

PROGRAMME PRELIMINAIRE / PRELIMINARY PROGRAMME

Mercredi 2 novembre - Wednesday November 2nd, 2011

Horaires/ Times	Intitulés/ Sessions	Sujets/ Topics	Salles/ Rooms
8h - 9h	ACCUEIL DES PARTICIPANTS, CAFE D'ACCUEIL ET VISITE DE L'EXPOSITION <i>WELCOMING THE PARTICIPANTS, WELCOME COFFEE AND VISIT OF THE EXHIBITION</i>		Niveau 1 Joffre
9h - 9h15	Introductions et messages de bienvenue - <i>Introductions and Welcome Message</i>		Auditorium Einstein
9h15 - 10h30	Modérateur/Moderator > Ségolène Aymé - Orphanet		
9h15 - 9h30	C0 - Conférence inaugurale <i>C0 - Inaugural Conference</i>	Avancées du 2ème Plan National Maladies Rares <i>Advances made in the Second National Plan for Rare Diseases</i> > Alain Garcia - IGAS - Plan National Maladies Rares	
9h30 - 9h50	Conférence n°1 <i>Conference No.1</i>	Les enjeux du développement et de l'évaluation clinique pré et post AMM <i>The stakes of pre- and post-market authorization development and clinical assessment</i> > Annick Schwebig - Actelion	Auditorium Einstein
9h50 - 10h10	Conférence n°2 <i>Conference No.2</i>	Les outils et ressources précompétitifs pour accélérer la R&D en Europe <i>Precompetitive tools and resources for leveraging R&D in Europe</i> > Ségolène Aymé - Orphanet	
10h10 - 10h30	Conférence n°3 <i>Conference No.3</i>	Les enjeux de l'évaluation médico économique, le bénéfice pour le patient <i>The stakes of medicoeconomic assessment, benefit for the patient</i> > François Meyer - HAS (Haute Autorité de Santé)	
10h30 - 11h	PAUSE - VISITE DE L'EXPOSITION ET POSTERS - BREAK - VISIT OF EXHIBITION AND POSTERS		Niveau 1 Joffre
	Ateliers en parallèle - Parallel Workshops		
	A1 (Atelier "tutorial") <i>A1 ("Tutorial" Workshop)</i>	Méthodologie et gestion des essais cliniques à petits effectifs pour les maladies rares : <i>solutions statistiques - réseaux de patients - position des instances réglementaires</i> <i>Methodology and management of clinical trials with small number of patients for rare diseases: statistical solutions - patient networks - position of the regulatory bodies</i> > Joelle MICALLEFF - Université de la Méditerranée et CenGEPS > Laurent Servais - Institut de Myologie > Raphaël Porcher - Université Paris Diderot	Sully 1
	A2 (Atelier "tutorial") <i>A2 ("Tutorial" Workshop)</i>	Développement d'indications nouvelles pour des molécules anciennes : difficultés et recherche de solutions <i>Development of new indications for old products: difficulties and search for solutions</i> > Christophe Duquet - AFM > Marie-Caroline Husson - AGEPS > Valerie Barat-Léonhardt - GSK France	Sully 2
11h - 12h30	A3 (Atelier "tutorial") <i>A3 ("Tutorial" Workshop)</i>	Quel encadrement et quelles solutions pour les prescriptions hors indication AMM pour les maladies rares? <i>What is in store in the future for prescriptions outside market authorization indications for rare diseases ?</i> > Jeremie Westerloppe - Celgene > Nathalie Dumarcet - AFSSAPS > Jacques Bernard - Alliance Maladies Rares > Julien Carricaburu - HAS	Sully 3
	A4 (Atelier "tutorial") <i>A4 ("Tutorial" Workshop)</i>	Présenter un projet de recherche maladie rare aux industriels: - Le cheminement réglementaire pour un nouveau produit pour une maladie rare - Approche des projets académiques vis-à-vis des entreprises : comment présenter un projet, et réciproquement quels sont les critères de choix des industriels? <i>Presenting a research project on Rare Diseases to industrial companies</i> - Regulatory procedures for a new product for a rare disease - Academic project approach to businesses: how to present a project and reciprocally, what are industrial companies' selection criteria? > Antoine Ferry - CTRS > Martine Zimmermann - Alexion > Sophie Koutouzov - GIS Maladies Rares > Didier Caizergues - Genethon	Auditorium Einstein
12h30 - 13h00	SPEED - NETWORKING		
13h00 - 14h30	COCKTAIL DEJEUNATOIRE ET VISITE DE L'EXPOSITION - COCKTAIL LUNCH AND VISIT OF THE EXHIBITION		Niveau 1 Joffre
14h30 - 15h30	Table ronde <i>Round table discussion</i>	Cohortes et registres: quels partenariats public/privé? <i>Cohorts and registers : which public/private partnerships ?</i> > Chrystel Jouan Flahault - LEEM > Serge Amselem - Unité INSERM 933 - A confirmer / To be confirmed > Paul Landais -APHP > René Thomas - Genzyme > Samantha Parker - Orphan Europe > Delphine Genevaz - VML (Vaincre les Maladies Lysosomales)	Auditorium Einstein

