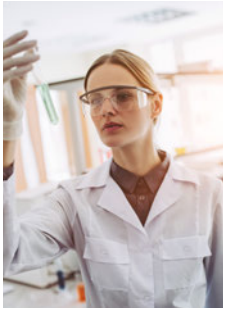
FONDATION maladies rares

RAPPORT D'ACTIVITÉ

18

// SOMMAIRE

01
PRÉSENTATION
DE LA FONDATION
p.5



02
RÔLE
DE LA FONDATION
p.15

03
PARTENAIRES
DE LA FONDATION
p.25

04
RAPPORT FINANCIER
DE LA FONDATION
p.33

05
PROJETS FINANCÉS
PAR LA FONDATION
p.43

L'ÉDITO

Une ouverture européenne et un engagement encore plus fort pour les associations de malades.

Nous sommes une Fondation de Coopération Scientifique soutenant les avancées scientifiques et technologiques dans le domaine des maladies rares, qui sont principalement d'origine génétique et qui touchent en grande majorité des enfants. L'année 2018 a permis de confirmer notre rôle comme accélérateur de la recherche sur les maladies rares, qui concernent plus de 3 millions de personnes en France souffrant de l'une des 7000 maladies rares. En sept ans, ce sont déjà plus de 350 projets qui ont été financés par la Fondation, pour environ 10,5 millions d'euros alloués ! L'impact de la Fondation s'est traduit par plus de 150 publications dans des revues internationales mentionnant l'aide financière au projet concerné.
Ces résultats n'auraient pas pu être obtenus sans l'aide précieuse de nos 5 membres fondateurs, acteurs majeurs de l'excellence du soin (Conférence des Directeurs Généraux de CHU) et de la recherche médicale française (Conférence des Présidents d'Université, Institut National de la Santé et de la Recherche Médicale), tous mobilisés à nos côtés autour des associations de malades représentées par l'Association Française contre les Myopathies (AFM-Téléthon), dont le très important soutien financier maintenu chaque année est central pour la Fondation, et par l'Alliance Maladies Rares qui représente un collectif de plus de 228 associations de malades.

Nous finançons des projets de recherche en Sciences biomédicales sur trois axes :
1) identifier les causes des maladies rares pour accélérer le diagnostic et ainsi mettre fin à l'errance diagnostique des patients et de leur famille ;
2) comprendre les mécanismes physiopathologiques de ces maladies ;
3) faciliter le développement de nouveaux traitements.

Ce dernier axe est renforcé par une action efficace de proximité de nos responsables régionaux auprès des laboratoires académiques et des centres de référence maladies rares, afin de valoriser au plus vite les pistes thérapeutiques issues de leurs recherches, et développer de nouveaux traitements. Nos responsables accompagnent et mettent en lien ces laboratoires et ces centres de référence avec les industries pharmaceutiques et jeunes pousses de biotechnologie. Cette activité de la Fondation s'est considérablement accrue en 2017-2018, et plus de 30 preuves de principe thérapeutiques issues de la recherche académique et clinique ont été présentées aux industriels.

Grâce à un véritable partenariat avec la Caisse Nationale de Solidarité pour l'Autonomie (CNSA) et la Fondation d'entreprise IRCEM, la Fondation a pu depuis 2013 développer une action majeure et originale en France, de soutien à des projets de recherche en Sciences humaines et sociales, impliquant également les associations concernées et les cliniciens experts, pour mieux comprendre l'impact spécifique de certaines maladies rares, et proposer et tester des solutions pour

améliorer la vie de tous les jours des enfants et des adultes concernés et de leur famille. En 2018, 5 nouveaux projets ont été sélectionnés, correspondant à un financement total de 400 000 €.

La centralité de la Fondation dans le paysage des maladies rares s'est illustrée par notre implication dans la rédaction du Troisième Plan National Maladies Rares, qui a reconnu nos réalisations et innovations, en particulier au niveau des Sciences Humaines et Sociales. Cette centralité s'est aussi concrétisée dans la participation au dossier de soumission de l'European Joint Programme on Rare Diseases, qui a été sélectionné et dans lequel nous jouerons un rôle prépondérant de 2019 à 2024.

Toutes ces actions seraient impossibles sans le soutien de nos partenaires privés ou publics et des donateurs qui contribuent à faire de la Fondation Maladies Rares un véritable accélérateur de la recherche. Nous sommes fiers et honorés de la confiance qu'ils nous accordent.
A ce titre, le soutien accru en 2018 des clubs services Kiwanis et Anysetiers, l'engagement enthousiaste des coureurs de notre équipe UTMB© (Ultra-trail du Mont Blanc), et les différents événements organisés par des particuliers ou des entreprises au bénéfice de la Fondation Maladies Rares, méritent d'être soulignés.

Nous tenons à remercier également tous les membres du Conseil d'administration, les membres du Conseil scientifique et des comités *ad-hoc*, pour leur accompagnement et leur conviction qui nous apportent la caution d'excellence et d'indépendance indispensables.
Nous avons en 2018 amélioré notre communication à tous ceux qui nous soutiennent et aux acteurs de la santé, par la création d'une newsletter : La lettre de la Fondation.

DE BELLES PERSPECTIVES POUR 2019

En 2019, nous souhaitons aller plus loin et poursuivre notre mission d'accélérateur de la recherche et d'aide aux associations de malades !

Nous continuerons à développer notre politique scientifique en lançant 4 à 6 appels projets de recherche avec toujours comme objectifs d'aider au diagnostic, de développer de nouveaux traitements et d'améliorer le quotidien des malades. Fait remarquable, l'un des appels à projets que nous coordonnerons en 2020 sera européen, le "Rare Disease Challenge", et visera à relever les défis scientifiques et technologiques proposés par les industriels dans le champ de maladies rares.

Nous continuerons aussi à déployer notre action sur le terrain au cœur des régions inter-hospitalo-universitaires pour conseiller et accompagner les équipes de chercheurs, et pour les aider dans la valorisation de leurs découvertes.

Nous renforcerons également en 2019 nos interactions avec l'Alliance Maladies Rares en proposant aux associations de malades, des actions de sensibilisation aux apports de la recherche et en accompagnant la structuration de leurs actions de financement de recherche. Ce travail essentiel auprès des associations a été intensifié avec le recrutement, dès le mois de janvier 2019, d'une responsable dédiée à ces fonctions.

Pour soutenir ce programme ambitieux, nous souhaitons accroître nos ressources financières via nos démarches auprès des industriels, un partenariat renforcé avec nos soutiens traditionnels : AFM-Téléthon, IRCEM, CNSA, club Kiwanis, Anysetiers, Ultra-trail du Mont-Blanc, etc.

Ces développements mobiliseront le travail acharné et l'enthousiasme de toute l'équipe. Notre vœu à tous est de perpétuer nos actions en combinant expérience et excellence, tout en maintenant notre engagement et notre énergie au sein d'une Fondation ouverte sur la vie et sur la cité.

© Valeria Faillace

Pr Jean-Louis MANDEL
PRÉSIDENT

Pr Daniel SCHERMAN
DIRECTEUR

LES MALADIES RARES

DEFINITION
une maladie est dite rare lorsqu'elle touche moins d'1 personne sur 2000

01

PRÉSENTATION DE LA FONDATION

P 6 / SA GENÈSE

P 8 / SA GOUVERNANCE

P 12 / SON ÉQUIPE

SA GENÈSE

Mesure phare de l'axe "recherche" du 2ème Plan National Maladies Rares 2011-2014, la Fondation Maladies Rares a été créée le 7 février 2012 par décret du Ministère de l'Enseignement Supérieur et de la Recherche.

La Fondation Maladies Rares est une **fondation de coopération scientifique, personne morale de droit privé à but non lucratif.** Elle est soumise aux règles relatives aux fondations reconnues d'utilité publique.

5 MEMBRES FONDATEURS ACTEURS DE LA RECHERCHE ET DU SOIN

Elle est née de la volonté conjointe de 5 acteurs impliqués dans la recherche et la prise en charge des maladies rares :

REPRÉSENTANT LES MALADES

/ AFM-Téléthon (Association Française contre les Myopathies)
/ Alliance Maladies Rares (Collectif de plus de 228 associations de malades)

REPRÉSENTANT LES CHERCHEURS

/ Inserm (Institut national de la santé et de la recherche médicale)
/ La Conférence des Présidents d'Université

REPRÉSENTANT LES MÉDECINS

/ La Conférence des Directeurs Généraux de Centres Hospitaliers Universitaires

UNE MISSION D'INTÉRÊT GÉNÉRAL

La Fondation Maladies Rares est une structure privée à but non lucratif qui porte une mission d'intérêt général : **accélérer la recherche sur l'ensemble des maladies rares** avec trois objectifs :

- identifier la cause des maladies rares et aider au diagnostic,
- accompagner le développement de nouveaux traitements,
- rompre l'isolement des personnes malades et de leur famille.

Pour répondre à cette mission, la Fondation soutient et finance des projets de recherche académique en Sciences biomédicales et Sciences humaines et sociales. Elle œuvre ainsi à réunir les meilleurs expertises, à rapprocher les équipes de recherche académiques, les associations de malades, les médecins et les industriels concernés.

ACTEUR RECONNU DE COORDINATION ET DE SOUTIEN DE LA RECHERCHE SUR TOUTES LES MALADIES RARES

FOCUS

LES MALADIES RARES

Au sein de l'Union européenne, une maladie est dite rare lorsqu'elle affecte moins d'une personne sur 2 000. Ainsi en France, on dit qu'une maladie est rare si elle affecte moins de 30 000 personnes.

Les maladies rares concernent **3 millions de personnes en France** et près de 25 millions en Europe. Plus de 7 000 maladies rares sont décrites et chaque semaine de nouvelles maladies rares sont identifiées. 80% des maladies rares ont une origine génétique.
Les maladies rares se caractérisent par une grande variabilité de signes cliniques d'une maladie à l'autre mais également d'une personne à une autre atteinte de la même maladie.

