



## Appel à projets conjoint HUGO - Fondation maladies rares

### 'Recherche translationnelle & clinique dans les maladies rares'

#### **1. Contexte de l'appel à projets**

La Fondation maladies rares est une fondation de coopération scientifique, créée le 7 février 2012, qui a pour but de favoriser la conduite de projets de recherche et d'excellence scientifique, ainsi que le partage et la diffusion des connaissances dans le domaine des maladies rares.

La Fondation fédère au niveau national les communautés scientifiques reconnues dans ce domaine d'activité relevant notamment de ses fondateurs (AFM-Téléthon, Alliance Maladies Rares, Inserm, Conférence des Directeurs Généraux de CHU, Conférence des présidents d'université), afin de conduire une politique de recherche commune.

La Fondation a pour but d'apporter à ces communautés des moyens complémentaires dans le cadre d'une stratégie commune pour renforcer leur interactivité scientifique et leur rayonnement national et international leur permettant de favoriser la recherche translationnelle dans le domaine des maladies rares.

Elle contribue ainsi à mettre en lien les acteurs de la recherche et du soin :

- \* Décrypter les maladies rares pour :
  - o aider au diagnostic
  - o développer de nouveaux traitements
- \* Améliorer le parcours de vie des personnes malades ;

HUGO est un Groupement de Coopération Sanitaire créé en 2013 qui regroupe les 7 CHU et CHR (Angers, Brest, Nantes, Poitiers, Rennes, Tours et Orléans), le CH du Mans et l'Institut de Cancérologie de l'Ouest et porte la coopération hospitalo-universitaire de l'inter-région, pour améliorer la visibilité et la lisibilité nationale des activités de soins de recours, les résultats en matière de recherche clinique et d'innovation, la coopération dans le champ de l'enseignement.

Ses priorités sont les suivantes :

- \* Promouvoir les missions spécifiques des CHU-CHR dans les domaines des soins, de l'enseignement, de la recherche et de l'innovation ;
- \* Conforter le positionnement des CHU de l'inter-région Grand Ouest dans la compétition nationale et européenne ;
- \* Rechercher des financements complémentaires pour conduire des actions communes ;
- \* Développer les interactions avec des autres acteurs de l'inter-région ;
- \* Développer des infrastructures d'intérêt commun ;
- \* Conduire des actions de réflexion et de communication en vue de faire connaître les activités de ses membres et participer à l'élaboration des politiques publiques.

Au travers d'une convention de partenariat pluri-annuelle, signée le 16 décembre 2015, 6 établissements hospitaliers du GCS HUGO (Angers, Brest, Nantes, Rennes, Tours et Orléans) et la Fondation maladies rares ont convenu l'organisation d'un Appel à Projets (AAP) conjoint dont les modalités sont exposées ci-après.

## **2. Champ de l'appel à projets et objectifs**

L'appel à projets concerne toutes les maladies rares, à l'exception des cancers.

Une maladie est définie comme rare par la Commission européenne dès lors qu'elle touche moins de 1 personne sur 2 000. Ces maladies sont graves, souvent chroniques, et ne disposent généralement pas de traitements curatifs.

On décrit aujourd'hui plus de 7 000 maladies rares qui toucheraient 3 millions de français. Pourtant, moins de 300 traitements spécifiques sont disponibles pour prendre en charge ces malades.

Le concept de recherche translationnelle constitue dans le champ des maladies rares un lien et un moteur puissant entre la recherche fondamentale et la recherche clinique. Cette dernière étant guidée par un souci d'application directe au bénéfice des malades.

L'objectif principal du présent AAP est de soutenir des projets collaboratifs qui traiteront de questions scientifiques à l'interface entre recherche fondamentale et recherche clinique ayant pour objectif de transférer en clinique des approches innovantes (concepts innovants).

Seront privilégiés des projets stratégiques pour le **développement interrégional de la recherche translationnelle & clinique** dans le domaine des **maladies rares**. Un intérêt tout particulier sera porté aux projets de recherche qui impliqueront au moins 3 centres de 2 régions au moins, parmi les 6 signataires de la convention de partenariat mentionnée ci-dessus. Les partenaires extérieurs à l'inter-région sont autorisés, sous réserve que la compétence soit indispensable au projet et n'existe pas dans l'inter-région. La question du financement sera étudiée ultérieurement au regard des éléments fournis.

Cet appel à projets pourra donc financer des projets de recherche translationnelle (a) et des projets de développement clinique (b)

### **a. Projets de recherche translationnelle**

La recherche translationnelle en santé constitue une interface entre la recherche fondamentale et la recherche clinique. En lien avec la recherche clinique, elle est orientée vers les patients avec un souci d'application future directe ou en vue de développements ultérieurs.