Mercredi 2 novembre - Wednesday November 2nd, 2011

Horaires/ Times	Intitulés/ Sessions	Sujets/ Topics	Salles/ Rooms
Ateliers en parallèle - Parallel Workshops			
15h30 - 17h	A5 (Atelier "tutorial") <i>A5 ("Tutorial" Workshop)</i>	Opérabilité des bases de données - Outils de datamining <i>Operability of databases - data mining tools</i> > Paul Landais - APHP > Ségolène Aymé - Orphanet > Ana Rath - Orphanet > Jean Charlet - Orphanet	Sully 3
	A6 (Atelier "tutorial") <i>A6 ("Tutorial" Workshop)</i>	Du coût au prix des médicaments : les étapes et les processus de décision <i>From drug cost to drug price: steps and decisional processes</i> > Claude Le Pen - Université Paris Dauphine > Martine Bruyninckx - Genzyme > Christel Nourissier - Eurordis	Auditorium Einstein
	A7 (Atelier "Recherche de solutions") <i>A7 ("Search for solutions" Workshop)</i>	Passer de la recherche au développement : quels supports d'accompagnement et de financement ? <i>Going from research to development: which support and financing tools?</i> > Stéphane Roques - AFM > Thibaut ROULON - CDC Entreprises > Matthieu Levi-Strauss - ANR > Jean-Michel Gauthier - INSERM Transfert	Sully 1
	A8 (Atelier "Recherche de solutions") <i>A8 ("Search for solutions" Workshop)</i>	Ethique des relations entre associations de patients et industriels <i>Relationships between patient associations and companies: ethical aspects</i> > Gilles Roche - Eurobiomed > Nathalie Triclin - Association de patients maladie de Fabry > Alexandre Biosse-Duplan - HAS (Haute Autorité de Santé) > Chrystel Jouan-Flahault - LEEM	Sully 2
17h - 18h	Conférence de clôture de la 1ère Journée <i>Closing conference of the 1st day</i>	Combattre les maladies rares, un axe stratégique prioritaire du pôle Eurobiomed <i>Fighting against rare diseases: a priority for Eurobiomed, Biocluster of Southern France</i> Jacquie Berthe - Président du pôle Eurobiomed Pourquoi les collectivités soutiennent-elles cette dynamique ? <i>Why do local communities support this momentum?</i> DIRECCTE LR, Région LR, Montpellier Agglomération, Conseil Général du Gard, CCIR LR Direction Générale de la Santé - Mme Odile KREMP/ Dr Patrice DOSQUET	Auditorium Einstein
18h - 19h	PAUSE - VISITE DE L'EXPOSITION ET POSTERS - BREAK - VISIT OF EXHIBITION AND POSTERS		Niveau 1 Joffre
20h	SOIREE RARE2011 - EVENING RARE2011		

