

\_EN DIRECT

## La recherche médicale et ses composantes

**Développons l'idée d'un pôle français de recherche médicale et scientifique unique qui regrouperait toutes les compétences des chercheurs français en une seule entité juridique tout au moins en ce qui concerne le statut des recherches, des chercheurs, si ce n'est de leurs rémunérations qui peuvent être du ressort d'organismes indépendants les uns des autres quels qu'en soient les raisons.**

Un domaine nous est précieux, la recherche médicale en sciences du vivant et en santé, de près ou de loin, il concerne notre avenir et celui de nos descendants. Nous avons souhaité y consacrer un numéro de notre revue et deux de nos newsletters pour bien nous y référer.

L'encyclopédie canadienne précise à ce propos : *Le champ de la recherche médicale s'étend de la recherche fondamentale à la recherche clinique et aux applications technologiques. La recherche fondamentale comprend l'étude des fonctions biologiques. Les connaissances ainsi acquises peuvent être ensuite appliquées à la recherche clinique afin d'aider*

*à comprendre certaines maladies et à élaborer de nouveaux traitements, soins ou méthodes de prévention. Les applications technologiques sont issues à la fois de la recherche clinique et de la recherche fondamentale : vaccins, médicaments, instruments, diagnostics, prothèses et autres équipements sanitaires. Médecins, biologistes, biochimistes, ingénieurs biomédicaux, chimistes, dentistes, vétérinaires, économistes sanitaires, infirmiers et pharmaciens font partie des professionnels de la santé participant à la recherche médicale. L'objectif global vise l'amélioration des diagnostics, des traitements, de la prévention et de la guérison des maladies et de la prestation de soins, de la manière la plus efficace et la plus économique possible.*

En effet, mettre à disposition un nouveau médicament est le fruit d'un processus long et complexe. Avant sa commercialisation, un médicament passe obligatoirement par plusieurs étapes et il lui faut près d'une quinzaine d'années pour être à la disposition des professionnels de santé.

Il y a un début à tout et pour cela on fait appel à la recherche fondamentale.

**La recherche fondamentale** selon le web (dont wikipédia...) :

*La recherche fondamentale regroupe les travaux de recherche scientifique n'ayant pas de finalité économique déterminée au moment des travaux.*

*Recherche portant sur des théories, des principes de base, qui vise à accroître les connaissances dans un domaine donné sans se préoccuper des implications pratiques.*

\_EDITO

La Ligue Rein & Santé vous présente ses meilleurs vœux. Elle remercie tout particulièrement ceux qui lui ont permis de réaliser et de distribuer gracieusement les médias qu'elle produit (Rein échos, Rein infos et Rein échos net). En occurrence ses partenaires : sponsors, les médecins qui écrivent bénévolement dans sa revue et ceux qui lui permettent de la distribuer dans l'hexagone à plus de 15 000 ex. Enfin à l'ensemble de ses lectrices et lecteurs et autres internautes ou membres de son forum et aux associations amies.

Que chacune et chacun réalisent en 2009 un de leur projet qu'ils ont à cœur, et ainsi écrire une nouvelle histoire de leur vie.

Citons à ce propos deux auteurs :

« L'espoir est toujours vainqueur du tracassin » a dit Charles de Gaulle (1890-1970), et Gaston Bachelard (moins connu) 1884-1962, « *Dans la pensée scientifique, la méditation de l'objet par le sujet prend toujours la forme d'un projet* ».



\_POUR UN DON SPÉCIFIQUE  
SUR LES MALADIES RÉNALES

**FRM (Fondation de la recherche médicale)**  
<http://www.frm.org>

**et Fondation du Rein**  
<http://www.fondation-du-rein.org/>

*La recherche fondamentale n'ayant par définition pas de perspective économique, elle est presque exclusivement le fait de laboratoires de recherche et fait rarement l'objet de partenariats avec industrie ou les services.*

La finalité de la recherche est d'abord l'avancée continue du front des connaissances en développant par extension les savoirs de la science.

Voilà donc les traits caractéristiques d'un domaine scientifique où l'on tente avant tout de comprendre et expliquer le pourquoi et le comment ; ce qui un jour permettra d'en tirer des enseignements majeurs dans un domaine ou un autre. C'est donc le cas pour nos affections de longue durée (maladies génétiques, rares, auto-immunes, orphelines...) que l'on ne sait guérir actuellement et qui ne concernent parfois qu'une très faible part de nos concitoyens.

