

APPEL À PROJETS AFM-TÉLÉTHON – FONDATION MALADIES RARES

AAP FILIÈRES DE SANTÉ MALADIES RARES

« Preuves de concepts thérapeutiques innovants »

Contexte :

Parmi les 7000 maladies rares identifiées à ce jour, plus de 95% ne bénéficient pas d'un traitement spécifique adapté. Face à l'immensité et la grande diversité des besoins, la multiplication de traitements innovants est une nécessité. Le développement clinique et la rapide mise à disposition des patients de nouvelles réponses thérapeutiques reposent notamment sur la qualité des preuves de concepts.

Dans ce contexte, la volonté de l'AFM-Téléthon est de donner une impulsion à des projets de recherche dont l'objectif est de faire émerger de robustes preuves de concepts thérapeutiques.

L'AFM-Téléthon est une association de malades et de leurs familles. Elle a notamment pour objectif de permettre le développement des traitements innovants pour des maladies rares en soutenant des projets de recherche médicale, tant fondamentale que translationnelle.

La Fondation Maladies Rares est une Fondation de Coopération Scientifique ayant pour membres fondateurs l'AFM-Téléthon, l'Alliance Maladies Rares, La Conférence des Présidents d'Universités, la Conférence des Directeurs de CHU, et l'Inserm, et dont l'AFM-Téléthon est le soutien financier majoritaire.

Périmètre :

Les Filières de Santé Maladies Rares (FSMR) sont des organisations labellisées par le Ministère de la Santé, qui portent des missions étendues dans les domaines du soin, de la recherche et de la formation. Elles constituent le socle de la mise en œuvre du 3^{ème} Plan National Maladies Rares. « Une FSMR favorise le continuum entre recherche fondamentale et clinique et leurs applications dans les CRMR, en veillant à la bonne coordination de l'ensemble des initiatives. (...) Elle conçoit et facilite la mise en place des projets de recherche collaboratifs au sein de la FSMR et en inter-FSMR »

Cet appel à projets soutenu spécifiquement par l'AFM-Téléthon et coordonné par la Fondation Maladies Rares vise à soutenir des projets innovants de développement et de maturation de preuves de concepts thérapeutiques portés par des Filières de Santé Maladies Rares.

Des pathologies rattachées à des Filières de Santé Maladies Rares, touchant des organes ou des systèmes différents, peuvent cependant relever de **solutions thérapeutiques communes**. C'est dans cet esprit qu'une attention particulière sera portée aux projets inter-filières.

Critères d'éligibilité :

Le projet devra être élaboré par une ou plusieurs équipes rattachées à une ou plusieurs FSMR. Il devra être soumis à la Fondation Maladies Rares avec le **soutien explicite des coordinateurs des filières concernées**. Il devra formuler une ou plusieurs questions de recherche ayant pour **objet de permettre la validation et/ou la maturation de preuves de concepts thérapeutiques innovantes pour une ou plusieurs maladies rares**. Il devra fournir les arguments justifiant les hypothèses de travail et les approches proposées.

Le projet devra démontrer son originalité, sa faisabilité, l'expertise des chercheurs impliqués, et la pertinence de la collaboration entre les FSMR partenaires.

Le responsable scientifique du projet (« porteur principal ») doit être un chercheur ou enseignant-chercheur, relevant d'un organisme de recherche français et membre d'une FSMR partenaire du projet. Il est attendu que le porteur soit statutaire et occupant un poste permanent.

Une attention particulière sera portée aux stratégies visant à sécuriser l'accès de ces innovations aux malades notamment dans le cas de partenariats existants ou futurs avec des industries.

Financement :

Cet appel à projets de recherche prévoit le soutien de plusieurs projets.

Chaque projet pourra être financé à hauteur d'un maximum de **100 000 Euros par an**, pour une durée allant jusqu'à 2 ans.

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 projet. Le recours 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.

La présence d'un co-financement est souhaitée et représentera un critère de sélection favorable des projets.

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

Le versement des fonds se fera en 2 étapes :

- 50% à la date de signature de la convention entre le porteur principal et la FMR,
- Les 50% restant à la date de réception du rapport scientifique et financier de mi-parcours.

Modalités de soumission, sélection et calendrier :

Une lettre d'intention, en anglais, est à envoyer par mail :

aap-bio@fondation-maladiesrares.com

Avant le 22 décembre 2021 à 17h (heure de Paris)

- Avec l'objet de mail suivant : «AAP filières 2021 – *Votre nom de famille* »

Le format de la lettre d'intention sera précisé ultérieurement, le 2 novembre 2021.

Une première sélection sera réalisée par un Comité d'évaluation. Les dossiers présélectionnés seront ensuite invités à déposer un dossier complet dans un deuxième temps : les modalités seront définies ultérieurement.

Les lauréats seront désignés sur la base des évaluations rendues par deux experts externes indépendants et du Comité de sélection.

La date de publication des résultats sera définie ultérieurement.

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 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

- Originalité de la question scientifique
- Pertinence de la solution et démarche proposées
- Si c'est le cas, pertinence de la collaboration entre les FSMR impliquées
- Cohérence avec les axes stratégiques des filières impliquées
- 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
- Identification des étapes clés
- Réalisme du financement demandé
- Développement clinique prévisionnel

Impact du projet

- Nature et perspectives d'impacts pour les patients
- Valorisation éventuelle des travaux
- Sécurisation de l'accès des traitements aux malades