



## **Bourse de recherche**

### **« Amélioration de la qualité de vie des patients atteints de drépanocytose ou de $\beta$ -thalassémie »**

Date limite de dépôt des candidatures : **12 septembre 2025, 12h (heure de Paris)**

---

#### **Contexte**

En France, plus de 3 millions de personnes, dont de nombreux enfants, sont atteints d'une maladie rare. Pourtant, seules 5 % de ces maladies bénéficient d'un traitement, principalement en raison de leur diversité et de leur complexité.

Parmi les plus de 7 000 maladies rares identifiées à ce jour, la drépanocytose et la  $\beta$ -thalassémie figurent parmi les principales hémoglobinopathies génétiques rares. Elles résultent d'anomalies de la production ou de la structure de l'hémoglobine, affectant directement les globules rouges. Bien qu'elles partagent certaines caractéristiques, elles diffèrent notablement en termes de manifestations cliniques et de modalités de prise en charge. La drépanocytose est la maladie rare la plus fréquente en France, avec plus de 25 000 patients, tandis que la  $\beta$ -thalassémie concerne moins de 1000 personnes. Malgré les avancées thérapeutiques et l'amélioration des parcours de soins, ces pathologies continuent d'avoir un impact majeur sur la vie des patients.

Pour soutenir la recherche sur l'amélioration de la qualité de vie des malades, la Fondation Maladies Rares et la Filière de Santé Maladies Rares (FSMR) MCGRE, avec le soutien financier primordial de Novo Nordisk lancent une bourse de recherche dédiée à un projet de recherche en Sciences Humaines et Sociales (SHS) centré sur la drépanocytose et/ou la  $\beta$ -thalassémie.

Fondée en 2012, la [Fondation Maladies Rares](#) est une fondation de coopération scientifique dont la mission est de soutenir la recherche sur l'ensemble des maladies rares. Elle a été la première à initier un appel à projets de recherche en SHS dédié aux maladies rares.

La [FSMR MCGRE](#) regroupe et coordonne l'ensemble des acteurs engagés dans la prise en charge des maladies constitutionnelles rares du globule rouge et de l'érythropoïèse. Parmi celles-ci, figure la drépanocytose et la  $\beta$ -thalassémie.

[Novo Nordisk](#) est une entreprise de santé internationale, fondée en 1923 au Danemark, dont la mission est de lutter contre le diabète et d'autres pathologies chroniques majeures telles que l'obésité, les troubles de la croissance et les maladies hémorragiques. Plus récemment, l'entreprise a élargi son champ d'action aux maladies rares, en s'engageant notamment dans le développement de traitements innovants pour les anémies hémolytiques.

## Détails du prix

Le projet de recherche lauréat devra s'intéresser aux **conséquences individuelles, familiales et/ou sociales** spécifiquement liées à la drépanocytose ou à la  $\beta$ -thalassémie afin de mieux appréhender l'impact de ces maladies sur la qualité de vie des patients et de leur entourage.

L'objectif du projet lauréat sera l'**amélioration du parcours de vie** des patients atteints de drépanocytose ou de la  $\beta$ -thalassémie et sa valorisation permettra de **proposer des pistes d'amélioration concrètes**.

À évaluation scientifique égale, les projets dont les résultats pourraient être transposables à d'autres anémies hémolytiques seront privilégiés.

## Critères d'éligibilité

Le projet lauréat devra :

- Être un projet de recherche se focalisant sur des **problématiques SHS** et utilisant des **méthodologies de SHS** ;
- Être porté par un responsable scientifique chercheur en SHS avec un poste permanent dans une équipe de recherche française, affiliée au monde universitaire (équipe de recherche au sein des universités, autres établissements d'enseignement supérieur ou instituts de recherche) et/ou au secteur clinique ou de la santé publique (équipe de recherche travaillant dans les hôpitaux/les organismes de santé publique) ;
- Démontrer l'**implication et la complémentarité** de l'équipe SHS, de l'équipe médicale experte de la pathologie et de l'association de patients. Une attention particulière sera portée à **participation active des associations de patients** (voir Annexe1).
- Détailler le bénéfice concret attendu pour les malades, en présentant par exemple les supports d'application de la recherche.

## Financement

Cette bourse de recherche offre un soutien financier maximal de **30 000 €** pour un projet d'une durée maximale de **24 mois**.

Le financement pourra couvrir les dépenses de personnel temporaire de recherche (sans limite) et d'équipement, de fonctionnement, de missions et de sous-traitance (dans la limite de 10 % du montant total demandé).

Toutes les dépenses doivent être directement liées au projet. Un cofinancement du projet par tout autre entité est possible.

La Fondation Maladies Rares n'autorise pas le prélèvement de frais de gestion par l'organisme gestionnaire.