©Pascal Calmettes

TEMOIGNAGE M. VIGOUROUX
DIRECTEUR GÉNÉRAL - PRÉSIDENT DU DIRECTOIRE
CHU DE BORDEAUX

"La Fondation a pour mission d'accélérer la recherche dans les maladies rares en finançant des projets de recherche académique et en accompagnant les équipes de chercheurs pour les aider au développement de leurs projets. Le soutien de ces projets dans les domaines de la génétique, de la biologie et des sciences humaines et sociales est essentiel et offre de vrais espoirs à la recherche. La Fondation Maladies Rares joue un rôle primordial de mise en lien entre les acteurs nombreux de l'environnement et aujourd'hui est devenu un acteur incontournable dans la région."

SA GOUVERNANCE

SON CONSEIL D'ADMINISTRATION

Le **Conseil d'administration** de la Fondation définit sa stratégie et ses actions et veille à leur exécution. Il vote le budget annuel et approuve les comptes de l'exercice clos. Il se réunit 2 fois par an.
Il est composé de 14 administrateurs représentant l'ensemble des acteurs de la recherche et du soin : 5 membres fondateurs, 8 personnalités qualifiées et 1 représentant élu des enseignants, chercheurs et enseignants-chercheurs.

5 MEMBRES FONDATEURS

©AFM-Téléthon

Mme Laurence TIENNOT-HERMENT
AFM-Téléthon

©BonFils

Mme Nathalie TRICLIN-CONSEIL
Alliance Maladies Rares

M Gilles BLOCH
Inserm

©Pascal Calmettes

M Philippe VIGOUROUX
Conférence des Directeurs Généraux de CHU

Pr Manuel TUNON DE LARA
Conférence des Présidents d'Université

8 PERSONNALITÉS QUALIFIÉES

Pr Jean-Louis MANDEL
PRÉSIDENT

Pr Michel GOOSSENS
TRÉSORIER

Pr Jean-Jacques CASSIMAN

Pr François-Noël GILLY

Pr Emmanuel JACQUEMIN

Pr Karine LAMIRAUD

Dr Karim OULD-KACI

Pr Daniel VASMANT

1 REPRÉSENTANT ÉLU DES ENSEIGNANTS, DES CHERCHEURS ET DES ENSEIGNANTS-CHERCHEURS

Dr Guy LENAERS
TITULAIRE

Pr Stéphane BEZIEAU
SUPPLÉANT

SON CONSEIL SCIENTIFIQUE

La Fondation Maladies Rares est guidée par un **Conseil scientifique** composé de médecins et de scientifiques français et internationaux de renom, experts dans les disciplines incontournables dans le champ des maladies rares.
Il définit les grandes orientations scientifiques et les modalités de mise en place du programme annuel de recherche. Il est désigné par le Conseil d'administration pour une durée de 4 années, renouvelable par moitié dans des conditions précisées par le règlement intérieur. Il se réunit 2 fois par an.

SA PRÉSIDENTE

Dr Nathalie CARTIER-LACAVE,
Institut du Cerveau et de la Moëlle épinière,
Hôpital de la Pitié Salpêtrière, Inserm

SA COMPOSITION (par ordre alphabétique) :

M. Michel Cerbelle, est un invité du Conseil, représentant de l'Alliance Maladies Rares.

- **Pr Jacques BECKMANN,** Génétique et Bioinformatique Clinique
  Institut Suisse de Bioinformatique, Université de Lausanne (Suisse)
- **Pr Alexis BRICE,** Neurogénétique
  Hôpital de la Pitié-Salpétrière, Université Pierre et Marie Curie, Paris
- **Patrick EDERY,** Génétique clinique pédiatrique
  Hôpital Femme Mère Enfant, Université de Lyon
- **Pr Eric HACHULLA,** Médecine Interne
  CHRU de Lille, Université de Lille 2
- **Pr Albert HAGÈGE,** Cardiologie
  Hôpital Européen Georges Pompidou, Université Paris Descartes
- **Pr Katherine HIGH,** Médecine Translationnelle
  Université de Pennsylvanie (USA)
- **Pr Marc HUMBERT,** Pneumologie
  Hôpital Bicêtre, Université Paris-Sud
- **Pr Marie-Laure KOTTLER,** Service de Génétique
  CHU de Caen

- **Pr Pierre LÉVY,** Economie de la santé
  Université Paris Dauphine
- **Dr Jocelyn LAPORTE,** Génétique
  Institut de Génétique et de Biologie Moléculaire et Cellulaire, Université de Strasbourg
- **Dr Sandrine MARLIN,** Surdités génétiques
  Hôpital Necker Enfants Malades, Paris
- **Pr Gert MATTHIJS,** Génétique
  Hôpital Universitaire de Louvain (Belgique)
- **Dr Anne-Marie MASQUELIER,** Consultante en stratégie et développement d'entreprises de santé, Masquelier Conseil
- **Dr Catherine NGUYEN**,
  AVIESAN ITMO Génétique Génomique et Bioinformatique, Paris
- **Dr Tuan NGUYEN**, Médecine régénérative, hépatologie
  Goliver Therapeutics
- **Pr Francesc PALAU**, Génétique, Institut pédiatrique des maladies rares
  Hôpital des enfants de Barcelone (Espagne)
- **Pr Yann PÉRÉON,** Neuromusculaire
  CHU de Nantes, Université de Nantes
- **Pr Anne-Catherine PERROY,** Droit et Economie Pharmaceutiques
  Université de Lille
- **Pr Yves PIRSON**, Néphrologie
  Cliniques Universitaires Saint Luc, Louvain (Belgique)
- **Pr Pierre RONCO**, Néphrologie, Hôpital Tenon
  Université Pierre et Marie Curie, Paris
- **Pr Damien SANLAVILLE**, Génétique
  Hôpital Femme Mère Enfant, Université de Lyon
- **Pr Alain TAIEB**, Dermatologie
  Hôpitaux Saint André et Pellegrin-enfants, Université de Bordeaux
- **Pr Maïté TAUBER,** Pédiatrie
  CHU de Toulouse, Université de Toulouse
- **Dr Laurent VILLARD,** Génétique
  CHU de La Timone, Aix Marseille Université

SON ÉQUIPE

La Fondation Maladies Rares est composée d'une équipe de professionnels dédiés à l'accélération de la recherche sur tout le territoire national. Basée à Paris, elle est située sur la **Plateforme Maladies Rares**, un centre de ressources unique en Europe qui rassemble sur un même lieu des salariés et de nombreux bénévoles, mobilisés pour faire avancer le combat contre les maladies rares et améliorer la vie des personnes malades et de leur famille.

DIRECTEUR
Pr Daniel SCHERMAN

PÔLE SCIENTIFIQUE

RESPONSABLE DE LA POLITIQUE SCIENTIFIQUE
Dr Ingrid ZWAENEPOEL

CHARGÉE DE L'ADMINISTRATION DE LA RECHERCHE
Mme Diana DÉSIR-PARSEILLE

PÔLE AFFAIRES ÉCONOMIQUES ET INSTITUTIONNELLES

RESPONSABLE ADMINISTRATIVE
Mme Nouara BENAÏ

RESPONSABLE COMMUNICATION ET RELATIONS PUBLIQUES
Mme Anne-Sophie BLANCHER

RESPONSABLE RECHERCHE AUPRES DES ASSOCIATIONS
Mme Lyne VALENTINO (janvier 2019)

RESPONSABLE DE LA PHILANTROPIE ET DES PARTENARIATS
Mme Nadège BÉGLÉ (jusqu'au 8 janv. 2019)

Portraits équipe © Valeria Faillace

PÔLE OPÉRATION

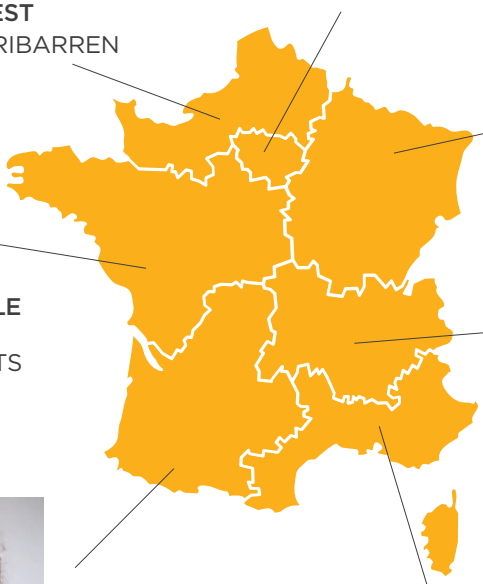
Sa présence sur le terrain, au cœur des grandes régions inter-hospitalo-universitaires, permet de travailler chaque jour en proximité avec les équipes de recherche, de les conseiller en leur offrant des solutions personnalisées et de rapprocher les expertises.

RESPONSABLE RÉGIONALE NORD-OUEST
Dr Anne-Sophie YRIBARREN

RESPONSABLE RÉGIONALE ÎLE-DE-FRANCE
Mme Célia MERCIER

RESPONSABLE RÉGIONALE EST
Dr Laura BENKEMOUN

RESPONSABLE RÉGIONALE OUEST
Mme Gaëlle DOMBU SMEETS



RESPONSABLE RÉGIONALE RHÔNE-ALPES AUVERGNE
Dr Christine FÉTRO

RESPONSABLE RÉGIONALE SUD-OUEST
Dr Emilie BONNAUD

RESPONSABLE RÉGIONALE SUD-MÉDITERRANÉE
Mme Roseline FAVRESSE

L'année 2018, a été une année de transition avec le départ de 3 salariés dont nous saluons le travail et que nous remercions chaleureusement pour leur engagement.

