



Filière des maladies rares endocriniennes

2^{ème} Journée Annuelle de la filière FIRENDO

Recherche en France et en Europe

GT#6 et GT#9

17 décembre 2015

**Anne-Paule GIMENEZ-ROQUEPLO
et Marc LOMBES**

Groupes de travail GT#6 et GT#9



Mission du Groupe de travail GT# 6

Liens avec la recherche fondamentale, translationnelle et clinique

- 1- Lister **un état des lieux** de tous les laboratoires de Recherche, des PHRC et des projets à financements institutionnels
- 2- Participer à la **veille scientifique** pour alimenter les site interne de la filière
- 3- **Identifier les appels à projets nationaux** et stimuler les acteurs de recherche de la filière à y répondre
- 4- Etudier la possibilité **de mise en commun des données** (entrées CeMaRa, cohortes RaDiCo, résultats NGS) pour identifier les nouveaux gènes liés à des phénotypes rares
- 5- **Promouvoir la recherche** sur les maladies endocriniennes rares

Groupe de travail 6

Les membres du GT#6

AMSELEM Serge (Université/CNRS/INSERM)

BACHELOT Anne (CRMERC)

BARLIER Anne (LD Marseille)

CAILLEUX Anne-Françoise (CC Rouen)

CLAUSER Eric (LD Cochin)

DE ROUX Nicolas (LD Debré, CR MERC)

LOMBES Marc (Université/CNRS/INSERM)

MARTINEZ Antoine (Université/CNRS/INSERM)

NUNES Marie-Laure (CC Bordeaux)

Mission du Groupe de travail GT#9

Liens avec les actions et les programmes européens

Axe 1. Répertorier les programmes de recherche et de soins internationaux en cours et évaluer les nouvelles « tendances». **1^{er} semestre 2015**

Axe 2. Aider à identifier les appels à projets européens et stimuler les acteurs de recherche de la filière à y répondre.

Axe 3. Participer au développement des Réseaux Européens de Référence (RER) et à la réflexion sur comment définir les **Centers of Excellence** pour la prise en charge de maladies rares endocriniennes au niveau Européen.

Groupe de travail 9

Les membres du GT#9

BOUVATTIER Claire (CR DSD, Hôpital Bicêtre, Le Kremlin Bicêtre)

BRIOUDE Frédéric (CR MERC, Hôpital Trousseau, Paris)

CASTANET Mireille (CC Rouen)

DULON Jérôme (CR MERC, CR MGR Hôpital Pitié, Paris)

GENNERO Isabelle (LD Toulouse)

GIMENEZ-ROQUEPLO Anne-Paule (Université/CNRS/INSERM)

SAVAGNER Frédérique (CC Toulouse)

Groupe de travail GT#6

Calendrier

- 1- Etat de lieux laboratoires de recherche, PHRC et des projets à financements institutionnels. 1^{er} semestre 2015**
- 2- Veille scientifique pour alimenter le site internet de la filière. 2^{eme} semestre 2015 et 2016**
- 3- Identifier les appels à projets nationaux et stimuler les acteurs de recherche de la filière à y répondre. 2015 et 2016**
- 4- Mise en commun des données (CeMaRa, RaDiCo, NGS) pour identifier les nouveaux gènes liées à des phénotypes rares. 2^{eme} semestre 2015 et 2016**
- 5- Promouvoir la recherche sur les maladies rares endocriniennes. 2^{eme} semestre 2015 et 2016**

Groupe de travail GT#6

Critères d'évaluation

Compte-rendu et rapport du groupe de travail.

Nombre de réunions/échanges (présentielle/en ligne) organisées et nombre de participants actifs.

Nombre de projets de recherche clinique /PHRC nouvellement engagés.

Nombre de publications en collaboration réalisées grâce à FIRENDO (mention dans les remerciements et/ou affiliations).

Nombre de lauréats aux appels à projets nationaux.

Nombre de nouveaux projets de cohortes soumis.

Nombre d'essais thérapeutiques randomisés nouvellement contractés.

Groupe de travail GT#9

Critères d'évaluation

- Qualité du **rapport annuel** du groupe de travail.
- Nombre d'**échanges** (en présentiel ou par audioconférence) organisés
- Nombre de **participants actifs**
- Nombre de **projets de recherche internationaux nouvellement engagés.**
- Nombre de **publications en collaborations réalisées grâce à FIRENDO** (mention dans les remerciements).
- Nombre de **lauréats aux appels à projets européens**
- Nombre de CR et CC de FIRENDO reconnus dans les réseaux européens.

