

RAPPORT D'ACTIVITÉ

2024



ORPHANDEV

ÉDITORIAL

2024, une année de nouveaux défis. Notre réseau, fort de ses partenariats et de son expertise collective, continue de déployer des solutions concrètes pour répondre aux défis des maladies rares. À travers ce rapport, nous souhaitons partager avec vous nos progrès et nos projets, portés par l'engagement de chacun et la volonté de faire avancer la recherche et les soins pour les patients. Les maladies rares, par leur complexité et leur rareté, nécessitent plus que jamais une approche collective, pluridisciplinaire et internationale.

À OrphanDev, nous avons fait de cette coopération transversale notre ADN. Le réseau national d'expertise que nous avons mis en place, labellisé F-CRIN, rassemble plus de cinquante acteurs clés – des institutions académiques aux associations de patients, en passant par les industries et les start-ups innovantes. Cette synergie permet de mettre de mettre en commun des savoir-faire complémentaires pour répondre aux besoins de la recherche clinique et de l'innovation.

Les défis sont nombreux, mais les opportunités le sont tout autant. Ensemble, nous avons tous les outils pour faire avancer la cause des maladies rares.

Pr Olivier BLIN
Coordinateur



"Lorsqu'expertise et complémentarité se rencontrent, c'est toute une dynamique collective qui se met en mouvement au service des patients atteints de maladies rares. Face à la complexité de ces pathologies, seule l'union des savoirs, des compétences et des engagements permet d'apporter des réponses concrètes et adaptées."

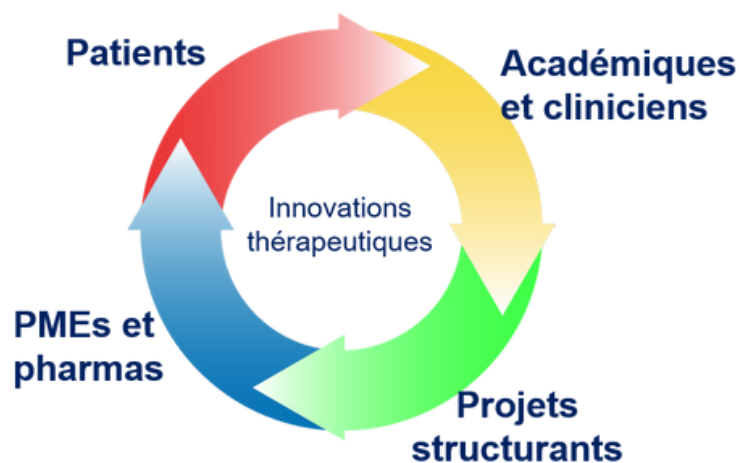
SOMMAIRE

<i>PRÉSENTATION</i>	04
<i>NOS PRINCIPES</i>	05
<i>NOS MISSIONS</i>	06
<i>NOTRE ÉQUIPE</i>	07
<i>CHIFFRES CLEFS</i>	08
<i>FOCUS</i>	09
<i>NOS OBJECTIFS ATTEINTS</i>	10
<i>NOS PERSPECTIVES</i>	11

PRÉSENTATION



OrphanDev est un réseau d'expertise pluridisciplinaire, labellisé F-CRIN. C'est un réseau collaboratif public-privé rassemblant plus d'une cinquantaine d'acteurs experts des maladies rares qui participent à ses travaux, tels que des professionnels de santé, des chercheurs, des entrepreneurs, des industriels, des laboratoires pharmaceutiques, ainsi que des patients et leurs familles. Ils représentent les 4 grands piliers du réseau.



Ce réseau est uni par la mission de rechercher de nouvelles solutions (thérapeutiques, réglementaires, ...) pour les patients atteints de maladies rares.

