第六届孤儿药大会将再次把行业内人士凝聚在一起，参会人员包括患者团体、赞助人、研究人员和药企。届时参会人员将相互交流和建立新关系以满足患者更多治疗需求。

**时间：2015年11月12-13日 （11日为会前研讨会）**

**地点：瑞士，日内瓦，Starling酒店和会议中心**

**部分受邀参会嘉宾名单：**

Henri Termeer, 赞健公司前任CEO

Mark Rothera, PTC 治疗COO,

Dr Nick Sireau, AKU Society主席，CEO

Alastair Kent, Genetic Alliance UK主席

Michele Bellandi, 国际商务欧洲地区主席Dr Alvin Shih, EVP R&D, Retrophin

Mark Stone, NephCure 基金会CEO,

Christine Lavery, MPS Society CEO

Dr Will Maier, Mapi 首席科学总监

Dr Ana Mingorance-Le Meur, Dravet 综合征基金， 科学总监

Dr Stella Blackburn, 昆泰 风险管理，真实世界&后阶段研发副总裁和全球总监

Mark Corbett, Clinigen Group， Clinigen 全球计划高级副总裁

Robert Donnell, Durbin 商务拓展总监

Dr Jon McKew, aTyr Pharma, Inc. 研发副总裁

Dr Rito Bergemann, GSK 罕见病价值证明总监

Dr Tony Hall, Findacure联合创始人

Marcus Deans, Voisin Consulting Life Sciences 全球市场开发副总裁

Sophie Murdoch, Alliance Life Sciences副总裁， Pfizer首席代表

Debra Miller, CureDuchenne CEO和创始人

Samantha Parker, Lysogene 患者事务主席/卫生政策官

Dr Bruce E. Bloom, Cures Within Reach 总裁和科学事务处主席

Dr Tim Miller, Plasmatech Biopharmaceuticals\* 总裁，CEO

Jean Nordstrom, Chairman & CEO, Sixera Pharma Ab 主席&CEO

**详细议程参考：**

**2015年11月11日，会前研讨会**

**欧洲罕见病和孤儿药计划各方利益相关者**

|  |  |  |
| --- | --- | --- |
| 13:00   | 开场介绍  |    |
| 13:15-14:00  | 了解适应症患 了解疾病患者比了解疾病本身重要这次报告将重点关于患者做出决定的过程，从生理需求到社交影响，到更好的将患者纳入和维持在临床试验中。此外，集中洞察力和这些方法学应用可以提高试验和治疗持续时间的依从性内容包括： **◎**何时和如何与相关利益者如卫生行业从业者和患者联系 **◎**通过治疗持续的讯息规划 **◎**信息对称通过战术性工具，如手机应用直接向患者发送实时通讯以提高参与度  | **Kelly Franchetti,  Mapi** **全球患者了解与参与 执行总监**  |
|  14:00-14:45  |  卫生技术评估HTA递交-确定对于买方的价值  |   待通知  |
|  14:45-15:30  |  罕见病药物市场准入挑战  | **Charles Makin, Mapi 战略市场进入卫生经济和成果研究 副总裁** |
|  15:30-16:15  | 孤儿药和罕见病—真实世界数据要求：数据生产以获得和保持市场准入 罕见病患者等级 **◎**上市前或IIIb试验 **◎**什么是扩大准入？ **◎**同情使用未上市药物计划  |  **Ron Christensen,** **Mapi 首席市场运营官** |
|  16:15-17:00  | 孤儿药监管门槛--提高了吗？  | **Patricia Anderson,** **Optum Labs Inc 法规事务副总裁**  |
|  17:00  | 总结和研讨会结束  |    |

