

## AMI « Valoriser les maladies rares en PACA et Corse »



### Caractéristiques essentielles de l'Appel à Manifestation d'Intérêt

#### *Pourquoi ?*

L'écosystème maladies rares est très dynamique au niveau académique en France. Ce domaine bénéficie également d'un fort intérêt industriel. En raison des spécificités du domaine des maladies rares, il est particulièrement intéressant de combiner les réseaux, expertises et capacités d'investissement dans un appel à manifestation d'intérêt.

#### *Qui ?*

La SATT Sud-Est s'associe à la Fondation maladies rares et d'autres acteurs (investisseurs, scientifiques, experts de l'entrepreneuriat dans le domaine) pour promouvoir l'émergence et la maturation de projets innovants dans le domaine des maladies rares. Cet Appel à Manifestation d'Intérêt est ouvert aux chercheurs, et praticiens hospitaliers des régions PACA et Corse.

#### *Quoi ?*

Cet appel concerne à la fois les approches diagnostiques ou pronostiques, les dispositifs médicaux, les approches préventives ou thérapeutiques mais aussi les aspects de sciences humaines et sociales pour toutes les maladies rares (y compris les cancers rares) et à tout type de transfert (projet de start-up, licence, transfert de savoir-faire, de produits, etc.). Cet appel s'adresse à des projets d'une durée de 3 à 24 mois environ pour des montants de 5 000 à 250 000 € environ. Le type de projet éligible est précisé plus loin.

#### *Quand ?*

**Cet AMI est ouvert du 15 novembre 2016 au 15 février 2017** et donnera lieu à un **comité de pré-sélection** experts maladies rares (SATT Sud-Est/Fondation maladies rares/fonds d'investissement/experts scientifiques et entrepreneurs en maladies rares) **mi-mars 2017**. Suite à ce comité, les porteurs seront accompagnés par la SATT Sud-Est et par la Fondation maladies rares pour affiner leurs pré-projets. Le cas échéant, les projets affinés seront présentés aux organes décisionnels de la SATT Sud-Est (**au second semestre 2017**) pour décision finale et financement du projet.

#### *Comment ?*

Le texte détaillé de l'Appel à Manifestation d'Intérêt contenant le formulaire à remplir pour le dépôt des pré-projets est disponible ci-après. Ces formulaires sont à envoyer à l'adresse : [florence.alesandrini@sattse.com](mailto:florence.alesandrini@sattse.com)

# 1<sup>e</sup> AMI « Valoriser les maladies rares en PACA et Corse »

## Informations pour les porteurs de projets

La Société d'Accélération du Transfert de Technologies Sud-Est (SATT Sud-Est) et la Fondation maladies rares s'associent pour promouvoir au sein des régions PACA et Corse l'émergence et la maturation de projets innovants dans le domaine des maladies rares.

L'appel à manifestation d'intérêt « Valoriser dans les maladies rares » a pour but de financer la consolidation de preuves de concept afin d'optimiser le transfert d'innovations aux acteurs socio-économiques à moyen terme. Toutes les maladies rares au sens des définitions internationales (prévalence de la maladie inférieure à 1 personne sur 2000), incluant les cancers rares, sont concernées (voir le site [orphanet](http://orphanet)).

L'appel à manifestation d'intérêt (AMI) se déroulera en plusieurs étapes :

- 15 novembre 2016 au 15 février 2017 : ouverture de l'AMI,
- 15 mars 2017 : sélection des pré-projets par le comité de pré-sélection experts maladies rares constitué de membres de la SATT Sud-Est et de différents acteurs du domaine (experts scientifiques et entrepreneurs, fonds d'investissement, Fondation maladies rares),
- Accompagnement des porteurs de pré-projets et des équipes de recherche par les chargés d'affaires de la SATT Sud-Est et la Fondation maladies rares pour la finalisation du montage des projets,
- Le cas échéant, présentation des projets aux organes décisionnels (Comité d'Investissement voire Conseil d'Administration pour les projets supérieurs à 120k€) de la SATT Sud-Est pour décision finale de financement,
- Le financement des projets sélectionnés.

