

## **GIS-Institut des maladies rares**

### **Appel d'offres 2003**

*Avec le soutien de l'AFM, l'INSERM et le Ministère de la Jeunesse, de l'Education Nationale et de la Recherche*

Le GIS-Institut des maladies rares lance en 2003 un appel d'offres annuel destiné au développement des recherches sur les maladies rares.

Le GIS souhaite :

1. poursuivre une politique de promotion de réseaux s'intéressant notamment à des pathologies rares qui ne font pas encore l'objet de recherche
2. amplifier l'effort de recherche à travers des projets collaboratifs innovants

#### **I. LES RESEAUX**

Seront particulièrement soutenus :

Les réseaux à approche pluridisciplinaire fondés sur la création de cohortes de patients et leur phénotypage, en s'appuyant sur la collection des échantillons biologiques nécessaires à la recherche. Les réseaux concernent un groupe de maladies voisines ou éventuellement une seule maladie si les questions posées le justifient.

L'objectif de ces réseaux est d'améliorer la description de l'histoire naturelle des pathologies étudiées, associée à un développement de projets de recherche sur la physiopathologie et éventuellement le traitement. Les questions de santé publique, psychologiques ou socio-économiques inhérentes à ces pathologies peuvent être également abordées.

Ce projet s'appuie sur des centres cliniques et des laboratoires de recherche ainsi que si nécessaire, sur des centres de ressources technologiques (génomiques, unités de méthodologie,...)

#### **II. LES PROJETS DE RECHERCHE COLLABORATIFS**

L'ensemble des aspects de la recherche sur les maladies rares peut faire l'objet d'une demande de soutien financier.

Toutefois les axes prioritaires suivants ont été retenus par le Conseil Scientifique du GIS :

1. Etude de nouvelles entités nosologiques,
2. Gènes modificateurs et épigénétique,

3. Génération et caractérisation de modèles animaux et/ou cellulaires, organismes modèles,
4. Cibles biologiques et criblage,
5. Expérimentations pré-cliniques utilisant les potentialités des cellules souches,
6. Investigations cliniques
7. Sciences humaines et sociales (voir document en annexe)

Les projets peuvent s'appuyer sur les centres de ressources technologiques et en particulier ceux avec lesquels le GIS a établi un partenariat : Clinique de la souris à Strasbourg et la plate forme de criblage de Strasbourg.

La durée de financement **des réseaux** sera de 2 ans au maximum. Le budget alloué pourra atteindre 40 kEuros par an. Il couvrira les frais de personnel, de fonctionnement et d'équipement nécessaires à la mise en place et l'animation du réseau.

Le financement direct de **projets collaboratifs** de recherche sera de 2 ans au maximum. Il est ouvert à tout réseau de recherche sur les maladies rares, qu'il soit nouvellement créé ou pré-existant, qu'il soit ou non financé dans le cadre de l'Appel d'Offres 2000 ou 2002. Le budget alloué pourra atteindre 80 kEuros par an.

Dans le cadre des projets de **recherche en sciences sociales**, le budget pourra servir en partie au financement sur 3 ans de bourses doctorales pour des étudiants en sciences humaines et sociales.

Les projets devront prendre en compte le respect des règles d'éthique et de qualité des procédures utilisées notamment dans la constitution et la gestion des bases de données.

Une prolongation du financement pourra être envisagé dans certains cas.

Les **critères d'évaluation** seront :

1. Adéquation avec l'appel d'offre
2. L'originalité et la faisabilité du projet, la plus value potentielle pour la prise en charge des maladies rares concernées
3. La qualité des équipes candidates,
4. L'existence éventuelle de collaborations européennes et internationales.

La procédure est identique pour un projet de réseau et un projet de recherche collaboratif.

La **date limite** d'envoi des dossiers est le 16 juin 2003. Les dossiers sont disponibles sur le site : <http://www.institutmaladiesrares.net>

Le Conseil Scientifique en s'aidant de l'avis d'experts extérieurs sélectionnera les réseaux et les projets de recherche retenus pour financement.

Un compte rendu d'activité sera demandé une année après réception du financement et à l'issue des 2 années.

## **Recherche en sciences humaines et sociales**

Le présent appel d'offres a également le souci de développer l'effort de recherche en sciences sociales autour des maladies rares en mobilisant des disciplines telles que la sociologie, l'économie, l'anthropologie, l'histoire des sciences ou encore le droit, etc. Les projets de recherche proposés pourront être envisagés à différents niveaux.

### **Société et maladies rares**

Ils pourront porter sur des questions telles que :

la perception sociale et les représentations collectives de ces maladies ou des risques génétiques, leurs diverses modalités de construction notamment à travers les médias ou encore les processus de stigmatisation potentiels et les réponses sociales qui y sont apportées ... ;

Par ailleurs pourraient être envisagés les problèmes d'équité soulevés par la prise en charge de ces maladies et les mécanismes nationaux de solidarité existants, et plus largement les questions éthiques qui s'y associent.

Dans cette optique, l'évaluation économique des traitements dans le cas des maladies pour lesquelles il existe des médicaments dotés d'une certaine efficacité mais encore très onéreux préfigurerait le développement prévisible d'un marché à venir.

### **Maladies rares, recherche et innovations**

Il s'agirait d'analyser les politiques de recherche mises en œuvre dans ce domaine, les modes de coopération scientifique entre les secteurs public et privé dans le développement de la génétique médicale, le rôle des associations de patients dans la définition des priorités de recherche, les pratiques d'expérimentation et la spécificité des essais thérapeutiques ou les modalités de transfert de technologie, les tensions entre enjeux industriels, droit des brevets et santé publique.

### **Maladies rares, pratiques de soins, prise en charge et expériences de la maladie**

Les projets pourront également concerner la compréhension des parcours individuels des patients et les questions liées à leur expérience et identité. On s'intéressera aussi à l'implication de l'entourage, à la fonction de support social des associations ...

De même on pourrait étudier les modes d'organisation des prises en charge médicales, les spécificités du travail médical dans des domaines d'incertitude forte, ou envisager des problèmes tels que les mécanismes de retard au diagnostic, les enjeux du dépistage et de la prédiction, les relations soignant-soigné et les pratiques de soin au quotidien entre recherche et clinique, ...

Les projets impliquant des collaborations entre chercheurs en sciences sociales et équipes cliniques sont particulièrement souhaités. Le GIS facilitera si nécessaire la prise de contact avec les équipes médicales. Les financements proposés pourront servir en partie au financement sur 3 ans de bourses doctorales pour des étudiants en sciences humaines et sociales.