**11月12日 会议第一天**

|  |  |
| --- | --- |
| 09:00  | 主席开幕致词 |
| 09:05  | 访谈：2020年200个新治疗药物计划 **◎**理解国际罕见病研究联盟达到这一计划的目标 **◎**各方利益者所需做的已达到目标 **◎**简化开发流程的机制 **◎**个体化用药和基因修饰领域的最近进展**Ségolène Aymé, 国际罕见病研究联盟RDiRC 研发和协调名誉主席**  |
|  09:35  | 罕见和孤儿药领域创造更有效和持续发展的模式不能简单的说现有模式不能持续发展，从研发赞助商的角度看以解决现有未满足医疗需求的实际做法是什么？**Henri Termeer, Genzyme 前任首席执行官**  |
|  09:50  |  小组访谈：支付方，患者群体和行业内的持续性 **◎**支付方对改善患者使用机制的建议？**◎**支付方，行业内，学术界和患者群体如何合作以创造真实对话和摆脱事务性的关系以改善结果**◎**评价行业提供证据和定价的方法**◎**建立能为所有利益相关方工作的新的商业模型**Josie Godfrey, NICE 高度专业化技术和议题选择副总监****Rito Bergemann, GSK罕见病 价值证明总监****Barbara McLaughlan, Novartis 肿瘤外部事物总监****更多小组讨论参与者待宣布**  |
|  10:30  | 罕见病治疗过程-从研发，上市，到患者使用深入了解如何克服孤儿药患者用药的挑战**◎**在早期需要准备应对的主要障碍和准备阶段开始时间**◎**在现有框架下获得孤儿药指定的过程**◎**批准后，如何在不同国家获得准入  |
|  10:55  |  茶歇  |
|  11:55  |   圆桌讨论包括热门话题和患者团体，赞助方和顶尖解决方案公司传达的问题，您可以选择参与感兴趣的2个圆桌话题讨论，可以学到网络上没有的鲜有人涉足的知识信息。每一个讨论会持续45分钟，您可以在有限时间内参加2个讨论

|  |
| --- |
|  临床&市场挑战  |
|  患者早期使用规划**Robert Donnell,****Durbin，商务拓展总监**  |  支付方和法规部门监管 **Marcus Deans,** **Voisin****Consulting Life****Sciences 全球市场准入副总裁****讨论标题还待商榷**  | 跟踪孤儿药准入市场直至上市进程的有效方法**Sophie Murdoch,****Alliance Life****Sciences副总裁,****讨论标题还待商榷**  | 使用卫生评估技术以优化研发和市场准入**Adam Barak, ,****PPI 总监**  |
|  特殊孤儿药的特殊市场战略**Mark Rothera,** **PTC Therapeutics 首席运营官** **讨论标题还待商榷**  |  罕见病研发成功的实际问题**Michelle Bulliard,****, Quintiles  EMEA区域管理总监, 真实世界&后期开发，副总监**  |  卫生经济学和结果研究，国民保健制度对孤儿药市场准入的管理  |  药物再利用于罕见病**Dr Gauthier Bouche,****Anticancer Fund，医学总监**  |