### **CONDITIONS D'ELIGIBILITE/CRITERES DE SELECTION :**

#### *Qui peut postuler ?*

Tout chercheur ou tout Praticien Hospitalier ou consortium de chercheurs, de praticiens hospitaliers et de personnels paramédicaux dont au moins un membre est affilié à un laboratoire de recherche académique ou à un Etablissement Public de Santé des régions PACA et Corse.

#### *Cadre général des projets SATT :*

Les projets soutenus et financés par les SATT sont des projets issus de la recherche académique susceptibles d'avoir des retombées socio-économiques. Les SATT ont été créées par l'état français via le Grand Emprunt et le Programme Investissements d'Avenir de 2009-2010. Elles ont un impératif d'investissement dans des projets qui permettent à moyen terme un retour financier (à minima le remboursement de l'argent investi). Il est donc possible que pour ces raisons, certains projets se voient orientés vers d'autres structures de financement.

L'objectif des projets est de renforcer un corpus de données déjà existant pour optimiser le transfert vers le monde socio-économique et bénéficier ainsi aux patients. De ce fait :

- Les propositions de projet reçues pourront être modifiées et/ou complétées, en accord avec les porteurs, en fonction des besoins cliniques, industriels et sociétaux qui seront identifiés.
- La durée du projet devra être au maximum de 24 mois, pour un coût compris entre 25 K€ et environ 250 k€ ; ainsi les projets jugés trop amont seront donc redirigés vers d'autres instances de financement.
- Les projets peuvent faire l'objet de co-financement avec un fonds d'investissement, un industriel, une association ou un institutionnel français ou étranger.
- Les projets seront analysés en termes de maturité scientifique, de besoin clinique, de retours marchés et de propriété intellectuelle.
- la propriété intellectuelle (brevet ou autre), si existante, ne doit pas avoir déjà été transférée à un tiers (industriel, fonds d'investissement,...).

#### *Quel type de projets proposer ?*

Le pré-projet soumis doit s'appuyer sur des résultats expérimentaux et/ou des simulations ayant démontré de façon claire le concept scientifique.

Sont potentiellement éligibles des projets innovants ayant déjà démontré des données préliminaires dans toutes les thématiques telles que (liste non exhaustive) :

- **Outils diagnostic et /ou pronostic susceptibles de changer la prise en charge des patients, quelles que soient les innovations utilisées :** e-santé, imagerie, techniques de biologie cellulaire, biologie moléculaire, biochimie ...
- **Approches thérapeutiques :** pharmacologique (repositionnement ou nouvelles molécules), thérapie cellulaire ou génique, stratégie de délivrance d'outils thérapeutiques...
- **Dispositifs médicaux et outils d'évaluation clinique quelles que soient les technologies utilisées**
- **Approches favorisant la prise en charge et l'accompagnement des malades et de leur entourage dans tous les aspects de leur vie** (projets en Sciences Humaines et Sociales)

Le niveau de maturité des projets susceptibles d'être sélectionnés peut aller des premières données *in vivo* (*in vitro* dans certains cas) à des essais cliniques de petite taille.

#### *Critères de sélection :*

Les critères suivants seront utilisés pour évaluer les pré-projets en vue de leur sélection:

- Réponse à un besoin clinique/industriel/socio-économique ;
- Niveau de maturité de l'innovation ;
- Propriété intellectuelle (brevet, savoir-faire, désignation orpheline...); elle n'est pas impérative à ce stade ;
- Expertise du/des porteur(s) de projets dans le domaine ;
- Environnement scientifique du/des porteur(s) de projets ;
- Perspectives de valorisation à moyen terme (transfert de licence, création de start-up...)
- Potentiels retours économiques ;
- Durée maximale du programme (environ 24 mois) ;
- Pas de divulgation antérieure à la soumission du projet (colloque, rapport, publication, abstract, présentation orale, poster...) sauf pour les projets appartenant à la thématique Sciences Humaines et Sociales ;
- Cohérence entre le dimensionnement du projet et les moyens associés.