NOS PRINCIPES



TRANSVERSALITÉ

OrphanDev constitue un espace de dialogue et de concertation pour gagner en complémentarité et en efficacité



DÉCLOISONNEMENT

Notre développement découle d'un besoin de cloisonnement entre les sphères industrielles et académiques en améliorant le dialogue et les process : interface public-privé



EXPERTISE FACILITANTE

Nous apportons une expertise facilitante pour accélérer la mise à disposition des innovations pour les malades : levée des freins administratifs, réglementaires et juridiques

NOS MISSIONS



• MISSION N°1

Opérationnaliser la recherche clinique en relevant les défis méthodologiques liés aux petits effectifs, la dissémination et l'hétérogénéité des patients.

• MISSION N°2

Optimiser les parcours de soins par l'analyse et l'exploitation des données, et notamment des données de vie réelle.



• MISSION N°3

Faciliter l'accès aux innovations thérapeutiques et diagnostiques pour les patients par le dialogue avec les régulateurs, évaluateurs et payeurs.

NOTRE ÉQUIPE



Pr Olivier Blin
*Coordinateur du
réseau OrphanDev*



Pr Vincent Laugel
*Co-coordonateur du
réseau OrphanDev*



Sarra Kraiem
*Cheffe de Projet
Scientifique*



Vincent Montero
*Chef de Projet
Recherche et Données
Projets Européens*

NOS CHIFFRES CLÉS



+70
Connections

Partenariats et
nouveaux contacts



+10
Projets

3 projets européens
7 projets nationaux



+8
Communications

2 publications internationales
2 communiqués de presses
1 tribune de presse
1 parution magazine
1 newsletter bimestrielle
1 rencontre journalistes

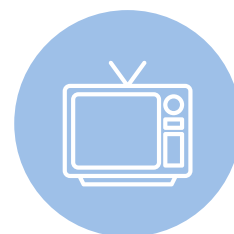


+20
**Professionnels
certifiés**

Formation diplômante
"Essais thérapeutiques
dans les maladies
rares"



+200
**Abonnés
LinkedIn**



+10
Evènements

Journée thématique MTI
Village Sport & Santé Eygalières
2 Comités Stratégiques thématiques
2 Panels d'experts
4 Interventions et Conférences

4° PLAN NATIONAL MALADIES RARES

Dans le cadre de l'Axe 3 du PNMR4 consacré à l'accès aux traitements et à l'innovation, nous avons activement contribué aux discussions en portant plusieurs propositions aujourd'hui intégrées dans le Plan telles que:

- la création d'un réseau d'investigation et de recherche dédié aux maladies rares, structuré autour des centres d'excellence CLEIO (Action 7.2) en collaboration avec le réseau PedStart ;
- de mise en œuvre d'un dispositif renforcé de pharmacovigilance dans les maladies rares avec les CRPV (Actions 20.5 et 21.2) ;
- le recueil et l'utilisation des données de vie réelle dans l'évaluation des nouvelles thérapeutiques dans le cadre des accès dérogatoires (AAP, AAC, CPC) de l'Action 21.1 avec la BNDMR.

"OrphanDev, dispositif pivot de soutien à la recherche clinique existante"
Rapport d'évaluation du PNMR3 de l'Hcéres.

PROJETS EUROPÉENS

OrphanDev prend part à deux consortiums européens financés par le programme Horizon Europe avec pour objectif:



- Assurer l'alignement des biomarqueurs et candidats médicaments développés avec les standards réglementaires pour les essais cliniques à la fin du projet.
- Construire un outil d'évaluation robuste de l'expérience patient validé par l'EMA et utilisé par les HTA dans l'évaluation et la régulation des médicaments.



NOS OBJECTIFS ATTEINTS

RENFORCEMENT DE LA NOTORIÉTÉ

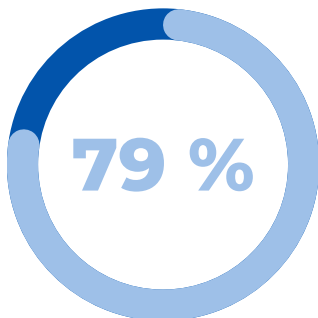
Collaborations avec des partenaires industriels sur des événements nationaux (Regards croisés Alexion Therapeutics, Journée MTI organisée avec PedStart).

