

Avancée de la recherche SLA

1. La SLA et la Ligue SLA

La LIGUE SLA est une association pour les personnes atteintes de Sclérose Latérale Amyotrophique (SLA). La SLA est une maladie progressive où les neuromoteurs du cerveau et de la moelle épinière meurent de façon sélective. La perte de l'innervation des muscles entraîne une perte de la force musculaire et la paralysie des membres. Les muscles respiratoires, masticateurs et les muscles impliqués dans la déglutition sont également atteints. Les capacités mentales et sensorielles restent intactes, ce qui rend cette maladie très lourde émotionnellement pour le patient et son entourage.

La SLA se déclare généralement à l'âge adulte. Il y a environ 1,4 à 3 nouveaux cas diagnostiqués par an sur 100.000 personnes. La prévalence (le nombre de patients à un moment donné) est de 4 à 6 sur 100.000 personnes. En Belgique, près de 1000 patients sont atteints de SLA. Plus de 200 patients en meurent chaque année et à peu près autant sont diagnostiqués. L'espérance de vie et l'évolution de la maladie diffèrent fort d'un patient à l'autre. La maladie est généralement fatale dans les 3 à 5 ans suivant le diagnostic, suite à la paralysie des muscles respiratoires ou impliqués dans la déglutition.

Un traitement pour la SLA doit être découvert le plus rapidement possible étant donné la gravité de cette maladie. Il n'y a pour le moment aucune thérapie curative ou de moyen de prévention. De plus, la cause de la SLA n'est pas encore connue. Chez environ 10% des patients SLA, il y a une hérédité sous-jacente. Dans ce cas, la SLA est une maladie à dominante héréditaire. Ce qui signifie que chaque descendant d'un patient atteint de SLA héréditaire est susceptible de développer la SLA (probabilité de 1/2). La plus grande majorité des patients SLA (environ 90%) est atteinte de SLA sporadique - maladie qui n'a pas d'origine génétique. Les symptômes de la SLA héréditaire sont les mêmes que ceux de la variante non héréditaire.

La LIGUE SLA offre aux patients des services diversifiés, allant de l'offre d'informations sur tous les aspects de la maladie aux personnes (et à leur entourage) qui viennent de recevoir le diagnostic, au prêt de dispositif d'aide leur permettant de communiquer et de rester mobiles le plus longtemps possible. Soulignons aussi que nos membres manifestent un grand intérêt pour la **recherche scientifique** concernant la prévention, l'origine, le diagnostic et le traitement de leur maladie. C'est pourquoi la LIGUE SLA suit attentivement les résultats de la recherche scientifique dans le domaine des affections neurodégénératives en général et concernant la SLA en particulier. La LIGUE SLA diffuse ces informations via son site internet et son bulletin d'informations.

2. La LIGUE SLA souscrit aux dernières initiatives pour l'avancée de la recherche scientifique

C'est avec grand intérêt que la LIGUE SLA a pris connaissance des récentes initiatives que la recherche biomédicale souhaite stimuler dans l'ensemble, et elle veut également soutenir activement ces initiatives.

La LIGUE SLA aspire entre-autres à contribuer à l'élaboration du **Fond Maladies rares et médicaments orphelins**, et à coopérer au **Plan belge pour les Maladies Rares**.

Nous souscrivons avant tout à l'élargissement, depuis 2006, de l'offre de subsides de l'Agence d'Innovation par les Sciences et la Technologie en Flandre (agentschap voor Innovatie door Wetenschap en Technologie - IWT en abrégé) au **programme de recherche biomédicale appliquée à finalité sociale (IWT-TMB)**₁. Les projets cliniques sont annuellement soutenus par un budget de 250.000 à 1.000.000 d'euros via l'enveloppe prévue de 6M€/an jusqu'à présent. La LIGUE SLA reconnaît que cela réunit toutes les conditions pour soutenir la

recherche déjà bien engagée dans la transition du savoir « du laboratoire au lit du patient » avec une plus-value concrète pour l'état de santé Flamand. Toutefois, la LIGUE SLA considère le critère de sélection additionnel, stipulant que l'intérêt industriel pour la proposition doit être avéré, comme trop restrictif dans le cas de la recherche sur les maladies rares comme la SLA. Les initiatives de recherche dans ce domaine sont en effet assez limitées et la finalité économique d'une telle recherche est a priori assez faible même si l'effort est (sup)porté par la vie de l'entreprise.

La SLA est définie comme maladie rare (maladie orpheline, *orphan disease*), cette maladie affectant moins de 5 sur 10.000 Européens. Cette désignation a permis aux instances régulatrices pour l'enregistrement des médicaments Européennes (EMA)² et Américaines (FDA)³ de prévoir une procédure accélérée à bas coût pour l'autorisation de mise sur le marché d'un médicament potentiel contre la SLA (*orphan designation*). La LIGUE SLA, en accord avec les encouragements EMA et FDA pour le développement de médicaments orphelins, demande à ce que l'IWT adopte des modalités adaptées à la sélection de projets de recherche sur les maladies rares.

La LIGUE SLA approuve également les efforts entrepris par le Gouvernement Flamand pour la réalisation du **Centre Médical Flandre**,⁴ au sein du Pacte 2020- La Flandre en Action. La Ligue SLA souhaite aussi apporter une contribution constructive au tout récent **Centre pour l'Innovation Médicale (CMI)**, qui en stimulant la recherche translationnelle sera le maillon entre les innovations découvertes en laboratoire et le patient pour une meilleure prise en charge de celui-ci. À cet effet le CMI rassemble les connaissances acquises dans les universités flamandes, les hôpitaux universitaires, les institutions scientifiques, les industries pharmaceutiques et biotechnologiques et les organisations de patients.

