



Flash presse

Toulouse, le 24 février 2020

F-CRIN une expertise de pointe en recherche clinique sur les maladies rares

La 13ème Journée internationale des maladies rares le 29 février prochain est l'occasion de mettre en lumière les 25 millions d'euro péens touchés par une maladie rare, ce qui représente près d'un français sur dix. Alors que 97% de ces pathologies ne bénéficient pas de traitement, F-CRIN, infrastructure support et catalyseur de la recherche clinique française, s'engage dans la conception et le développement d'essais cliniques via l'une de ses composantes spécialisées : la plateforme OrphanDev.

Des essais cliniques pour développer des traitements et des médicaments

OrphanDev est dédiée au développement des médicaments pour les maladies rares et met en relation les associations de patients, chercheurs et professionnels de santé dans l'unique but de développer les essais cliniques permettant de faciliter le diagnostic des maladies rares, la mise au point de nouveaux traitements ainsi que la prise en charge de ces pathologies.

Face à la rareté des personnes atteintes de ces maladies, les essais cliniques posent de nombreuses difficultés techniques qu'OrphanDev permet de maîtriser. Ainsi, des progrès sont réalisés chaque jour. Récemment, par exemple, la maladie de Charcot-Marie-Tooth (CMT), qui touche environ 30 000 personnes en France, a connu ses premiers essais cliniques à grande échelle qui pourraient aboutir à la mise sur le marché du premier médicament efficace pour cette maladie. Potentiel succès illustrant la prévalence de la France dans ce domaine.

La France, véritable moteur de l'Union Européenne dans le domaine

La France a été le premier pays d'Europe à se doter d'un Plan National de Santé Publique des Maladies Rares incluant le référencement de [Centres dédiés aux Maladies Rares](#) accessible très facilement en ligne, ce qui a permis de diminuer l'attente d'un diagnostic pour les personnes atteintes.

Grâce au succès de ce plan ambitieux, l'Union Européenne a décidé de prendre exemple sur la France en créant un programme européen dédié aux maladies rares, le '[European Joint Programme on Rare Diseases](#)', coordonné par des français et regroupant 35 pays et 130 institutions.

"Compte tenu du grand nombre de maladies rares, les efforts dans le domaine restent discrets aux yeux du grand public, et ce malgré leur intensité. Néanmoins, chaque année, plusieurs dizaines de médicaments, issus des essais cliniques sur les maladies rares, sont autorisés sur le marché. A titre d'exemple, l'arrivée des médicaments de thérapie génique visant à rectifier les anomalies responsables des maladies génétiques, qui représentant 80% des maladies rares, est un véritable succès scientifique au bénéfice des patients" conclut **Pr. Olivier BLIN, Investigateur expérimenté et Responsable de la plateforme technologique OrphanDev, membre du réseau F-CRIN.**



A propos de F-CRIN :

L'Infrastructure nationale de recherche clinique « F-CRIN/French Clinical Research Infrastructure Network » a été mise en place en 2012 suite à sa sélection et à son financement assuré par l'ANR dans le cadre de l'appel à projets « INBS/Infrastructures nationales en biologie et en santé » du « Programme des Investissements d'avenir » ou PIA. F-CRIN, porté par l'Inserm, a été mis en place pour promouvoir la recherche clinique française à l'Europe et à l'international, soutenir les essais cliniques français, à promotion académique ou industrielle, avec une attention particulière pour les études précoces innovantes de type « preuve de concept » et les grands essais multicentriques. F-CRIN est une infrastructure nationale distribuée composée d'une Unité de coordination nationale localisée à Toulouse, de 12 réseaux d'investigation clinique, 3 réseaux d'expertise et de méthodologie et 2 plateformes de services. Au total, F-CRIN représente une force de frappe de plus de 1400 professionnels en recherche clinique.

Après son évaluation positive par l'ANR en 2019, F-CRIN a été reconduit et refinancé, une nouvelle dotation de 5,4 millions d'€ pour 5 ans (2020-2024) a été allouée par l'ANR au titre du PIA.

Pour plus d'informations sur F-CRIN : <https://www.fcrin.org/>

Contacts Presse

OXYGEN

Aurélie Mauries/Charline Kohler

05 32 11 07 31 / aurelie@oxygen-rp.com