## **MODALITES DE DEPOT ET EVALUATION DES DOSSIERS**

### *Dépôt de la manifestation d'intérêt*

La manifestation d'intérêt peut être soumise **entre le 15 novembre 2016 et le 15 février 2017** à l'adresse e-mail suivante : [florence.alesandrini@sattse.com](mailto:florence.alesandrini@sattse.com)

Le(s) porteur(s) de pré-projets doi(ven)t compléter le dossier présent à la fin de ce document. Ce dossier peut être rempli en français ou en anglais, avec la possibilité de joindre des résultats détaillés et non divulgués en annexe.

Un email de validation du dépôt de la manifestation d'intérêt sera envoyé dans les soixante-douze (72) heures après la soumission du dossier.

Seuls les dossiers respectant les conditions d'éligibilité seront retenus et examinés dans l'étape suivante d'analyse de l'appel à manifestation d'intérêt.

### *Modalités d'analyse des dossiers*

Les équipes de la SATT Sud-Est analyseront les pré-projets retenus au regard des critères d'éligibilité et des critères de sélection cités ci-dessus. Le cas échéant, les équipes SATT pourront demander l'avis d'experts extérieurs. Notamment un **comité de pré-sélection d'experts maladies rares sera réuni fin février 2017** pour une première évaluation des pré-projets. Les porteurs des pré-projets seront informés au plus tard 2 semaines après le comité de pré-sélection des résultats de cette évaluation par e-mail.

Outre les SATT, le comité de pré-sélection sera composé de spécialistes de la valorisation dans les maladies rares. A ce jour, il s'agit de :

- La Fondation maladies rares, fondation de coopération scientifique dont l'objectif est d'accélérer des programmes de recherche sur l'ensemble des maladies rares.
- Kurma Partners, un fonds d'investissement spécialisé dans les maladies rares qui apporte son expertise d'analyse, son réseau et potentiellement son investissement au service des projets.
- Des experts scientifiques en maladies rares et de l'entreprenariat qui aident également pour l'analyse et potentiellement le montage des projets.

Ces interventions sont encadrées par des accords de confidentialité et ne donnent aucun droit aux experts sur les projets présentés. Néanmoins, le chercheur porteur de projet a la possibilité de demander explicitement à ne pas être soumis à l'expertise de certains partenaires (Cf. liste des experts non désirés en fin de formulaire, partie V.2).

Les porteurs des pré-projets retenus lors du comité de pré-sélection seront contactés par les équipes SATT Sud-Est afin de consolider l'ensemble du projet proposé en précisant le programme et en y adjoignant des compétences complémentaires (expertises cliniques, technico-économiques, industrielles, juridiques...). Les projets répondant à tous les critères après étude approfondie seront présentés pour financement selon le processus interne de la SATT Sud-Est.

## **MODALITES DE FINANCEMENT**

Les dépenses suivantes sont éligibles à l'appel à manifestation d'intérêt :

- achat de consommables ;
- recrutement de personnel dédié au projet (technicien, ingénieur, post-doctorant, excepté le financement de thèse);
- prestation ;
- étude de marché ;
- dépôt de demande de brevet ou de titre de Propriété Intellectuelle;
- frais de mission (hors congrès scientifiques) sur justificatifs.

**CORRESPONDANTS SATT**

Pour toute question relative à ces AMI, merci de contacter :

**Florence Alesandrini** – SATT Sud-Est : [florence.alesandrini@sattse.com](mailto:florence.alesandrini@sattse.com) – 07 77 08 22 21

**Formulaire de l'AMI à compléter dans les pages suivantes.**

**APPEL A MANIFESTATION D'INTERET**  
**« VALORISER DANS LES MALADIES RARES »**  
**CALL FOR PROPOSALS « VALORIZATION IN RARE DISEASES »**  
**15/11/2016 – 15/02/2017**

