



Appel à projets de recherche 2024

## « Atrophie multi-systématisée »

Budget maximum : **100 000 €** - Durée maximale : **24 mois**

Date limite de dépôt des dossiers : **13/03/2025 - 17h** (heure de Paris)

*Votre profil doit être créé sur la plateforme de candidature préalablement à toute demande (instructions p3).*

### Contexte

En raison des spécificités des maladies rares, l'Association ARAMISE et la Fondation Maladies Rares (FMR) ont convenu d'un **partenariat afin de soutenir et de stimuler la recherche sur l'atrophie multi-systématisée** (groupe maladies rares : maladies neuro-évolutives du système nerveux central ; filière : BRAIN-TEAM).

**ARAMISE**<sup>1</sup> regroupe des personnes concernées par l'atrophie multi-systématisée (AMS) : patients, aidants, proches. Notre association, créée en 2003, a pour objectifs :

- L'information des patients et de leurs proches sur la maladie et les avancées de la recherche sur l'AMS,
- Le soutien des patients et de leurs proches par les renseignements, les conseils et l'appui moral que ses bénévoles peuvent leur apporter,
- L'information et la sensibilisation sur l'AMS, du personnel soignant, des médecins, des médias et du grand public,
- Le soutien à la recherche sur l'AMS.

Unique association française autour de l'AMS, ARAMISE est membre de :

- La Filière de Santé Maladies Rares BRAIN-TEAM,
- Le Réseau maladie rare de l'AMS constitué par le Centre de référence coordinateur à Bordeaux, les Centres de référence constitutifs à Paris et Toulouse, ainsi que les 14 Centres de compétences et 4 Centres associés répartis sur le territoire,
- L'Alliance Maladies Rares.

Elle entretient d'amicales relations avec les associations Mission MSA (USA), MSA Trust (GB).

La **Fondation Maladies Rares**<sup>2</sup>, organisme privé à but non lucratif, a été créée en 2012<sup>3</sup> par cinq membres fondateurs<sup>4</sup>, avec pour objectifs 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. Elle accompagne ainsi gratuitement les associations de patients dans le déploiement de leurs actions en faveur de la recherche sur les maladies rares, par exemple à travers des appels à projets conjoints tels que celui proposé ici.

---

<sup>1</sup> [www.ams-aramise.fr](http://www.ams-aramise.fr)

<sup>2</sup> [www.fondation-maladiesrares.org](http://www.fondation-maladiesrares.org)

<sup>3</sup> PNM2 : <http://www.sante.gouv.fr/le-plan-national-maladies-rares-2011-14-une-ambition-renouvelee.html>

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

## Périmètre

L'**atrophie multi-systématisée** (AMS) est une pathologie neurodégénérative rare, sporadique, survenant le plus souvent dans la sixième décennie. Sur le plan clinique, l'AMS se caractérise par l'association de troubles dysautonomiques à un syndrome parkinsonien peu dopa-sensible et/ou un syndrome cérébelleux permettant de les classer, selon la prédominance du syndrome parkinsonien ou du syndrome cérébelleux, en deux formes cliniques : AMS-P et AMS-C. L'AMS est, avec la paralysie supranucléaire progressive (PSP), l'une des deux principales étiologies de syndromes parkinsoniens atypiques.

**La prévalence de l'AMS est faible**, estimée entre 1,6 à 5 cas pour 100 000 habitants avec une incidence estimée entre 0,6 et 1,6 cas pour 100 000 habitants par an. **Son pronostic est plus grave que celui de la MPI** avec une survie médiane d'environ 6 à 9 ans.

Depuis la publication des nouveaux critères en 2022, le diagnostic clinique de l'AMS repose sur des critères cliniques et/ou radiologiques définissant

- soit une **AMS cliniquement établie** incluant des éléments radiologiques,
- soit une **AMS cliniquement probable** incluant uniquement des éléments cliniques.

Le diagnostic de certitude repose sur une confirmation anatomopathologique post-mortem du cerveau, retrouvant notamment des inclusions cytoplasmiques gliales (ICG) majoritairement constituées d'alpha-synucléine. Ces ICG sont présentes dans l'ensemble du système nerveux central avec une forte densité dans le système olivo-ponto-cérébelleux et la voie nigrostriée.

Le contenu commun en alpha-synucléine des ICG et des corps de Lewy dans l'AMS, le Parkinson et la maladie à corps de Lewy (MCL) a, par ailleurs, fait émerger le concept d'« **alpha-synucléinopathie**».