 |
|  13:25  |  茶歇  |
|    |  A组：临床试验  |  B组：提高患者使用   |
|  协作模式  |  全球准入战略  |
|  14:55  |  创新临床试验设计和管理 **◎**在首次用于人体的临床试验前概括特殊需求和预算需求**◎**保证在不牺牲好的结果前提下有效花费**◎**寻找新方法以稳定患者参与实验，包括类似移动设备和应用软件的新技术**首席代表, Premier Research –topic TBC**  | 小公司如何快速提高特殊孤儿药的研发 **◎**在全世界范围内给患者提供药物以快速扩大研究**◎**导航市场准入，尤其为特殊孤儿病药 **◎**特别突变患者的鉴别，以加快进入市场**◎** **Mark Rothera, PTC Therapeutics 首席市场运营官**  |
|  15:20  |  Retrophin和NephCure如何合作开发用于阶段性肾小球硬化症FSGS 的sparsentan **◎**Nephcure与Retrophin 合作的开始**◎**DUET试验中招募和宣传合作方**◎**合作顺利和不顺利之处**◎**未来合作方向**◎**对行业影响/拥护合作  **Dr Alvin Shih, , Retrophin 研发执行副总裁****Mark Stone , NephCure Foundation执行总裁**  |  为未来欧洲罕见病市场商业化最优方法    打造一个强健的市场策略    在有效组织框架下工作以进入不同国家市场    了解你的孤儿药产品会如何适合欧洲的前景      Michele Bellandi, Shire 欧洲地区国际贸易总监  |
|
|  15:45  |  创造更有效的药物发展合作模式 **◎**概括你的合作条款，包括责任和时间**◎**确保充分发挥所长**◎**研究药物承包和金钱报酬**◎**每日管理合作模式以提高成果和避免延时**Pfizer发言**  |   新兴市场商业化和上市策略**◎**运用已有市场如欧洲和美国的策略**◎**如何与俄罗斯，拉丁美洲和亚洲市场合作**◎**会如何修改策略?**◎**这些市场对于孤儿药的条款是哪些？  |
|  16:10  |  将真实世界的经验运用于研发过程 **◎**战略性的选取数据**◎**从不同数据源快速和有效地整合数据**◎**为获得可有数据，如何质疑数据？**◎**如何将经营用于孤儿药授予和批准？**Dr Will Maier, Mapi 首席科学官**  |  变化的市场环境和早期进入的好处**◎**了解法规环境的变化，包括英国早期获得药物计划EAMS和美国12世纪药物法案Cure Act**◎**了解提供早期获得的实际考虑**◎**在早期获得中患者和患者群体的作用**◎**早期获得项目在哪些程度上为孤儿药提供真实世界的经验**Mark Corbett , Global Access****Programs, Clinigen Group Clinigen国际早期获得药物项目 副总裁**  |
|  16:35  |  茶歇  |    |
|    |  A组：临床开发  |   B组：价格和报销  |
|  患者招募  |  支付方和卫生技术评估组织定价  |
|  17:05  |  移动端和社交网络中患者招募**◎**和患者团体合作以迅速找到并纳入患者**◎**使用社交网络和电子社区给患者通知和更新药物研发信息**◎**评价应用软件和移动沟通对于潜在患者的可行性**提议讲者: Mohammed Al-Ubaydli,****, Patientsknowbest，首席执行官**  |  支付方和快速评估小组：管理评估的改变机制是如何的？倾听来自关键市场关于评价过程的改变和未来为适应申请和批准数目增加的改变**◎**如何管理孤儿药审批**◎**概述在这些国家患者获得药**◎**一步步走向好的vs.不好的申请**◎**何时高售价药物定价过高？  |
|  17:30  |   有免疫成分的罕见肌肉疾病的创新性药物发展过程**◎**可以在不提出疾病普遍缺陷的情况下改善疾病吗？**◎**一个药物可以有多个孤儿病适应症吗**◎**过多研发计划会有什么后果？**Dr Jon McKew, aTyr Pharma, Inc.研发副总裁**    |  **Josie Godfrey, NICE (UK) 高度技术化和立项副总监****Dr Meriem Bouslok, G-BA (Germany) 药学部门****Dr Francois Meyer, 总裁顾问****HAS (France)****Dr César Hernández,** **Spanish Agency****for Medicines and Medical Products人类用药部门主管** |
|    |  药物再利用  |
|  17:55  |  罕见病药物再利用 **◎**如何重新定位药物以更快治疗罕见病患者**◎**了解药物重回医院用于新基本适应症的要求**◎**将正确的流程和技术用于简化重新定位过程**Dr Nick Sireau, , AKU****Society，主席和首席执行官**  |  支付方小组问答：理解支付方和卫生技术评估组织对于做出决定过程的观点**◎**评估者是怎么看待与罕见病组织工作**◎**与行业内的对话还可以再增多吗**◎**最优化的过程会是如何工作的**◎**支付方对于支付能力vs.影响的考虑  |
|  风险管理  |  定价计划  |
|  18:20  | 攻克孤儿药风险管理挑战 **◎**理解对于孤儿药的特殊法规问题**◎**罕见病的药物警戒挑战**◎**全球风险管理计划**◎**如何与患者合作以获最好结果**Dr Stella Blackburn, 昆泰 风险管理，真实世界&后阶段研发副总裁和全球总监**  |  定价计划进入早期战略**◎**为强劲市场和价值评估**◎**概述必须开发药物的影响和在足够早期时评价**◎**制定上市地点计划和相关评估报告**◎**关键评估根据**Wills Hughes-Wilson, , Sobi 首席患者获得官员，高级副总裁**  |
|  18:45  |  主席闭幕致辞  |    |
|  18:50  |  酒会  |    |