DIRECTEUR ADJOINT
Dr Ludovic DUPONT

RESPONSABLE DES AFFAIRES ÉCONOMIQUES ET INSTITUTIONNELLES
Dr Audrey TRANCHAND

RESPONSABLE DES OPÉRATIONS
M Nicolas JAN

Portraits équipe © Valeria Faillace

SES AVANCÉES DEPUIS 2012

COMPRENDRE LES MALADIES RARES

3,8M€

207 projets de recherche financés
80 nouveaux gènes
2 950 exomes
850 transcriptomes
370 génomes

AIDER AU DEVELOPPEMENT DE NOUVEAUX MEDICAMENTS

3,5M€

98 projets de recherche financés
69 modèles animaux
15 criblages à haut débit
14 études translationnelles

AMÉLIORER LE QUOTIDIEN DES MALADES ET DE LEURS PROCHES

3M€

39 projets collaboratifs financés
133 équipes de recherche impliquées
53 associations impliquées

BILAN TOTAL

10,3M€

344 projets de recherche financés
1 061 dossiers soumis
Un taux de succès de 34%
+ de 150 publications

RÔLE
DE LA FONDATION

P 16 / SES MISSIONS ET ACTIONS

P 18 / SOUTENIR ET FINANCER DES PROJETS DE RECHERCHE

P 21 / CONSEILLER ET ACCOMPAGNER LES EQUIPES DE RECHERCHE

P 23 / SES ENGAGEMENTS

SES MISSIONS ET ACTIONS

LA FONDATION MALADIES RARES A 3 MISSIONS MAJEURES

1-IDENTIFIER LA CAUSE DES MALADIES RARES ET AIDER AU DIAGNOSTIC

2-AIDER AU DÉVELOPPEMENT DE NOUVEAUX TRAITEMENTS

3-ROMPRE L'ISOLEMENT DES PERSONNES MALADES ET DE LEUR FAMILLE

CHIFFRES CLÉS EN 2018

5 appels à projets

36 projets de recherche

1,3 million d'euros

35 nouvelles POCs*
*POC : Proof of Concept ou Preuve de principe thérapeutique

SES ACTIONS POUR RÉPONDRE À SES MISSIONS

ELLE SOUTIENT ET FINANCE DES PROJETS DE RECHERCHE

La Fondation Maladies Rares mène une politique scientifique active pour soutenir la recherche sur toutes les maladies rares**. Avec 4 à 6 appels à projets par an, elle finance les équipes lauréates et facilite l'accès des chercheurs aux technologies de pointe.**

En 2018, 14 plateformes ont été partenaires de la Fondation : plateformes de séquençage à haut débit, de criblage moléculaire, de développement de modèles animaux.

De 2012 à 2018, 344 projets ont obtenu un financement de la Fondation sur la base de leur excellence scientifique et sont portés par des acteurs de la recherche et du soin sur tout le territoire français.

Depuis 6 ans, sur les 344 projets soutenus, 305 ciblent soit une meilleure compréhension des causes et des mécanismes physiopathologiques, soit le développement de nouveaux traitements. Les 39 autres projets ont pour objet, au travers de recherches en Sciences humaines et sociales, d'améliorer le quotidien des personnes malades et de leurs proches.

L'investissement consacré à ces 344 projets est de 10,3 millions d'euros.

ELLE CONSEILLE ET ACCOMPAGNE LES ÉQUIPES DE RECHERCHE

La Fondation Maladies Rares est depuis sa création fortement ancrée sur le terrain par son équipe de responsables régionaux qui accompagnent au plus près les médecins et les équipes de recherche régionales.

Ils sont basés au cœur des inter-régions hospitalo-universitaires et offrent ainsi une proximité unique et sans équivalent aux équipes de recherche, centres de référence et filières de santé maladies rares mais aussi aux structures de valorisation de la recherche.

Les responsables régionales détectent et accompagnent également le développement des preuves de principe thérapeutiques*. Grâce à ce suivi, la Fondation œuvre ensuite au rapprochement des laboratoires avec des entreprises pharmaceutiques avec pour seule ambition d'accélérer le développement des traitements au bénéfice des malades.

* *Preuves de principe thérapeutiques ou Proof of concept* : toute démonstration d'un composé, quelle que soit sa nature, à interagir et à moduler (in vivo/in vitro) une réponse cellulaire et/ou physiologique d'intérêt.

1 - SOUTENIR ET FINANCER DES PROJETS DE RECHERCHE

MISSION 1 - IDENTIFIER LA CAUSE DES MALADIES RARES ET AIDER AU DIAGNOSTIC

- Identifier les gènes responsables des maladies
- Elucider les mécanismes moléculaires
- Faciliter l'accès aux ressources innovantes et aux technologies de pointe

RÉSULTATS 2018

⟶ **2 appels à projets de Séquençage à haut débit**
⟶ **24 projets financés en 2018 sur 58 soumis** *(Liste p43)*

⟶ **584 393 euros attribués**

⟶ **8 plateformes technologiques partenaires** impliquées,
La liste est disponible sur notre site web :
http://fondation-maladiesrares.org dans la rubrique "Aide au financement"

SON PROCESSUS DE SÉLECTION DES PROJETS FINANCÉS

Les travaux de recherche les plus prometteurs sont sélectionnés sur la base de critères d'excellence scientifique. En fonction des thématiques, la sélection des projets s'effectue en une étape (évaluation sur dossier complet) ou en deux étapes (présélection sur lettre d'intention puis évaluation sur dossier complet), selon le calendrier des appels à projets établi avec le Conseil scientifique. Chaque dossier est évalué par au moins deux experts indépendants. Sur la base des avis rendus, des comités composés de membres du Conseil scientifique et d'experts, se réunissent pour évaluer et sélectionner les dossiers soumis aux appels à projets de la Fondation.

EN 2018

⟶ 109 experts mobilisés pour participer à 4 comités de sélection et réaliser 130 évaluations et rapports relatifs aux 5 appels à projets lancés en 2018.

MISSION 2 - AIDER AU DÉVELOPPEMENT DE NOUVEAUX TRAITEMENTS

- Identifier des molécules à potentiel thérapeutique
- Consolider les étapes pré-cliniques des candidats médicaments, pour faciliter leur transfert vers les entreprises pharmaceutiques

RÉSULTATS 2018

⟶ **1 appel à projets de Criblage à haut débit de molécules thérapeutiques**
⟶ **3 projets financés sur 13 soumis** *(Liste p43)*

⟶ **1 appel à projets de Recherche préclinique**
⟶ **4 projets financés sur 15 soumis** *(Liste p43)*

⟶ **373 680 euros attribués**

⟶ **6 plateformes technologiques partenaires** impliquées dans les projets

OUEST VALORISATION
Ressources d'innovation

En décembre 2017, la SATT Ouest Valorisation et la Fondation Maladies Rares ont lancé un appel à manifestation d'intérêt "maladies rares" conjoint pour promouvoir au sein de la région Bretagne et Pays de Loire, l'émergence et la maturation de projets innovants dans le domaine des maladies rares.

⟶ **6 dossiers de candidatures ont été déposés, expertisés et 4 projets ont été distingués.**

SATT NORD

En février 2018, la SATT Nord et la Fondation Maladies Rares ont lancé un appel à manifestation d'intérêt conjoint. Elles ont fait converger leurs expertises complémentaires pour promouvoir l'émergence et la maturation de projets de recherche dans le domaine des maladies rares des territoires Hauts-de-France et Champagne-Ardennes.

⟶ 10 dossiers de candidature ont été déposés, portés par des chercheurs et praticiens hospitaliers des pôles d'excellence de recherche et de soins de Lille, Amiens et Reims. **A l'issue d'un processus d'évaluation conjoint de la SATT Nord et de la Fondation Maladies Rares, 4 projets ont été distingués.**

MISSION 3 - AMÉLIORER LE QUOTIDIEN DES PERSONNES MALADES

L'appel à projets en Sciences humaines et sociales piloté par la Fondation Maladies Rares bénéficie du soutien de la Caisse Nationale de Solidarité pour l'Autonomie (CNSA).

Cet appel à projets vise à augmenter les connaissances sur la spécificité et la complexité des situations de handicap en lien avec les maladies rares de l'enfant et de l'adulte, dans une perspective d'amélioration de la prise en charge et de l'accompagnement des personnes et de leur entourage dans tous les aspects de leur vie.

Il a pour objectif de promouvoir la mise en place de synergies entre chercheurs en Sciences humaines et sociales, experts de la prise en charge médicale des maladies rares (Centres de Référence Maladies Rares, Centres de Compétences, Filières de Santé Maladies Rares), associations de malades, experts de l'accompagnement social et médico-social. Il encourage ainsi l'interdisciplinarité des projets de recherche en Sciences humaines et sociales dans le domaine des maladies rares et est ouvert à toutes les disciplines en Sciences humaines et sociales.

AXES THÉMATIQUES DE RECHERCHE

- Les altérations de capacités ou limitations d'activités spécifiquement liées aux maladies rares, les stratégies de compensation mises en place par les personnes concernées et l'impact des ressources individuelles et collectives sur la dimension de la compensation.
- La participation sociale, qui renvoie à l'implication sociale des personnes et à leurs interactions avec les autres et qui correspond à la pleine réalisation des habitudes de vie.
- L'autonomie décisionnelle des personnes malades à des moments importants de leur parcours de vie.

