



Filière G2M

Maladies Héréditaires du **M**étabolisme

**CHARTRE D'ORGANISATION ET DE
FONCTIONNEMENT DU GUICHET UNIQUE DE
RECHERCHE-INTERFACE ESSAIS CLINIQUES:
FONDAMENTALE, TRANSLATIONNELLE ET
CLINIQUE**

Filière Santé Maladies Rares G2M
Adresse : Centre de Référence
des Maladies Héréditaires du Métabolisme
AP-HM Hôpital de la Timone
264 Rue Saint Pierre - 13385 MARSEILLE Cedex 05
www.filiere-g2m.

1. Mission et objectifs

Le guichet unique de la recherche de la filière G2M est un facilitateur de recherche et a pour but :

- L'organisation des centres de référence et de compétence faisant partie de la filière en matière de recherche : fondamentale, translationnelle et clinique sur les maladies rares métaboliques, notamment :
 - Projets internationaux
 - Projets nationaux
 - Essais industriels
 - Essais académiques
- D'accroître la capacité des centres à répondre à des projets et à coordonner des projets de recherche nationaux et internationaux (expertise scientifique, conseil méthodologique, participation à des essais internationaux, aide au montage de projets européens...)
- De développer les connexions et collaborations avec :
 - Des unités de recherche
 - L'industrie du médicament et du dispositif médical
 - Les acteurs de la recherche académique nationaux et internationaux
 - Les associations de patients
- Le guichet unique n'a pas pour vocation d'être promoteur de recherche clinique. Il constitue un partenaire pour améliorer l'organisation et la gestion des structures de recherche et notamment clinique et faciliter les interactions afin de mettre en place au mieux des projets de recherche dans le domaine des maladies héréditaires du métabolisme (MHM).

2. Organisation et gouvernance

2.1 Présentation des équipes (voir annexe)

Equipe	Comité de pilotage	Comité scientifique	A l'exécution
Membres	-5 membres permanents -1 membre invité permanent le coordonnateur de la filière G2M -Coordonnateur du guichet unique	-Membres du comité de pilotage -Les représentants des centres de référence et centres de compétence -1 Biologiste -1 représentant des associations de patients	Coordonnateur du guichet unique

2.2 Mission des équipes

Comité de pilotage :

- Définir la politique générale du guichet unique recherche
- Garantir et appliquer les orientations scientifiques du guichet unique recherche
- Valider les documents du guichet (scientifiques ou rapport d'activité)
- Prendre les décisions relatives à la gestion du guichet unique de recherche
- Valider la communication du guichet unique de recherche
- Trier les demandes et les redistribuer pour validation vers le comité scientifique

Comité scientifique

- Valider l'éligibilité des études ou projets (de recherche fondamental (es), translationnel (les) ou clinique (s)) et les redistribuer vers la coordinatrice afin que celle-ci les diffuse à l'ensemble des acteurs de la filière.

L'exécution

- Organiser les sollicitations adressées par les promoteurs académiques et industriels à tous les membres de la filière
- Tenir à jour un annuaire de ces membres, ainsi qu'une cartographie des centres et de leur expertise ainsi que des laboratoires qui collaborent avec les membres de la filière.
- Assurer la mise en place d'un système d'information accessible à l'ensemble des membres de la filière permettant de suivre l'activité de recherche en cours dans le réseau et accéder aux documents généraux du guichet.
- Diffuser à l'ensemble des membres de la filière éligibles l'information sur les propositions de nouvelles études ou projets
- Aider au respect de la charte du guichet unique
- Animation du guichet unique de recherche
- Tenir à jour la liste des études en cours

2.3 Partenaires

- FCRIN (composante française d'ECRIN, une infrastructure européenne soutenant la réalisation d'essais cliniques multinationaux), Réseaux et plateformes de service labellisés FCRIN, ECRIN (« European Clinical Research Infrastructures Network »)
- Orphan-Dev (accélérateur de développement des médicaments orphelins)

2.4 Circulation de l'information

Les décisions concernant les grandes orientations, le pilotage, la circulation des informations et la gestion des moyens sont prises par les membres du comité de pilotage.