**Il n'existe pas, à ce jour, de traitement curatif de l'AMS.** Les traitements actuels sont uniquement symptomatiques.

Cet appel vise à soutenir des **programmes de recherche innovants, transdisciplinaires, fondamentaux, translationnels ou précliniques**, sur l'atrophie multi-systématisée.

Toutes les disciplines des Sciences Biomédicales sont éligibles.

L'association souhaite soutenir toute recherche visant la **compréhension pathophysiologique** de la maladie, l'amélioration du **diagnostic**, et/ou le **développement de stratégies thérapeutiques**, avec une attention marquée pour les projets au stade de preuve de concept et l'objectif, à terme, du développement d'un traitement curatif.

## Critères d'éligibilité

Le projet devra formuler explicitement une **question de recherche** traitant des problématiques spécifiquement liées à l'atrophie multi-systématisée.

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

Les projets collaboratifs internationaux sont encouragés.

Le responsable scientifique du projet (« porteur principal ») doit être un **chercheur ou enseignant-chercheur**, relevant d'un organisme de recherche publique<sup>5</sup> français. Il est attendu que le porteur soit

---

<sup>5</sup> **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, 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.

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, plus 6 mois.

Il est attendu une **correspondance indiscutable entre la principale méthodologie mise en œuvre dans le projet et l'expertise du porteur principal.**

## Financement

Cet appel à projets de recherche prévoit un soutien financier maximum de **100 000 €**, pour une durée maximale de **24** mois.

Le financement accordé peut couvrir, **à condition qu'ils soient entièrement et exclusivement dédiés à la réalisation des travaux de recherche**, les frais de :

- Personnel temporaire (hors personnel administratif). Une attention appuyée sera apportée aux projets impliquant le financement d'une année de thèse ou de postdoctorat,
- Équipement, à hauteur maximale de 2 000 € (dépassement éventuel à justifier précisément dans le formulaire de réponse),
- Consommables, à hauteur maximale de 2 000 € (dépassement éventuel à justifier précisément dans le formulaire de réponse),
- Mission, à hauteur maximale de 2 000 € (dépassement éventuel à justifier précisément dans le formulaire de réponse),
- Prestations de service, sous réserve qu'elles ne portent que sur l'exécution d'une partie très limitée du projet (10% maximum du budget).

**Aucun coût d'environnement ni frais de gestion ne sont éligibles.**

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 compléter sur <https://ffrd.syntosolution.com/> avant le **13/03/2025, 17h** (heure de Paris).

*Il est nécessaire que vous ayez déjà créé votre profil sur la plateforme avant toute soumission (un délai peut être nécessaire). Le soutien technique de la plateforme est disponible de 9h à 18h jusqu'au 12 mars 2025.*

La sélection conjointe par l'association ARAMISE et la FMR se déroulera sur la base :

- de la validation des critères d'éligibilité par la FMR,
- des priorités de l'association ARAMISE,
- des évaluations rendues par des experts externes indépendants (cf. annexe),

Les membres de l'Association ARAMISE et les experts externes signent un accord de confidentialité et d'absence de conflit d'intérêt.

Les rapports, documents et classements adressés aux membres du bureau de l'Association ARAMISE sont confidentiels.

## Suivi scientifique et financier

*L'Association ARAMISE s'engage dans cette démarche avec gravité et le sentiment fort de sa responsabilité. Le budget que son Conseil d'administration engagera dans le projet retenu provient en effet exclusivement de dons. Il s'agit des dons de ses adhérents, mais aussi des fonds remis par les proches et les familles, parfois lors du décès d'un des leurs, dans un geste de solidarité avec celles et ceux qui attendent et espèrent. Il est attendu des lauréats qu'ils adhèrent à cet engagement.*

La moitié de la subvention financière sera versée au démarrage du projet.

Pour les projets supérieurs à un an, le porteur devra partager succinctement par mail, tous les 6 mois, sur l'avancée du Projet lauréat (quelques lignes).

Un rapport scientifique et financier complet devra être produit par le porteur à mi-parcours, afin de justifier de l'avancement correct des travaux et déclencher le versement de 40% de la subvention.

Un rapport scientifique et financier final devra être produit par le porteur 1 mois après la fin du projet afin de déclencher le versement des 10% restants de la subvention.

**Chaque rapport devra être accompagné d'un compte-rendu vulgarisé en français, compréhensible par tous les adhérents de l'association, quelles que soient leurs connaissances scientifiques.**

Il est attendu une valorisation des travaux effectués et des résultats obtenus à la fin du projet, sous forme de publications, et de communications scientifiques et grand public. Le porteur de projet se rendra disponible pour la présentation de ses résultats à une réunion organisée par l'association ARAMISE.

## **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
- Avancées envisagées vers un traitement curatif
- Valorisation des travaux