



AGENCE NATIONALE DE LA RECHERCHE

APPEL A PROJETS 2006

**Programme Pluriannuel de Recherche sur
les Maladies Rares (MRAR)**

Date limite de dépôt des dossiers

Jeudi 6 Avril 2006

Date de publication : 10 Février 2006

Appel à projets 2006

L'Agence Nationale de la Recherche (ANR), associé à l'Association Française contre les Myopathies (AFM), lance un appel à projet (AAP) thématique dans le domaine des maladies rares. Cet AAP s'inscrit dans le fil des propositions du Plan National Maladies Rares. Sa mise en place et son suivi seront pris en charge par le groupement d'intérêt scientifique GIS-Institut des maladies rares.

Le très grand nombre, la faible prévalence (moins de 1/2000), ainsi que l'hétérogénéité des maladies rares rendent difficile le développement des recherches dans ce secteur. Il s'agit pourtant d'un domaine essentiel et compétitif, non seulement sous un angle de santé publique, mais aussi en termes de biologie humaine normale et pathologique, permettant le développement et l'innovation thérapeutiques.

Champ de l'appel à projets 2006

Deux objectifs stratégiques principaux seront soutenus :

- le soutien à des réseaux de recherche s'intéressant à des pathologies rares dont le/les déterminants moléculaires ne sont pas totalement identifiés, la finalité de recherche de ces projets devant être clairement établie.

- le soutien à des projets de recherche ambitieux et novateurs dans les domaines de la génétique, la physiopathologie, la modélisation, les approches thérapeutiques pré-cliniques et les sciences humaines et sociales.

Certains projets peuvent s'adresser simultanément aux deux axes stratégiques.

1 - Création et développement de réseaux de recherche

Les réseaux concernent un groupe de maladies rares voisines ou éventuellement une seule maladie.

Les réseaux devront afficher clairement leur programme de recherche. Les objectifs scientifiques seront volontiers multiples et pourront inclure les thèmes suivants :

- Définition de nouvelles entités nosologiques,
- Caractérisation épidémiologique : recueil des informations sur les maladies rares en termes d'incidence, de prévalence ou de distribution (âge, sexe, environnement, etc.),
- Caractérisation de l'histoire naturelle de la maladie, des facteurs prédictifs de l'expressivité variable, de la gravité ou de la survenue de complications. Sont incluses ici les études de corrélation génotype/phénotype,
- Analyses de ségrégation,
- Caractérisation des anomalies génétiques/moléculaires impliquées dans ces maladies.

Seront particulièrement soutenus les réseaux à approche pluridisciplinaire s'appuyant sur des cohortes de patients associées à la collection des échantillons biologiques nécessaires à la recherche.

Les réseaux et/ou projets s'appuient sur des centres cliniques, notamment les centres de référence labellisés, et des laboratoires de recherche ainsi que, si nécessaire, sur des centres de ressources technologiques (génopoles, unités de méthodologie...). Les liens éventuels avec des réseaux déjà constitués devront être précisés.

MRAR

La durée de financement sera de 2 ans au maximum. Le budget alloué pourra atteindre au maximum 120.000 euros sur 2 ans. Il pourra couvrir les frais de fonctionnement, d'équipement et de personnel nécessaires au fonctionnement du réseau et à la réalisation du programme de recherche.

2 - Projets de recherche sur les maladies rares

Il s'agit ici de donner une impulsion significative à des projets ambitieux et novateurs se positionnant favorablement dans la compétition internationale. L'ensemble des aspects de la recherche sur les maladies rares peut faire l'objet d'une demande. Toutefois, plusieurs objectifs prioritaires ont été retenus :

- Identification et caractérisation des bases moléculaires de maladies rares,
 - Physiopathologie moléculaire,
 - Effets épigénétiques,
 - Gènes modificateurs,
 - Reprogrammation moléculaire...
- Physiopathologie : ces projets peuvent faire appel à des outils et des disciplines multiples, génétique, biologie cellulaire et moléculaire, modèles cellulaires et animaux, protéome, transcriptome, imagerie *in vivo*...
- Recherches fondées sur des outils diagnostiques ou pronostiques novateurs appliqués aux maladies rares. Ces projets devront être basés sur des technologies innovantes et pourront se situer en interface avec d'autres disciplines.
- Projets à visée de recherche thérapeutique (à l'exclusion des essais cliniques) incluant l'identification et la caractérisation de cibles biologiques, le développement de systèmes innovants de criblage, la génération de modèles cellulaires ou animaux pertinents et la thérapie génique et cellulaire.
- Recherches en sciences humaines et sociales, et en santé publique. Les lignes de recherche privilégiées sont :
 - Société et maladies rares,
 - Maladies rares, recherche et innovation,
 - Pratiques de soins, prise en charge et expériences de la maladie, impact des handicaps liés aux maladies rares,
 - Recherches en épidémiologie, en génétique statistique, en modélisation utilisant des méthodes appropriées ou développées pour les maladies rares.

