

## APPEL À PROJETS

« **Preuves de concept thérapeutiques innovantes dans les maladies rares** »  
*né de la volonté d'encourager la recherche translationnelle au sein des  
Filières de Santé Maladies Rares*

**Date limite de soumission des lettres d'intention : 13 avril 2023 17h CET**

### Contexte

On dénombre aujourd'hui plus de 7000 maladies rares qui, en France, touchent environ 3 millions de personnes dont 75% d'enfants. Une maladie est dite rare lorsqu'elle affecte moins d'une personne sur 2000. Les maladies rares ont une origine génétique dans 80% des cas et elles sont généralement sévères et lourdement handicapantes. À ce jour 95% des maladies rares sont sans traitement spécifique.

Compte tenu de la grande diversité des tissus et des organes affectés ainsi que des mécanismes pathologiques impliqués, la multiplication des approches thérapeutiques innovantes est une nécessité. Le développement clinique et la mise à disposition de nouveaux traitements pour les patients reposent notamment sur la qualité des preuves de concepts thérapeutiques.

**Dans ce contexte, l'AFM-Téléthon a la volonté de soutenir des projets de recherche innovants liés à la consolidation et la maturation de preuves de concepts thérapeutiques dans les maladies rares et s'est associée à la Fondation Maladies Rares pour la mise en place du présent appel à projet.**

L'AFM Téléthon est une association de malades et de parents de malades qui mène un combat sans relâche contre les maladies génétiques, rares, évolutives et invalidantes en soutenant la recherche et le développement de traitements innovants, en améliorant le quotidien des malades et en communiquant sur ces sujets notamment lors du Téléthon.

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. La Fondation Maladies Rares partage des objectifs communs avec l'AFM-Téléthon et vise à animer, coordonner et soutenir la recherche dans toutes les maladies rares.

L'objectif de cet appel à projets est de financer des **projets innovants de consolidation et de maturation de preuves de concepts thérapeutiques soutenus par des Filières de Santé Maladies Rares (FSMRs)** afin de faire émerger de nouveaux traitements pour un ou plusieurs groupes de maladies rares.

Les FSMRs sont des structures labellisées par le Ministère de la Santé et de la Recherche qui rassemblent et coordonnent un ensemble d'acteurs impliqués dans les maladies rares et leur prise en charge. Cet appel à projets s'inscrit dans l'axe 2 des missions et objectifs des FSMRs, fixés par le 3<sup>ème</sup> Plan National Maladies Rares, visant à coordonner la recherche fondamentale, translationnelle et clinique. Il offre une opportunité pour les FSMRs de recenser et de suivre des projets d'intérêts pour les thématiques qu'elles portent et d'identifier de nouvelles équipes de recherche travaillant sur leurs pathologies d'intérêts.

*Mots clés : maladies rares de l'enfant et de l'adulte, preuves de concepts thérapeutiques, innovation en santé, recherche translationnelle, filières de santé maladies rares.*

## Description du programme

Les projets devront formuler explicitement une question de recherche traitant des problématiques spécifiquement liées aux **maladies rares de l'enfant et/ou de l'adulte**. Cet appel à projets vise à soutenir des projets de recherche innovants de **consolidation et maturation de preuves de concept thérapeutiques** portées par des **chercheurs académiques en lien ou ayant la volonté de créer un lien avec une ou plusieurs FSMR(s)**.

La consolidation / maturation d'une preuve de concept thérapeutique se définit dans le cadre de cet appel à projets comme un projet consistant à déterminer si une idée de traitement peut devenir une réalité. Les projets proposés viseront à déterminer la faisabilité de la future thérapie par l'intermédiaire de tests pré-cliniques ou pré-réglementaires par exemple. Les projets de recherche focalisés sur la recherche d'une nouvelle voie ou cible thérapeutique ne seront pas considérés comme éligibles. Les projets de recherche fondamentale sont hors du champ d'application de cet appel à projets, le projet doit apporter la preuve de principe de l'efficacité d'un produit thérapeutique.

Une attention particulière sera portée aux projets permettant l'émergence d'une **thérapeutique transposable à plusieurs maladies rares**. Ainsi, chaque projet pourra être d'intérêt pour plusieurs FSMRs.

