

OrphanDev

Plateforme labellisée F-CRIN

Accélérateur du développement de médicaments dans les maladies rares



Localisée au cœur d'une région dynamique dans le secteur des maladies rares (11 centres de référence, un pôle de compétitivité Eurobiomed axé maladies rares, deux filières maladies rares, des équipes hospitalo-universitaires impliquées), OrphanDev est une plateforme publique d'expertise rattachée à Aix Marseille Université (AMU) et à l'Institut de Neurosciences de la Timone (INT). Elle est une composante de l'infrastructure nationale F-CRIN (French Clinical Research Infrastructure Network) et agit en collaboration avec l'ensemble des structures nationales actrices dans les maladies rares.

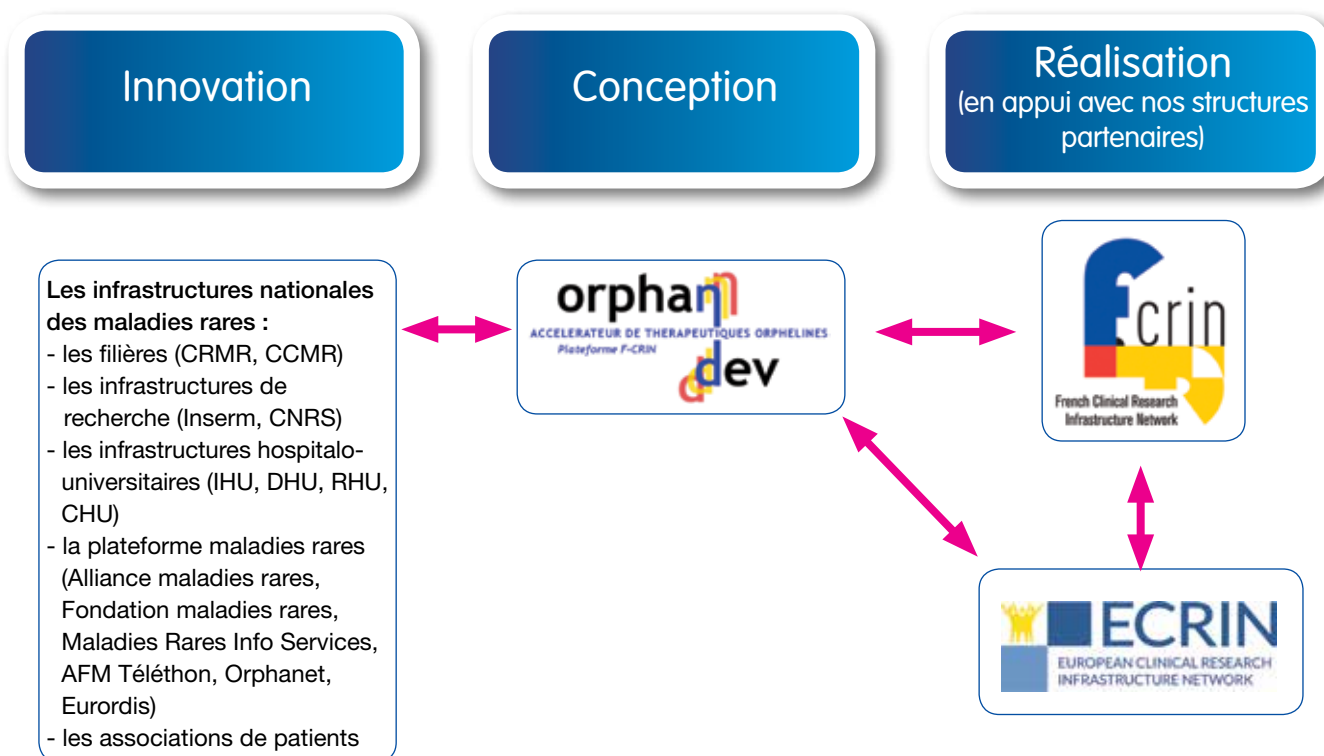
OrphanDev est spécialisée dans l'accompagnement des chercheurs, médecins et industriels en santé, dans le développement de médicaments dans les maladies rares. Cette équipe pluridisciplinaire soutient tout porteur de projet, qu'il soit public ou privé, tout au long des étapes cruciales du développement de médicaments. Elle apporte son expertise scientifique et réglementaire dans les demandes de désignation médicament orphelin et de protocole assistance, son appui logistique et méthodologique dans les essais cliniques maladies rares avec une spécificité dans la stratégie de recrutement des patients, et son expérience dans les appels à projets nationaux et européens. Cet ensemble de services et d'outils permet l'accélération du développement de thérapeutiques maladies rares.

OrphanDev est une plateforme académique au cœur des maladies rares, proche des équipes de recherche, des cliniciens, des industriels et des patients. Elle propose une expertise scientifique, réglementaire et méthodologique spécifique au développement de médicaments dans les maladies rares. OrphanDev accompagne ses partenaires notamment dans les demandes de désignation médicament orphelin, le recrutement des patients dans les essais cliniques et les projets européens.



Nos partenaires

OrphanDev est un des maillons d'un dispositif national avec une ouverture européenne pour la recherche et le développement dans les maladies rares en France.