L'objectif est de soutenir des recherches collaboratives concernant des questions scientifiques situées à l'interface entre la recherche exploratoire et la recherche clinique.

Les résultats des projets soutenus devront permettre la formulation de concepts innovants susceptibles d'être testés dans le cadre d'une recherche clinique.

Les projets doivent poursuivre un ou plusieurs des objectifs suivants (liste non-exhaustive) :

- contribuer à une meilleure connaissance et compréhension de l'histoire naturelle de la maladie
- optimiser un candidat médicament (études biophysiques, in silico, de pharmaco-cinétique, de formulation, de pharmaco-dynamie, de toxicologie)
- consolider des preuves de principes thérapeutiques, notamment par le biais d'explorations fonctionnelles, afin de démontrer l'efficacité, la sécurité, la tolérance ou la faisabilité d'approches thérapeutiques sur des modèles pertinents
- identifier de nouveaux marqueurs biologiques, cliniques, d'imagerie (marqueurs prédictifs de la gravité et de l'évolution de la maladie, nouvelle cible pour la thérapeutique)
- optimiser une technologie, un geste chirurgical, un dispositif médical et permettre ainsi de franchir des étapes nécessaires pour la définition et l'obtention de savoir-faire non disponibles et spécifiquement requis pour les études envisagées chez l'homme.

Le projet scientifique devra être clairement décrit, notamment sur la méthodologie, le calendrier, les éléments de suivi, d'évaluation et de valorisation.

#### **b. Projets de développement clinique**

Il s'agit de financer, en fonction de l'enveloppe disponible, tout ou partie de projets de recherche clinique pilotes dont l'objectif principal est :

- \* d'évaluer la **sécurité**, la **tolérance** ou la **faisabilité** de l'utilisation des **technologies de santé** chez l'Homme ;
- \* de mesurer l'**efficacité** des technologies de santé qui contribueront à l'obtention de **recommandations de fort grade**.

L'objectif de l'appel à projets suit les objectifs fixés par le Consortium international de recherche sur les maladies rares (IRDiRC). Les projets devront respecter les directives disponibles. <http://www.irdirc.org>

### **3. Modalités de participation**

*Durée des projets* : 2 ans maximum.

#### *Coordinateur du projet*

Pour chaque projet soumis, un coordinateur est désigné. Il est garant de la bonne conduite de l'étude, de la production des documents requis (rapports d'activité) auprès du Conseil d'Orientation Scientifique du GIRCI GO et de la Fondation maladies rares. Le responsable du projet doit appartenir à l'un des établissements signataire de la convention de partenariat ci-dessus mentionnée.

### Organisme gestionnaire

Pour chaque projet retenu et financé, l'établissement accueillant le coordinateur du projet perçoit les fonds pour le projet. Une convention entre la Fondation maladies rares et l'établissement est signée. La répartition des fonds entre établissements impliqués dans le projet se fait par convention entre l'établissement du coordinateur du projet et les autres établissements impliqués. L'organisme gestionnaire doit être l'un des établissements signataires de la convention de partenariat ci-dessus mentionnée.

### Promoteur

En matière de recherche clinique, l'établissement promoteur sera l'un des signataires de la convention de partenariat pluri-annuelle.

## **4. Critères d'éligibilité et procédure de sélection des projets**

Chaque dossier complet est composé du :

- \* *Projet scientifique argumenté avec calendrier détaillé (format doc) ;*
- \* *Lettres d'engagement des centres associés et les engagements écrits des co-financeurs (le cas échéant) (format PDF) ;*
- \* *Formulaire de budget du projet (format xls) ;*

### Procédure de sélection

– Sélection dossiers complets :

2 experts extérieurs + 2 rapporteurs (1 membre de la CES du GIRCI et 1 représentant scientifique désigné par la Fondation maladies rares)

### Critères d'éligibilité

- \* Le dossier complet comprend les documents requis et respecte les modalités de soumission ;
- \* Le projet porte sur une maladie rare ;
- \* Le budget ne dépasse pas 100 000 € ;
- \* L'établissement coordinateur est signataire de la convention de partenariat ;
- \* Le projet ne concerne pas la cancérologie ;
- \* A valeur scientifique égale, les projets qui impliqueront au moins 3 centres d'au moins 2 régions seront favorisés;