LANCEMENT COLLABORATION PUBLIC-PRIVÉ EUROPÉENNE

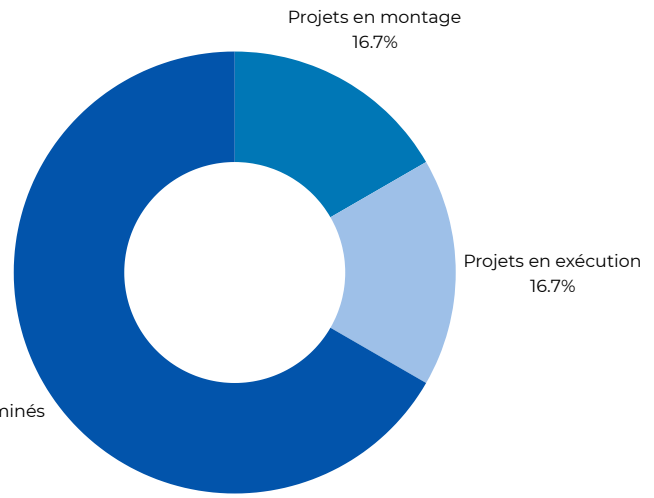
Collaboration avec des représentants clés en Autriche, en Espagne, en Irlande et en Grèce et validation d'un budget dédié au recrutement d'un chef de projet européen.

BUDGET

Le budget d'OrphanDev a connu une progression significative de 79 % par rapport à l'année précédente, témoignant d'une dynamique croissante et d'une mobilisation accrue des ressources pour soutenir nos initiatives.



Projets terminés
66.7%



RÉOBTENSION DU LABEL F-CRIN 2024-2026

MONTAGE PROJET CLEIO

Montage du projet de labélisation de centres d'Études et Innovation Maladies rares pour promouvoir l'attractivité des centres français dans les essais cliniques de thérapies innovantes.

MESURES RETENUES

OrphanDev a activement soutenu les mesures proposées dans le cadre du PNMR4 et auprès des conseillers gouvernementaux, en mettant en avant les enjeux cruciaux pour les maladies rares et en plaidant pour des actions concrètes.

NOTRE STRATÉGIE POUR LE FUTUR

01. Structuration

- Expansion européenne
- Création d'un réseau dédié aux thérapies innovantes
- Fonctionnement du réseau
- Renforcement du lien avec les FSMR

02. Valorisation expertise

- Formation continue
- Prestations de services
- Programme collaboratif de formation/accompagnement des patients
- Partenariats réseaux F-CRIN

03. Recrutement

- Personnel communication
- Chef de projet Europe
- Chef de projet réseau MTI

04. Délivrables

- Revues de littérature et documents de synthèse
- Elaboration de recommandations

CONCLUSION

Grâce à une dynamique de collaboration renforcée en 2024, une reconnaissance accrue au niveau national et européen, ainsi qu'une augmentation de nos ressources, nous avons pu intensifier nos actions pour favoriser l'innovation et améliorer l'accès aux traitements.

Nos perspectives pour l'avenir s'articulent autour de plusieurs axes stratégiques : le développement de formations dédiées aux thérapies innovantes, le renforcement de notre réseau à l'échelle européenne et la valorisation de notre expertise à travers des recommandations et des initiatives structurantes.

Nous remercions l'ensemble de nos partenaires pour leur engagement et leur confiance. Ensemble, nous poursuivons notre mission avec la conviction que la recherche et l'innovation collaborative permettront d'apporter des solutions concrètes aux patients atteints de maladies rares.

CONTACT :

contacts@orphan-dev.org

www.orphan-dev.org



ORPHANDEV