

RECOMMANDATIONS DU COMITE STRATEGIQUE POUR LA RECHERCHE

Le Comité Stratégique pour la Recherche (CSR) réaffirme son intérêt pour tout projet susceptible d'améliorer la lutte contre la mucoviscidose, qu'il soit en recherche fondamentale, clinique, ou en sciences humaines et sociales tout en encourageant la soumission de projets sur plusieurs thématiques actuelles qui ont plus particulièrement retenu son attention.

Dans le cadre du plan stratégique de l'association et en tenant compte du contexte actuel de la recherche en mucoviscidose, et notamment de l'accès aux nouveaux traitements modulateurs de CFTR, les membres du CSR encouragent fortement les chercheurs à soumettre à l'AP2022 des projets portant sur les thématiques suivantes (les autres sujets d'intérêt dans la mucoviscidose n'étant pas exclus) :

1. **Nouvelles approches thérapeutiques applicables à des patients ayant un profil génétique non ciblé par les modulateurs de CFTR** : environ 15% des patients français ;
2. **Nouvelles approches thérapeutiques applicables à l'ensemble des patients** : repenser la thérapie génique à l'ère des modulateurs, autres approches innovantes, hors modulateurs de CFTR (ex. : canaux alternatifs, édition de l'ARN, ...) ;
3. **Greffe et problématiques spécifiques aux patients transplantés** : la greffe reste une approche thérapeutique vitale pour certains patients et des progrès doivent encore être réalisés (ex. : rejet chronique, conditions d'utilisation des modulateurs de CFTR chez les patients transplantés, ...) ;
4. **Problématiques émergentes et comorbidités** : effets indésirables des traitements, pathologies associées au vieillissement des malades, aspects psychologiques nouveaux associés aux modulateurs, observance aux traitements ;
5. **Symptomatologies respiratoire, digestive et inflammatoire** : nouveaux traitements, traitements à optimiser, impact des modulateurs ;
6. **Thérapies réparatrices** : pistes de reconstitution de l'épithélium respiratoire/digestif ;
7. **Diagnostic anténatal** : amélioration des stratégies de prise en charge pour toutes les familles (nouvelles techniques de séquençage, diagnostic anténatal non invasif...).

Le Registre Français de la mucoviscidose comme outil de recherche :

Par ailleurs, **le CSR encourage fortement les chercheurs à proposer des projets exploitant les données du Registre Français de la mucoviscidose.**

Le Registre Français de la mucoviscidose collecte des données annuelles des patients (démographiques, cliniques, sociales, microbiologiques...) depuis 1992. Les données du registre sont mises à disposition des médecins, mais également des chercheurs et elles doivent être exploitées pour des projets de recherche au bénéfice final des patients.

Il est également possible d'y intégrer des études multicentriques, comme c'est déjà le cas pour plusieurs projets académiques (étude CiMENT, cohorte Kaftrio®, Observatoire Cepacia...).

Dans le cadre d'un dépôt à l'AP2022, veuillez contacter l'équipe Registre de l'association en amont de l'envoi de la lettre d'intention afin de vérifier la faisabilité de votre projet.

Pour en savoir plus :

- Site du registre : www.registredelamuco.org
- Pour accéder à la liste des publications issues du registre [cliquez ici](#)
- Contact : registre@vaincrelamuco.org

Nouveau : un dispositif complémentaire à l'Appel à Projets

Afin de développer les collaborations entre les équipes travaillant sur des projets pouvant s'adresser aux patients à ce jour non éligibles aux modulateurs de CFTR et aux patients greffés, l'association propose la mise en place d'un nouveau dispositif de financement, s'appuyant sur l'AP annuel. **Des équipes impliquées dans des projets qui auront été financés dans le cadre de l'AP2022 seront invitées à échanger afin de pouvoir construire et proposer un complément de projet collaboratif.** Plusieurs projets pourront ainsi aller au-delà de leurs objectifs initiaux, en se structurant dans le cadre d'un noyau de collaborateurs associés qui pourront alors disposer de moyens supplémentaires. Le ou les projets seront soumis à l'association qui procédera à leur évaluation scientifique au 2^{ème} semestre 2022, selon des modalités qui seront détaillées ultérieurement. Une enveloppe exceptionnelle pouvant atteindre 1M d'euros sera réservée à ce dispositif. L'association démontre ainsi sa volonté forte d'accélérer les travaux pouvant bénéficier aux patients aujourd'hui non concernés par les modulateurs de CFTR, en structurant autour de projets ambitieux et originaux les forces vives validées par le Conseil Scientifique.