**11月13日会议第二天**

|  |  |
| --- | --- |
|    |  开幕主题全体会议  |
|  09:00  |  主席致开场词  |
|  09:05  |  重新定义患者团体参与**◎**提出对患者团体定义和作用的误解**◎**在临床前研究寻找患者团体支持**◎**患者团体及早参与能有助于临床试验设计，确保其逻辑可行和促进有益结果**◎**评估其他患者团体可以在除了募款和患者招募的其他方面参与**Dr Ana Mingorance-Le Meur,, Dravet Syndrome Foundation，科学总监**  |
|  09:25  |  案例学习：风险慈善如何有效的自助孤儿药发展**◎**投资孤儿药的意义?**◎**理解非传统募捐的资助过程**◎**回顾参与条件和起草合适的协议**◎**药物失败或成功对于患者团体的结果**Debra Miller, CureDuchenne，创始人和首席执行官**  |
|  09:55  |  通过不同国家和孤儿药组织结构引导患者获得制度**◎**你的研究：保证了解不同国家和地区的优先权**◎**为支付方咨询委员会准备**◎**各方利益相关方如何提高在不同市场进入的机会**◎**患者获得建立利益相关方联盟策略  |
|  10:15  |  茶歇  |
|  11:15  |  圆桌    |
|  孤儿药区域规定  |
|  美国 **Derek Gavin,****NORD，研发总监**  |  拉丁美洲&亚太地区**Bruno Parenti, Orphan Europe，新兴市场总监**  | 日本  | 台湾   |
|  俄罗斯    |  中东欧  |  中东和北非  |  巴西  |
|  患者纳入&临床研发  |
|  创建有效管理患者登记**Samantha Parker,****Lysogene，首席患者事务/卫生政策官员**  |  一个患者团体可以如何有效得到赞助**建议演讲者:****Veronica Foote, Europe, Novartis****Oncology患者策略&患者关系主管**  |  在或不在欧洲加速临床试验合作网络的挑战和指导**Jacques Demotes,****ECRIN-ERIC，总监**  |  关于患者组织行业合作的行业观点**Angela Wilson,****,Genentech\*公关副总监**  |
|  12:15     |  午餐  |
|    |  A组：罕见病世界宣传主席：**Dr Nick Sireau, ,AKU Society，主席和首席执行官**  |   B组：赞助&合作  |
|    |  战略计划  |
|  13:45  |  为患者团体发展政策和实践**◎**从零开始：评估想要发展的患者团体**◎**就特别原则和目标，发展方法达成一致**◎**保证委员会和领导者有能力与行业合作**Christine Lavery, MPS Society 首席执行官**  |  生物技术和学术团体需要给予机会以展示他们的项目以吸引投资的合作伙伴。每次展示15分钟13:45  赞助&合作1**Dr Tim Miller,** **Plasmatech Biopharmaceuticals 主席&首席执行官** 14:00 赞助&合作2**Netherton综合征的新治疗方法****Jean Nordstrom, Sixera****Pharma Ab 主席&首席执行官** 14:15赞助&合作3**Dalia Megiddo,** **, BioBlast Pharma 联合创始人，首席执行官** 14:30赞助&合作4 14:45 赞助&合作5 15:00  赞助&合作6  |
|   14:10  | 讨论：大型患者团体vs.极少特殊患者团体 **◎**有针对特殊变异亚组人群的患者团体好处**◎**在哪些情况下合适扩大已有群体范围 **◎**评价一个大型患者团体vs.专注小范围患者团体的权重  |
