

## Appel d'Offres GIS-Institut des Maladies Rares 2004

*Avec le soutien de l'AFM, l'Inserm, le Ministère de la Jeunesse, de l'Education Nationale et de la Recherche  
et la Direction générale de la santé*

Le GIS-Institut des maladies rares lance en 2004 un appel d'offres annuel destiné au développement des recherches sur les maladies rares.

Le GIS souhaite, dans le cadre de cet appel d'offres, promouvoir les axes de recherche suivant :

1. Mise en place de nouveaux réseaux et constitution de bases de données informatisées permettant la collecte sécurisée d'informations nécessaires à des fins de recherche
2. Projets à visée thérapeutique préclinique faisant notamment appel au développement de cibles biologiques, de modèles cellulaires ou animaux et au criblage de molécules. Le GIS souhaite également accompagner des projets entrant dans le cadre du partenariat établi avec l'industrie pharmaceutique (informations disponibles sur le site [www.erditi.org](http://www.erditi.org)).
3. Les projets de recherche en santé publique, épidémiologie, sociologie et économie de la santé en relation avec les maladies rares et les médicaments orphelins
4. Thème libre. Le GIS souhaite consacrer une partie de son aide à des projets ne recouvrant pas nécessairement les thèmes précédents. Seuls seront retenus les projets particulièrement innovants dans le cadre général des maladies rares.

### **I. Mise en place de nouveaux réseaux et constitution de bases de données informatisées permettant la collecte sécurisée d'informations nécessaires à des fins de recherche.**

L'étude des corrélations entre le phénotype et le génotype, la caractérisation de biomarqueurs spécifiques à une maladie ou à l'évolution de celle-ci, la réponse à un traitement donné implique la constitution de bases de données. Elles incluent de multiples critères notamment cliniques, radiologiques, morphologiques, biologiques etc.. qui feront l'objet d'un suivi. Le succès de cette recherche repose naturellement sur la qualité des données mais aussi sur une gestion performante des données recueillies, sur la capacité d'analyse multicritère, les capacités de stockage, d'interrogation à distance, la compatibilité des systèmes et, par conséquent, la structure informatique sous-jacente. Le GIS soutiendra tout projet d'excellence portant sur ces aspects dans le cadre des maladies rares.

Par ailleurs, le GIS souhaite également poursuivre sa politique de promotion de réseaux de recherche s'intéressant notamment à des entités cliniques qui ne font pas encore l'objet de recherche.

## **II. Projets à visée thérapeutique pré-clinique.**

Les stratégies de recherche thérapeutique sont multiples. Néanmoins, dans le cadre des maladies rares, certains volets sont moins développés dans les structures de recherche publique. C'est le cas notamment de la recherche faisant appel au criblage à moyenne ou à grande échelle de molécules. La génération de modèles cellulaires ou animaux se prêtant au criblage de molécules, l'identification et la caractérisation de cibles biologiques permettant ces criblages, le développement de systèmes innovants de criblage et la génération de banques de molécules chimiques ou biologiques pourront être soutenus. Le partenariat avec des plateformes (publiques ou privées) de criblage constituera une valeur ajoutée au projet. Le GIS souhaite également accompagner des projets entrant dans le cadre du partenariat établi avec l'industrie pharmaceutique (informations disponibles sur le site [www.erditi.org](http://www.erditi.org)).

## **III. Les projets de recherche en santé publique, épidémiologie, sociologie et économie de la santé.**

Le présent appel d'offres est destiné à soutenir l'effort de recherche en sciences épidémiologiques et 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, 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 ; l'impact des maladies rares sur le système de soin et de protection sociale et l'analyse des filières de soins.

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'analyse du coût des innovations dans le domaine du traitement des maladies rares et l'analyse des mécanismes sociaux de prise en charge de ces traitements serait particulièrement utiles dans une optique d'explicitation des choix sociaux.

### **Maladies rares, recherche, innovations et prises en charge**

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. Les projets pourront également s'intéresser aux modes d'organisation des prises en charge médicales en contexte de forte incertitude, à la compréhension des parcours individuels des patients et à l'implication de l'entourage.

Les projets impliquant des collaborations entre chercheurs en sciences sociales et épidémiologiques et équipes cliniques sont particulièrement souhaités. Le GIS facilitera si nécessaire la prise de contact avec les équipes médicales.

#### **IV. Thème libre.**

Le GIS pourra examiner les projets portant sur un thème ciblé (par exemple l'identification de nouvelles entités cliniques) ou transversal (développement méthodologique innovant, nouvelle conception de réseaux etc.).

---

---

Le budget alloué pourra atteindre 40 kEuros pour les réseaux, et 80 kEuros pour les projets collaboratifs. La durée de financement des projets pourra atteindre 2 ans sous réserve de la disponibilité du budget pour la deuxième année.

Dans le cadre des projets de recherche en sciences sociales, le budget pourra servir en partie au financement 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.

Les **critères d'évaluation** seront :

1. Adéquation avec l'appel d'offres,
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.

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

**Date limite d'envoi des dossiers : le 13 septembre 2004**

**Informations supplémentaires et dossiers sur le site :**

**<http://www.institutmaladiesrares.net>**