TITRE DU PROJET : <i>PROJECT NAME:</i>	
ACRONYME : <i>ACRONYM:</i>	
RESUME DU PROJET : (5 LIGNES MAX) <i>PROJECT ABSTRACT:</i> (5 LINES MAX)	
MOTS CLEFS : <i>KEYWORDS :</i>	
TYPE DE PROJETS : <i>PROJECT CATEGORY</i>	<input type="checkbox"/> Outils diagnostic/ pronostic, précisez le type de technologie / Diagnostic/prognostic tools, precise which type of technology : <input type="checkbox"/> e-santé / e-health <input type="checkbox"/> imagerie / Imaging <input type="checkbox"/> biologie cellulaire, biochimie / cellular biology, biochemistry <input type="checkbox"/> biologie moléculaire, NGS / molecular biology, NGS <input type="checkbox"/> Outil méthodologique <input type="checkbox"/> autre, précisez / <i>detail</i> :  <input type="checkbox"/> Outils thérapeutiques, précisez le type de technologie/innovation / therapeutic tools, precise which type of technology : <input type="checkbox"/> pharmacologie, repositionnement / pharmacology, repositionning <input type="checkbox"/> pharmacologie, nouvelle molécule / pharmacology, new molecule <input type="checkbox"/> thérapie cellulaire / cell therapy <input type="checkbox"/> thérapie génique / gene therapy <input type="checkbox"/> stratégie de délivrance d'outils thérapeutiques / strategy for therapeutic tools delivery <input type="checkbox"/> autre, précisez / <i>detail</i> :  <input type="checkbox"/> Dispositifs médicaux et autres outils d'évaluation clinique / medical devices and other tools for clinical evaluation

	<input type="checkbox"/> Approches favorisant la prise en charge et l'accompagnement des malades et de leur entourage dans tous les aspects de leur vie
--	---

## I. PORTEUR(S) DU PROJET / PROJECT LEADER(S)

### I.1. PORTEUR DU PROJET / PROJECT LEADER

NOM, PRÉNOM : <i>LAST NAME, FIRST NAME:</i>			
E-MAIL :		TEL : <i>PHONE:</i>	
EMPLOYEUR : <i>EMPLOYER:</i>		STATUT : <i>STATUS:</i>	
LABORATOIRE : <i>LABORATORY :</i>		DIRECTEUR DU LABORATOIRE : <i>LAB DIRECTOR:</i>	
TUTELLES DU LABORATOIRE : <i>AFFILIATED INSTITUTIONS:</i>		ÉTABLISSEMENT HEBERGEUR : <i>HOSTING LAB:</i>	

### I.2. AUTRES PERSONNES IMPLIQUEES / OTHER PROJECT PARTNERS

NOM PRÉNOM <i>LAST NAME, FIRST NAME</i>	EMPLOYEUR <i>EMPLOYER</i>	STATUT <i>STATUS</i>	LABORATOIRE <i>LABORATORY</i>	E-MAIL

## II. LE BESOIN / THE UNMET NEED

### II.1. CONTEXTE SOCIO-ECONOMIQUE DU PROJET / SOCIO-ECONOMIC BACKGROUND (5 LIGNES MAX/5 LINES MAX)

Situer le projet dans son environnement socio-économique, notamment le nombre de patients concernés (référence bibliographique ou Orphanet) et la sévérité de la pathologie.  
*State the socio-economic and industrial environment of the project, in particular specify the number of concerned patients (literature reference or Orphanet) and the severity of the disease.*

**II.2. CONTEXTE TECHNOLOGIQUE DU PROJET / TECHNOLOGICAL BACKGROUND OF THE PROJECT (15 LIGNES MAX/15 LINES MAX)**

Préciser l'art antérieur dans le domaine du Projet, et les standards (produits, technologies, méthodes) utilisées actuellement dans la pathologie : liste et commentaires sur la bibliographie pertinente / les brevets existants / les produits/outils déjà commercialisés, ...  
*Specify the prior academic and/or industrial works in the field of the Project, standards (products, technologies, methodologies) used today: list and reviews of the relevant literature / existing patents / products, tools already on the market ...*

**II.3. LE BESOIN/THE UNMET NEED (10 LIGNES/10 LINES)**

Identifier le besoin auquel le Projet se propose de répondre : besoin médical/ sociétal / industriel  
*Identify the unmet need the Project aims to address : medical, societal / industrial need*