Des budgets sont heureusement octroyés par la société vers cette recherche qui vise d'une part l'amélioration des connaissances, la compréhension de la cause et peut-être à terme des solutions pour ralentir les effets. Un travail de longue haleine, parfois peu (ou mal) rémunéré mais indispensable à l'avancée des sciences de la vie, à l'homme, à chacune et chacun d'entre nous.



La recherche fondamentale ne saurait donc être confondue avec la recherche clinique ou biomédicale, que nous aborderons dans notre prochaine newsletter.

### QUELS EN SONT LES GRANDS ACTEURS ?

A l'heure où le gouvernement engage une réforme radicale du système de recherche français, et où certains redoutent la disparition de l'Inserm et du CNRS, Alain Fischer (médecin chercheur) déplore le manque de culture scientifique de notre pays. « *Les leaders politiques et économiques ont globalement peu de culture scientifique, explique le médecin-chercheur dans le portrait publié par l'Inserm. C'est à mon avis en grande partie le système des grandes écoles séparées des universités qui favorise cela. La plupart des dirigeants politiques et économiques de notre pays, issus de ces écoles, n'acquièrent donc pas cette sensibilité. Cela explique, en partie, pourquoi les politiciens qui sont souvent issus de grandes écoles ne s'y intéressent guère!* ». (Nouvel Observateur du 2.12.08.)

Les termes sont ainsi posés, notamment si l'on ajoute aux grands centres de recherches de l'Etat que sont le CNRS et l'Inserm, l'Inra, le CEA... tous les autres. Des organismes somme toute complémentaires et créés à différentes époques, qui se complètent utilement, puisque les découvertes des uns servent aux autres.

Dans le Monde en mars 2008, on lisait cela : *Le CNRS et l'Inserm s'apprêtent à «repenser profondément» leur organisation autour d'instituts. Au risque, selon certains, d'être transformés en holdings, privés d'autonomie.*

Et plus récemment : « *L'approche de l'Agence d'évaluation de la recherche et de l'enseignement supérieur* » suggère la création d'un *Institut unique pour les sciences de la vie et de la santé, qui ait la responsabilité du financement des recherches dans ce secteur.*

Nous sommes ainsi dans le cadre de profondes mutations annoncées, tout au moins pour ce qui concerne actuellement deux des organismes, l'Inserm et le CNRS.

Le CNRS (créé en 1939) se dit le principal organisme de recherche à caractère pluridisciplinaire en France, le CNRS mène des recherches dans l'ensemble des domaines scientifiques, technologiques et sociétaux. Il couvre la totalité de la palette des champs scientifiques, qu'il s'agisse des mathé-

matiques, de la physique, des sciences et technologies de l'information et de la communication, de la physique nucléaire et des hautes énergies, des sciences de la planète et de l'Univers, de la chimie, des sciences du vivant, des sciences humaines et sociales, des sciences de l'environnement ou des sciences de l'ingénierie. Avec plus de 32 000 personnes (dont 26 000 statutaires - 11 600 chercheurs et 14 400 ingénieurs, techniciens et administratifs), un budget 2009 de 3,277 milliards d'euros dont 588 millions d'euros de ressources propres, une implantation sur l'ensemble du territoire national, le CNRS exerce son activité dans tous les champs de la connaissance, en s'appuyant sur plus de 1 200 unités de recherche et de service.

L'Inserm (créé en 1964) annonce sur son site qu'il est le seul organisme public français entièrement dédié à la recherche biologique, médicale et en santé des populations. Et que ses chercheurs ont pour vocation l'étude de toutes les maladies humaines des plus fréquentes aux plus rares. Avec aujourd'hui, les caractéristiques suivantes : 80% des 316 laboratoires de recherche Inserm sont implantés au sein des centres hospitalo-universitaires ou des centres de lutte contre le cancer, les autres étant situés sur les campus de recherche du CNRS ou encore des Instituts Pasteur ou Curie. Ainsi, 13 000 personnes (dont 6 000 chercheurs) travaillent dans les 316 unités de recherche de l'Inserm répartis sur l'ensemble du territoire français.