Éligibilité des projets

Les projets éligibles doivent :

- Respecter le champ de l'appel à projets.
- Emaner d'équipes individuelles ou en partenariat (réunissant de 1 à 4 partenaires ; un réseau clinique constituant un partenaire). Les partenaires peuvent être académiques ou issus du secteur privé.
- S'effectuer sur une période maximale de 4 ans (2 ans pour les réseaux).

MRAR

- Correspondre à des demandes de financement n'excédant pas 120.000 euros pour les réseaux et 600.000 euros pour les projets. Les dépassements resteront exceptionnels et devront être précisément argumentés.
- Avoir un porteur de projet impliqué au moins à 30% de son temps dans le projet.
- Etre mis en œuvre par un minimum de 2 équivalents temps plein (ETP) par projet (1 ETP pour les réseaux).
- Etre soumis avec un dossier complet et dans les délais impartis.

Critères d'évaluation et de sélection

En plus des critères d'éligibilité ci-dessus, seront examinés avec attention les critères suivants :

La qualité scientifique et technique du projet :

- Caractère novateur et ambitieux.
- Faisabilité du projet dans le temps proposé.
- Expériences ou validations préliminaires déjà réalisées.
- Pertinence méthodologique.
- Déroulement dans le temps, responsabilités de chaque intervenant et solutions alternatives proposées.
- Valorisation des résultats (si envisageable).

Le partenariat :

- Qualification et qualité des productions scientifiques évaluées en tenant compte de l'âge de chaque partenaire.
- Capacité des partenaires à mener le projet à son terme : expérience, compétences et environnement.
- Complémentarité et synergie des partenaires académiques et/ou privés attestées par les publications communes ou d'un contrat de collaboration antérieur, ou par tout autre élément d'appréciation spécifique et pertinent¹.

Procédure de sélection

La procédure suivra les étapes listées ci-dessous :

- Examen de la recevabilité (administrative et scientifique) par le comité d'évaluation. La recevabilité scientifique sera basée sur un minimum requis dans les items suivants : qualité scientifique, innovation, ambition, faisabilité et pertinence méthodologique du projet scientifique, et capacité de l'équipe porteuse à conduire le projet attestée par la qualification et les productions scientifiques de chaque partenaire ainsi que par la pertinence du partenariat proposé. Les projets non retenus à ce stade recevront une note explicative du comité d'évaluation.

¹ Pour un projet en partenariat public/privé, la labellisation du projet par un pôle de compétitivité est considérée comme un indicateur de qualité du partenariat. Cet indicateur sera pris en compte dans le cadre de la sélection par le comité de pilotage (cf § procédure de sélection). Il est rappelé qu'il n'est pas nécessaire que tous les partenaires d'un projet soient membres du pôle ou localisés dans sa région pour que ce projet puisse bénéficier du label de « projet de pôle ».

MRAR

- Expertise scientifique des projets recevables par au moins deux experts français ou étrangers (les projets auxquels participent des membres du comité d'évaluation et du comité de pilotage seront expertisés par 2 experts supplémentaires).
- Examen et classement des projets par le comité d'évaluation.
- Sélection des projets par le comité de pilotage.
- Etablissement de la liste des projets retenus et de la liste complémentaire par l'ANR (les structures supports feront parvenir aux porteurs de projets non sélectionnés une note explicative du comité d'évaluation et les commentaires des experts correspondants).
- Finalisation du dossier administratif et financier pour les projets retenus et les projets sur la liste complémentaire. En particulier une analyse financière des partenaires privés pourra être effectuée.
- Décision de financement par l'ANR.

Les compositions du comité d'évaluation et du comité de pilotage seront affichées sur le site de l'ANR.

Financement

Le financement attribué sera apporté sous forme d'aide non-remboursable. Cette aide peut non seulement financer des moyens matériels (fonctionnement, équipement), des missions, mais aussi permettre un recrutement sous un contrat à durée déterminée (CDD) de jeunes scientifiques postdoctorants, d'ingénieurs ou de techniciens. Les demandes de recrutement ne pourront en général pas excéder 72 mois de CDD équivalent-postdoctorant / projet et devront être dûment motivées. Dans certains cas et sur la base de l'excellence scientifique, des demandes d'équipements mi-lourds mutualisés pourront être considérés. L'ANR n'attribuera pas d'aide d'un montant inférieur à 20 k€ à un partenaire d'un projet. Pour les réseaux, le financement sera réparti au maximum sur 4 équipes du réseau.

