

Journée d'information pour les patients & famille atteints de maladie de *Niemann-Pick de type C*

S'informer
Échanger
Avancer



Date :
vendredi 20 novembre 2026



Lieu :
**Salle Nation, Hôpital Rothschild (AP-HP),
5 rue Santerre, 75012 Paris.**



PROGRAMME

09h30 Accueil des participants

10h00 Mot d'ouverture

Présentation du CETNL, Présentation de la journée
Dr Bénédicte HERON, Dr Yann NADJAR (Paris).

10h05 - 11h00 Comprendre la maladie

10h05 Formes cliniques

Dr Marie-Thérèse VANIER (Lyon).

10h20 Méthodes de diagnostic de la maladie

Dr Cécile PAGAN (Lyon).

10h35 Temps de discussion et questions

11h00 - 11h30 PAUSE ☕

11h30 Options thérapeutiques et suivi médical

11h30 Traitements spécifiques disponibles

Dr Anne-Sophie GUEMANN (Lille).

11h50 Traitements symptomatiques et suivi de la maladie

Dr Bénédicte HERON, Dr Yann NADJAR (Paris).

12h10 Temps de discussion et questions

12h30 - 14h00 PAUSE REPAS 🍴



14h00 - 15h30

**Table ronde : Vivre au quotidien
avec la NPC**

Thématiques possibles

- Impact de la maladie sur la vie quotidienne (famille, scolarité, travail, autonomie)
- Prise en charge et coordination des soins (passage soins pédiatrie / Adulte)
- Accompagnement psychologique des patients, des proches et des aidants
- Acceptation de l'évolution de la maladie, et de ses conséquences
- Les difficultés administratives et sociales
- Les attentes et besoins des familles, ainsi que les ressources et soutiens existants
- Le vécu des aidants

15h30 - 15h50 PAUSE ☕

15h50 - 16h30 Recherche et perspectives

15h50 Pistes thérapeutiques, essais à venir

Dr Bénédicte HERON (Paris).

16h00 Registres internationaux

Dr Marie-Thérèse VANIER (Lyon), Dr Yann NADJAR (Paris).

16h10 Temps de discussion et questions

16h30 Conclusion de la journée

Dr Bénédicte HERON, Dr Yann NADJAR (Paris).



CETNL

Comité d'Évaluation du Traitement des maladies
de Niemann Pick et autres neuropiliposes



Contact : samira.zebiche@aphp.fr



Responsables : Dr. Bénédicte HERON, Dr. Yann NGUYEN



Secrétariat : Samira ZEBICHE, Centre de Référence des Maladies Lysosomales,
Hôpital Beaujon AP-HP. Nord - Université Paris Cité, 100 Bd du Général Leclerc, 92110 Clichy