Les informations sur les activités du guichet se font par échange de mails, newsletters et réunions ainsi que par le biais du site G2M (www.filiere-g2m.fr/). Ces informations sont centralisées par le coordonnateur du guichet unique qui les redistribue aux entités demandeuses et les rend accessibles par l'intermédiaire par mail et du site web.

La liste des études, leur suivi et leurs résultats feront l'objet d'un archivage (tableau mis à jour) et sera régulièrement mise à jour par le biais d'une newsletter.

3. Valorisation et règles

Les centres de référence, centres de compétence et centres d'expertise doivent s'engager à :

- Accepter et respecter les termes de la présente charte et les modalités de fonctionnement du guichet unique de recherche
- Prendre connaissance de l'ensemble des informations diffusées par le guichet et être interactif pour répondre aux sollicitations du comité de pilotage (demandes d'informations et d'actualisation des documents, propositions d'études, etc...)
- Participer activement aux essais cliniques proposés par le réseau et pour lesquels ils ont accepté de participer dans la limite de leur disponibilité qu'il s'agisse de coordination ou participation active telle que le recrutement, ou la participation au comité de pilotage/scientifique)
- Assurer un suivi des essais en cours dans leur centre (une fois par an)
- Transmettre au coordinateur du guichet les propositions d'étude qui lui sont faites ou dont il est l'auteur
- S'engager, si une étude lui a été proposée dans le cadre du guichet unique de recherche, à ne pas la réaliser en dehors du guichet, même s'il est sollicité dans un 2^{ème} temps par le promoteur ou un prestataire
- Le rôle du guichet s'arrête à faire le lien entre le promoteur et le centre de référence ou de compétence
- Etre formé ou participer aux formations organisées dans le cadre du guichet unique de a recherche notamment aux BPC

4. Mise à jour de la charte

La charte sera mise à jour un an après sa validation par le comité de pilotage. Elle sera théoriquement réévaluée tous les deux ans.

5. Publications

Une politique de publication sera définie à chaque projet par le comité de pilotage et/ou le comité scientifique.

Annexe : Liste des équipes du guichet unique recherche au 06/09/2016

Equipe	Comité de pilotage	Comité scientifique	A l'exécution
Membres	-5 membres permanents : Dr. Nadia BELMATOUG Pr. Pascale DE LONLAY Dr. Dries DOBBELEARE Pr. Francois MAILLOT Dr. Manuel SCHIFF -1 membre invité permanent le coordonnateur de la filière G2M Pr. Brigitte CHABROL -Coordonnateur du guichet unique Mme Azza BEN HAMIDA-KHEMIRI	-Membres du comité de pilotage -Les représentants des centres de référence et centres de compétence répartis en groupes : * Intox, OAG : CMR Robert Debré CMR Necker CMR Nancy CMR Lille CMR Lyon CMR Marseille *Lysosome (CETL) : Maladies lysosomales CMR Beaujon Fabry : Pr. Germain et Pr. Lidove Gaucher : Dr. N. BELMATOUG MPS : A. BRASSIER et B. HERON Niemann Pick : B. HERON et Y. NADJAR Déficit en lipase acide : O. LIDOVE Maladie de Pompe: P. LAFORET * Mito : CMR Robert Debré, CMR Necker, CMR Marseille *Galactosémie, tyrosinémie, GSD : CMR Béclere CMR Robert Debré CMR Necker CMR Nancy CMR Lille CMR Lyon CMR Marseille *CDG : CMR Robert Debré CMR Necker CMR Marseille *Nerotransmetteurs : CMR Robert Debré CMR Necker CMR Marseille -1 représentant ass. patients -Biologiste : Dr. Chris OTTOLENGHI	Coordonnateur du guichet unique