La LIGUE SLA pourrait dans ce cadre, si souhaité, mobiliser ses membres en participant à la collecte de données de patients qui seraient reprises et conservés dans une *biobanque* pour être affectés à la recherche, et auxquelles le Gouvernement Flamand a dévolu un budget de 9,5M€. La LIGUE SLA espère également que le CMI prévoie, dans une deuxième phase, d'intégrer la recherche SLA dans un appel à projet thématique étendu (par ex. les maladies neurodégénératives).

3. La LIGUE SLA comme communicateur de la recherche

Alors que par le passé, les groupes de chercheurs académiques investissaient d'abord tous leurs efforts dans la transmission du savoir via des publications dans des revues scientifiques, aujourd'hui ils se focalisent de plus en plus sur la création de valeur économique comme le nom de brevet, la création d'une spin-off. Pendant la phase de recherche, il régit une obligation de secret au sein de l'entreprise pour des raisons de protection de la propriété privée et du maintien de la position de concurrence en découlant. Ce qui fait que, malgré le grand intérêt précité de ses membres, la LIGUE SLA ne puisse donner un compte-rendu détaillé de l'avancée de la recherche qu'au premier stade de la recherche ou quand est finalisée. Influencée par les autorités régionales, fédérales et internationales, la recherche scientifique a connu ces dernières années une tendance claire à la formation de consortiums. De plus en plus de partenaires financiers publics de la recherche favorisent l'association momentanée de préférence entre groupes de chercheurs académiques et industriels. En effet la mise en commun des connaissances acquises à l'université et dans le monde de l'entreprise mènent souvent à la synergie qui peut considérablement faire avancer la recherche. La LIGUE SLA est en faveur de cette évolution et souhaite prendre un rôle encore plus actif dans la **communication sur la recherche aux PALS**. Cette participation aux projets de recherche pourrait se traduire plus concrètement par la réalisation de **dossiers d'informations axés sur la diffusion de l'information au groupe cible**. D'autant plus que l'association de patients, en concertation avec les chercheurs académiques et industriels, est le meilleur moyen de communiquer les avancées de la recherche de façon ad hoc (discours utilisé, conscience des réalités). Aussi, nous demandons aux divers partenaires financiers publics de la recherche d'élargir les modalités d'appel à projet et qu'ils acceptent les organisations de patients comme opérateur de la communication de la recherche. Un budget destiné à cette tâche est indispensable pour la mener à bien.

4. De l'utilité d'un cofinancement pour la participation aux programmes de recherche

Les associations de patients, dont la LIGUE SLA, sont les partenaires tout indiqués pour le Programme Santé Publique UE 2008 -2013 financé par les instances européennes (générer et diffuser l'information et la connaissance dans le domaine de la santé)⁵ et le programme Interreg UE (coopération transfrontalière, e.a. priorité des personnes, de la santé)⁶. Les modalités de participation à ces programmes exigent un cofinancement substantiel par les réalisateurs, soit en espèces (*in cash*), soit sous une forme d'investissement personnel rémunéré équivalent (*in kind*). La plupart des grandes organisations est capable de fournir cet effort budgétaire. Or la LIGUE SLA, en tant qu'association sans but lucratif à relativement petite échelle qui fait presque exclusivement appel à des volontaires pour son fonctionnement quotidien, doit avoir **accès à des fonds externes** qui pourront servir au cofinancement pour la participations de tels programmes de recherche. Dans cette optique, la LIGUE SLA souhaite établir une bonne communication avec les autorités provinciales et les instances gouvernementales Flamandes compétentes.

5. Campagne de collecte de fonds ininterrompue

La LIGUE SLA veut souligner qu'elle stimule la recherche scientifique à long terme en y réservant explicitement une part substantielle de sa collecte de fonds dans le fonds de la recherche SLA. L'argent provenant de dons en faveur de ce fond complété par les revenus d'actions spécifiques pour la recherche est judicieusement mis à disposition des groupes de chercheurs SLA.

6. Pour conclure.

La LIGUE SLA considère l'encouragement de la recherche SLA comme une tâche primordiale pour son organisation. Nous souhaitons de cette manière participer à la découverte d'un traitement de la maladie aussi rapidement que possible.

1. Nous demandons à cet effet aux autorités régionales et fédérales de libérer plus de moyens financiers pour les chercheurs tant des universités que des hôpitaux universitaires ou d'entreprises afin qu'ils puissent accélérer la réalisation de projets de recherche.
2. La LIGUE SLA veut jouer un rôle encore plus important dans la communication de la recherche aux PALS en vue de leur transmettre des informations pertinentes sur les avancées de la recherche scientifique concernant leur maladie.
3. La LIGUE SLA collecte sans cesse des fonds des moyens financiers pour le fonds de recherche SLA qui sont mis à disposition des groupes de recherche sur la SLA.

Sources:

¹ Programme de recherche biomédicale appliquée à finalité sociale (IWT-TMB)
www.iwt.be/subsidies/tbm.

² Initiatives de l'European Medicines Agency (EMA): *Human medicines – Orphan medicinal products* <http://www.ema.europa.eu/htms/human/orphans/intro.htm>.

³ Initiatives de l'US Food and Drug Administration (FDA): *Developing products for rare diseases & conditions*
<http://www.fda.gov/ForIndustry/DevelopingProductsforRareDiseasesConditions/default.htm>.

⁴ Conceptnota *Vlaanderen Medisch Centrum: Vlaanderen In Actie - doorbraak Warme Samenleving* www.vlaandereninactie.be.

⁵ Programme Santé Publique UE 2008 -2013
http://ec.europa.eu/health/programme/policy/index_en.htm

⁶ Programme Interreg UE IV <http://www.grensregio.eu/interreg.aspx>