



Appel à projets de recherche 2021

« Hémoglobinurie paroxystique nocturne Et Aplasia médullaire idiopathique »

Projets de recherche en Santé et en Sciences Humaines et Sociales

Date limite de dépôt des dossiers : 04 janvier 2022 - 17h (heure de Paris)

Contact : aap.asso@fondation-maladiesrares.com

Contexte

En raison des spécificités du domaine des maladies rares, l'Association HPN France – Aplasia Médullaire (HPN-AM France) et la Fondation Maladies Rares (FMR) ont convenu d'un **partenariat** afin de soutenir et de stimuler la **recherche** sur l'**Hémoglobinurie Paroxystique Nocturne (HPN)** et/ou l'**Aplasia Médullaire Idiopathique (AMI)**.

L'**Association HPN France - Aplasia Médullaire**¹ a été créée en 2004 par des patients, leurs familles et des professionnels de santé. Elle est uniquement composée de bénévoles. Elle a pour vocation d'aider la recherche sur ces deux pathologies en récoltant des fonds, d'informer les patients et leur famille sur leurs maladies et les traitements, de sensibiliser le grand public sur le don de sang, de plaquettes et de moelle osseuse, de mettre en relation les patients et leur entourage, et de reconforter et soutenir les patients et leur famille au quotidien.

La **Fondation Maladies Rares**², organisme privé à but non lucratif, a été créée en 2012³ par cinq membres fondateurs⁴, avec pour objectif de contribuer à (i) décrypter les maladies rares pour en faciliter le diagnostic et accélérer le développement de nouveaux traitements, (ii) améliorer le quotidien des personnes malades et de leurs proches. Elle porte une mission d'intérêt général : animer, coordonner et soutenir la recherche sur les maladies rares.

Périmètre

L'**hémoglobinurie paroxystique nocturne (HPN)** et l'**aplasie médullaire idiopathique (AMI)** sont des maladies rares immuno-hématologiques. Ces deux maladies sont acquises pendant la vie et non

¹ www.hpnfrance.com

² www.fondation-maladiesrares.org

³ PNMR2 : <http://www.sante.gouv.fr/le-plan-national-maladies-rares-2011-14-une-ambition-renouvelee.html>

⁴ AFM-Téléthon, Alliance Maladies Rares, Inserm, Conférence des Directeurs Généraux de CHU, Conférence des présidents d'université

transmissibles. L'HPN se caractérise par des crises hémolytiques parfois très douloureuses. Outre l'anémie, les douleurs et la fatigue, les personnes malades sont exposées à un risque vital de thrombose silencieuse. L'aplasie médullaire idiopathique se caractérise par une incapacité de la moelle osseuse à produire les cellules sanguines normalement. Les symptômes et les risques liés varient selon le type des cellules touchées. L'HPN et l'AMI bénéficient de traitements permettant de diminuer les symptômes (inhibiteurs du complément, immunosuppresseurs, transfusion sanguine). Le seul traitement permettant une guérison est actuellement la greffe de moelle osseuse.

Toutefois les enjeux relatifs à la compréhension de la maladie, à l'optimisation de la prise en charge médicale et à l'accompagnement des patients restent nombreux.

Cet appel vise à soutenir des programmes de **recherche fondamentale ou clinique, innovants**, sur les thématiques suivantes :

- A. **Compréhension de l'origine** de ces maladies : tout projet visant à définir les mécanismes mis en jeu dans la maladie et actionnables dans une optique de développement thérapeutique futur.
- B. **Développement de prise(s) en charge thérapeutique(s)** : tout projet visant à mettre au point et/ou à optimiser le soin de ces pathologies, avec un intérêt marqué pour la prise en charge de la réaction du greffon contre l'hôte (GVHD).
- C. **Prise en compte et évaluation de la fatigue** dans le parcours de vie et/ou de soin : tout projet de recherche en sciences humaines et sociales visant à évaluer l'impact de la fatigue sur la qualité de vie, avec un intérêt marqué pour la caractérisation de critères tels que la fatigabilité, la concentration, le taux d'attention... en complément des critères physiologiques médicaux habituellement utilisés (anémie...).

Critères d'éligibilité

Le projet devra formuler explicitement une **question de recherche** traitant des problématiques spécifiquement liées à l'HPN et/ou l'AMI.