RÉSULTATS 2018

⟶ **5 projets financés sur 44 dossiers soumis** *(Liste p43)*
⟶ **5 associations impliquées**

⟶ **400 000 euros attribués**

2 - CONSEILLER ET ACCOMPAGNER LES EQUIPES DE RECHERCHE

RÉSULTATS 2018

- **35 nouvelles POCs** *(Proof of concept)* identifiées
- **102 POCs** accompagnées dans leur développement
- **15 mises en relation** d'équipes de recherche académiques avec des industriels
- **1 accord de licence signé, 1 start-up en création**

L'équipe des 7 responsables régionaux de la Fondation Maladies Rares, est répartie sur tout le territoire français pour travailler au plus près des chercheurs et les conseiller dans le développement de leurs projets.
La Fondation joue un rôle de trait d'union en favorisant la mise en lien des acteurs du domaine, chercheurs, cliniciens des centres experts maladies rares (centres de référence et filières) associations de malades.

Cet accompagnement de la Fondation permet d'orienter les chercheurs du monde académique vers le développement de candidats-médicaments de plusieurs façons :

- Recherche de financement : orientation vers un appel à projets de la Fondation ou vers d'autres organismes selon la nature des projets.

- Aide médico-réglementaire :
  - Désignation Médicament Orphelin (ODD)
  - Développement clinique

- Mise en lien avec des partenaires académiques ou privés en fonction des besoins identifiés : experts brevet/propriété intellectuelle, CRO (société de recherche contractuelle) chimistes, experts en formulation.

- Mise en lien avec des industriels du médicament ou des fonds d'investissement pour valoriser des résultats de la recherche, notamment au travers du Club POC (Proof of concept/ Preuves de principe thérapeutique).

Aujourd'hui, plus de 200 preuves de principe therapeutiques ont été détectées sur le terrain dont 102 font l'objet d'une action concrète de la Fondation.

Fondation maladies rares
le Club POC
aller plus vite au médicament

LE CLUB POC

En 2017, la Fondation Maladies Rares a mis en place un **Club de valorisation de la recherche : le Club POC (Proof Of Concept)** pour faciliter la mise en lien des équipes de recherche académique avec des partenaires industriels et accélérer ainsi le développement de candidats-médicaments dans les maladies rares.

Dans ce cadre, la Fondation sélectionne dans un premier temps des projets académiques avec l'accord des chercheurs. Elle les présente aux industriels membres du Club avant d'organiser des rencontres entre tous les acteurs sous couvert d'accords de confidentialité.

- 3 ème et 4ème clubs lancés en juin et décembre 2018.
- 37 POCs présentées sur les 4 éditions du Club POC.
- 16 POCs ont reçu au total 22 manifestations d'intérêt de la part des industriels.
- 1 accord de partenariat a été signé en avril 2018 entre la société Lysogène (membre du Club POC), le Dr Hervé Moine et la SATT Conectus Alsace. L'accord porte sur le développement d'un produit de thérapie génique destiné au traitement des patients atteints du syndrome de l'X Fragile.
- Au total 15 partenaires adhérents dont 13 en 2018 :

/ ALEXION
/ ALIZE PHARMA
/ CTRS
/ DYNACURE
/ INSTITUT ROCHE
/ LYSOGENE
/ OP2 DRUGS
/ MEDDAY
/ PIERRE FABRE DERMATO
/ SAMABRIVA
/ SOBI
/ THERANEXUS
/ SERVIER

SES ENGAGEMENTS

1- EJP-RD : RARE DISEASE EUROPEAN JOINT PROGRAMME COFUND

Dès le premier semestre 2018, la Fondation a pris une part très active dans la rédaction et la structuration de la proposition européenne EJP-RD en réponse à l'appel à projets d'Horizon 2020 "Rare Disease European Joint Programme Cofund".

Ce programme européen de coordination des moyens et des ressources pour la recherche en maladies rares est coordonné par l'Inserm et a été soumis mi-avril 2018. Le projet a été positivement évalué par la Commission européenne début août 2018. Les négociations avec la CE se sont achevées en décembre et le programme a commencé début 2019.

L'EJP fédère 88 partenaires européens pour une durée de 5 ans, avec un budget global de 96M€ (dont une subvention européenne de 55M€). Tous les réseaux européens de référence en maladies rares (ERN) sont impliqués et 28 pays sont représentés dans ce projet structurant coordonné par la France. La subvention européenne attendue pour la Fondation est d'un montant total de 1,08M€ sur la période 2019-2023.

La Fondation a impulsé et coordonné la rédaction de deux des 20 activités (Work Packages-WP) de l'EJP dont elle sera en charge au cours des 5 prochaines années :

- Le WP8 "RDR Challenges" aura pour objectif de développer un appel à projets innovant autour de challenges maladies rares. 5 autres partenaires participent à ce WP (Eurordis, EATRIS, ZonMw, DLR, AFM-Téléthon).

- La Fondation est en charge d'une action emblématique, dans la lignée de son impulsion du DIU maladies rares en France, avec la mise en place d'un cours académique en ligne dédié à la recherche en maladies rares.
  Cette action a fait l'objet d'une collaboration intensive pendant plus de 3 mois avec 17 partenaires européens dont 8 ERNs (EURORDIS, ELIXIR (UK+Slvenia), Inserm (Aix Marseille Univ.+Orphanet), EURO-NMD, ERN ITHACA, ERN GENTURIS, MetabERN, Endo-ERN, ERN ERKNet, ERN TransplantChild, ERN Ep Care, EATRIS, Vilnius University, Instituto San Carlos III, Foundazione Benzi).

La Fondation participe également à 4 autres activités :

- Le WP6 "Joint Transnational Calls for collaborative research projects" avec pour objectif de lancer et gérer les appels à projets transnationaux sur le modèle du programme ERA-NET E-Rare. La Fondation sera en charge de la gestion de l'appel à projets transnational de l'EJP en 2021 dont le focus devrait être les Sciences Humaines et Sociales.

- Le WP19 "Facilitating partnerships and accelerating translation for higher patient impact " avec pour objectif de faciliter les partenariats et d'accélérer le transfert de la recherche académique et clinique au bénéfice des patients. La Fondation pourra partager et capitaliser avec la communauté européenne sur l'originalité du suivi mis en place en France par ses responsables régionaux et du savoir-faire en termes d'accompagnement des chercheurs et des preuves de principe.

- Le WP9 "Monitoring of funded projects" et le WP18 "Development and adaptation of training activities" impliqueront la Fondation de manière plus ponctuelle.

2- ORGANISATION DES MATINALES

Fondation maladies rares
les matinales
innover - connecter - partager

La Fondation Maladies Rares a mis en place en 2016 un lieu d'échanges et de partage sous un format de réunions appelées "Les Matinales".
Ces rendez vous à destination de nos partenaires et mécènes privés, sont un moment privilégié de rencontre sur des sujets clés d'innovation de l'écosystème maladies rares.

3ème session en mai 2018
"**La e-sante : un remède pour les maladies rares ?**" avec le témoignage de trois experts : M Ronan LE QUÉRÉ, Interaction Healthcare, Mme Sylvia PELAYO, CIC-IT Lille, M Emmanuel GUTMAN, Street Lab Institut de la Vision.

3- ORGANISATION DES CAFÉ-DÉBAT

CafeDébat

Ces rencontres organisées en collaboration avec le groupe maladies rares du LEEM, ont lieu deux fois par an de 8h à 10h dans le centre de Paris.
L'objectif de ce débat est de sensibiliser l'auditoire aux problématiques des maladies rares.

La première session en juin 2018
"**PNMR3 : enjeux et objectifs**"

Deux Café-Débats ont eu lieu depuis au cours du premier semestre 2019.

PARTENAIRES DE LA FONDATION

P 26 / NOS PARTENAIRES

P 28 / NOS PRÉCIEUX SOUTIENS

P 31 / SOUTENIR LA FONDATION

MERCI

TOUTE L'ÉQUIPE DE LA FONDATION MALADIES RARES TIENT À REMERCIER LES PARTICULIERS, ENTREPRISES, ORGANISMES PUBLICS, FONDATIONS ET ASSOCIATIONS QUI LUI FONT CONFIANCE DEPUIS 2012.

NOS PARTENAIRES

Depuis sa création, la Fondation Maladies Rares s'attache à développer ses missions sociales en créant des partenariats étroits et personnalisés avec les milieux professionnels et la société civile. Elle a bénéficié du soutien financier de ses membres fondateurs et de ses mécènes, donateurs nombreux et fidèles, familles et amis de personnes touchées par les maladies rares.

Cette année encore, l'AFM-Téléthon fut un soutien déterminant pour la Fondation avec une subvention de 1 500 000 euros.

FONDATEUR

AFMTÉLÉTHON
INNOVER POUR GUÉRIR

INSTITUTIONNELS

CNSA
Caisse nationale de solidarité pour l'autonomie

cea

CNRGH
CENTRE NATIONAL DE RECHERCHE EN GÉNOMIQUE HUMAINE

PRINCIPAUX MÉCÈNES ET PARTENAIRES (HORS CLUB POC ET UTMB)

FONDATION D'ENTREPRISE IRCEM

ALEXION

HUGO
Hopitaux Universitaires Grand Ouest

UNIVERSITÉ DE STRASBOURG

KIWANIS INTERNATIONAL

FONDATION Groupama
vaincre les maladies rares

Lamie
mutuelle

AIR LIQUIDE
Creative Oxygen

MUTUELLE ET PROFESSIONNELLE MGEFI

SOLAR

Grant Thornton

Ordre des Anysetiers

NOS PRÉCIEUX SOUTIENS

LE DÉFI UTMB®

L'Ultra-Trail du Mont-Blanc® (UTMB®) est un évènement sportif mondialement connu composé de plusieurs courses d'ultra-endurance en montagne qui se déroule fin août à Chamonix.

La Fondation Maladies Rares a eu la chance d'être, pour la 4ème année consécutive, une des causes solidaires retenues par l'organisation de l'UTMB® ce qui permet à des coureurs engagés de donner une dimension humaine à leur défi sportif en courant aux couleurs de la Fondation.

En août 2018, 27 coureurs ont choisi de porter un "dossard solidaire" aux couleurs de la Fondation Maladies Rares.