Si les sciences du vivant, voire humaines et sociales sont dévolues dans un champ très large au CNRS, l'Inserm est quant à lui plus centré sur nos problématiques. Puisque, la mission première de l'Inserm est de faciliter les échanges entre :

la recherche fondamentale, définie parfois comme « guidée par la curiosité », celle dont le but est d'éclairer l'inconnu, sans but précis ;

la recherche clinique, celle qui se fait auprès du patient ;

la recherche thérapeutique ou diagnostique, dont le but est l'étude des maladies ;

la recherche en santé publique, qui s'attache à mieux connaître les mécanismes de la santé par l'étude de groupes de populations notamment.

On ne saurait omettre de présenter une nouvelle arrivante « L'Agence nationale de la recherche (ANR) » Cet établissement public à caractère administratif, créé le 1<sup>er</sup> janvier 2007, est une agence de financement de projets de recherche. Son objectif est d'ac-

croître le nombre de projets de recherche, venant de toute la communauté scientifique, financés après mise en concurrence et évaluation par les pairs.

L'ANR s'adresse à la fois aux établissements publics de recherche et aux entreprises avec une double mission : produire de nouvelles connaissances et favoriser les interactions entre laboratoires publics et laboratoires d'entreprise en développant les partenariats.

## LE FINANCEMENT DE LA RECHERCHE FONDAMENTALE

Selon wikipedia : *Les activités de recherche scientifique, et particulièrement de recherche fondamentale, ne peuvent pas garantir une rentabilité commerciale à court ou moyen*

*terme. Elle ne peut donc que marginalement être financée dans le cadre de la loi du marché en attirant des investisseurs au sens classique du terme.*

*Les États ont donc développé des systèmes spécifiques de financement pour ces activités, qui peuvent faire intervenir aussi bien des fonds publics que privés. Ces modes de financement doivent être adaptés à l'exigence d'autonomie de la science, et soulèvent le problème de l'évaluation de la pertinence des travaux effectués. L'État doit pallier l'insuffisance du marché dans le financement de la recherche.*

**Le recours à des financements publics et privés sont courants, de même les financements liés à l'appel d'offre d'une associa-**

**tion** ou encore le recours aux financements de l'Union européenne, qui sont tous nécessaires à nos chercheurs pour exercer leur activité. On va jusqu'à se demander quelque fois si cette recherche fondamentale est utile car sans finalité économique déterminée (a-t-on dit récemment dans la presse à propos du CERN). De ce fait l'on a envisagé un Conseil européen de la recherche pour financer la recherche fondamentale.

Le nouveau Conseil européen de la recherche (CER) officiellement lancé en juin 2008 n'a qu'un mot d'ordre : soutenir l'excellence dans la recherche européenne, encourager les avancées et les découvertes « aux frontières de la connaissance ». Indépendant, ce conseil dirigé par le biologiste Fotis Kafatis (Imperial College London) sera géré par des scientifiques et accordera des financements à des projets de recherche fondamentaux ou « exploratoires ». Il s'agit de financer des travaux pionniers qui peuvent déboucher sur de nouveaux procédés – sans que cela soit forcément évident au départ.

## POUR CE QUI CONCERNE LES MALADIES RÉNALES

L'Inserm précise que : *L'insuffisance rénale chronique est une charge sociale et médicale très lourde.*

## \_\_FRM ET FONDATION DU REIN, APPUIS FONDAMENTAUX DE LA RECHERCHE

Heureusement il y a aussi les dons privés à la recherche, via les fondations. Par exemple, la Fondation de la Recherche Médicale et la Fondation du Rein. L'action de ces deux fondations est guidée par les besoins exprimés par les chercheurs eux-mêmes, ainsi que par la notion d'Excellence.