Rencontres Partenariales / Partnering Meetings

Jeudi 3 Novembre 2011 - Thursday November 3rd, 2011

Horaires/ Times	Intitulés/ Sessions	Sujets/ Topics	Salles/ Rooms
8h - 9h	ACCUEIL DES PARTICIPANTS, CAFE D'ACCUEIL ET VISITE DE L'EXPOSITION <i>WELCOMING THE PARTICIPANTS, WELCOME COFFEE AND VISIT OF THE EXHIBITION</i>		
9h - 10h		Modérateur/Moderator > Annick Schwebig - Actelion	
9h - 9h20	Conférence n°4 <i>Conference No.4</i>	Développement de synergies et partenariats pour les maladies rares : le modèle d'une fondation de coopération scientifique <i>Development of synergies and partnerships on Rare Diseases: model of a scientific cooperation foundation</i> > Nicolas Levy - GIS Maladies Rares	Auditorium Einstein
9h20 - 9h40	Conférence n°5 <i>Conference No.5</i>	La révolution biologique du diagnostic des maladies rares <i>Biological revolution of rare disease diagnosis</i> > Jean-Louis Mandel - Université de Strasbourg / IGBMC	
9h40 - 10h	Conférence n°6 <i>Conference No.6</i>	La prise en charge non médicamenteuse des maladies rares <i>Non-medicinal care of rare diseases</i> > Pierre SARDA - CHRU de Montpellier	
10h - 11h	Restitution des ateliers A1 à A4 - Report on workshops A1 to A4		
11h - 11h30	PAUSE - VISITE DE L'EXPOSITION ET POSTERS - BREAK - VISIT OF EXHIBITION AND POSTERS		Niveau 1 Joffre
11h30 - 12h30	Restitution des ateliers A5 à A8 - Report on workshops A5 to A8		Auditorium Einstein
12h30 - 14h30	COCKTAIL DEJEUNATOIRE ET VISITE DE L'EXPOSITION - COCKTAIL LUNCH AND VISIT OF THE EXHIBITION		
14h30 - 15h30		Modérateur/Moderator > Nicolas Levy - GIS Maladies Rares	
14h30 - 14h50	Conférence n°7 <i>Conference No.7</i>	Maladies rares : laboratoires d'innovation pour la santé humaine <i>Rare diseases: innovation laboratories for human health</i> > Serge Braun - AFM	Auditorium Einstein
14h50 - 15h10	Conférence n°8 <i>Conference No.8</i>	De l'intérêt de partenariats autour du bassin méditerranéen pour les maladies rares <i>Interest in partnerships around the Mediterranean basin for rare diseases</i> > André Mégarbané - Université Saint Joseph Liban	
15h10 - 15h30	Conférence n°9 <i>Conference No.9</i>	L'avenir industriel des petites séries <i>The industrial future of small batches</i> > Jean-Pascal Conduzorgues - AMATSI	
15h30 - 16h30	Table ronde <i>Round table discussion</i>	Données médico-économiques sur les médicaments des maladies rares : vers plus de transparence ? <i>Medicoeconomic data on Rare Disease drugs : a move towards more transparency ?</i> > Jacques Ramon - les Echos > Annick Schwebig - ACTELION > Christophe Duguet - AFM > Antoine Ferry - CTRS > Claude Bougé - LEEM > Jean-Yves Fagon - APHP > François Meyer - HAS- A confirmer / To be confirmed > Catherine Bismuth - CNAMTS	
16h30 - 16h40	Conclusion	Conclusions des rencontres RARE2011 et perspectives pour RARE2013 <i>Conclusions of RARE2011 and vision for RARE2013</i>	Auditorium Einstein
16h40 - 17h10	VISITE DE L'EXPOSITION - VISIT OF THE EXHIBITION		Niveau 1 Joffre