Ces sportifs de haut niveau ont été de formidables ambassadeurs !
Chacun s'est engagé à collecter au minimum 2 000€ auprès de mécènes entreprises comme particuliers - pour financer son dossard solidaire. En 2018, 54 000€ ont ainsi été versés directement à la Fondation pour financer et accélérer la recherche dans les maladies rares.

En août 2019, l'aventure se poursuivra avec 29 trailers qui prendront à nouveau le départ d'une des courses de l'UTMB® avec un dossard solidaire de la Fondation.

Le site web du défi UTMB®: fondation-maladiesrares.org/utmb
La page Facebook : defi.utmb

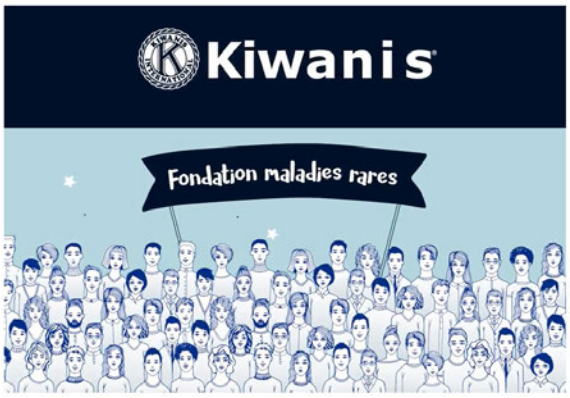
NOS PRINCIPAUX PARTENAIRES EN 2018

LA COURSE SOLIDAIRE "J'OFFRE UNE COURSE!"

En mai 2018 et pour la 3ème année consécutive, les lycéens, professeurs et personnel du **lycée Joffre de Montpellier** se sont mobilisés autour des maladies rares. Ils ont organisé une course solidaire en relais dans l'enceinte de l'établissement au profit de la Fondation. Chaque équipe était composée de 4 élèves d'une même classe et d'un membre du personnel du lycée.
Cette initiative est née dans le prolongement d'un TPE (travaux personnels encadrés) réalisé par des lycéens sur le syndrome BVVL, maladie rare dont est atteinte une de leurs camarades de classe. De nombreux supports de communication sur les maladies rares réalisés par les élèves ont accompagné la mise en place de ce défi.

Découvrez la vidéo réalisée par Zinzin Reporter, parrain de l'édition 2018
https://youtu.be/XJMQzBFI3UY

MOBILISATION DU CLUB KIWANIS DISTRICT FRANCE-MONACO



Le Kiwanis District France-Monaco s'est engagé depuis plus de 4 ans aux côtés de la Fondation Maladies Rares pour lutter contre les maladies rares de l'enfance. Près de 60 clubs Kiwanis ont soutenu la Fondation depuis 2015, via des événements qui sensibilisent et font connaître la cause des maladies rares sur l'ensemble du territoire national : représentation théâtrale, projection de film, salon du chocolat, vente aux enchères, tournoi de golf, etc. **Grâce au soutien du Kiwanis et à son ambassadeur des maladies rares, M Patrick Maurel, près de 118 000 euros ont déjà été attribués à des projets de recherche.**

En 2018, près de 40 clubs se sont mobilisés pour un total de 54 000 euros. 4 projets ont bénéficié de ce soutien en 2018 : Dr Millat (Lyon) - *création d'un modèle expérimental dans la fibroélastose endomyocardique pour mieux la détecter puis la soigner* ; Dr Bohm (Strasbourg) - *identification de nouvelles molécules actives pour la myopathie à agrégats tubulaires* ; Dr Lesca (Lyon) - *recherche de gènes impliqués dans le syndrome de West, une forme rare et sévère d'épilepsie du nourrisson et de l'enfant* ; Dr Debant (Montpellier) - *développement d'un modèle expérimental pour étudier une déficience intellectuelle*.

Découvrez la vidéo de ce soutien sur notre chaine Youtube
https://www.youtube.com/watch?v=NHD5oOHDk9M

L'ORDRE INTERNATIONAL DES ANYSETIERS

Lors de son 62ème Chapitre Magistral, la commanderie Guyenne–Occitane de l'Ordre International des Anysetiers a renouvelé pour la 4ème année consécutive son soutien à la Fondation Maladies Rares. Cette mobilisation fidèle des Anysetiers affirme leur engagement en faveur de la recherche sur les maladies rares. En Octobre 2018, lors de son 35éme Chapitre Magistral de la Commanderie des Landes, l'Ordre International des Anysetiers Commanderie des Landes a remis un chèque de 5 000 euros à la Fondation et une médaille d'honneur au Professeur Daniel Scherman, directeur de la Fondation.

SOUTENIR LA FONDATION

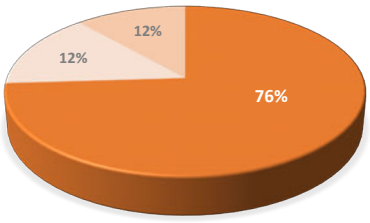
GESTION DES RESSOURCES COLLECTÉES

La Fondation Maladies Rares veille à la transparence de l'utilisation des investissements de ses mécènes grâce à des procédures internes de contrôle et à la certification de ses comptes par un commissaire aux comptes.

La Fondation a une mission d'intérêt général : accélérer la recherche dans le domaine des maladies rares.

Pour répondre à cet objectif, la Fondation a besoin du soutien financier de particuliers, entreprises, et Fondations.
Grâce à ces précieux dons, elle pourra aller encore plus vite et plus loin dans les découvertes scientifiques et dans l'accompagnement des personnes malades et de leur famille.

UTILISATION DES RESSOURCES COLLECTÉES



76% Accompagnement et financement de la recherche*
12% Frais de fonctionnement et de communication
12% Frais de recherche de fonds

* Comprend les dons en nature entièrement affectés à la recherche.

** Pour les IS et IR, l'excédent est reportable sur 5 ans.

La Fondation Maladies Rares est habilitée à recevoir des dons d'entreprises et de particuliers dans le cadre du régime fiscal du mécénat. Elle peut également être bénéficiaire de legs, donations et assurances-vie exempts de droits de succession et de mutation.

PARTICULIER

IMPÔT SUR LE REVENU (IR)

Réduction d'impôt de 66% du montant du don dans la limite de 20% du revenu imposable.**

Pour un don de : **100€**
votre dépense réelle est de : **34€**

IMPÔT SUR LA FORTUNE IMMOBILIÈRE (IFI)

Réduction d'impôt de 75% du montant du don dans la limite de 50 000 euros dans le cadre de l'IFI.

Pour un don de : **1 000€**
votre dépense réelle est de : **250€**

ENTREPRISE

IMPÔT SUR LES SOCIÉTÉS (IS)

Réduction d'impôt de 60% du montant du don dans la limite de 0,5% du chiffre d'affaires** et de 10 000 euros ou 5 pour mille du CA.

Pour un don de : **10 000€**
votre dépense réelle est de : **4 000€**

CONTACT
Mme Anne-Sophie BLANCHER
anne-sophie.blancher@
fondation-maladiesrares.com

LA FONDATION EN 2019

En 2019, la Fondation Maladies Rares poursuit et développe ses missions, avec toujours comme objectif d'améliorer le parcours de diagnostic et de soin des 3 millions de personnes concernées en France.

Tout en continuant de lancer des appels à projets pour financer la recherche, elle renforce son rôle auprès des associations de patients. L'arrivée de Mme Lyne Valentino en tant que responsable de la recherche auprès des associations en collaboration avec l'Alliance Maladies Rares, propose un accompagnement scientifique et a déjà impulsé la mise en place de nouveaux partenariats.

La Fondation Maladies Rares en tant qu'acteur majeur de la communauté maladies rares s'impose également avec l'organisation d'événements dans le domaine :

UN COLLOQUE "L'avancée de la recherche dans les maladies rares"

Ce colloque annuel a eu lieu le 7 mai 2019 au Collège de France en présence du monde académique, clinique, industriel et associatif intéressés à la problématique des maladies rares. Cette journée d'échanges fut un vrai succès avec plus de 370 participants venus écouter une trentaine d'intervenants présentant des projets de recherche dans les maladies rares, lauréats de la Fondation.
Pour en savoir plus : https://evenements-fondation-maladiesrares.

LE CONGRÈS "Rencontres RARE"

La Fondation Maladies Rares a porté l'édition 2017 de ce Congrès et portera la 6ème édition, le 5 et 6 novembre 2019 à la Cité des Sciences et de l'Industrie, à Paris. Cet évenement sur deux jours, réunira l'ensemble de la communauté des maladies rares : décideurs publics, représentants des malades, professionnels de la santé et de la recherche, industriels du médicament, des dispositifs médicaux et des technologies de santé. Son objectif sera d'établir un bilan sur l'état de la recherche et du soin de ce secteur et de définir de nouvelles ambitions à venir afin d'apporter des solutions à la prise en charge de ces maladies graves, chroniques et invalidantes.
Pour en savoir plus : www.rareparis.com

ATELIER DE CO-DESIGN "E-santé & les maladies rares"

La révolution numérique est une formidable opportunité pour les maladies rares et la Fondation participe à l'émergence de la e-santé.
Elle organise des ateliers de co-design pour aider au développement des projets numériques innovants au bénéfice du parcours de soins et de vie des personnes atteintes d'une maladie rare. Ces ateliers seront annuels et itinérants. Ils s'adressent aux professionnels de santé, associations de patients et familles, chercheurs académiques- situé en France qui ont un projet en e-santé en phase précoce de réflexion, en amont des phases d'études, de preuves de principe, prototypages, tests et essaimages.
Le premier atelier a eu lieu le 27 juin 2019 à Paris Biotech Santé (mise à disposition gratuite des locaux) et en partenariat avec la **Fondation d'entreprise Ircem.**
Pour les 5 équipes retenues, ce fut une une journée de travail avec des spécialistes pluridiscinaires (télémédecine, développement informatique, interopérabilité, réglementation, ergonomie, gestion de projet innovant, financements, etc.).
Pour en savoir plus : https://evenements-fondation-maladiesrares.org

04

RAPPORT FINANCIER DE LA FONDATION

p 34 / LE MOT DU TRÉSORIER

p 36 / LE RAPPORT DU COMMISSAIRE AUX COMPTES

LE MOT DU TRÉSORIER

En 2018, malgré une conjoncture économique défavorable et la perte de certains financements institutionnels, la Fondation Maladies Rares a réussi à maintenir de manière soutenue son activité de financement de la recherche, en conformité avec ses engagements au titre de sa mission d'intérêt général pour soutenir la recherche sur les maladies rares. Ceci a pu être obtenu grâce au soutien renouvelé de l'AFM-Téléthon (membre fondateur), et de nombreuses autres contributions collectées grâce au dynamisme de notre équipe, dont une aide de l'Université Louis Pasteur de Strasbourg.

