

#LE SAVIEZ-VOUS ?

Di-T-CAP



UN DÉFI POUR VAINCRE LA MUCOVISCIDOSE

CHIFFRES CLÉS

Financement de

1 million d'euros

par an* en complément de l'appel à projets scientifiques annuel.

2 consortia

pour réaliser des projets de recherche ambitieux et innovants.

Soutien de l'association pendant 3 ans des 2 projets de recherche ciblant les patients ne bénéficiant pas des traitements innovants actuels.

Di-T-CAP, UN DÉFI POUR LA RECHERCHE EN MUCOVISCIDOSE

Si les modulateurs de CFTR, en particulier Kaftrio, ont radicalement changé la prise en charge de la mucoviscidose pour la majorité des personnes touchées par la maladie, certains patients ne pourront jamais en tirer bénéfice.

Il était donc urgent pour Vaincre la Mucoviscidose de donner un coup d'accélérateur à la recherche pour ces patients.

*Le financement dédié à Di-T-CAP s'élève à hauteur de 3 millions, soit 1 million par an pendant 3 ans. Le financement a débuté en 2023.

UN NOUVEAU DISPOSITIF POUR ACCÉLÉRER LES RECHERCHES

Pour répondre au mieux aux besoins des patients et apporter des solutions thérapeutiques à tous, l'association a annoncé à l'automne 2021 la mise en place d'un nouvel outil de soutien à la recherche en sus de l'appel à projets scientifiques 2022 (AP2022)*.

En le baptisant « Di-T-CAP » (Dis t'es cap ?), Vaincre la Mucoviscidose a lancé un défi aux chercheurs afin d'impulser de nouveaux projets de recherche à destination des patients qui ne peuvent pas bénéficier des modulateurs de CFTR.

La spécificité de ce dispositif réside dans le fait que les chercheurs ne proposent pas leur projet dans le cadre d'un appel à projets, mais répondent à une commande spécifique de l'association, qui les accompagne tout au long de son déroulement. Pour cela, l'association s'est engagée à mobiliser jusqu'à 1 million d'euros par an pendant 3 ans.

Di-T-CAP

« Dis t'es cap ? »

Dispositif de financement de la recherche, en complément de l'appel à projets (AP) scientifiques.



*AP2022

Chaque année, les chercheurs peuvent soumettre une demande de financement de leur projet de recherche dans le cadre de l'appel à projets scientifiques.

L'association finance ainsi chaque année une cinquantaine de projets pour une enveloppe totale annuelle de 2 à 3 millions d'euros.

CRÉATION DE DEUX CONSORTIA

POUR RÉPONDRE AUX BESOINS DE DEUX POPULATIONS DE PATIENTS

Fabrice Lejeune et Antoine Roux, identifiés par le Comité stratégique de la recherche (CSR), à la suite des propositions issues des discussions du Conseil scientifique (CS) dans le cadre de l'AP2022, ont ainsi reçu chacun une lettre de mission en juillet 2022 pour piloter la structuration d'un consortium d'équipes capables d'élaborer un projet de recherche ambitieux et innovant pour répondre aux besoins de deux populations de patients :



Les patients porteurs de profils génétiques rares

pour lesquels les modulateurs de CFTR sont inefficaces, en raison de l'absence de production de la protéine CFTR.

Consortium élaboré et piloté par Fabrice Lejeune :
chercheur à l'institut OncoLille et au laboratoire Canther à Lille.

Consortium élaboré et piloté par Antoine Roux :

médecin pneumologue au service de pneumologie de l'hôpital Foch de Suresnes.

Les patients transplantés pulmonaires

qui ne peuvent pas bénéficier des modulateurs de CFTR (sauf cas exceptionnel), en raison des interactions médicamenteuses avec les médicaments anti-rejet.



LES DIFFÉRENTES ÉTAPES

Dès le mois de juillet 2022, l'élaboration des consortia et la construction des projets ont pu démarrer.

Chaque projet a été évalué de façon rigoureuse par des experts internationaux indépendants ainsi que par un Comité de suivi qui a émis un avis à destination du Conseil d'administration de Vaincre la Mucoviscidose. La pertinence, l'ambition et la qualité scientifique des deux projets ont été saluées. Les projets ont enfin été présentés devant le Conseil d'administration par le porteur du projet et le pôle recherche afin d'obtenir son aval pour le démarrage du projet et l'attribution des fonds.

LES CONSORTIA ONT PARFAITEMENT RÉPONDU À LA DEMANDE INITIALE DE L'ASSOCIATION AVEC DES PROJETS PERTINENTS, AMBITIEUX ET D'INTÉRÊT MAJEUR.



Le Conseil d'administration a donc décidé de soutenir pour la première année les deux consortia. Le financement pourra être renouvelé deux fois, sous conditions, pour que les porteurs de projets puissent disposer d'une durée totale de trois ans de financement.

FÉVRIER 2023
Lancement du consortium "CFTR"

OCTOBRE 2023
Lancement du consortium "PLUTO"

MARS 2024
Vote du CA & financement pour une 2ème année pour "CFTR"

MAI 2022
Brainstorming & Conseil scientifique

JUILLET 2022
Validation du CA & lettres de mission

OCTOBRE 2023
Suivi du projet & évaluation à 6 mois pour "CFTR"

OCTOBRE 2024
Suivi du projet & évaluation à 12 mois pour "PLUTO"



CONSORTIUM « MUTATIONS RARES »



Baptisé « CFTR » : **Class First Thera Read**

Projet élaboré par le consortium piloté par Fabrice Lejeune.