• L'infrastructure F-CRIN (French Clinical Research Infrastructure Network)

F-CRIN a pour mission de renforcer la visibilité et la compétitivité de la recherche clinique française, qu'elle soit académique ou industrielle, en particulier au plan européen et international. L'infrastructure a labellisé des réseaux d'investigation clinique d'excellence centrés sur 8 thématiques et des plateformes de support à la recherche clinique, structures partenaires de la plateforme **OrphanDev**.

Au niveau européen, F-CRIN s'associe à ECRIN, infrastructure européenne dont elle est le partenaire scientifique français, pour le montage et la réalisation d'essais cliniques complexes multinationaux.

Nos formations

• Orphan Drug and Rare Disease Seminar

Rencontre européenne entre les acteurs majeurs des maladies rares (chercheurs, cliniciens, industriels, autorités compétentes), qui a pour but de susciter une réflexion commune sur les enjeux et les questions liées à l'évaluation des médicaments orphelins. Organisée tous les 18 mois en collaboration avec EudiPharm et avec le support de F-CRIN, cette formation est destinée aux académiques et aux industriels en santé.

• Explique-moi les essais cliniques

À destination des patients, en particulier ceux atteints de maladies rares, cette formation est organisée en partenariat avec les associations Tous Chercheurs et François Aupetit (AFA) et avec le soutien de F-CRIN. Elle a pour but de sensibiliser les patients à l'évaluation thérapeutique en leur permettant de mieux comprendre le processus de développement des médicaments et le déroulement d'un essai clinique.

L'équipe d'**OrphanDev** a une expérience confirmée dans les étapes importantes du développement du médicament dans les maladies rares. Elle propose un support scientifique, réglementaire, méthodologique et logistique spécifique au développement de médicaments orphelins et aux essais cliniques dans les maladies rares.

Au sein d'**OrphanDev**, des experts en pharmacologie clinique et en développement du médicament accompagnent industriels, cliniciens et chercheurs dans leurs projets sur les maladies rares.

●● Notre expertise spécifique

LA DÉSIGNATION MÉDICAMENT ORPHELIN EMA/FDA

Avantages

- Avantages financiers dans les démarches réglementaires à l'EMA
- 10 ans d'exclusivité commerciale après l'AMM en Europe et 7 ans aux États-Unis
- Visibilité et valorisation du projet et de son porteur
- Éligibilité dans les appels à projets européens maladies rares

Services d'OrphanDev

- Étude de faisabilité du dossier
- Proposition d'un calendrier pour la soumission
- Aide à la rédaction du document scientifique
- Aide à la constitution du dossier administratif
- Rédaction de la section prévalence
- Accompagnement dans les réunions avec les agences
- Soumission et suivi du dossier

PROTOCOL ASSISTANCE OU CONSEIL SCIENTIFIQUE EMA/FDA

Avantages

- Obtention de recommandations scientifiques et réglementaires de L'EMA et/ou de la FDA
 - sur le plan de développement de la molécule
 - sur le protocole d'un essai clinique

Services d'OrphanDev

- Proposition d'un calendrier pour la soumission
- Aide à la constitution du dossier administratif
- Aide à la rédaction du document scientifique
- Accompagnement dans les réunions avec les agences
- Soumission et suivi du dossier

RECRUTEMENT DES PATIENTS DANS LES ESSAIS CLINIQUES

Avantages

- Gain de temps pour les investigateurs
- Gain de temps pour les patients
- Diminution du Screen Failure
- Respect des délais d'inclusion

Services d'OrphanDev

- Proposition d'une stratégie de recrutement des patients en fonction des contraintes et objectifs de l'essai clinique
- Mise en place et gestion d'outils de communication
- Mise en place et gestion d'outils de pré-screening
- Suivi des inclusions en collaboration avec les centres investigateurs et réseaux impliqués dans l'étude

●● Notre expertise complémentaire

Mise en œuvre du projet d'essai clinique

- Étude de faisabilité
- Rédaction du synopsis
- Conseil dans le montage du projet d'essai clinique
- Rédaction des réponses d'appels à projets nationaux et européens

Élaboration et conduite d'essai clinique

- Rédaction des documents d'étude

Soumission et suivi réglementaire d'essai clinique

- Soumission du dossier auprès des autorités compétentes
- Suivi de l'étude auprès des autorités compétentes

Fin d'essai clinique

- Valorisation des résultats (rédaction médicale)

Pourquoi OrphanDev ?

- **Bénéficier** d'une expertise spécifique dans les essais cliniques maladies rares.
- **Être accompagné** dans les démarches de demande de désignation médicament orphelin et de protocole assistance.
- **Respecter** les objectifs et les délais en terme de recrutement des patients.
- **Réaliser** des essais cliniques dans les meilleurs délais.
- **Accéder** à un réseau de professionnels spécialistes.
- **Disposer** d'une plateforme experte dans la réalisation d'essais thérapeutiques.
- **Surmonter** les difficultés réglementaires de l'évaluation thérapeutique dans une maladie rare.
- **Résoudre** les questions logistiques notamment lors d'études multicentriques.

Notre équipe

Pr Olivier Blin, **coordonnateur**

Marine Berro, **responsable projets**

Cécile Colombar, **chef de projet**

OrphanDev - Plateforme F-CRIN

PiCi - INT

Secteur de Pharmacologie Intégrée et Interface Clinique et Industrielle - Institut des Neurosciences de la Timone (Aix Marseille Université et UMR 7289 CNRS)

27 Bd Jean Moulin
13005 Marseille
Tel: 04 91 32 41 62

contacts@orphan-dev.org

www.orphan-dev.org