En 2018, la Fondation a ainsi consacré 1,358 millions d'euros au financement de projets de recherche, en cohérence avec les années précédentes, soutenant ainsi 36 projets lauréats sélectionnés au travers de 5 appels à projets via un comité d'experts scientifiques indépendants.

Notre engagement fort et original dans le domaine des sciences humaines et sociales visant à améliorer les conditions de vie des patients et de leurs proches s'est poursuivi grâce au soutien fidèle de la Caisse Nationale de Solidarité pour l'Autonomie (CNSA).

À cet investissement direct alloué aux meilleures équipes de recherche françaises, il faut ajouter également l'investissement sur le terrain par les 7 responsables régionaux de la Fondation qui accompagnent les chercheurs impliqués dans les maladies rares.

La perte de certains financements publics a pu être compensée par l'augmentation de nos ressources.

Le club « Preuve de principe » (club POC) visant à accélérer le développement de nouveaux médicaments par la mise en lien de chercheurs académiques avec les industries pharmaceutiques et biotechnologiques a poursuivi son activité, et le soutien financier des industriels à ce travail de terrain assuré par nos responsables régionaux a généré plus de 100 000 euros pour la Fondation.

Parallèlement, la restructuration de nos outils de communication et de nos approches de levée de fond ont permis d'augmenter nos revenus tirés du mécénat. Nous avons stabilisé l'allègement de nos frais généraux à 104 000 euros, contre 127 000 euros en 2016 et 106 000 euros en 2017. Enfin, fait remarquable, nous avons réussi à faire baisser de 60 000 euros nos frais de personnels.

Ces efforts de rigueur de gestion, sans léser nos financements pour faire avancer la recherche sur les 7000 maladies rares, ont permis de réduire le déficit comptable de notre budget 2018, à 125 000 euros, contre un déficit de 334 200 euros en 2017.

En 2019, notre effort visera encore plus fortement à augmenter nos ressources de façon à équilibrer ce bilan, tout en maintenant constant notre soutien à la recherche. Nous avons d'ores et déjà obtenu un financement européen très conséquent pour les 5 années à venir.

Nous adressons nos chaleureux et amicaux remerciements aux membres de notre comité de soutien, de notre Conseil d'administration et de notre Conseil scientifique, sans oublier les nombreux partenaires et mécènes qui continuent à nous faire confiance.

Michel GOOSSENS
Trésorier

LE RAPPORT DU COMMISSAIRE AUX COMPTES

Pour l'exercice clos au 31/12/2018, les comptes de la Fondation Maladies Rares ont été certifiés par le Cabinet Emargence, représenté par M Serge ANOUCHIAN, commissaire aux comptes.

Après plusieurs années d'activité, il nous est paru nécessaire de faire évoluer les modalités de réalisation du Compte Emploi Ressources de la Fondation afin que celui-ci donne une image fidèle du résultat des opérations. L'objectif est de prendre en compte cette évolution à compter de l'exercice clos au 31 décembre 2018.

RÈGLES GÉNÉRALES

Les comptes annuels de l'exercice au 31/12/2018 ont été établis conformément au règlement de l'Autorité des Normes Comptables n°2014-03 du 5 juin 2014 à jour des différents règlements complémentaires à la date de l'établissement des dits comptes annuels.
Les conventions comptables ont été appliquées avec sincérité dans le respect du principe de prudence, conformément aux hypothèses de base :
- continuité de l'exploitation,
- permanence des méthodes comptables d'un exercice à l'autre,
- indépendance des exercices.
et conformément aux règles générales d'établissement et de présentation des comptes annuels.
La méthode de base retenue pour l'évaluation des éléments inscrits en comptabilité est la méthode des coûts historiques.
Il n'y a pas eu de changement de méthode par rapport à l'exercice précédent.
Seules sont exprimées les informations significatives. Sauf mention, les montants sont exprimés en euros.

IMMOBILISATIONS CORPORELLES ET INCORPORELLES

Les immobilisations corporelles et incorporelles sont évaluées à leur coût d'acquisition pour les actifs acquis à titre onéreux, à leur coût de production pour les actifs produits par l'entreprise, à leur valeur vénale pour les actifs acquis à titre gratuit et par voie d'échange. Le coût d'une immobilisation est constitué de son prix d'achat, y compris les droits de douane et taxes non récupérables, après déduction des remises, rabais commerciaux et escomptes de règlement de tous les coûts directement attribuables engagés pour mettre l'actif en place et en état de fonctionner selon l'utilisation prévue. Les droits de mutation, honoraires ou commissions et frais d'actes liés à l'acquisition, sont rattachés à ce coût d'acquisition. Tous les coûts qui ne font pas partie du prix d'acquisition de l'immobilisation et qui ne peuvent pas être rattachés directement aux coûts rendus nécessaires pour mettre l'actif en place et en état de fonctionner conformément à l'utilisation prévue, sont comptabilisés en charges.

AMORTISSEMENTS

Les amortissements pour dépréciation sont calculés suivant le mode linéaire en fonction de la durée de vie prévue :
• Concessions, logiciels et brevets : 5 ans
• Matériel de bureau : 5 à 10 ans
• Matériel informatique : 3 ans
• Mobilier : 10 ans

La durée d'amortissement retenue par simplification est la durée d'usage pour les biens non décomposables à l'origine.
L'entreprise a apprécié à la date de clôture, en considérant les informations internes et externes à sa disposition, l'existence d'indices montrant que les actifs ont pu perdre notablement de la valeur.

CRÉANCES

Les créances sont valorisées à leur valeur nominale. Une dépréciation est pratiquée lorsque la valeur d'inventaire est inférieure à la valeur comptable.

DONS EN NATURE

La Fondation a bénéficié durant l'exercice de dons en nature pouvant être évalué à 101.4 K€ :
- Hôtel Jardin de Villiers: 0.5 K€, mécénat de compétence
- Solar: 1.9 K€, mécénat de compétence
- Grant Thornton: 12.5 K€, mécénat de compétence
- Experts pour la Fondation : 53 k€, contribution en nature pour l'expertise des projets scientifiques et participation aux comités de sélection
- CNRGH : 33.5 K€, pour deux sessions des appels à projets de séquençage à haut débit

MISSIONS SOCIALES

La mission sociale de la Fondation Maladies Rares telle que définit à l'article 1 de ses statuts est de promouvoir et d'accélérer la recherche sur les maladies rares.
La mise en oeuvre de sa mission est déclinée selon 6 axes d'intervention :
• Mise en lien des acteurs de la recherche et du soin;
• Facilitation de l'accès aux ressources indispensables à la recherche : expertises, technologies, financements;
• Facilitation à la collecte de données cliniques et biologiques;
• Aide au montage des phases précoces d'essais cliniques;
• Stimulation de la recherche en Sciences humaines et sociales;
• Contribution à la politique nationale et internationale sur les maladies rares.

Les actions de la Fondation s'attachent à la réalisation de 3 objectifs majeurs :
• Comprendre les maladies rares;
• Aider au développement de nouveaux traitements;
• Améliorer le parcours de vie des personnes atteintes de maladies rares.

PRINCIPES D'AFFECTATION AUX MISSIONS SOCIALES

RESSOURCES COLLECTÉES AUPRÈS DU PUBLIC

Les dons adressés par les particuliers sont entièrement affectés aux missions sociales. Dans le cas où le donateur souhaite que son don soit orienté sur un groupe de maladies spécifiques, il est informé par courrier de la prise en compte de sa demande et sera également informé de l'action dédiée réalisée.

PERSONNEL

La responsable de la politique scientifique et la chargée de l'administration de la recherche ont en charge la mise en œuvre de la politique scientifique et la gestion des appels à projets de la Fondation. Leurs activités sont intégralement dédiées à la réalisation des missions sociales de la Fondation.

Les Responsables régionaux de la Fondation sont déployés sur les inter-régions hospitalo-universitaires françaises et ont pour missions principales de :

- Mettre en oeuvre la stratégie de la Fondation et effectuer toutes les actions nécessaires à la facilitation des activités de recherche sur les maladies rares dans l'inter-région ;
- Renforcer la synergie entre les acteurs du domaine des maladies rares (centres de référence maladies rares, équipes de recherche, associations de malades, acteurs privés, mécènes, etc.) et faciliter la mise en oeuvre de projets de recherche sur les maladies rares.

Leur activité est dédiée à 80 % à la réalisation des missions sociales de la Fondation.

La direction investit 20 % de son temps de travail pour le déploiement et le suivi des programmes.
La responsable des affaires économiques et institutionnelles est dédiée à hauteur de 10 % aux missions sociales.
La personne en charge du management des opérations investit 80 % de son temps dans les missions sociales.
L'activité de la responsable de la communication est dédiée à 70 % aux missions sociales.
Enfin, la responsable de la philantropie et des partenariats est dédiée à 20 % aux missions sociales.