Le projet devra démontrer son **originalité**, sa **faisabilité** et l'**expertise** des chercheurs impliqués.

Le responsable scientifique du projet (« porteur principal ») doit être un **chercheur ou enseignant-chercheur**, relevant d'un organisme de recherche⁵ français ou étranger. Il est attendu que le porteur soit statutaire et occupant un poste permanent. Dans le cas contraire, le porteur devra apporter la preuve d'un contrat de travail contracté auprès de l'organisme gestionnaire des fonds attribués. Ledit contrat de travail devra courir pour toute la durée du projet de recherche.

Il est attendu une **correspondance entre la méthodologie mise en œuvre et l'expertise du porteur** : chercheur en santé dans les thématiques A et B, chercheur en Sciences Humaines et Sociales dans la thématique C.

Financement

Cet appel à projets de recherche prévoit un soutien financier maximum de **15 000 € pour une durée maximale de 24 mois**.

Le financement peut couvrir les dépenses de personnel (hors personnel administratif), équipement, fonctionnement et mission, à la condition qu'elles soient entièrement et exclusivement dédiées au

⁵ **Organisme de recherche** : est considéré comme un organisme de recherche, une entité telle qu'une université ou un institut de recherche, ou une structure dédiée à la recherche au sein d'un établissement de santé et associée à une université ou un institut de recherche, quel que soit son statut légal (organisme de droit public ou privé) ou son mode de financement, dont le but premier est d'exercer les activités de recherche fondamentale ou de recherche appliquée ou de développement expérimental et de diffuser leurs résultats par l'enseignement, la publication, ou le transfert de technologie.

projet. Le recours, pour la réalisation du projet, à des prestataires de service ne doit porter que sur l'exécution d'une partie très limitée du projet.

Le financement doit être réaliste, raisonnable, détaillé poste par poste et pleinement justifié.

Une convention sera établie entre l'organisme de gestion du programme de recherche (organisme du porteur principal) et la Fondation Maladies Rares. **L'organisme gestionnaire ne pourra pas prélever de frais de gestion sur le montant accordé.**

Un co-financement du projet sélectionné est possible dès lors qu'aucun conflit d'intérêt n'existe.

Le porteur principal assurera la gestion des fonds alloués, y compris, le cas échéant, le conventionnement et la répartition auprès des équipes partenaires.

Modalités de soumission, sélection et calendrier

Le dossier de candidature, en anglais, est à envoyer par mail :

- Avant le 04 janvier 2022, 17h (heure de Paris)
- A l'adresse aap.asso@fondation-maladiesrares.com
- Avec l'objet de mail suivant : « HPN2021 – *Votre nom de famille* »

La sélection conjointe par HPN-AM France et la FMR se déroulera sur la base d'évaluation(s) rendue(s) par des experts externes indépendants (cf. annexe), après validation des critères d'éligibilité.

Suivi scientifique et financier

Un rapport scientifique et financier précis devra être produit par le porteur à mi-parcours.

Un rapport final de recherche, un rapport grand public ainsi qu'un résumé des résultats de recherche devront être produits par le porteur 6 mois maximum après la fin du projet.

Il est attendu une valorisation des travaux effectués et des résultats obtenus à la fin du projet, sous forme de publications et/ou de communications scientifiques.

Les lauréats pourront être invités à présenter leurs résultats finaux lors d'une journée scientifique dédiée.

ANNEXE

Critères d'évaluation

Qualité scientifique du projet

- Pertinence et originalité de la question scientifique
- Positionnement dans le contexte des connaissances actuelles et caractère novateur
- Qualité de la recherche entreprise
- Adéquation des méthodologies envisagées

Qualité rédactionnelle du projet

- Clarté de la présentation, des objectifs et du déroulement du projet
- Rationnel et justifications

Qualité de la mise en œuvre du projet

- Faisabilité
- Adéquation, expertise et complémentarité des acteurs impliqués, ancrage sur le terrain
- Capacités de coordination, communication interne
- Identification des étapes-clés
- Pluridisciplinarité
- Réalisme du financement demandé

Impact du projet

- Bénéfice de la recherche pour les personnes malades
- Valorisation des travaux