur général de l'Alliance Maladies Rares*

LES MALADIES RARES, UNE CAUSE DE SANTE PUBLIQUE ?

9h50

Aspects politiques. Les maladies rares, de la reconnaissance de spécificités à la défense de l'intérêt général.

Paul GIMENES, *Directeur adjoint de l'Alliance Maladies Rares*

10h05

Aspects juridiques. Rareté, intérêt général, santé publique

Jean-Paul MARJUS, *Pr Université Versailles Saint Quentin-en-Yvelines*

10h20

Aspects économiques. Le coût de la rareté.

Thomas RAPP, *MCF, Université Paris Descartes, LIRAES*

Questions - Débats
 Pause

ORGANISATION DES SOINS ET PRISE EN CHARGE: LES VOIES D'EVOLUTION

11h20

Table ronde : Un modèle de prise en charge? Vers la médecine personnalisée.

Présentation

Isabelle POIROT-MAZERES, *Pr. Université Toulouse 1 Capitole, Institut Maurice Hauriou*

Spécificités et évolutions du système de santé «maladies rares»?

Nathalie TRICLIN, *Vice-Présidente de l'Alliance Maladies Rares*

Accès et organisation des soins maladies rares: le point de vue des autorités publiques **Monique CAVALIER**, *Directrice ARS Midi-Pyrénées*

Les perspectives ouvertes par la télémédecine

Yann FERRARI, *Doctorant IMH-Société Platinnes*

Organisation des soins et maladies rares: l'exemple de la cancérologie

Éric BAUVIN, *Médecin Coordonnateur Oncomip*

Questions - Débat

12h45 - 14h15

Pause déjeuner Restaurant universitaire

II. D'UN CADRE RENOUVELÉ POUR LA RECHERCHE ET L'ACCÈS AUX NOUVELLES THÉRAPIES, AU RÔLE RENFORCÉ DES PERSONNES MALADES. REGARDS CROISÉS

Présidence : **Dr Dominique PETON-KLEIN**, *Directrice du suivi et de l'évolution du PNMR II (à confirmer)*

Animation : **Alain FONTAINE**, *Directeur général de l'Alliance Maladies Rares*

LA RECHERCHE DANS LES MALADIES RARES, UN NOUVEAU PARADIGME ?

Recherche et maladies rares, le cas des mineurs

Anne-Marie DUGUET, *MCU-PH, UMR 1027, INSERM Université Toulouse III*

Initiatives internationales et questionnements bioéthiques

Emmanuelle RIAL-SEBBAG, *Chargée de recherche INSERM, UMR 1027, Université Toulouse III*

Le rôle des malades et de leurs associations dans la recherche

Anne-Sophie LAPOINTE, *Membre du Conseil National de l'Alliance Maladies Rares*

MEDICAMENTS ET AUTORISATIONS DE MISE SUR LE MARCHE, DE NOUVEAUX EQUILIBRES ?

Les médicaments orphelins, enjeux d'évaluation et de régulation

Florence TABOULET, *Pr Faculté des Sciences pharmaceutiques de Toulouse, UMR 1027 INSERM-Université Toulouse III*

Indications thérapeutiques autorisées et indications thérapeutiques remboursables : nouveaux équilibres

Blandine JULLIARD-CONDAT (MCU-PH)

Le regard des grands témoins

Jacques BERNARD, *Co-fondateur de l'Alliance Maladies Rares*
Christian DELEUZE, *Président de Genzyme France (à confirmer)*

Questions - Débats
 Pause

QUEL ROLE AUJOURD'HUI POUR LES PERSONNES ATTEINTES DE MALADIES RARES ET LEURS ASSOCIATIONS ?

Table ronde: Rôle des personnes malades et des aidants familiaux : de l'expert au partenaire ?

Présentation:

Nathalie TRICLIN, *Vice-Présidente de l'Alliance Maladies Rares*
Paul GIMENES, *Directeur adjoint de l'Alliance Maladies Rares*

Les personnes atteintes de maladies rares, des malades/experts ?

Marie-Pierre BICHET, *Chargée ETP à l'Alliance Maladies Rares*

L'expertise des associations de malades dans les essais cliniques

Me Denis BENAYOUN, *Président du CPP Sud Ouest, Avocat au Barreau de Toulouse, spécialisé en Droit de la Santé et Droit du dommage Corporel*

Le point de vue des industriels de la santé

Benoît QUITTRE, *Directeur général de SHIRE France & Benelux (à confirmer)*

Les associations de maladies rares, des partenaires du système de santé ?