« Nouvelles pistes de recherche pour corriger les altérations moléculaires de patients présentant un profil génétique rare*, non éligibles aux modulateurs. »

Ce consortium est composé de 5 équipes aux expertises complémentaires déjà fortement impliquées dans la recherche en mucoviscidose.

Le projet du consortium vise à évaluer différentes approches thérapeutiques adaptées aux patients porteurs de mutations stop et d'épissage ne pouvant bénéficier des traitements actuels. Ce projet devrait permettre de déterminer les approches thérapeutiques les plus efficaces pouvant conduire à plus long terme au développement d'un ou plusieurs nouveaux traitements pour enrichir l'arsenal thérapeutique et lutter contre la mucoviscidose.

*Profil génétique rare :

incluant les mutations stop et d'épissage.

Une mutation stop conduit à l'apparition d'un message d'arrêt prématuré (codon stop) de la synthèse de la protéine empêchant ainsi la fabrication de la protéine.

Une mutation d'épissage va aboutir à une anomalie au niveau de l'ARN messenger (ARNm), copie du gène utilisée pour la fabrication de la protéine, modifiant ainsi le message.

EN SAVOIR +



Retrouvez toutes les informations sur le consortium «CFTR» sur notre site ou en cliquant [ici](#).

Retrouvez l'interview de Fabrice Lejeune en cliquant [ici](#).



Compte tenu des objectifs du projet, Vaincre la Mucoviscidose a proposé à la famille de Blanche, une petite fille porteuse d'un profil génétique rare ne répondant pas aux modulateurs de CFTR, de contribuer au soutien financier du consortium « CFTR ».

Notre partenaire a répondu favorablement et Blanche pour VLM apporte une contribution financière au projet « CFTR ».



Blanche

CONSORTIUM « TRANSPLANTATION PULMONAIRE »



Baptisé « PLUTO » : **Prediction of Lung Transplant Outcome**

Projet élaboré par le consortium piloté par Antoine Roux.

« L'objectif est de prévenir et traiter le rejet du greffon pulmonaire en identifiant des facteurs de risque et des biomarqueurs associés à la survenue d'une dysfonction chronique, tout en optimisant la prise en charge des patients transplantés. »

La greffe pulmonaire représente encore une option thérapeutique pour certains patients atteints de mucoviscidose. D'après les données 2022 du Registre français de la mucoviscidose, 899 patients (soit environ 10% des patients) sont porteurs d'un greffon pulmonaire. Cinq ans après la transplantation, un rejet de greffe survient dans près d'un cas sur deux. Il peut conduire à la perte du greffon, nécessitant alors une seconde greffe, voire au décès.

Le consortium piloté par Antoine Roux, est composé de 11 centres français de transplantation et de 2 équipes de recherche. Le projet vise à construire un registre national de transplantation pulmonaire harmonisé et à la pointe de la technologie. Il sera composé d'une base de données cliniques et d'une collection d'échantillons biologiques (prélèvements sanguins, biopsies transbronchiques et lavage broncho-alvéolaire).

EN SAVOIR +

[http://](#)



Retrouvez toutes les informations sur le consortium "PLUTO" sur notre site ou en cliquant [ici](#).



Ce projet s'appuie en partie sur l'héritage de la cohorte COLT (Cohort in Lung Transplantation) initiée en 2009 et financée par Vaincre la Mucoviscidose et l'Association Grégory Lemarchal (AGL).

Dans la continuité de son engagement dans la recherche sur la transplantation pulmonaire, l'AGL a désormais rejoint le Comité de suivi du consortium et participe à son financement.



COMITÉ DE SUIVI

Un Comité de suivi a rapidement été mis en place pour chaque consortium. Il est composé de membres du CSR ou du CS, d'experts *ad hoc* et de représentants du pôle recherche.

Chaque consortium est accompagné par son Comité de suivi dès les premières étapes de construction du projet et le restera jusqu'à la fin du projet.



Anna Ronayette :

Adjointe à la direction du pôle recherche et responsable des programmes de recherche clinique à Vaincre la Mucoviscidose suit le consortium "PLUTO".

Sabine Duchatelet :

Responsable de projets scientifiques à Vaincre la Mucoviscidose suit le consortium "CFTR".



“

Il n'existe pas « une » mais « des » mucoviscidoses et aujourd'hui des patients ne peuvent pas encore disposer d'un traitement innovant qui cible l'origine de la maladie. Il faut soutenir la recherche pour que 100% des patients puissent bénéficier des meilleures thérapies. Le programme Di-T-CAP permettra, j'en suis persuadé, l'élaboration de traitements adaptés à la pathologie de chaque personne atteinte de mucoviscidose.

David Fiant

Président de Vaincre la Mucoviscidose

NOUS CONTACTER

Pour en savoir plus sur la recherche liée à la mucoviscidose, rendez-vous sur le site vaincrelamuco.org

ou en contactant l'équipe via l'adresse mail recherche@vaincrelamuco.org



VAINCRE LA MUCOVISCIDOSE



VAINCRE
LA MUCOVISCIDOSE

vaincrelamuco.org



VAINCRE LA MUCOVISCIDOSE

Association reconnue d'utilité publique et habilitée à recevoir des legs, des donations et des assurances-vie.

181 rue de Tolbiac - 75013 Paris

Tel : 01 40 78 91 91