

## COLLOQUE

# LA RÉVOLUTION DE LA THÉRAPIE GÉNIQUE

Les enjeux d'indépendance sanitaire nationale  
et d'accessibilité aux médicaments de thérapie innovante

## PROGRAMME

MARDI 17 SEPTEMBRE 2019 de 16 h à 20 h 30

Assemblée nationale - Salle Victor Hugo

### Pourquoi un symposium sur ce thème ?

**16 h 00** // Accueil et ouverture de la séance  
Olivier VERAN, Député, Rapporteur général de la commission des affaires sociales

**16 h 10** // Introduction générale  
Pr. Benoît VALLET, Chaire Santé de Sciences-Po  
Laurence TIENNOT-HERMENT, Présidente de l'AFM-Téléthon et de Généthon

**25 ans de réussites, d'espoirs mais une inquiétude pour l'avenir des malades en France**

**16 h 20** // La thérapie génique porteuse d'espoir et modèle pour les médicaments de thérapie ciblée et de médecine personnalisée  
Pr. Alain FISCHER, Professeur d'immunologie pédiatrique

**16 h 35** // L'Europe et les enjeux des médicaments issus de la thérapie génique  
Martin SEYCHELL, Directeur général adjoint Santé, Commission européenne

**16 h 50** // Marchés financiers internationaux et investissements massifs dans les entreprises de thérapie génique  
Salveen RICHTER, Analyste Goldman Sachs, auteur du rapport « The Genome Revolution »

### 17 h 15 - 18 h 45 1<sup>ère</sup> TABLE RONDE

#### De la recherche à l'industrialisation sur le territoire national : les défis d'une filière de thérapie génique

Animation des débats

Pr Lionel COLLET, Conseiller d'État

// Introduction

Frédéric REVAH, Directeur général de Généthon

// Atouts et obstacles de la France

Serge BRAUN, Directeur scientifique de l'AFM-Téléthon

// Les conditions de la réussite, la France et le capital risque

Jean-Christophe DANTONEL, Directeur du programme santé, biotechnologies au secrétariat général pour l'investissement

// Les difficultés des starts-up en France et en Europe

Maryvonne HIANCE, Présidente de France Biotech

// Tout un écosystème à (r)établir : ne pas reproduire les erreurs du passé

Philippe LAMOUREUX, Directeur général du Leem

// Les réflexions du Groupe d'études de l'Assemblée nationale sur les maladies orphelines

Philippe BERTA, Député, Président du groupe d'études maladies orphelines

// Les enjeux pharmaceutiques et réglementaires

Marie-Christine BELLEVILLE, Expert en affaires réglementaires et management de la qualité pharmaceutique

DISCUSSION AVEC LA SALLE

## COLLOQUE

# LA RÉVOLUTION DE LA THÉRAPIE GÉNIQUE

Les enjeux d'indépendance sanitaire nationale  
et d'accessibilité aux médicaments de thérapie innovante

18 h 45 - 20 h 15

### 2<sup>e</sup> TABLE RONDE

#### Accélérer, sécuriser et changer de modèle pour l'accès des malades aux traitements innovants

Animation des débats

Pr Benoit VALLET, Chaire Santé de Sciences-Po

// État des lieux de l'arrivée des thérapies géniques sur le marché : stratégies et enjeux financiers – les nouveaux débats en matière d'évaluation, prix, paiements

Claude LE PEN, Professeur d'économie de la Santé

// L'accès pour tous aux thérapies géniques dans des conditions de prix justes et maîtrisés, une attente forte pour les malades

Christophe DUGUET, Directeur des affaires publiques de l'AFM-Téléthon

// Les thérapies géniques nécessitent-elles un modèle réglementaire spécifique d'autorisation, d'accès précoce puis de suivi ?

Dr. Nathalie MORGENSZTEJN, Responsable du pôle ViroGen - Produits de virologie et thérapie génique de l'ANSM

// Le rapport de la mission d'évaluation et de contrôle de la sécurité sociale et de la commission des affaires sociales « Médicaments innovants : consolider le modèle français d'accès précoce »

Alain MILON, Sénateur, Président de la Commission des Affaires Sociales

// Les thérapies géniques nécessitent-elles un modèle spécifique de rémunération et de fixation des prix ?

- Faut-il innover en matière d'évaluation médico-économique ?

Pr. Dominique LE GULUDEC, Présidente du collège de la Haute Autorité de Santé

- Le financement des produits de thérapie génique par la collectivité nécessite-t-il de nouveaux types de contrats avec les industriels ?

Nicolas LABRUNE, Sous-Directeur du financement du système de soins, Direction de la Sécurité Sociale

Maurice-Pierre PLANEL, Président du Comité Économique des Produits de Santé

#### DISCUSSION AVEC LA SALLE



#### 20 h 15 Synthèse et conclusions

// Les prochaines étapes : comment relever les défis pour que la France soit un acteur majeur en thérapie génique de la recherche à la commercialisation ?

Pr. Benoit VALLET, Chaire Santé de Sciences-Po

#### // Conclusions

Laurence TIENNOT-HERMENT, Présidente de l'AFM-Téléthon et de Généthon

Alain MILON, Sénateur, Président de la Commission des Affaires Sociales

#### 20 h 30 // CLÔTURE