

8<sup>ème</sup> Cérémonie des

# CLES DU LYSOSOME

Ecole du Val de Grâce – Mardi 14 Octobre 2014

*Rare,  
mais pas seul !*



VAINCRE LES MALADIES  
LYSOSOMALES

RARE MAIS PAS SEUL !

Nous avons eu le plaisir de les honorer  
pour leur travail et engagement au  
service de la lutte contre les maladies  
lysosomales et le handicap.

2007- *Sénat*

Professeur Christian DE DUVE, Nobel de Médecine,

Clé de La Découverte

Professeur Gérard PONSOT,

Clé de l'Engagement

Professeur Livia POENARU,

Clé de la Compréhension et de l'Engagement

M. Daniel WALSCHAERTS,

Clé de l'Engagement - Parent-fondateur de VML

Monsieur Stéphane CUDRY,

Clé d'Honneur

2008 - *Assemblée Nationale*

Docteur Roscoe O. BRADY,

Clé de la Découverte

Docteur Pierre MAROTEAUX,

Clé de la Compréhension

Docteur Alexandra FOURCADE,

Clé de l'Engagement

2009 - *Pavillon de l'Eau de Paris*

Docteur Ségolène AYME,

Clé de l'Engagement

Professeur Kurt VON FIGURA,

Clé de la Compréhension

Professeur Thierry BILLETTE de VILLEMEUR,

Clé de l'Investissement

2010 - *Opéra de Massy*

Docteur Marie-Thérèse VANIER,

Clé de la Compréhension

Docteur Irène MAIRE,

Clé de la Compréhension

Madame Monique RONGIERES,

Clé de l'Engagement

2011 - *Hôtel de Ville de Paris*

Professeur Marie-Françoise BENDRIDJ,

Clé de l'Engagement

Professeur Volkmart GIESELMANN,

Clé de la Compréhension

Docteur Françoise WEBER,

Clé de l'Engagement

2012 - *Hôtel de la Marine*

Professeur Bryan G. WINCHESTER,

Clé de la Compréhension

Docteur Nicole BAUMANN,

Clé de la Compréhension

Docteur Elisabeth ZUCMAN,

Clé de l'Engagement

2013 - *Collège de France*

Professeur Timothy M. COX,

Clé de la Compréhension

Professeur Marc TARDIEU,

Clé de la Découverte

Docteur Jean-Michel HEARD,

Clé de la Découverte

Madame Christel NOURISSIER,

Clé de l'Engagement

Les Clés du Lysosome sont une distinction venant honorer un engagement concret dans la lutte contre la maladie et le handicap.

Une action qui a changé la vie et l'avenir des patients et familles touchés par les maladies Lysosomales. C'est en leur nom à tous que l'association Vaincre les Maladies Lysosomales remet ses Clés du Lysosome.

## Les Lauréats 2014 aux Clés du Lysosome

### Professeur Michael BECK, Clé de la Compréhension

Le Professeur Michael Beck a jusqu'à récemment été chef du centre pour les troubles de surcharge lysosomale à l'Hôpital pour Enfants de l'Université de Mainz (Allemagne). Ce centre prend en charge plus de 400 patients atteints de maladies lysosomales. Avec son équipe, il a grandement contribué à comprendre et traiter ces pathologies. Il a mené des études cliniques pour les patients atteints de leucodystrophies, MPS, maladies de Gaucher, Fabry et Alpha-mannosidose. Il a conduit les essais cliniques pour l'évaluation thérapeutique de l'enzymothérapie pour les MPS I, II et VI et pour la maladie de Fabry. Il a participé aux études de l'histoire naturelle dans les MPS II et VI et dans l'Alpha-mannosidose

### Docteur Hélène OGIER DE BAULNY, Clé de l'Engagement

Médecin pédiatre, le Docteur Hélène OGIER DE BAULNY a été la coordinatrice du centre de référence des maladies héréditaires du métabolisme de l'Hôpital Robert Debré - APHP. Son parcours est consacré aux questions de biochimie, génétiques et de maladies du métabolisme. Elle est membre fondateur et a été présidente de la «Société française pour l'Étude des Erreurs innées du Métabolisme» (SFEIM) où elle représente désormais les Centres de Références de la filière G2M. Elle est membre de la Société internationale métabolique (SSEIM), et membre du Groupe européen métabolique (EMG). Elle a également participé à des commissions interministérielle d'étude des produits destinés à une alimentation particulière. Elle a tissé des liens avec la Guyane Française en tant que médecin expert pour la maladie de Pompe infantile. Enfin parmi ses nombreuses publications, nous noterons son travail sur la maladie de Niemann-Pick C et la maladie de Sanfilippo (MPS III), deux maladies lysosomales.

### Monsieur Patrick GOHET, Clé de l'Engagement

Porte-parole, défenseur, figure incontournable du monde du handicap, Patrick GOHET est tout cela et beaucoup plus. Il a marqué et contribué aux nombreuses avancées des trente dernières années au service du handicap. Un engagement profond pour que le Vivre ensemble soit un choix de société où chaque individu a une valeur égale. Une mission qu'il a tout d'abord conduit dans l'action associative en tant que Directeur Général de l'Unapei durant quinze ans, avant de porter ces dossiers au plus haut niveau comme Délégué Interministériel aux Personnes Handicapées, puis Inspecteur Général des Affaires sociales auprès du Ministère de la santé. Patrick GOHET a récemment été nommé Adjoint du Défenseur des droits, chargé de la lutte contre les discriminations et la promotion de l'égalité.

# Cérémonie des Clés du Lysosome

- programme -

Ouverture de la Cérémonie par Anne-Sophie LAPOINTE,  
Présidente de Vaincre les Maladies Lysosomales

Introduction par le Docteur Muriel ELIASZEWICZ

Docteur en médecine, infectiologue. Anciennement Directeur médical à l'Institut Pasteur où elle s'est pleinement impliquée pour la mise en œuvre de l'essai clinique en thérapie génique de la maladie de Sanfilippo B. Le Docteur Muriel ELIASZEWICZ est aujourd'hui Chef du bureau Qualité et Sécurité des soins, à la Direction Générale de l'Offre de Soins (DGOS), du Ministère des Affaires sociales

Remise des Clés du Lysosome

Professeur Michael BECK, **Clé de la Compréhension**

*Le Professeur Michael BECK est présenté*

*par Madame Elisabeth CUDRY et le Docteur Marie-Thérèse VANIER*

Docteur Hélène OGIER DE BAULNY, **Clé de l'Engagement**

*Le Docteur Hélène OGIER DE BAULNY est présentée par le Professeur François LABARTHE*

Monsieur Patrick GOHET, **Clé de l'Engagement**

*Monsieur Patrick GOHET est présenté par Madame Muriel POHER*

- Cocktail -

*Cérémonie présentée par Frédéric de LANOUELLE, Parrain de l'association VML,  
Sportif solidaire du Lysosome, Journaliste BFM TV*