



7^{ème} Cérémonie des
CLES DU LYSOSOME

Collège de France – Lundi 18 Novembre 2013

*Rare,
mais pas seul !*

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 Volkmar GIESELMANN, Clé de la Compréhension

Docteur Françoise WEBER, Clé de l'Engagement

2012 - Hôtel de la Marine, Paris

Professeur Bryan G. WINCHESTER, Clé de la Compréhension

Docteur Nicole BAUMANN, Clé de la Compréhension

Docteur Elisabeth ZUCMAN, 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 2013 aux Clés du Lysosome

Professeur Timothy M. COX, Clé de la Compréhension

Professeur de médecine à l'Université de Cambridge, responsable de la médecine interne aiguë et des maladies métaboliques à l'hôpital d'Addenbrooke. Le Professeur Timothy M. COX a conduit de nombreux travaux sur les erreurs innées du métabolisme. Ses recherches ont ensuite porté sur les maladies lysosomales - leur pathogénie et le traitement moléculaire. Il a tenu un rôle primordial dans le premier essai clinique utilisant miglustat pour traiter la maladie de Gaucher.

Professeur Marc TARDIEU, Clé de la Découverte

Neuropédiatre, le Professeur Marc Tardieu est chef du service de neuro-pédiatrie groupe hospitalier Paris Sud (hôpital Bicêtre), directeur de l'Unité INSERM U1012. Formé à Paris, Bruxelles (Université Catholique de Louvain) et Boston (Harvard University), une grande partie de son travail a concerné la neuro-immunologie et les maladies inflammatoires et infectieuses du cerveau. C'est en 1999, avec JM Heard et O. Danos, qu'il a débuté le travail préclinique puis clinique de thérapie génique intra-cérébrale dans les MPSs et notamment la maladie de Sanfilippo pour laquelle il pilote actuellement deux essais cliniques.

Docteur Jean-Michel HEARD, Clé de la Découverte

Le Docteur Jean-Michel HEARD a dirigé l'Unité de recherche, INSERM U622 - Rétrovirus et Transfert Génétique, ainsi que le département de Neurosciences de l'Institut Pasteur. Durant près de 15 ans, il a conduit la recherche fondamentale et préclinique à la base de l'essai de thérapie génique pour la maladie de Sanfilippo type B. Des travaux pour lesquels il a pendant plusieurs années reçu un soutien financier de l'association VML. Aujourd'hui il poursuit son action avec plusieurs responsabilités en santé publique notamment auprès de l'Agence National de Recherche et du Ministère de la Santé.

Madame Christel NOURISSIER, Clé de l'Engagement

Secrétaire Générale d'EURORDIS depuis 2000, Christel NOURISSIER est une maman engagée pour sa fille diagnostiquée d'une maladie rare. L'action commence par la création de Prader-Willi France et s'est poursuivie au nom d'EURORDIS. A ce titre, elle a joué un rôle primordial dans la mise en œuvre du premier Plan National pour les Maladies Rares (2005-2008), ainsi que le deuxième plan français (2011-2014). Depuis 13 ans elle porte la voix des patients au niveau européen et international.

Cérémonie des Clés du Lysosome

à la mémoire du Professeur Christian De Duve,
Nobel de médecine pour sa découverte du Lysosome - 1er Lauréat des Clés du Lysosome

- programme -

Ouverture de la Cérémonie par Anne-Sophie LAPOINTE,

Présidente de Vaincre les Maladies Lysosomales

Introduction par le Professeur Jean-Louis MANDEL

Généticien, Docteur en médecine et Docteur es Sciences. Professeur au Collège de France, membre titulaire de l'Académie des sciences, le Professeur Jean-Louis MANDEL a analysé et identifié avec ses équipes plusieurs gènes mutés responsables de maladies héréditaires.

Remise des Clés du Lysosome

Professeur Timothy M. COX, **Clé de la Compréhension**

Le Professeur Timothy M. COX est présenté par le Docteur Nadia BELMATOUG

Docteur Jean-Michel HEARD et Professeur Marc TARDIEU, **Clés de la Découverte**

Dr Jean-Michel HEARD et Pr Marc TARDIEU sont présentés par le Professeur Brigitte CHABROL

Madame Christel NOURISSIER, **Clé de l'Engagement**

Madame Christel NOURISSIER est présentée par le Professeur Odile KREMP

- Cocktail -

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