

COMPLÉMENT D'INFORMATION

Domaines et Thématiques 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

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, Génétique, Infection, Inflammation, Troubles digestifs, Pathologies Associées, Thérapie Cellulaire (en particulier cellules souches), Thérapie Génique, Transplantation.
- **Pseudomonas aeruginosa** : Les projets de recherche fondamentale (RF) portant sur *Pseudomonas aeruginosa* ne sont pas recevables cette année, à l'exception des projets de microbiologie médicale et des projets dans la continuité de ceux déjà soutenus ces 3 dernières années. Les porteurs de tels projets devront soumettre une lettre d'intention, dont l'analyse permettra de confirmer l'éventuelle éligibilité du projet.

2) Recherche Clinique

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 innovantes

- **Thématiques** : Atteinte pulmonaire, Epidémiologie, Fonctions de CFTR, Génétique, Infection, Inflammation, Troubles digestifs/Nutrition, Pathologies Associées, Transplantation.

Si un projet propose d'aborder 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) SHS

Études portant sur les dimensions psychologiques, sociales, anthropologiques, économiques, éthiques... 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, des soins) et les conditions d'évaluation et d'amélioration de la qualité de vie des malades et de leurs proches.

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

Si un projet en SHS est porté par un service hospitalier, il est recommandé d'associer au minimum un professionnel des disciplines du domaine SHS.

Si un projet en SHS est porté par une équipe SHS n'ayant pas d'expérience de travail dans la mucoviscidose, il est recommandé d'associer au minimum un soignant spécialiste de la maladie.

Projets en RC et SHS

Pour les projets basés sur les données du Registre français de la mucoviscidose, le comité de pilotage du Registre devra être informé en amont du dépôt de la lettre d'intention. Un résumé du projet devra être envoyé à l'adresse : registre@vaincrelamuco.org

Processus d'expertise

Les lettres d'intention

- ✓ Pour les projets en recherche clinique et en sciences humaines et sociales, les lettres d'intention sont examinées par le **Bureau des études cliniques et des études en SHS**, composé de parents, patients, experts en RC et SHS, dont certains membres du 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 en France.
- ✓ Pour les projets traitant de *Pseudomonas aeruginosa*, les lettres d'intention sont examinées par le **Bureau des Etudes concernant l'Infection et l'Inflammation (BE2I)**, composé de membres du Conseil Scientifique de Vaincre la Mucoviscidose, experts des domaines de l'Infection et de l'Inflammation. L'objectif est d'avoir une vision globale des projets reçus concernant *Pseudomonas aeruginosa*, de valider leur recevabilité et d'émettre des recommandations – si nécessaire – concernant la mise en place de ces projets et éventuellement guider les porteurs vers des collaborations susceptibles de servir les projets.

Les dossiers complets font l'objet d'un processus d'expertise externe, puis d'une analyse par le **Conseil Scientifique (CS)** de Vaincre la Mucoviscidose.

Les recommandations fournies aux porteurs de projets suite à l'analyse des lettres d'intention sont à la disposition du CS lors de la discussion finale du projet en réunion plénière, de même que les expertises précédentes, si le projet a déjà fait l'objet d'une soumission dans le cadre de l'Appel à Projets de Vaincre la Mucoviscidose.

Tous nos experts s'engagent à la confidentialité la plus stricte concernant les dossiers, les expertises auxquelles ils ont accès et les discussions en session plénière. Lors de l'attribution d'un dossier à un expert externe ou membre du CS, une déclaration de conflit d'intérêt 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 aussi les noms des personnes qu'il estime en conflit d'intérêt.

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 un ou deux rapporteurs « internes » (2, en cas de montant supérieur à 100 000 €), membres du CS et spécialistes du domaine, qui ont accès aux expertises externes anonymisées. Enfin, le ou les rapporteur(s) interne(s) présente(nt) 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 finale de retenir ou pas le dossier pour un financement (complet ou partiel) résulte de son classement final.

Communication des résultats de l'appel à projets

Après expertise des dossiers, le CS présente ses recommandations au Comité Stratégique pour la Recherche (CSR), puis les soumet au Conseil d'Administration de l'association. Suite aux décisions de ce dernier, les résultats seront communiqués aux porteurs de projets en juillet 2019 par une notification écrite, accompagnée du rapport de la séance plénière du CS concernant le projet.

Composition du Conseil Scientifique

Le Conseil Scientifique de Vaincre la Mucoviscidose est l'instance d'expertise scientifique au service du Conseil d'Administration de l'association, lui permettant de dynamiser l'action de recherche et d'accélérer le transfert des découvertes scientifiques vers la mise en œuvre des thérapies visant à réduire les symptômes et à guérir la maladie. Il est composée 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. Leur avis sur le financement des projets est transmis au Comité Stratégique pour la Recherche et puis au Conseil d'Administration de l'association qui prend les décisions finales.

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