## **III. LA SOLUTION / THE SOLUTION**

**III.1. DESCRIPTION DU PROJET / PROJECT DESCRIPTION (25 LIGNES MAX/25 LINES MAX)**



- Préciser le Projet et la solution qu'il apporte : innovation/savoir-faire mis en œuvre.
- Préciser ses atouts et son caractère innovant par rapport aux produits/techniques/méthodes concurrentes (scientifique, technique, économique, marketing...).
- Préciser si vous avez eu des avis de cliniciens et s'il existe des modèles animaux pertinents utiles pour votre projet.
- Positionner votre Projet dans la thématique de l'AMI
  
- *Provide a Proposal description and precise the technology / know-how implemented to solve the problem*
- *Clarify its added value to competing products / technologies (scientific, technical, economic, marketing ...)*
- *Specify if you had opinions of clinicians on you project and if existing pertinent animal models would be useful.*
- *Position your Proposal within the call for proposal focus.*

### III.2. MATURETE DU PROJET / *PROJECT MATURITY (30 LIGNES MAX/30 LINES MAX)*

Préciser la maturité du projet en termes techniques (stade actuel en détaillant les données déjà disponibles (il est possible de placer le détail des données scientifiques en annexe), performances et prototypes existants), PI (brevets déposés..), valorisation (contacts industriels, partenaires socio-économiques...)

*Precise the Project maturity in terms of technique (current status with details on the already available data, performances and existing prototype), IP (existing patents...), and valorization (industrial contacts, socioeconomic partners...). Detailed results can be added in annex*

### III.3. PROGRAMME DU PROJET / *PROJECT EXECUTION PLAN (30 LIGNES MAX/30 LINES MAX)*

- Préciser le programme de R&D/développement envisagé : lister les différentes étapes/Workpackages, les objectifs, leur durée, le budget associé, les livrables, et les jalons associés.
- Définir les critères quantitatifs et qualitatifs correspondant à chaque livrable afin de donner ainsi une vision nette des données qui seront générées lors du projet.
- Préciser l'objectif final du Projet.
  
- *Provide the proposed detailed R&D program: list all the R&D phases/Workpackages, with their objectives, their duration, the costs, related GO/NO GO and deliverables.*
- *Define the quantitative and qualitative criteria for each deliverable to give a clear view of the data generated during the project.*
- *Precise the final objective(s) of the Project.*

## **IV. ATOUS ET RISQUES DU PROJET / *PROJECT RISKS & STRENGTHS***

IV.1. ATOUTS / *STRENGTHS* (10 LIGNES MAX/10 LINES MAX)

Préciser les atouts de l'équipe scientifique (force du/des porteurs de projet et assise scientifique, collaborations), de l'innovation (données, publications, titres de Propriété Intellectuelle), les opportunités marché/concurrence  
*Specify the strengths of the scientific team (team's expertise, collaborators), the technology (datasets, publications, intellectual property), the market / competition opportunities*

IV.2. RISQUES TECHNOLOGIQUES / *TECHNOLOGICAL RISKS* (5 LIGNES MAX/5 LINES MAX)

Avez-vous identifié des points de vigilance au développement de la technologie pour lesquels vous souhaiteriez un appui particulier ?  
*Have you identified points of vigilance for the technology development that might require special attention?*

IV.3. PROPRIETE INTELECTUELLE / *INTELLECTUAL PROPERTY* (10 LIGNES MAX/10 LINES MAX)

- Votre projet est-il protégé par la Propriété Intellectuelle? En cas de brevet, précisez le(s) numéro(s) de dépôt prioritaire, et l'organisme ayant déposé le brevet.
- Avez-vous déjà divulgué en dehors de toute protection intellectuelle des informations au sujet du projet (publications orale et écrite, posters, soutenances thèse/master, abstracts)? Si oui, les lister.
- Avez-vous une échéance de divulgation (congrès/publication) prochainement? Si oui précisez la date approximative.
- Is there any intellectual property related to your project? Precise the number of the patent request, if exist and the name of the depositor organism.
- *Have you ever disclosed information about the project (publications, posters, oral presentation during Master of PhD, and abstracts)? If applicable, list them.*
- *Are you willing to communicate about your project (congress/ publication...) in future? Please, specify the approximate date.*

Le projet est-il réalisé avec un partenaire académique, institutionnel, une fondation ou industriel ? Si oui, lequel?  
*Is the project a collaboration with academic, institutional or industrial partners?*

oui / yes       non / no       Précisez / Detail :

Financement(s) antérieur(s) au projet ? / *Funding(s) prior to the project?* (ANR, Europe, BPI, AFM, etc.)