DÉPLACEMENTS ET FRAIS DE MISSION

Les déplacements et frais de mission des personnes impliquées dans les missions sont pris en compte en fonction du pourcentage d'affectation précédemment décrit.
Les mandats des experts du Conseil scientifique et des différentes instances de sélection des appels à projets sont entièrement gratuits.
Seuls les frais liés à leurs déplacements sont remboursés sur la base des frais réels et sont affectés aux missions sociales.

AUTRES DÉPENSES

Les autres dépenses sont affectées, en fonction de leur utilisation, aux activités de missions sociales.

CLÉS DE RÉPARTITION

La première clé concerne la répartition des dépenses de personnels qui comprennent les salaires bruts, les charges sociales et fiscales et les frais de déplacement affectables. Ces dépenses sont affectées en fonction des pourcentages décrits plus haut. La deuxième clé concerne les frais de déplacements et de missions non affectables qui sont répartis, en fonction du poids de chaque poste par rapport à la masse salariale, aux rubriques suivantes :
- Réalisation des missions sociales
- Actions de levées de fonds
- Frais de fonctionnement

EXTRAIT DU RAPPORT DU COMMISSAIRE AUX COMPTES

"Nous certifions que les comptes annuels sont, au regard des règles et principes comptables français, réguliers et sincères et donnent une image fidèle du résultat des opérations de l'exercice écoulé ainsi que de la situation financière et du patrimoine de la Fondation à la fin de cet exercice.

Fait à Paris, le 19/05/2019 ".

BILAN ACTIF

Actif (en €)	31/12/2017	31/12/2018
Investissements nets	**31 254**	**30 823**
Investissements bruts	*70 449*	*74 101*
Amortissements	*(39 196)*	*(43 278)*
Créances à recevoir	1 212 619	388 464
Valeurs mobilières de placement	264 753	244 473
Disponibilités	5 009 897	5 218 264
Charges constatées d'avance	4 978	4 183
TOTAL ACTIF	**6 523 501**	**5 886 207**

BILAN PASSIF

Passif (en €)	31/12/2017	31/12/2018
Dotation initiale (non consomptible)	1 000 000	1 000 000
Réserves Fonds dédiés sur collecte	3 510 970 -	3 176 763 -
Dettes fournisseurs	2 104 511	1 606 637
Dettes sociales et fiscales	231 128	217 775
Autres dettes	11 100	10 000
Résultat de l'exercice	(334 207)	(124 968)
TOTAL PASSIF	**6 523 502**	**5 886 207**

Les écarts éventuellement constatés entre le total et le détail des rubriques correspondent à des écarts liés aux arrondis.

COMPTE DE RÉSULTAT

En €	31/12/2017	31/12/2018
Reprises sur provisions et amortissements, transferts de charges	-	-
Autres produits	3 375 075	2 428 287
Produits d'exploitation	**3 375 075**	**2 428 287**
Autres achats et charges externes	2 345 553	1 217 002
Impôts, taxes et versements assimilés	96 481	84 403
Salaires et traitements	890 223	882 471
Charges sociales	410 070	367 201
Dotations d'exploitation sur immobilisations : dotations aux amortissements	10 249	32 151
Autres charges	109	3
Charges d'exploitation	**3 752 685**	**2 583 232**
Résultat d'exploitation	**(377 610)**	**(154 945)**
Autres intérêts et produits assimilés	52 128	36 033
Produits nets sur cessions de valeurs mobilières de placement	2 465	-
Résultat financier	**54 593**	**36 033**
Résultat courant avant impôts	**(323 017)**	**(118 912)**
Produits exceptionnels	**-**	**-**
Charges exceptionnelles	**-**	
Résultat exceptionnel	**-**	
Impôts sur les bénéfices	11 190	6 056
TOTAL DES PRODUITS	**3 429 668**	**2 464 319**
TOTAL DES CHARGES	**3 763 875**	**2 589 288**
RÉSULTAT DE L'EXERCICE	**(334 207)**	**(124 968)**

VARIATION DES IMMOBILISATIONS

En €€	Valeur brute au début de l'exercice 2018	Augmentation	Diminutions	Valeur brute à la fin de l'exercice 2018
Frais d'établissement, de recherche et de développement	9 397	7 501	-	16 899
Total immobilisations incorporelles	**9 397**	**7 501**	**-**	**16 899**
Matériel de bureau, informatique, mobilier	29 798	4 369	7 788	26 380
Total immobilisations corporelles	**29 798**	**4 369**	**7 788**	**26 380**
TOTAL GÉNÉRAL	39 196	11 870	7 788	43 278

VARIATION DES AMORTISSEMENTS

En €€	Cumul au début de l'exercice 2018	Augmentation	Diminutions	Cumul à la fin de l'exercice 2018
Frais d'établissement, de recherche et de développement	37 506		-	37 506
Total immobilisations incorporelles	**37 506**		**-**	**37 506**
Matériel de bureau, informatique, mobilier	32 943	11 440	7 788	36 595
Total immobilisations corporelles	**32 943**	**11 440**	7 788	**36 595**
TOTAL GÉNÉRAL	70 449	11 440	7 788	74 101

PRODUITS À RECEVOIR

En €€	31/12/2017	31/12/2018
Clients, factures à établir	553 980	370 350
TOTAL GÉNÉRAL	553 980	370 350

CHARGES À PAYER

En €€	31/12/2017	31/12/2018
Fournisseurs, factures non parvenues	1 777 004	968 656
Dettes fournisseurs et comptes rattachés	**1 777 004**	**968 656**
Provision pour congés payés	62 417	64 287
Charges sur provision pour congés payés	34 917	35 490
Formation continue	10 377	8 301
Taxes sur les salaires	6 206	6 052
Etat des charges à payer	37 553	43 609
Clients avoir à établir	960	-
Dettes fiscales et sociales	**152 432**	**-**
TOTAL GÉNÉRAL	1 929 434	1 126 394

COMPTE D'EMPLOI DES RESSOURCES

En €					
EMPLOIS	Emplois de 2018 Compte de résultat	Affectation par emplois des ressources collectées auprès du public utilisées sur 2018	RESSOURCES (en €)	Ressources collectées sur 2018 Compte de résultat	Suivi des ressources collectées auprès du public et utilisées sur 2018
			REPORT DES RESSOURCES COLLECTEES AUPRÈS DU PUBLIC NON AFFECTÉES ET NON UTILISÉES EN DÉBUT D'EXERCICE		
1 - MISSIONS SOCIALES	**1 955 368**	-	**1 - RESSOURCES COLLECTÉES AUPRÈS DU PUBLIC**	**107 478**	-
1.1. Réalisées en France - Actions réalisées directement - Versements à d'autres organismes agissant en France	1 955 368 1 955 368 -	- 107 478	1.1. Dons et legs collectés - Dons manuels non affectés - Dons manuels affectés - Legs et autres libéralités non affectés - Legs et autres libéralités affectés	**107 478** 107 478	- 107 478
1.2. Réalisées à l'étranger - Actions réalisées directement - Versements à un organisme central ou d'autres organismes	- - -		1.2. Autres produits liés à l'appel à la générosité du public		
2 - FRAIS DE RECHERCHE DE FONDS	**314 831**	-	2 - AUTRES FONDS PRIVÉS	**2 180 724**	
2.1. Frais d'appel à la générosité du public			3 - SUBVENTIONS & AUTRES CONCOURS PUBLICS		
2.2. Frais de recherche des autres fonds privés	314 831	-	4 - AUTRES PRODUITS	**175 842**	
2.3. Charges liées à la recherche de subventions et autres concours publics	-				
3 - FRAIS DE FONCTIONNEMENT	**298 531**	-			
I - TOTAL DES EMPLOIS DE L'EXERCICE INSCRIT AU COMPTE DE RESULTAT	**2 548 730**		**I - TOTAL DES RESSOURCES DE L'EXERCICE INSCRIT AU COMPTE DE RÉSULTAT**	**2 464 044**	
II - DOTATIONS AUX PROVISIONS	**20 281**		II - REPRISES DES PROVISIONS		
III - ENGAGEMENTS À REALISER SUR RESSOURCES AFFECTÉES			III - REPORT DES RESSOURCES AFFECTÉES NON UTILISÉES DES EXERCICES ANTÉRIEURS	0	
			IV - VARIATION DES FONDS DÉDIÉS COLLECTÉS AUPRÈS DU PUBLIC		
IV - EXCÉDENT DE RESSOURCES DE L'EXERCICE			V - INSUFFISANCE DE RESSOURCES DE L'EXERCICE	124 968	
TOTAL GÉNÉRAL	**2 589 011**	**107 478**	**TOTAL GÉNÉRAL**	**2 589 011**	**107 478**
V - Part des acquisitions d'immobilisations brutes de l'exercice financées par les ressources collectées auprès du public					
VI - Neutralisation des dotations aux amortissements des immobilisations financées à compter de la première application du règlement par les ressources collectées auprès du public					
VII - Total des emplois financés par les ressources collectées auprès du public		**107 478**	VI - Total des emplois financés par les ressources collectées auprès du public		**107 478**
			SOLDE DES RESSOURCES COLLECTÉES AUPRÈS DU PUBLIC NON AFFECTÉES ET NON UTILISÉES EN FIN D'EXERCICE		-

ÉVALUATION DES CONTRIBUTIONS VOLONTAIRES EN NATURE (en €)					
Missions sociales	86 491		Bénévolat		
Frais de recherche de fonds			Prestations	100 885	
Frais de fonctionnement et autres charges	14 940		Dons en nature	546	
Total	101 431			101 431	

05

PROJETS FINANCÉS PAR LA FONDATION

APPEL À PROJETS 'CRIBLAGE À HAUT DÉBIT DE MOLÉCULES THÉRAPEUTIQUES & MALADIES RARES'