## Calendrier prévisionnel

Lancement du prix	15 mai 2025
Date limite de soumission des candidatures	12 septembre 2025
Notification des résultats	Décembre 2025
Remise du prix	Colloque Scientifique Annuel de la Fondation Maladies Rares : mai / juin 2026

## **Modalités de candidature**

Les candidatures doivent s'effectuer en ligne sur le portail des appels à projets de la Fondation Maladies Rares : <https://ffrd.syntosolution.com/>. Les candidatures reçues par courriels ou d'autres moyens ne seront pas étudiées.

Le formulaire de candidature et les documents à fournir sont détaillés sur le portail en ligne. Les candidats et leurs directeurs doivent se créer un compte pour pouvoir candidater.

Les dossiers doivent être rédigés en langue française.

## **Évaluation et sélection du projet lauréat**

La sélection du projet lauréat se fera par un comité d'évaluation et de sélection composé de membres du conseil scientifique de la Fondation Maladies Rares, d'experts de la FSMR MCGRE et d'autres experts du domaine.

Les membres du comité se fondent sur les critères suivants pour leur évaluation :

- Pertinence et importance du projet ;
- Qualité du projet et solidité scientifique ;
- Faisabilité du projet ;
- Innovation ;
- Qualité du candidat et qualité du laboratoire.

## **Principes FAIR et politique et lignes directrices de l'IRDiRC**

En soumettant un projet à la Fondation Maladies Rares, les candidats acceptent de se conformer aux principes directeurs FAIR pour la gestion et l'intendance des données scientifiques.

Les objectifs de cette bourse de recherche sont conformes aux objectifs de l'IRDiRC. Il est attendu des lauréats qu'ils suivent les politiques et les directives de l'IRDiRC.

## **Suivi administratif et financier du projet lauréat**

Une convention de recherche sera établie entre l'organisme gestionnaire du porteur de projet SHS et la Fondation Maladies Rares. La convention ne prendra effet qu'après validation du projet de recherche par les instances éthiques *ad hoc*.

Le porteur SHS du projet assurera la gestion des fonds alloués, y compris la répartition auprès des équipes partenaires françaises.

Le prélèvement de frais de gestion par les organismes gestionnaires n'est pas autorisé par la Fondation Maladies Rares.

## **Communication et confidentialité**

Dans le cadre de sa collaboration avec la FSMR MCGRE et Novo Nordisk, la Fondation Maladies Rares pourra être amenée à partager certaines données des projets avec ses partenaires. Il s'agit de :

- Coordonnées des candidats ;
- Titre des projets ;
- Résumés non confidentiels (en français et/ou en anglais).

Ces mêmes données pourront être utilisées à des fins de communication sur n'importe quel support de la Fondation Maladies Rares, de la FSMR MCGRE et de Novo Nordisk masi uniquement pour le projet lauréat.

### **Politique de remerciement**

Les candidats lauréats à la bourse de recherche s'engagent à mentionner la Fondation Maladies Rares, la FSMR MCGRE et Novo Nordisk dans toutes les communications relatives au projet (communication écrite, orale, publication scientifique, etc.) en tant que source de financement en utilisant les formulations et logotypes appropriés (disponibles sur demande).

Les équipes de recherche des projets lauréats pourront être invitées à présenter leurs résultats lors de journées organisées par la Fondation Maladies Rares ou ses partenaires.

---

Pour toute question relative à cette bourse de recherche, merci de contacter :  
[shs-mr@fondation-maladiesrares.com](mailto:shs-mr@fondation-maladiesrares.com) avec pour objet de votre message « Bourse Novo Nordisk 2025 ».

## ANNEXE 1

Une participation active se traduit par :

- La co-construction de la question de recherche et sa pertinence vis-à-vis des besoins non couverts des personnes concernées ;
- L'évaluation de la faisabilité du protocole de recherche au regard de la réalité des contraintes de vie des patients ;
- La facilitation du recrutement des participants à l'étude ;
- La co-analyse des résultats, en particulier quand ceux-ci ne sont pas les résultats attendus par les équipes de recherche ;
- La promotion et la vulgarisation des travaux et résultats auprès des personnes concernées et du grand public.

Les équipes de recherche sont invitées à consulter le Guide de la Recherche édité conjointement par la Fondation Maladies Rares et l'Alliance Maladies Rares afin de mieux appréhender l'implication possible des associations de patients dans leur projet de recherche : <https://guide-recherche-asso.info/>.

Si aucune association de patients pertinente n'existe ou ne souhaite participer au projet malgré des recherches approfondies du responsable scientifique et un contact préalable avec le responsable régional à la Fondation Maladies Rares (voir <https://fondation-maladiesrares.org/equipe/>), cela ne sera pas considéré comme préjudiciable lors de l'évaluation du projet.

Dans ce cas, la Fondation Maladies Rares devra en être informée par courriel à : [shs-mr@fondation-maladiesrares.com](mailto:shs-mr@fondation-maladiesrares.com) en amont du dépôt de projet et l'absence de partenaire associatif devra être justifiée dans le projet.