Rencontres Partenariales / Partnering Meetings

Journée Européenne / European Day

PROGRAMME PRELIMINAIRE / PRELIMINARY PROGRAMME

Friday 4 November

Times	Sessions	Topics	Rooms
8am - 8:45am	Welcome of the participants, welcome coffee and visit of the exhibition		Niveau 1 Joffre
8:45am - 9am	Introductions and Welcome Message - > Ségolène Aymé - Orphanet - Chair of the EUCERD		Auditorium Einstein
9.00am - 10.30am	SESSION 1	<p>ENSURING VISIBILITY OF RARE DISEASES IN HEALTH INFORMATION SYSTEMS</p> <p>Co-Chairs: > Ségolène Aymé - Orphanet - Chair of the EUCERD > Andrew Devereau - National Genetic Reference Laboratory (NGRL)</p> <p>Rare diseases in international nomenclatures > Ségolène Aymé - Orphanet - Chair of the EUCERD</p> <p>Data on rare diseases: which annotations to support R&D? > Philippe Sanseau - GSK</p> <p>Bioinformatics for rare diseases: Promises and challenges > Peter Robinson - La Charité Berlin</p> <p>Roundtable of stakeholders and discussion > David Whiteman - Shire HGT > Milan Macek - Department of biology and medical genetics, 2nd Medical School Charles University Prague - EUCERD > Alain Garcia - IGAS - EUCERD > Gábor Pogány - HUFERDIS - EUCERD</p>	Auditorium Einstein
10.30am - 11am	BREAK - VISIT OF EXHIBITION AND POSTERS		Niveau 1 Joffre
11am - 1:00pm	SESSION 2	<p>PARTNERING TO OPTIMISE THE USE OF PATIENT DATA TO IMPROVE CLINICAL RESEARCH AND HEALTH CARE</p> <p>Co-Chairs: > Kate Bushby - Centre for Neuromuscular Disease, Newcastle - Vice-Chair of the EUCERD > Adam Heathfield - Pfizer</p> <p>State of the art of disease specific registries in Europe: Successes and challenges > Stuart M. Tanner - Sheffield Children's Hospital - EUCERD</p> <p>State of the art of national data repositories > Belgium : Herwig Jansen - Scientific Institute of Public Health > France : Paul Landais - Assistance Publique/Hopitaux de Paris (AP/HP) > Italy: Paola Facchin - Veneto Region Rare Diseases Registry</p> <p>Patient data for the evaluation of the clinical-added value of orphan drugs: Possible mechanisms for collaboration at EU-level > François Meyer - Haute Autorité de Santé</p> <p>Roundtable of stakeholders and discussion > Domenica Taruscio - Centro Nazionale Malattie Rare - EUCERD > Manuel Posada - Spanish registry of rare diseases, Instituto de Investigación de Enfermedades Raras > Maria Madison - Shire</p>	Auditorium Einstein
1.00pm - 2.00pm	LUNCH		Niveau 1 Joffre
2.00pm - 4.00pm	SESSION 3	<p>IMPROVING ACCESS TO EXPERTISE AND QUALITY CARE</p> <p>Co-Chairs: > Antoni Montserrat - European Commission DG Sanco > Helena Kääriäinen - National Institute for Health and Welfare Finland - Vice-Chair of the EUCERD</p> <p>National centres of expertise for rare diseases: current situation in Europe and recommendations from EUCERD for the implementation of centres of expertise > Edmund Jessop - National Commissioning Group, NHS London - EUCERD</p> <p>Networking between expert centres: Where do we stand > Kate Bushby - Centre for Neuromuscular Disease, Newcastle - Vice-Chair of the EUCERD</p> <p>The testing landscape in Europe: Challenges and solutions > Gert Matthijs - University Hospitals Leuven - EUCERD</p> <p>The Cross-Border Health Care Directive and its implications for rare diseases > Antoni Montserrat - European Commission DG Sanco</p> <p>Roundtable of stakeholders and discussion: How to organise health care at European level to meet the expectations of patients ? > Helena Kääriäinen - National Institute for Health and Welfare Finland - Vice-Chair of the EUCERD > Wills Hughes-Wilson - Genzyme - EUCERD > Samantha Parker - Orphan Europe - EUCERD > Christel Nourissier - Eurordis - EUCERD</p>	Auditorium Einstein
4:00pm - 4:15pm	Closing Remarks	> Antoni Montserrat - European Commission DG Sanco	Auditorium Einstein
European Day Scientific Committee 2011			
<p>President of the Committee: Ségolène Aymé - Orphanet - Chair of the EUCERD - France</p> <p>> Emmanuel Chantelot - Shire - Belgium</p> <p>> Andrew Devereau - National Genetic Reference Laboratory (NGRL) Manchester - UK</p> <p>> Helena Kääriäinen - National Institute for Health and Welfare Finland - Vice-Chair of EUCERD - Finland</p> <p>> Gérard N'Guyen - Eurordis - France</p> <p>> Peter Robinson - La Charité Berlin - Germany</p> <p>> Charlotte Rodwell - EUCERD (Assistant of the Committee)</p>			
In partnership with	 <small>20082291</small>		Programme as of September 19th, subject to change