

Colloque scientifique Maladies rares

Salle Laroque - Ministère des Solidarités et de la Santé
14, avenue Duquesne - Paris 7^e - France

lundi
**28 fév.
2022**

PROGRAMME / PROGRAM

Colloque scientifique Maladies rares* *Scientific Symposium on Rare Diseases**

08.15	Accueil sur site / <i>On-site welcome</i>
09.00 20 min	Ouverture / <i>Opening</i> Gilles Bloch , Président-directeur général de l'Inserm / <i>President & CEO of French National institute of Health and Medical research</i> (Inserm, France) Claire Giry , Ministère de l'Enseignement supérieur, de la Recherche et de l'Innovation, DG DGRI – <i>French Ministry of Higher Education, Research and Innovation, DG General Directorate for Research and Innovation</i> Katia Julienne , Ministère des Solidarités et de la Santé, DG DGOS – <i>French Ministry of Solidarity & Health, DG Directorate of Health Care Supply</i>
09.20 - 10.00 40 min	Recherche européenne et innovation thérapeutique <i>European research and therapeutic innovation</i> Modérateurs / Moderators: Avril Daly (vice-président, EURORDIS Rare Diseases Europe), Franck Mounthon (Europabio/FranceBiotech, président)
09.20 - 09.35	Engagement et vision future des maladies rares en Europe <i>Commitment and vision for the future of rare diseases in Europe</i> Irene Norstedt (European Commission, DG RTD)
09.35 - 09.55	Présentation du concept de « Partenariat Maladies rares » Horizon Europe <i>Presentation of the concept of the “Rare Diseases Partnership” under Horizon Europe</i> Daria Julkowska (EJP RD, Inserm, France), Ralph Schuster (DLR, Germany), Milan Macek (Charles University, Czech Republic)
09.55 - 10.00	Questions-Answers

* Cet événement n'est pas organisé par le Gouvernement français. Il est cependant autorisé par celui-ci à utiliser l'emblème de la présidence française du Conseil de l'Union européenne / This event is not organised by the French Government. However, it is authorised by the Government to use the emblem of the French Presidency of the Council of the European Union.

10.00 - 11.00 60 min	L'innovation au cœur des nouvelles thérapies <i>Innovation at the heart of new therapies</i> Modérateurs / Moderators: Pr Sylvie Odent (University Hospital Rennes, France), Pr Xavier Jeunemaitre (AP-HP, France)
10.00 - 10.20	Génie génétique des cellules souches hématopoïétiques pour traiter les maladies héréditaires <i>Genetic engineering of hematopoietic stem cells to treat inherited diseases</i> Pr Luigi Naldini (San Raffaele Telethon Institute, Milan, Italy)
10.20 - 10.40	Thérapie génique des maladies du système hématopoïétique : entre sécurité et efficacité <i>Gene therapy for hematopoietic inherited diseases: efficacy versus safety</i> Pr Marina Cavazzana (Institut Imagine, Paris, France)
10.40 - 11.00	Thérapie génique, neuroprotection et restauration visuelle dans les dystrophies rétiniennes <i>Gene therapy for vision preservation and restoration in retinal dystrophies</i> Pr José-Alain Sahel (Institut de la vision, Paris, France)

PAUSE / BREAK

11.10 - 11.25 15 min	Vers le partenariat public-privé <i>Towards public-private partnership</i>
11.10 - 11.25	Thérapie génique pour les maladies rares, de l'innovation à l'accès aux patients : succès et enjeux <i>Gene therapy for rare diseases, from innovation to patient access: achievements and challenges</i> Frédéric Revah (CEO Généthon, Évry, France)
11.25 - 12.25 60 min	Table ronde / Round Table Défis de la collaboration public-privé pour l'innovation thérapeutique dans les maladies rares : quelle place pour le Partenariat Maladies Rares ? <i>Challenges of public-private collaborations for therapeutic innovation in rare diseases: what place for the Rare Diseases Partnership?</i> Modérateur / Moderator: Stanislas Lyonnet (Institut Imagine, Paris, France) <ul style="list-style-type: none"> • Angel Cedazo-Minguez (Sanofi, France) • Teresinha Evangelista (ERN EURO-NMD) • Franck Mounthon (Europabio/France Biotech, France) • David Pearce (Sanford Health, USA, Chair of IRDiRC) • Bob Smith (Pfizer, USA) <p>Les speakers sont conviés à participer à la table ronde. <i>Speakers are invited to participate to the Round table.</i></p>
12.25 - 12.30	Conclusions et perspectives <i>Conclusions and prospects</i>

Inscription gratuite mais obligatoire sur / *Registration on (free but mandatory) :*

<https://uefranceraredis.sciencesconf.org>