Les aides allouées ne pourront être attribuées qu'à des partenaires résidant en France. Elles tiendront compte des projets en cours et des ressources déjà affectées par l'ANR ou par d'autres agences de moyen. A cet égard, l'ANR ne financera pas, au titre de cet AAP, plusieurs projets qui auraient le même coordinateur, ni un projet dont le coordinateur occuperait cette même fonction dans un projet financé au titre de l'AAP « Maladies rares » 2005 (MRAR-2005) de l'ANR. De plus, l'ANR ne financera pas des partenaires qui seraient présents, avec le même responsable scientifique, dans plus de deux projets financés au titre de cet AAP et de l'AAP MRAR-2005. Ainsi, un scientifique, responsable d'équipe, n'ayant reçu aucun financement de l'ANR dans le cadre de l'AAP MRAR-2005 pourra être financé au maximum pour 2 projets distincts en 2006 (dont au maximum 1 en tant que coordinateur); un scientifique, responsable d'équipe, déjà financé pour 1 projet en 2005 ne pourra être financé que pour un projet en 2006 ; enfin, un scientifique, responsable d'équipe, déjà financé pour 2 projets distincts en 2005 ne pourra pas être financé avant la fin d'au moins 1 des 2 projets.

Dispositions relatives aux « pôles de compétitivité » :

- Le porteur de projet pourra mentionner si le projet fait partie des projets labellisés (ou en cours de labellisation) par un pôle de compétitivité (ou par plusieurs, en cas de projet interpôle).
- Les partenaires d'un projet labellisé par un pôle de compétitivité et retenus par l'ANR dans le cadre de cet AAP pourront se voir attribuer un complément de financement par l'ANR.
 - Le porteur de projet devra fournir la ou les attestation(s) de labellisation signée(s) par un (des) représentant(s) habilité(s) de la structure de gouvernance du ou des pôle(s) concerné(s) accompagnée(s) d'une fiche résumé du projet (contenant au minimum le

MRAR

résumé du projet, le nom des partenaires, le montant total du projet et les financements demandés) visée par un(des) représentant(s) habilité(s) de la structure de gouvernance du(des) pôle(s) concerné(s).

- Ces documents devront être transmis en exemplaire original par courrier et courrier électronique à la structure support au plus tard deux mois après la clôture de l'appel (cachet de la poste faisant foi, pour le courrier).
- **Faute de réception de ces documents dans les délais indiqués, aucun complément de financement ne sera accordé.**

Le règlement relatif aux modalités d'attribution des aides de l'ANR est disponible sur le site de l'agence : <http://www.agence-nationale-recherche.fr/documents/reglementANR.pdf>. Pour les entreprises, associations, centres techniques et groupements d'intérêt économiques, le taux maximum d'aide de l'ANR est détaillé dans l'AAP « Recherche Innovation Biotechnologie » sur le site <http://www.agence-nationale-recherche.fr/AAPProjetsOuverts>.

Expertise et confidentialité

- Chaque porteur de projet pourra fournir une liste de 5 noms (maximum) d'experts français et étrangers (avec coordonnées jointes) susceptibles d'évaluer le projet. Il devra certifier sur l'honneur qu'il n'y a pas de lien d'intérêt direct entre ces experts et les partenaires du projet,
- Les porteurs de projets ont la possibilité de récuser certains experts scientifiques (liste à fournir) s'il y a risque de conflits d'intérêts (contrats en cours, confidentialité, propriété intellectuelle...),
- Les membres du comité d'évaluation et du comité de pilotage sont astreints à la confidentialité et au respect de la charte de déontologie de l'ANR.

Suivi des dossiers

Le suivi des projets, en fonction des jalons établis dans l'acte attributif de financement sera assuré, pour le compte de l'ANR, par le GIS-Institut des maladies rares.

Il comprendra :

- Des rapports semestriels concis permettant d'évaluer l'avancée du projet et d'identifier le cas échéant les problèmes rencontrés.
- Le rapport final devra permettre d'évaluer l'impact pour les partenaires du soutien apporté au projet, et mentionnera en particulier :
 - Les résultats obtenus par rapport aux objectifs initiaux.
 - La liste des publications, brevets et actes de valorisation correspondants.
 - L'émergence de solutions techniques innovantes.
 - Le positionnement du projet par rapport à la concurrence internationale.
 - Dans les cas des projets en partenariat académique / privé : la valorisation industrielle (création de propriété intellectuelle, accords, commercialisation, capitalisation, chiffre d'affaires, innovation en R&D), la création d'emplois (nombre, qualité, formations...), l'effet levier de l'aide de l'ANR sur le financement du projet.
- Une rencontre thématique au cours de laquelle les différents projets financés seront réunis et discutés.

MRAR

**Dossier Scientifique
à transmettre au plus tard**

le 6 Avril 2006

Soumission électronique : **limite de dépôt le 6 avril 2006 à 12h00**

Par courrier : **2 exemplaires papier à envoyer avant le 6 avril 2006** (cachet de la poste faisant foi) à l'adresse suivante:

**Sylvie Journot
GIS-Institut des maladies rares
Hôpital Broussais
102 rue Didot
75014 Paris**

**Les dossiers incomplets ne seront pas pris
en considération**

Pour toute information :

Sylvie Journot / Pascale Borensztein
01 58 14 22 81
sjournot@gis-maladiesrares.net