|  14:35  |   创建和有效管理患者等级**◎**选择可用于收集的数据**◎**如何检索和记录数据**◎**收集为使申办方更好建立治疗方法的信息**建议讲者: Kyle Brown,** **PatientCrossroads，首席执行官**  |
|    |  A组：罕见疾病世界宣传   |
|    |  申办方观点  |
|  15:00  |  让患者团体参与的最有用的地方**◎**让患者团体接触行业最好的方法**◎**了解公司组织和有效联系人**◎**典型的发展时间线和患者团体何时能参与**◎**评估能消除患者团体间隔之处  |  15:15赞助&合作加速合作会议赞助，加速合作方式会促成各兴趣方快速合作  |
|  15:15  |
|    |  支持你的患者  |  资助  |
|  15:25  |   了解让患者自己加入孤儿药研发的过程**◎**帮助患者了解项目**◎**与申办方沟通以了解试验和要求**◎**帮助患者了解现实过程和可能的结果**Alastair Kent, , Genetic Alliance****UK 总监**  |  社会资助和社会影响债券对孤儿药研发的资助：CWR-UK经验**◎**慈善事业资助的虚拟非盈利药企或影响力投资带来的收支平衡孤儿药进入市场:CWR-DRK基金发起的**◎**政府政策创新：资料专属保护期延长，缩短审批时间，补贴计划，阶段性审批或预计划或安全港计划的有限许可**Dr Bruce E. Bloom,****, Cures Within Reach 主席和首席科学官**  |
|   16:00  |  以患者团体形式组织和进行临床试验：可能性？**◎**患者团体什么时候决定进行临床试验合适**◎**了解法规和生产要求**◎**寻求提高必要资助**◎**理清那些是必要合作**Tony Hall, , Findacure, final****topic TBC 联合创始人**  |  哪些可以成为孤儿药和特殊孤儿药研发的新资助选择**◎**新的模型如风险慈善或募资来改变资助方向？**◎**传统的投资者和风险投资者在寻找投资项目时看重的方面？**◎**深入了解投资者优先投资的药物类型**◎**投资者和被投资者关系在哪些程度上改变了？**Samantha Parker,**  **Lysogene 首席患者事务/卫生政策官** |
|  16:25  |  茶歇  |
|    |  基因治疗  |
|  16:55  |   基因治疗：罕见病行业转变**◎**在多年诺言后，基因治疗领域在哪些方面市场化了？**◎**评价临床研发需要基因治疗以促进成果**◎**基因治疗批准的增加会何如影响孤儿药的定价和补贴**◎**在何种程度上基因治疗对于孤儿药领域成功的影响**Zhenya Senyak, MPN Genetics (mGEN) 团队主管**  |
|  17：20  |   通过医院将基因治疗带给患者——案例讨论概念上看，对于试验，定价和补贴，倾听有将基因治疗上市，进入市场经验的演讲者回答关键问题**◎**建立能对发病率，致死率和生活治疗带来有意义结果的临床试验模型**◎**如何最好定价以从开始保证患者持续得到基因治疗**◎**卫生技术评估会在何种程度上标准化基因治疗**建议讲者：Dr Harald Petry,, UniQure 研发副总裁**  |
|  17:40  |  主席闭幕致辞  |
|  17:45  |  会议闭幕式  |

更多会议详情，请点击原文链接：[http://www.terrapinn.com/conference/world-orphan-drug-congress/](http://www.terrapinn.com/conference/world-orphan-drug-congress/%22%20%5Ct%20%22http%3A//www.hanjianbing.org/content/_blank)

**本文由罕见病发展中心（CORD）编译，转载请注明出处。**