Précisez / *Detail* :

Perspectives / plan de développement pour ce projet (moyen/long terme)?

*Development outlook / plans for this project (mid/long\_term) ?*

A l'issue du projet, que restera-t-il à valider selon vous pour accéder aux patients? / *According to you, at the end of the project, what will remain to be validated to reach the patients?*

Précisez / *Detail* :

Demandes de financement complémentaires à cette demande pour le projet (actuelles/à venir)? / *Additional funding(s) for the project (now / in the future)?* (ANR, Europe, Bpifrance, etc.)

Précisez / *Detail* :

## V. EXPERTS / EXPERTS

V.1. EXPERTS PROPOSÉS POUR REVOIR LE PROJET/ *SCIENTIFIC EXPERTS AND/OR CLINICIANS PROPOSED TO REVIEW THE PROJECT*

Proposez 3 noms de scientifiques et/ ou cliniciens (académiques et industriels). Ces experts ne doivent pas avoir collaboré avec vous ou être en conflit d'intérêt par rapport à vos travaux.

*Please list below 3 names of investigators (academic and industrial). Experts should not have collaborate with you or your team(s) or have interests in your work.*

<b>EXPERT 1/EXPERT 1</b>	
<b>TITRE/TITLE</b>	
<b>PRENOM/FIRST NAME</b>	
<b>NOM/LAST NAME</b>	
<b>ORGANISME/ORGANISM</b>	
<b>ADRESSE/ADDRESS</b>	
<b>EMAIL/EMAIL</b>	
<b>TELEPHONE/PHONE</b>	

<b>EXPERT 2/EXPERT 2</b>	
<b>TITRE/TITLE</b>	
<b>PRENOM/FIRST NAME</b>	
<b>NOM/LAST NAME</b>	
<b>ORGANISME/ORGANISM</b>	
<b>ADRESSE/ADDRESS</b>	
<b>EMAIL/EMAIL</b>	
<b>TELEPHONE/PHONE</b>	

<b>EXPERT 3/EXPERT 3</b>	
<b>TITRE/TITLE</b>	
<b>PRENOM/FIRST NAME</b>	
<b>NOM/LAST NAME</b>	

<b>ORGANISME/ORGANISM</b>	
<b>ADRESSE/ADDRESS</b>	
<b>EMAIL/EMAIL</b>	
<b>TELEPHONE/PHONE</b>	

## V.2. EXPERTS RÉFUTÉS / REBUTTED EXPERTS

Indiquez ci-dessous le nom des personnes (experts scientifiques, cliniciens et membres du comité de pré-sélection...) à ne pas contacter dans le cadre de l'expertise de votre projet (concurrents, ...).

*Please list below the people (investigators, clinicians, members of the preselection comity...) who should not have access to and review your project (competitors ...).*

<b>NOM 1/NAME 1</b>	
<b>TITRE/TITLE</b>	
<b>PRENOM/FIRST NAME</b>	
<b>NOM/LAST NAME</b>	
<b>ORGANISME/ORGANISM</b>	

<b>NOM 2/NAME 2</b>	
<b>TITRE/TITLE</b>	
<b>PRENOM/FIRST NAME</b>	
<b>NOM/LAST NAME</b>	
<b>ORGANISME/ORGANISM</b>	

<b>NOM 3/NAME 3</b>	
<b>TITRE/TITLE</b>	
<b>PRENOM/FIRST NAME</b>	
<b>NOM/LAST NAME</b>	
<b>ORGANISME/ORGANISM</b>	

<b>NOM 4/NAME 4</b>	
<b>TITRE/TITLE</b>	
<b>PRENOM/FIRST NAME</b>	
<b>NOM/LAST NAME</b>	
<b>ORGANISME/ORGANISM</b>	

<b>NOM 5/NAME 5</b>	
<b>TITRE/TITLE</b>	
<b>PRENOM/FIRST NAME</b>	
<b>NOM/LAST NAME</b>	
<b>ORGANISME/ORGANISM</b>	