

## Avant-propos

► Rare 2017 est la 5<sup>e</sup> édition des rencontres des maladies rares qui a pour but de promouvoir en France une politique de santé et de recherche au service des personnes atteintes de maladies rares. Organisée tous les 2 ans, par Eurobiomed à Montpellier pour les 4 premières éditions, les rencontres Rare ont connu un succès croissant et sont devenues l'événement français de référence en termes de partenariats sur les maladies rares. Fort de cette réussite, cette 5<sup>e</sup> édition a eu lieu pour la première fois à Paris les 20 et 21 novembre 2017. Elle était portée par la Fondation maladies rares en partenariat avec Eurobiomed.

Rare 2017 a réuni plus de 600 participants : décideurs publics, représentants de malades, professionnels de la santé et de la recherche, industriels du médicament, des dispositifs médicaux et des technologies de santé, tous réunis par la conviction que les solutions aux multiples problèmes supplémentaires que posent la rareté des maladies, ne peuvent être identifiées et surtout mises en œuvre que collectivement.

Rare 2017 a été ouvert par la ministre de la Santé et des Solidarités, madame Agnès Buzyn, et par la ministre de l'Éducation nationale et de la Recherche, madame

Frédérique Vidal. Toutes deux ont marqué leur engagement à servir cette grande cause nationale qui a déjà fait l'objet de deux plans nationaux de santé publique, cela à un moment charnière où un troisième plan est en discussion.

Cette dernière édition de Rare 2017 est restée très originale par son approche terrain et par ses aspects opérationnels orientés vers les entreprises et vers le partenariat public-privé. Elle a été, une fois de plus, un laboratoire d'idées et d'analyses pour avancer vers un système de santé plus équitable et performant, plus de connaissances pour la prise de décision en santé, plus d'innovations au service des besoins non satisfaits, et plus de qualité de vie pour les malades et leur famille.

Ce numéro hors série de *médecine/sciences* regroupe les principales présentations de ces rencontres.

Les présentations des deux ministres, ainsi qu'une synthèse des tables rondes et des échanges avec la salle est disponible sur le site du congrès, sous forme de PDF téléchargeable. Le site du congrès offre aussi accès aux supports de présentation des orateurs et aux vidéos des présentations. Ainsi, tous ceux et celles qui n'ont pas eu la chance de participer à cet événement peuvent s'approprier les analyses présentées et les solutions proposées.

Bonne lecture à tous et toutes ! ♦

**Le Comité d'Organisation de Rare 2017**

### Comité d'organisation

- Ségolène Aymé, Co-présidente pour les académiques
- Nathalie Triclin-Conseil, Co-présidente pour les associations de malades
- Antoine Ferry, Co-président pour les industriels

### Pour la Fondation maladies rares

- Audrey Tranchand, Responsable des affaires économiques et institutionnelles
- Ludovic Dupont, Directeur adjoint

### Comité scientifique

#### Pour les associations de malades

- Hélène Bérué-Gaillard, *Association Maladies Foie Enfants (AMFE)*
- Mathieu Boudes, *EURORDIS*
- Christophe Duguet, *AFM-Téléthon*
- Mélanie Gallant-Dewavrin, *Association Hypertension Artérielle Pulmonaire France (HTAP France)*
- Gérard Viens, *Association Francophone du Syndrome d'Angelman (AFSA)*

#### Pour les acteurs académiques et institutionnels

- Dr Anne D'Andon, *Haute Autorité de Santé*
- Dr Pascal Barbry, *Institut de Pharmacologie Moléculaire et Cellulaire, Sophia-Antipolis*
- Dr Chantal Bélorgey, *Haute Autorité de Santé*
- Pr Philippe Berta, *Université de Nîmes*
- Pr Eric Hachulla, *CHRU de Lille*
- Pr Emmanuel Jacquemin, *Hôpital Bicêtre*
- Pr Stanislas Lyonnet, *Institut Imagine*
- Dr François Meyer, *Haute Autorité de Santé*
- Pr Christophe Verny, *CHU d'Angers*

#### Pour les acteurs industriels

- Antoine Bernasconi, *Orphan Europe*
- Caroline Blanc-Crouzier, *Shire*
- Anne-Sophie Chalandon, *Sanofi Genzyme*
- Armel de Gouvello, *Intercept Pharma*
- Catherine Raynaud, *Pfizer*

