

## COMPLÉMENT D'INFORMATION

### DOMAINES ET THEMATIQUES DE RECHERCHE

Afin de faciliter l'instruction des dossiers et leur suivi global, les projets doivent être classés selon les domaines et thématiques suivants :

#### 1) Recherche Fondamentale (RF)

Travaux expérimentaux ayant comme principal objectif la compréhension de mécanismes, la mise en place de concepts ou de modèles explicatifs, et le développement de solutions thérapeutiques ou diagnostiques innovantes, utilisant des modèles *in vitro*, *in vivo* chez l'animal et/ou *in silico*.


- **Thématiques** : Fonctions de CFTR (dont les approches thérapeutiques), Génétique, Infection, Inflammation, Troubles digestifs, Pathologies associées, Thérapie cellulaire (en particulier cellules souches), Thérapie génique, Transplantation.

#### 2) Recherche Clinique (RC)

Études organisées et pratiquées sur l'être humain, sur des échantillons d'origine humaine ou sur des données cliniques, en vue du développement de solutions diagnostiques ou thérapeutiques.

- **Thématiques** : Atteinte pulmonaire, Epidémiologie, Fonctions de CFTR (dont les approches thérapeutiques), Génétique, Infection, Inflammation, Troubles digestifs/Nutrition, Pathologies associées, Transplantation.

Si un projet propose d'aborder également une dimension psychologique, sociale, éthique ou autre de la maladie, il est recommandé d'associer au minimum un professionnel de la discipline concernée.



- ✓ Une recherche basée sur une collection biologique prospective ou rétrospective (banque d'ADN, tissuthèque, etc.), sans besoin de collecte de données cliniques de patients, doit faire l'objet d'une demande en **recherche fondamentale**.
- ✓ Une recherche clinique prospective (interventionnelle ou non) impliquant les patients et qui entre dans le cadre de la loi Jardé doit faire l'objet d'une demande en **recherche clinique**.
- ✓ Une recherche réalisée uniquement sur des données cliniques existantes, doit faire l'objet d'une demande en **recherche clinique**

#### 3) Sciences Humaines et Sociales (SHS)

Les SHS rassemblent les études portant sur les dimensions psychologiques, sociales, anthropologiques, économiques, éthiques, etc., de la maladie, par des méthodologies qualitatives et/ou quantitatives, ayant comme objectifs une meilleure compréhension des effets de la maladie sur les sujets et leurs proches (famille, institutions d'éducation, de loisir, de soin) et à terme l'amélioration de leur qualité de vie.

- **Disciplines** : Anthropologie, Démographie, Economie, Psychologie, Psychiatrie, Sciences Politiques, Sociologie, STAPS, autre (à préciser).

##### Recommandations particulières pour les projets SHS :



- Dans le cas d'un projet **porté par un service hospitalier**, il est impératif d'associer au minimum un professionnel des disciplines du domaine SHS.
- Dans le cas d'un projet **porté par une équipe SHS** il est impératif d'associer au minimum un soignant spécialiste de la maladie.

Le Département Recherche est à votre disposition pour vous orienter vers des équipes *ad hoc* en SHS ou des services hospitaliers experts de la mucoviscidose.

### Projets RC et SHS



Le [Registre Français de la Mucoviscidose](#), géré par l'association, recueille chaque année des données de santé précises concernant les patients atteints de mucoviscidose. Pour 2018, une analyse détaillée de la situation de plus de 7000 patients sera bientôt disponible. Ce registre est une base indispensable pour les médecins mais également pour les chercheurs et elle doit être exploitée pour des projets de recherche au bénéfice final des patients.

Les porteurs de projets RC et SHS basés sur les données du [Registre Français de la Mucoviscidose](#), doivent en informer le comité de pilotage du Registre en amont du dépôt de la lettre d'intention et transmettre un résumé du projet à l'adresse : [registre@vaincrelamuco.org](mailto:registre@vaincrelamuco.org)

## PROCESSUS D'EXPERTISE

Les lettres d'intention ne concernent que les projets en RC et SHS.

- Les lettres d'intention sont examinées par le **Bureau des études cliniques et en SHS**, composé de parents, patients, experts en RC et SHS, dont certains membres du Conseil Scientifique (CS). L'analyse préalable des lettres d'intention a pour objectif d'obtenir une vision globale des sujets abordés et de transmettre aux porteurs de projet un premier aperçu de l'intérêt du projet pour les patients et une première évaluation de la faisabilité de l'étude, en tenant compte notamment de l'ensemble des essais cliniques en cours

Les dossiers complets font l'objet d'un processus d'expertise externe, puis d'une **évaluation par le CS**.

- L'expertise externe est assurée par des spécialistes du domaine, identifiés en fonction du sujet abordé par le projet parmi les experts de notre réseau (plus de 250).
- Chaque dossier est ensuite attribué à des rapporteurs « internes », membres du CS, spécialistes du domaine, qui ont accès aux expertises externes anonymisées.
- Enfin, les rapporteurs présentent le dossier devant le CS, réuni en session plénière. Chaque dossier fait l'objet d'une discussion, puis d'un vote à bulletin secret avec notation.
- La décision de sélectionner le dossier pour un financement (complet ou partiel) résulte de son classement final.

Sont mis à la disposition du CS lors de la session plénière :

- les recommandations fournies aux porteurs de projets suite à l'analyse des lettres d'intention en RC et SHS,
- les expertises précédentes et le rapport de séance du CS, dans le cas où le projet aurait déjà fait l'objet d'une soumission,
- les rapports d'activités, scientifiques et financiers, d'éventuels précédents financements.



Tous nos experts, internes et externes, s'engagent à la confidentialité la plus stricte concernant les dossiers, les expertises auxquelles ils ont accès et les discussions en session plénière du CS. Lors de l'attribution d'un dossier à un expert, interne ou externe, une déclaration d'intérêts est demandée. Le porteur de projet peut, s'il le souhaite, suggérer des noms d'experts qu'il juge compétents pour étudier son dossier, et signaler les personnes qu'il estime en conflit d'intérêts.

## COMMUNICATION DES RESULTATS DE L'APPEL A PROJETS

Après expertise des dossiers, le Conseil Scientifique (CS) présente ses recommandations au Comité Stratégique pour la Recherche, puis les soumet au Conseil d'Administration de Vaincre la Mucoviscidose. Suite aux décisions de ce dernier, les résultats seront communiqués aux porteurs de projets principaux uniquement en juillet 2021 via un email comprenant une notification écrite, accompagnée du rapport de la séance plénière du CS concernant le projet.

## COMPOSITION DU CONSEIL SCIENTIFIQUE

Le Conseil Scientifique (CS) de Vaincre la Mucoviscidose est l'instance d'expertise scientifique au service du Conseil d'Administration (CA) de l'association, lui permettant de dynamiser l'action de recherche et d'accélérer le transfert des découvertes scientifiques vers la mise en œuvre de thérapies visant à réduire les symptômes et à guérir la maladie. Il est composé de 30 experts au maximum, issus de tous les domaines de la recherche.

La représentation des différentes disciplines tient compte de la stratégie de l'association en termes de soutien à la recherche. Les membres du CS se réunissent une fois par an en session plénière pour expertiser les dossiers reçus dans le cadre de l'Appel à projets scientifiques.

Le CS est renouvelé par tiers tous les deux ans. La liste des membres est disponible sur le site de l'association : [vaincrelamuco.org](http://vaincrelamuco.org)