Par ailleurs, les projets collaboratifs impliquant au minimum deux équipes de recherche dont les thématiques relèvent d'une ou de plusieurs FSMRs seront privilégiés.

Les projets seront soutenus à hauteur de **100 k€ par an maximum** pour une durée maximale de **24 mois** (financement total de 200 k€ maximum).

Si un industriel est impliqué dans le projet, son degré d'implication devra être détaillé dans le projet (financement d'une partie de la recherche, prestation de service, MTA, partenariat, etc.) et notamment vis-à-vis de la propriété intellectuelle.

L'AFM-Téléthon est le financeur exclusif de cet appel à projets. La Fondation Maladies Rares est responsable de la mise en œuvre de cet appel à projets en collaboration avec l'AFM-Téléthon.

**Toutes les maladies rares sont éligibles à cet appel à projets à l'exception des cancers rares.**

## Instructions et directives

### Planning prévisionnel et soumission

La soumission des projets se fera en deux étapes avec soumission d'une lettre d'intention puis d'un dossier complet pour les projets sélectionnés. Les dossiers de candidature sont disponibles à l'adresse suivante : <https://fondation-maladiesrares.org/le-financement-des-projets-scientifiques>. Les candidatures doivent être envoyées par e-mail à [aap-bio@fondation-maladiesrares.com](mailto:aap-bio@fondation-maladiesrares.com) avec pour objet « AAP FSMR 2023 - nom du porteur de projet ». Les lettres d'intentions sont attendues avant le jeudi 13 avril 2023 à 17h heure de Paris. Une confirmation sera envoyée par retour de mail dans les 24h (jours ouvrés pris en compte uniquement).

Planning prévisionnel (sous réserve de modification) :

Lancement de l'appel à projets	16 février 2023
Date limite pour la soumission des lettres d'intention	13 avril 2023
Notification des résultats des lettres d'intention	Juin 2023
Date limite pour la soumission des dossiers complets	Septembre 2023
Notification des résultats finaux	Décembre 2023

Les lettres d'intentions seront évaluées par un comité de sélection composé de membres de l'AFM-Téléthon et du conseil scientifique de la Fondation Maladies Rares. Les dossiers complets seront évalués par au moins deux experts externes indépendants puis les lauréats seront sélectionnés par le comité de sélection. Un retour sera fait par e-mail au porteur de projet à chaque étape de sélection.

Les dossiers doivent être rédigés en langue anglaise.

### Critères d'éligibilité

Le porteur de projet doit être statutaire dans une équipe de recherche française, affiliée au secteur académique (universités, instituts de recherche, autres établissements d'enseignement supérieur) et/ou au secteur clinique / santé publique (hôpitaux / organismes de santé publique). Il devra consacrer au minimum 15% de son temps à la réalisation du projet.

Le projet doit démontrer son originalité, sa faisabilité et l'expertise des chercheurs impliqués et en particulier du porteur de projet dans le domaine.

Le porteur est invité à prendre contact avec le(s) coordonnateur(s) de la/les FSMR(s) dont dépend son projet lors du montage de celui-ci, pour s'assurer qu'il s'inscrit dans la stratégie de recherche de la/les FSMR(s) concernée(s).

Dans le cas où les porteurs de projets rencontreraient des difficultés à établir un contact avec les FSMRs, ils sont invités à contacter la Fondation Maladies Rares par e-mail à [aap-bio@fondation-maladiesrares.com](mailto:aap-bio@fondation-maladiesrares.com) avec pour objet « AAP FSMR 2023 - contact FSMR ».

Une liste des critères d'éligibilité ainsi que des critères d'évaluation au stade de la lettre d'intention sont disponibles en Annexe 1. Les critères d'évaluation utilisés au stade du dossier complet seront transmis ultérieurement aux porteurs de projets ayant été invités à soumettre un dossier complet.

## Financement

Les projets lauréats seront soutenus à hauteur de 100 k€ par an maximum pour une durée maximale de 24 mois.

