



ACCÉLÉRER LA RECHERCHE SUR TOUTES LES MALADIES RARES

L'ACCOMPAGNEMENT DES ASSOCIATIONS

Journée des associations Brain Team 2019
Lyne VALENTINO – Responsable scientifique
26/11/2019

- 1- La Fondation Maladies Rares
- 2- Soutenir la recherche
- 3- Focus sur: les ateliers de co-design

Document interne BRAIN-TEAM

SA GENESE :

- ✓ Fondation de coopération scientifique
- ✓ Créée dans le cadre du 2^{ème} Plan National Maladies Rares 2011-2016
- ✓ Née de la volonté conjointe de 5 acteurs impliqués dans la recherche et la prise en charge des maladies rares



1 MISSION

ACCÉLÉRER LA RECHERCHE POUR TOUTES LES MALADIES RARES

SES ACTIONS

1- Financement de projets de recherche

- *4 à 5 appels à projets thématiques par an*
- *Budget: 1 million d'Euros*

2- Conseil et accompagnement des équipes de recherche sur le terrain

- *7 responsables régionaux*

3- Conseil et accompagnement « personnalisé » des associations de patients

- *Depuis 2019*
- *33 associations*

SON POSITIONNEMENT

Recherche fondamentale

Mécanismes des
maladies
Identification de cibles
thérapeutiques

Rech. Préclinique

Interactions du candidat-
médicament avec un
organisme vivant
(activité, toxicité)

Recherche clinique

Etudes chez l'Homme
(essais cliniques)



BNDMR
Banque Nationale de Données
Maladies Rares



POURQUOI?

- ✓ 7000 à 8000 maladies rares
- ✓ 65% MR sont graves et invalidantes
- ✓ 3 millions de français concernés

- ✓ 80% d'origine génétique mais **1/3 de malades sans diagnostic**
- ✓ 95% de maladies **sans traitement curatif**



COMMENT?

Recherche fondamentale

Rech. Préclinique

Recherche clinique

8 à 10 ans en moyenne / Plusieurs millions d'Euros

Comment développer
un médicament?

Des modalités pour tous :

(patients / non patients / familles...)

- Financement
- Participation (essais cliniques, enquêtes...)
- Co-conception (questionnaires, dispositifs médicaux, e-santé...)
- Diffusion de l'information scientifique



ENJEUX DU FINANCEMENT pour les associations de patients

- Un **investissement** (indispensable)
- Importance de la sélection des projets soutenus (évaluation)
- Importance du suivi des projets soutenus (financier et scientifique)

INTERET DES APPELS A PROJETS

- Processus de sélection (choix)
- Doit être régi par des règles prédéfinies garantissant la **qualité du processus**

APPEL A PROJETS EN PRATIQUE



Intérêts

- Visibilité sur la recherche
- Gage de qualité

Freins

- Budget
- Processus long (suivi)

Pour en savoir plus:

- Webinaire sur Espace membre de l'Alliance Maladies Rares
- Fondation Maladies Rares

LA E-SANTÉ

DEVELOPPER DES SOLUTIONS INNOVANTES

À CHAQUE ÉTAPE DU PARCOURS DE SOINS ET DE VIE DES PATIENTS ET DE LEURS FAMILLES

- **Des nouveaux outils à chaque étape du parcours de soins et de vie**

Accès au diagnostic, à l'emploi, à l'école, aux centres-experts...

Education thérapeutique

Qualité de vie à domicile, à l'hôpital...

- **Une approche intégrative et collaborative** où chacun peut contribuer (*associations de malades, professionnels de santé, chercheurs*)



Un courant d'innovations incontournables
de la santé de demain et de la recherche biomédicale

LES ATELIERS DE CO-DESIGN DE LA FONDATION MALADIES RARES



POUR QUI ?

Tout acteur de terrain dans les maladies rares porteur d'un projet numérique

POUR QUOI ?

Accompagner et guider les premiers pas d'un projet de e-santé en rencontrant des experts thématiques selon ses besoins (technologique, réglementaire, gestion de projet, financement, etc.)

POUR QUELS PROJETS ?

Appli, objet connecté, télémédecine, plateforme interactive, outils de formation interactifs, simulation, IA, etc.

PROCHAINE EDITION

- Appel à candidature sur **dossier**
- Atelier organisé à **Lille (Juin 2020)**
- Coordinatrice:
Anne-Sophie Yribarren
anne-sophie.yribarren@fondation-maladiesrares.com
tél. : 06 62 14 43 28

MERCI

Document interne BRAIN-TEAM