Groupe de travail GT#6

Actions

- * **Première Réunion présentielle du GT#6 le 13 Mai 2015**
(5 participants actifs sur 9 dont 3 excusés)
- * **Compte-rendu du groupe de travail**
 - Interrogation sur le sens des missions, endocrinologie d'abord
 - Redondance d'actions et de missions avec CSP SFE, GT#9
 - Listing incomplet mais existant des laboratoires de Recherche, PHRC, ANR
 - Listing évidemment perfectible
 - Newletters, identification d'un représentant Recherche dans les CR Up/Down
 - mise en commun des données GT#5
- * **Réunion Collège de Direction de la filière le 28 Mai 2015**
(ML représentant du GT#6)
- * **Réunion Téléphonique avec le GT#9 le 8 Septembre 2015**
(ML représentant du GT#6)
- * **Réunion Collège de Direction de la filière le 7 Octobre 2015**
(AM représentant du GT#6)
- * **Réunion Commune GT#6 et GT#9 le 17 décembre 2015**

Groupe de travail GT#9

Actions

- Réunion téléphonique (JB, MG, APGR, MC) le 19 Mars
- Réunion bipartite (APGR, MC) le 31 Mars
- 1^{ère} réunion du GT#9 (présentielle) le 12 Mai (6 participants /7)
- 2^{ème} réunion du GT#9 (téléphonique) le 8 Septembre (5/7 + ML)
- 3^{ème} réunion (présentielle commune avec le GT#6) le 17 Décembre

Chers Collègues, Chers Amis,

*Dans la cadre de **la filière FIRENDO**, en tant que groupe de travail chargé des actions et programmes européens, il nous a été demandé de faire le **recensement des études internationales** en cours dans les différents services et laboratoires affiliés à FIRENDO. Cet état des lieux est urgent et doit être fini à la fin du mois de mai. Vous trouverez ci-joint le listing qui avait été établi lors du dépôt du dossier.*

La première page concerne la recherche Européenne, merci de vérifier qu'il est complet pour votre équipe, ou si ce n'est pas le cas, de rajouter vos nouvelles études ou études manquantes en rouge et de nous le renvoyer par retour de mail.

En vous remerciant par avance pour votre collaboration

Bien Cordialement

Anne Paule Gimenez-Roqueplo et Mireille Castanet

Groupe de travail GT#6 & GT#9

Recensement

- * Une vingtaine de laboratoires de Recherche EPST (Inserm, CNRS, Universités)**
- * Une vingtaine de programmes ANR (depuis 2008)**
- * Une trentaine de programmes PHRC (depuis 2008)**
- * Une dizaine de projets de Recherche à financement associatifs**
- * Une vingtaine d'essais thérapeutiques (France, Europe?)**
- * Recensement nécessaire plus précis des essais thérapeutiques**
- * International: 16 projets de recherche (5 FP7, 1 H2020) 6 essais thérapeutiques, 10 réseaux de recherche (4 COST)**

Conclusion du Groupe de travail GT# 6

Liens avec la recherche fondamentale, translationnelle et clinique

- 1- Amélioration de l'état des lieux Labo, ANR, PHRC, Essais thérapeutiques**
- 2- Essais thérapeutiques. Chaque centre pourra proposer une plateforme pour les essais thérapeutiques en lien avec les CIC locaux, et proposer des lieux d'inclusion répartis sur l'ensemble du territoire.**
- 3- Utilisation des outils de génomique NGS pour identifier de nouveaux gènes impliqués dans les MR de la filière. La mise en commun des données (CEMARA et cohorte RaDiCo), permettra d'identifier des phénotypes rares récurrents grâce au phénotypage fin et la mise en commun extrêmement rapide des cohortes.**
- 4- Renforcer la visibilité de la recherche : Bras armé de l'avancement FIRENDO**
 - Identifier UN contact Recherche dans chaque CR (2 sur 17)**
 - Etablir UN listing des modèles cellulaires animaux expérimentaux de MRE**
 - AO incitatifs pour projets/échanges entre CR et Unités de Recherche**
- 5- Constitution de projets Européens**
- 6- Participation renforcée des acteurs**

Conclusion du Groupe de travail GT# 9

1- Site Web est un préalable indispensable aux missions d'information et de stimulation des acteurs de la recherche de la filière.

2. Mission « Réseaux Européens d'excellence » en attente du lancement de l'appel d'offre, cf informations données par Jérôme Bertherat

3- Identifier un représentant « Recherche » dans chacun des centres de références affiliés à FIRENDO afin de faciliter et de garantir l'exhaustivité des recensements annuels.

Ce représentant pourrait faire descendre/remonter les informations sur les forces de recherche, nouveaux appels d'offre, nouveaux financements obtenus, nouvelles publications, etc... Il pourrait se faire aider par des interlocuteurs situés dans les centres de compétence rattachés au CR

**4- Missions communes avec le GT#6 au niveau international.
Rassembler les forces et éviter les actions redondantes**

Réunion GT#6/GT#9: collaboration étroite, actions communes...