

6ème Matinée thématique du Collège des Économistes de la Santé
en collaboration avec l'Université Paris Dauphine et le Pôle Santé Dauphine

jeudi 18 juin 2015 de 8h30 à 12h30
Université Paris Dauphine



Les Maladies rares

Maladies rares : comment évaluer et financer les innovations technologiques ?

Bien que chacune ne concerne qu'au plus une personne sur 2 000, les maladies rares constituent un véritable enjeu de santé publique, puisqu'on estime qu'elles touchent au total près de 3 millions de personnes, soit environ 7% de la population. Le contexte est complexe car – dans ce domaine – les connaissances médicales sont en pleine évolution et les politiques peinent à suivre ces dernières. L'errance diagnostique continue d'être un problème essentiel, bien que le développement du séquençage à haut débit puisse permettre de rechercher de manière beaucoup plus fiable et plus rapide les causes génétiques à l'origine de plus de 80% des maladies rares. La question du financement des nouveaux traitements de ces dernières n'a pas été résolue par la reconnaissance du statut de médicaments orphelins.

Dans ce domaine, tout concourt à rendre la décision publique difficile et celle-ci a du mal à s'appuyer sur les méthodes standardisées d'évaluation économique des nouvelles technologies qui trouvent ici quelques limites. Comment apprécier en effet la valeur d'un test diagnostique lorsque ce dernier ne débouche pas sur une thérapie efficace ? Quels seuils d'efficacité retenir pour évaluer des thérapies au développement coûteux et au retour sur investissement limité par la taille des populations-cibles ? Comment prendre en compte l'impact de la pathologie sur les différents aspects de la vie des patients, de leur famille et de leur entourage ? Comment prendre en compte les enjeux éthiques ou d'équité ?

Ce ne sont là que quelques-unes des questions que posent les maladies rares à l'économiste, au professionnel de santé, à l'industriel comme au décideur. Plus généralement, dans un article récent, deux économistes anglais (Drummond et Towse, 2014) ont proposé quelques pistes pour répondre aux besoins dans ce domaine. Leur démarche associe une réflexion globale sur la question des valeurs portées par nos sociétés, des propositions pour une refonte des politiques de remboursement et de prix pour les médicaments orphelins (et les technologies diagnostiques associées), une meilleure définition des priorités en matière de recherche et une approche globale des maladies rares et des financements qui leurs sont consacrés. Il y a là, matière à échanges et réflexions qui trouve une place naturelle dans le cadre des matinées thématiques du CES.

Deux tables rondes successives réuniront chercheurs en économie de la santé, professionnels de santé, décideurs publics et privés ainsi que des personnalités politiques.

8h30

accueil

10h30

pause café

9h00

Introduction de la Matinée

Sophie Béjean, Présidente du CES

10h45

Seconde table ronde

Évolutions du système de soins pour assurer la prise en charge des innovations dans le champ des maladies rares

Modérateur : Bruno Detournay (CEMKA et CES)

9h15

Première table ronde

Évaluation économique des maladies rares

Modératrice : Nora Ferdjaoui Moumjid

(Centre Léon Bérard, Lyon)

- **Isabelle Durand-Zaleski** (ECEV, UMRS 1123 / URCEco Ile de France Hôpital de l'Hotel Dieu)
- **Karine Perez-Niddam** (Celgene)
- **Jean-Patrick Sales** (HAS)

- **Mazen Elzaabi** (LFB)
- **Laurence Faivre** (Centre de génétique, CHU Dijon)
- **Guillaume Huart** (IHU IMAGINE)
- **Céline Hubert** (Fondation pour les maladies rares)

12h00

débat

12h30

cocktail

Les matinées thématiques du Collège des Économistes de la Santé sont des conférences qui mettent l'accent sur l'actualité économique des professions de santé et des segments d'activité en mutation. Chaque conférence croise les approches de chercheurs en économie de la santé, de représentants des professions considérées, d'acteurs institutionnels, de personnalités politiques. Lieu d'échange, de réflexion et de débat, ces conférences sont couvertes par des médias professionnels spécialisés, et contribuent à l'information du public intéressé et, nous l'espérons, à la réflexion des décideurs.

ACCES :

Université Paris Dauphine entrée Boulevard
Lanne 75016 Paris

En voiture : Rejoindre le périphérique puis emprunter la sortie Porte Dauphine. Rejoindre ensuite la Place du Maréchal de Lattre de Tassigny.

En bus : ligne petite ceinture PC1, arrêt Porte Dauphine.

En métro : ligne 2 (Nation / Porte Dauphine) , station Porte Dauphine, sortie Avenue Bugeaud.

RER : ligne C, station Avenue Foch.

ACCUEIL :

Salle Raymond Aron

Informations complémentaires :

Frédéric Bonnemaïson 06 07 75 14 90

ces@ces-asso.org

**Cette sixième matinée du CES est organisée en collaboration avec
l'Université Paris Dauphine et le Pôle Santé Dauphine**

Les Matinées Thématiques du CES sont organisées grâce au parrainage de



BULLETIN D'INSCRIPTION

Cinquième matinée thématique du CES

Les Maladies rares

Jeudi 18 juin 2015, 8:30 - 12:30 – Université Paris Dauphine

M, Mme NOM :
Prénom :
Entreprise :
Fonction :
Adresse :
Code Postal :
Ville :
Téléphone :
Courriel :

Comment avez-vous été
informé-e de cette
matinée ?
 par un courriel
 par la presse
 par le bouche à oreille
 autre :

FRAIS DE PARTICIPATION

Il s'agit d'un forfait comprenant :
- L'entrée à la conférence
- Les pauses café
- Le cocktail

Non-membre du CES :

90 €

Bienfaiteur, bienfaitrice des Matinées :

>90 € :

Gratuit :

Membre du CES à jour de sa cotisation ou
représentant d'un membre collectif du CES,

Etudiant-e

Mode de règlement

Par chèque au nom de CES à envoyer à :

Collège des Économistes de la Santé Site CNRS - Bâtiment E - 7, rue Guy Môquet - 94801 Villejuif

Par virement bancaire

Adresse de la Banque	Code Banque	Code Agence	Numéro de Compte	Clé
BRED 39, Bd DIDEROT 75012 PARIS France	10107	00133	00110336259	37
IBAN FR7610107 00133 00110336259 37		Code BIC BREDFRPPXXX		

Sur réception de facture (suite à bon de commande)

**BULLETIN REMPLI à renvoyer à ces@ces-asso.org
ou en ligne <http://www.ces-asso.org/node/1950>**