### **Critères de sélection :**

#### Dossier complet :

- \* **Pertinence et qualité scientifique** : description du projet et clarté des objectifs, pertinence du projet en réponse à un besoin clinique, intégration du projet dans le contexte de l'état de l'art, importance de la question de recherche, pertinence de la méthodologie, impact attendu
- \* **Faisabilité** : Expertise des partenaires et environnement scientifique du projet, solidité des données préliminaires et force du plan de recherche (méthodologie, calendrier, etc.), cohérence entre le dimensionnement du projet et les moyens associés, avantage compétitif dans un contexte national et international
- \* **Originalité et impact du projet** : originalité et potentiel d'innovation des approches scientifiques dans le contexte national et international, indications attendues des questions pour la poursuite du développement clinique, nouvelles perspectives et avantages thérapeutiques, insertion dans la pratique clinique (échéance, facilité), diversité des applications potentielles

- ✱ **Complémentarité et synergie des équipes associées (structuration interrégionale) :** participation scientifique et logistique de plusieurs centres de l'inter-région, implication scientifique d'un réseau de compétences de l'inter-région, nouvelle étape d'un projet financé par les appels d'offre antérieurs du GIRCI en 2011, 2013 et 2015.

## 5. Dispositions générales pour le financement

Le montant maximum est de 100 000 € par projet.

Les crédits seront versés directement à l'établissement coordinateur.

Les dépenses éligibles sont les dépenses de personnels non permanents (Titre 1 de la nomenclature comptable) et les dépenses de consommables (Titres 2 et 3 de la nomenclature comptable). Les dépenses non éligibles sont celles donnant lieu à un amortissement, au reversement à des prestataires industriels si les établissements de santé partenaires du projet disposent en leur sein des compétences et moyens nécessaires.

Le financement des projets retenus interviendra en 2 phases sur justificatif de dépenses :

Phase	Pourcentage de financement versé
Succès à l'AAP et notification	50%
Rapport de mi-parcours	50%

## 6. Modalités de soumission

La gestion opérationnelle de cet appel à projets est confiée à la coordination du GIRCI GO.

Tous les documents nécessaires à la soumission d'un projet au présent appel à projets peuvent être téléchargés sur les sites :

[www.girci-go.org](http://www.girci-go.org) et <http://www.fondation-maladiesrares.org>

Le coordonnateur dépose son projet à sa DRCI référente. Le GIRCI GO ne recevra pas de dossiers directement transmis par le coordinateur du projet.

Les DRCI transmettent par voie électronique à [i.ociepa@chu-tours.fr](mailto:i.ociepa@chu-tours.fr) sous format pdf :

- Au plus tard le 17/03/17 le dossier complet avec toutes ses annexes :

Le nom du fichier « Full proposal » transmis par courrier électronique est composé comme suit :

Ville de l'établissement\_NOM du porteur de projet\_AAPMR2016\_Full proposal.pdf

ex : TOURS\_DUPONT\_AAPMR2016\_Full proposal.doc

Le nom du fichier « Formulaire budget » transmis par courrier électronique est composé comme suit :

Ville de l'établissement \_NOM du porteur de projet\_AAPMR2016\_Budget.xls

ex : TOURS\_DUPONT\_AAPMR2016\_Budget.xls

Le nom du fichier « diaporama de présentation » transmis par courrier électronique est composé comme suit : Ville de

l'établissement \_NOM du porteur de projet\_AAPMR2016\_Presentation.ppt

ex : TOURS\_DUPONT\_AAPMR2016\_Presentation.ppt

**NB :** Tous les fichiers sont transmis simultanément dans le même courriel.

Le message électronique de la DRCI est accompagné du tableau comprenant les renseignements suivants :

Établissement	Nom et prénom du coordinateur du projet	Titre long du projet	Acronyme du projet	Budget du projet demandé (K€)
---------------	---	----------------------	--------------------	-------------------------------

## 7. Publication des résultats

La liste des projets retenus au financement sera publiée sur le site du GIRCI GO [www.girci-go.org](http://www.girci-go.org) et de la Fondation maladies rares <http://www.fondation-maladiesrares.org>. Chaque responsable de projet recevra une réponse écrite avec copie à la DRCI référente et/ou à la Direction d'établissement.

Toute action de communication ou publication faisant référence à un projet financé dans le cadre du présent appel à projets doit mentionner « soutenu par l'Appel à Projets 2016 HUGO - Fondation maladies rares ».

## 8. Calendrier de l'appel à projets

Lancement de l'appel à projets	4 Novembre 2016
Date limite réception des lettres d'intention	9 janvier 2017 à midi
Date limite réception des dossiers complets	17 mars 2017 à midi
Communication des résultats	juin 2017

## 9. Contacts

Pour toute information, la coordination du GIRCI Grand Ouest se tient à votre disposition :

**Ilona OCIEPA** [i.ociepa@chu-tours.fr](mailto:i.ociepa@chu-tours.fr) ☎ **02.18.37.08.71**

Informations, textes et documents à télécharger sur les sites :

[www.girci-go.org](http://www.girci-go.org) & <http://fondation-maladiesrares.org>