RESPONSABLE DU PROJET	LABORATOIRE	TITRE DU PROJET
Joahnn BOHM	Institut de Génétique et de Biologie Moléculaire et Cellulaire IGBMC, Médecine translationnelle CNRS UMR 7104 - Inserm U 964, Physiopathologie des maladies neuromus-culaires, Strasbourg	A high-throughput screen to identify compounds antagonizing tubular aggregate myopathy
Marie-Odile FAUVARQUE	Institut de Biosciences et Biotechnologies de Grenoble, CEA-INSERM-UGA UMR1038 Génétique et Chemogénomique	Targeting USP8 in Cushing's disease
Jean-Jacques FEIGE	Institut de Biosciences et Biotechnologies de Grenoble, CEA-INSERM-UGA UMR1036 Famille BMP dans l'Angiogenèse et le Cancer	HHTreat: new drugs for the treatment of Hereditary Haemorrhagic Telangiectasia HHT (Rendu-Osler-Weber disease) patients

APPEL À PROJETS 'GENOMICS : SÉQUENÇAGE À HAUT DÉBIT & MALADIES RARES' JANVIER 2018

RESPONSABLE DU PROJET	LABORATOIRE	TITRE DU PROJET
Pauline ARNAUD	Inserm U1148 LVTS Equipe 2, Paris	Identification of new genes involved in Marfan syndrome and Familial Thoracic Aortic Aneurysm and Dissection by WES and WGS approaches
Alexandre BACQ	Institut du Cerveau et de la Moelle Epinière (ICM) INSERM U1127	Identification of novel pathogenic mechanisms involved in DEPDC5-related epilepsy and SUDEP
Nadine CERF BENSUSSAN	Inserm UMR 1163 & Institut Imagine	High throughput screening for identification of mendelian causes of intestinal inflammation

APPEL À PROJETS 'GENOMICS : SÉQUENÇAGE À HAUT DÉBIT & MALADIES RARES' JANVIER 2018 (SUITE)

RESPONSABLE DU PROJET	LABORATOIRE	TITRE DU PROJET
Nicolas CHASSAING	Université Toulouse III - Paul Sabatier Département de Génétique Médicale	Analysis of regulatory gene sequences in microphthalmia/anophtalmia
Betty GARDIE	Université de Nantes Section Sciences et Vie de la Terre L'institut du thorax, Inserm UMR 1087 / CNRS UMR 6291	Whole genome sequencing of patients with hereditary erythrocytosis
Gaetan LESCA	Hospices Civils de Lyon Département de Génétique médicale Centre de Biologie Est Equipe GENDEV	Searching for the genetic basis of West syndrome with favorable outcome
Arturo LONDONO -VALLEJO	Institut Curie UMR3244	RNA partitioning in RTEL1-associated Hoyeraal-Hreidarsson syndrome
Jean MULLER	Hôpitaux Universitaires de Strasbourg U1112 Laboratoire de Génétique Médicale	Identification of genes and pathways implicated in families affected with a ciliopathy
Sandrine PASSEMARD	INSERM U1141 Université Paris Diderot Hôpital Robert Debré	MICRO-WGS: Identifying genes responsible for primary microcephaly
Véronique PAQUIS FLUCKLINGER	IRCAN, Université de Nice-Sophia Antipolis	Identification of new genes responsible of mitochondrial disorders by RNA sequencing
Pascale QUIGNON	Institut de génétique et développement de Rennes UMR6290	Whole genome sequencing of dogs affected by idiopathic epilepsy as genetic models for human epilepsies
Nicolas RAMOZ	Inserm U894 Centre de psychiatrie et neurosciences, Paris	Combining high throughput sequencing approaches to define the genetic bases of dominant familal forms of anorexia nervosa
Arthur SORLIN	Université de Bourgogne - Faculté de Médecine Laboratoire GAD UMR1231 EA4271	Deciphering the genetic basis of mosaic development disorders with skin pigmentary anomalies

APPEL À PROJETS 'GENOMICS : SÉQUENÇAGE À HAUT DÉBIT & MALADIES RARES' JUILLET 2018

RESPONSABLE DU PROJET	LABORATOIRE	TITRE DU PROJET
Stéphane BEZIEAU	Laboratoire de génétique moléculaire, CHU de Nantes	Trio-based whole-genome sequencing of patients with syndromic and non-syndromic moderate or severe intellectual disability
Clément CARRE	Institut de Biologie Paris Seine (IBPS), Laboratoire de Biologie du Développement UMR7622	tRNA Fragments & RNA methylation detection for functional diagnostic in Intellectual Disability
Marie-Christine CHABOISSIER	Institut de Biologie de Valrose (iBV) UMR CNRS-7277-INSERM U1091 - Université de Nice-Sophia Antipolis	Identification of the Genetic Network Leading to Frasier Syndrome and other Disorders of Sexual Development
Mireille COSSEE	Laboratoire de Génétique de Maladies Rares, EA7402 Université de Montpellier	Evaluation of a Whole Genome and RNA-sequencing strategy to identify the molecular bases of unsolved myopathies and muscular dystrophies
Caroline KANNENGIESSER	Service de Génétique, Hôpital Bichat, Paris	Identification of new genes implicated in Pleuroparenchymal fibroelastosis
Stanislas LYONNET	INSERM U1163, Institut Imagine, Hôpital Necker-Enfants Malades, Paris	Deciphering the molecular mechanisms leading to Mayer-Rokitansky-Kuster-Hauser syndrome
Frédérique MAGDINIER	Centre de Génétique Médicale de Marseille, UMR1251 INSERM - Aix Marseille Université	Identification of genes and regions regulated by the SMCHD1 chromatin-associated factor in Facio-Scapulo-Humeral Dystrophy (FSHD) and Bosma Arhinia and Microphtalmia Syndrome (BAMS)
Anne PHILIPPE	INSERM U1163, Institut Imagine, Hôpital Necker-Enfants Malades, Paris	Whole exome sequencing in non syndromic autism spectrum disorders
Hélène PUCCIO	Institut de Génétique et de Biologie Moléculaire et Cellulaire (IGBMC), INSERM U964, CNRS-UdS UMR7104, Illkirch	Identification of pathological mechanisms underlying proprioceptive neurons dysfunction and cell death in Friedreich Ataxia

APPEL À PROJETS 'GENOMICS : SÉQUENÇAGE À HAUT DÉBIT & MALADIES RARES' JUILLET 2018 (SUITE)

RESPONSABLE DU PROJET	LABORATOIRES	TITRE DU PROJET
Florent SOUBRIER	Institut ICAN, UMR_S 1166, Unité de recherche sur les maladies cardiovasculaires, du métabolisme et de la nutrition, Faculté de médecine - Sorbonne Université, Paris	Search for new genes in familial pulmonary hypertension by Whole Genome Sequencing
Stéphane VIVILLE	Laboratoire de diagnostic génétique, Hôpitaux Universitaires de Strasbourg	Exome sequencing in consanguinous families in the quest of genes implicated in oocyte maturation arrest

APPEL À PROJETS 'RECHERCHE PRÉCLINIQUE & MALADIES RARES, ÉTAPES TRANSLATIONNELLES'

RESPONSABLE DU PROJET	LABORATOIRE	TITRE DU PROJET
Caroline LE GUINER	Université de Nantes Inserm UMR 1089 Thérapie génique des maladies neuromusculaires	Gene therapy for the cardiac disease in Duchenne Muscular Dystrophy: Definition of the optimal mode of delivery to transduce the heart using a rAAV9 vector
Gabriel RAHMI	Inserm U970 PARCC Laboratoire Imagerie de l'Angiogénèse Equipe 2	Fistula therapy by extracellular vesicles into thermoreversible hydrogels: tackling a complication of oesophageal atresia reparative surgery
Laurent STORME	CHRU LILLE Néonatologie EA4489, Environnement Périnatal et Santé	Optimization of intact cord resuscitation for congenital diaphragmatic hernia
Laurent TIRET	Institut Mondor de Recherche Biomédicale Equipe 10 de l'IMRB, Biologie du système neuromusculaire	Establishment and characterization of a modelized DNM2 colony dedicated to validate efficient treatments

APPEL À PROJETS ‘ SCIENCES HUMAINES ET SOCIALES & MALADIES RARES’

RESPONSABLE DU PROJET	LABORATOIRE	TITRE DU PROJET
Carolina BAEZA-VELASCO	Université Paris Descartes Psychologie Laboratoire Psychopathologie et Processus de santé	Patterns d’activité des personnes atteintes du Syndrome d’Ehlers-Danlos hypermobile : facteurs associés et prise de décision
DELPHINE HERON	Hôpital de la Pitié - Salpêtrière UF Génétique Médicale	Processus décisionnels des couples confrontés au diagnostic prénatal d’une agénésie du corps calleux isolée
Charlotte JACQUEMOT	Institut Mondor de Recherche Biomédicale INSERM U955	Utiliser le langage comme marqueur de la maladie de Huntington pour améliorer sa prise en charge et son suivi
Céline LANCELOT	Université d’Angers Psychologie Laboratoire de Psychologie des Pays de la Loire	Retentissement des capacités de cognition sociale et de cognition affective sur les difficultés relationnelles et d’adaptation sociale des adolescentes atteintes du syndrome de Turner
Bruno QUINTARD	Université de Bordeaux Département de Psychologie Unité INSERM 1219	Les déterminants biopsychosociaux de l’ajustement dyadique à la maladie chez le sujet albinos et son proche entourage : une approche mixte qualiquantitative

Fondation Maladies Rares
Plateforme Maladies Rares
96, rue Didot - 75014 Paris
Tél. : + 33 (0) 1 58 14 22 81
contact@fondation-maladiesrares.com

www.fondation-maladiesrares.org

CREDITS PHOTOS : ©GETTYIMAGE/FOTOLIA - IMPRIMEUR : GOUBAULT