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

**La présence d'un ou de plusieurs cofinancement(s) sur le projet représentera un critère favorable de sélection.** Si le cofinancement provient d'un industriel, des précisions doivent être apportées sur le niveau d'implication de cet industriel et la gestion de la propriété intellectuelle envisagée.

Une convention de recherche sera établie entre l'organisme gestionnaire du porteur de projet et la Fondation Maladies Rares. Il est à noter que le prélèvement de frais de gestion par les organismes gestionnaires n'est pas autorisé par la Fondation Maladies Rares.

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

Le versement des fonds se fera en deux étapes, le versement de la seconde tranche étant conditionné à la validation d'un rapport financier et scientifique.

## Resoumissions et projets déjà financés

Les projets soumis lors du précédent appel à projets mais non retenus sont considérés comme éligibles dans le cadre du présent appel à projets. Si des retours détaillés ont été faits lors du précédent appel à projets, les candidats sont invités à en tenir compte lors de la nouvelle soumission.

Les projets lauréats de l'appel à projets 2022 ne seront pas considérés comme éligibles dans le cadre du présent appel à projets.

## Suivi scientifique et financier

Les porteurs de projets lauréats s'engagent à fournir un rapport financier et scientifique avant la fin de la première année dont la qualité conditionnera le versement de la deuxième tranche du financement. Un rapport financier et scientifique de fin de projet ainsi qu'un résumé grand public devront être transmis dans les 6 mois suivant la fin de projet et pourra conditionner la candidature à d'autres appels à projets.

Il est attendu une valorisation des travaux effectués et des résultats obtenus à la fin du projet sous forme de communications et de publications scientifiques. Les porteurs de projets lauréats pourront être invités à présenter leurs résultats lors de journées scientifiques organisées par l'AFM-Téléthon ou la Fondation Maladies Rares.

## FAIR policy

En répondant à cet appel à projets, les candidats s'engagent à respecter les principes directeurs FAIR pour la gestion et l'intendance des données scientifiques : <https://www.nature.com/articles/sdata201618>.

## **Communication et politique de remerciement**

Les candidats acceptent que le titre des projets financés, le nom et l'affiliation du ou des chercheurs principaux puissent figurer sur les sites internet de l'AFM Téléthon et de la Fondation Maladies Rares.

Les lauréats de cet appel à projets s'engagent à mentionner l'AFM Téléthon et la Fondation Maladies Rares dans toutes les communications relatives au projet en tant que source de financement en utilisant les termes suivants : « AFM Téléthon » et « Fondation Maladies Rares » et / ou en utilisant le logo approprié (disponible sur demande).

Les références de la (des) publication(s) issues du présent appel à projets doivent être envoyées par e-mail à [aap-bio@fondation-maladiesrares.com](mailto:aap-bio@fondation-maladiesrares.com).

## **Contact**

Pour toute question relative à cet appel à projets, merci d'envoyer un e-mail à [aap-bio@fondation-maladiesrares.com](mailto:aap-bio@fondation-maladiesrares.com) en précisant « AAP FSMR 2023 » dans l'objet de votre e-mail.

## ANNEXE 1

### Liste des critères d'éligibilité

- Projet dans le champ des maladies rares
- Projet dans le champ d'application de l'appel à projets
- Projet d'intérêt pour une ou plusieurs FSMR(s)
- Consolidation ou maturation d'une preuve de concept thérapeutique
- Porteur de projet éligible (voir critères d'éligibilité)

### Liste des critères d'évaluation au stade de la lettre d'intention

#### Qualité scientifique

- Originalité de la question de recherche, clarté de la description et des objectifs du projet, justification du besoin médical
- Qualité de la recherche entreprise, solidité de la méthodologie utilisée
- Faisabilité

#### Pertinence du projet

- Clarté de la présentation et des objectifs du projet
- Raison d'être et justification du projet, degré d'innovation
- Qualité de l'équipe, complémentarité et synergie des équipes associées au projet

#### Impact du projet

- Potentiel thérapeutique, transférabilité des bénéfices
- Valorisation du projet, le cas échéant
- Démarches visant à assurer l'accès des patients aux bénéfices thérapeutiques (contact avec les partenaires industriels, etc.)