Pascal DERO, *Délégué régional de l'Alliance Maladies Rares*
Maité TAUBER, *Pr. CHU Toulouse (à confirmer)*

Questions - Débats

Conclusion de la Journée

14h15

14h30

14h45

15h10

15h25

15h40

16h20

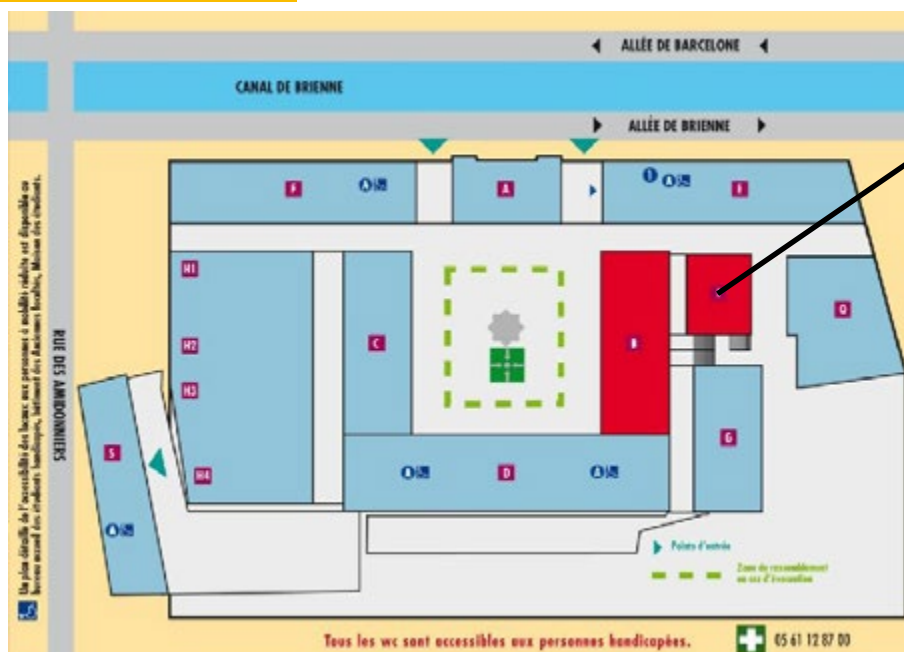
17h10

17h30

Depuis plus de dix ans et le début de l'élaboration du premier Plan National, la lutte contre les maladies rares est reconnue comme priorité de santé publique. La France, rappelait Yann LE CAM lors de la Conférence EUROPLAN en janvier dernier, a été en ce domaine pionnière « par la création d'acteurs majeurs, nationaux et européens, des maladies rares, et, dans la mise en œuvre d'un plan national pour reconnaître les maladies rares comme un enjeu de santé publique, pour accorder aux personnes atteintes de maladies rares une existence dans l'espace social, pour donner aux personnes atteintes de maladies rares une identité dans le système français de soins, leur permettre d'être mieux pris en charge sur le plan médical et social. ». Beaucoup reste à faire, et à l'heure où se mettent en place les premières formes d'une médecine personnalisée, les besoins des malades et des familles demeurent immenses, préoccupation constante des chercheurs, des professionnels de santé et des pouvoirs publics, mais aussi un enjeu majeur pour les associations de malades et d'usagers, singulièrement pour l'Alliance Maladies Rares, collectif de plus de 200 associations de malades et porte-parole reconnu de plus de 2 millions de personnes concernées par les maladies rares en France.

Il s'agit ainsi, lors de cette journée, de confronter points de vue et analyses, celles des professionnels de santé et des acteurs de première ligne de la lutte contre les maladies rares, et celles des universitaires, médecins, pharmaciens, juristes, économistes. L'objectif est aussi, par ce croisement de perspectives et d'expertises, d'analyser les transformations en cours qui font de la lutte et de la prise en charge des maladies rares un modèle à venir pour la médecine et la santé du futur. Enfin, il s'agit pour l'Alliance Maladies Rares et l'Université Toulouse 1 Capitole, de sensibiliser aux problématiques des maladies rares et de l'expertise associative les étudiants des Master de toutes disciplines et de promouvoir par ce biais la recherche universitaire, l'un des axes forts des Plans nationaux comme de la Stratégie nationale de santé.

Accès



Université de Toulouse 1 - Capitole
Manufacture des Tabacs
Amphithéâtre Guy Issac
21, allée de Brienne
31042 Toulouse

Accès :

- **Depuis l'Aéroport international Toulouse-Blagnac** : Navette aéroport Flybus niveau Arrivée, porte C www.toulouse.aeroport.fr
- **Depuis la gare Matabiau** : métro A direction Basso Cambo et descendre à la station Jean Jaurés. Puis étro B direction BordeRouge et descendre à Compans Caffarelli.
- **Métro arrêt** : Compans-Cafarrelli
- **Bus** : n° 1 (arrêt Amidonniers ou Barcelone-Leclerc), n°16, n°63 (arrêt Barcelone-Leclerc)

Inscription

Pré inscription : <https://fr.surveymonkey.com/s/ColloqueUniversitaireToulouse>

- Vous pouvez être plusieurs participants d'une même organisation (associations de malades, professionnels de santé, acteurs institutionnels...) à vous inscrire. Pour cela merci de remplir autant de fois que nécessaire le bulletin d'inscription;
- Date limite d'inscription : **5 septembre 2014**
- Chaque inscription sera suivie d'une confirmation par e-mail.