La Fondation de la Recherche Médicale lance chaque année un appel à projets vers tous les chercheurs à la suite duquel elle reçoit près de 2 000 demandes de soutien financier. Commence alors un travail minutieux d'examen et de sélection des projets. Il est mené par son Conseil scientifique composé de 30 chercheurs issus de tous les domaines de recherches. Il ne retient que les meilleurs travaux, ceux dont il considère qu'ils sont porteurs de progrès médicaux majeurs. Par ailleurs, grâce à sa vision panoramique de la recherche, la Fondation sait identifier les besoins les plus importants, détecter les secteurs les plus délaissés, ceux qui nécessitent un apport financier spécifique. La Fondation met alors en place des programmations spécifiques pour répondre aux urgences de la recherche

### Quand est-il de son action dans le domaine des maladies rénales ?

Les chiffres sont le meilleur moyen d'illustrer son action dans ce domaine. En 2006 et 2007 elle a soutenu 33 projets pour un montant global de 2,2 millions d'euros. Les travaux soutenus concernent aussi bien les pathologies inflammatoires (dont la maladie de Berger), les maladies rares (Syndrome de Frasier, polykystose rénale...), les pathologies rénales secondaires à une hypertension ou un diabète, les tumeurs de rein de l'enfant ou de l'adulte, ainsi que les problèmes associés à la transplantation rénale.

La Fondation du Rein a, comme son nom l'indique, été créée pour soutenir spécifiquement la recherche dans le domaine des maladies rénales. Elle attribue chaque année des prix à de jeunes chercheurs de moins de 40 ans travaillant dans ce cadre. Ils ont été attribués en 2008 à Nassim Kamar de Toulouse qui a montré l'importance de l'infection par le virus de l'hépatite E chez les transplantés rénaux et à Emmanuelle Plaisier de Paris qui a décrit une nouvelle maladie rénale héréditaire portant sur des mutations du collagène IV. En outre, la Fondation du Rein, avec l'aide de la Société de Néphrologie et de la Société Francophone de dialyse, assure entièrement le financement du Programme national de recherche en néphrologie et urologie dont l'Inserm s'est retiré. Ce fait souligne l'importance des fonds d'origine privée pour soutenir la recherche en réponse à la carence des organismes publics. Enfin, la Fondation du Rein en coopération avec l'Association Française de lutte contre les myopathies (AFM) et l'Association d'Information et de Recherches sur les Maladies Génétiques Rénales (AIRG) lance un appel d'offres de 130.000 euros pour financer des projets portant sur la thérapie génique et la thérapie cellulaire des maladies rénales. Cet appel d'offres sera renouvelé en 2010 et 2011.





L'efficacité des traitements préventifs et la recherche sur les traitements de suppléance, restent insuffisantes.

Or la France, est l'un des leaders mondiaux dans la recherche néphrologique. Malgré des moyens limités, la France peut faire état d'avancées récentes de premier plan dans la recherche néphrologique :

- identification de gènes impliqués dans les maladies génétiques du glomérule et dans les malformations rénales (*podocine, néphrocystine, gènes du système rénine-angiotensine,...*) ;
- caractérisation de nouveaux mécanismes impliqués dans les maladies rénales néonatales (*allo-immunisation fétomaternelle*) et de l'adulte (*maladie de Berger, syndrome néphrotique*) ;
- identification de nouveaux mécanismes de progression de la fibrose rénale (*principale cause d'insuffisance rénale*) et première démonstration de sa régression, en particulier dans les néphropathies vasculaires ;
- établissement du transcriptome du néphron, unité fonctionnelle du rein ;
- en physiologie rénale : première identification de mutations des transporteurs du phosphate (*impliqués dans la lithiase et l'ostéoporose*) et des protéines de la famille WNK dans certaines formes d'hypertension ;
- essai thérapeutique innovant de molécules immunosuppressives moins toxiques en transplantation rénale (*molécule bloquant le principal co-signal d'activation*).

En 2007, L'Institut national de la santé et de la recherche médicale (Inserm), la Société de néphrologie et la Fondation du rein ont reconnu la nécessité de mettre en place un

Programme national de recherche sur les maladies du rein et des voies urinaires. Un mini colloque a été organisé réunissant 80 chercheurs afin d'effectuer un état de l'art, d'évaluer les forces et les faiblesses de la recherche française dans le domaine, et d'identifier des priorités de recherche.

C'est donc ainsi que débute une longue histoire pour le chercheur et son équipe qui de tâtonnement en tâtonnement au sein de son laboratoire, escompte un jour finaliser une découverte, dont il publiera chaque avancée pour validation du monde scientifique, escomptant un jour un brevet qui permettra peut-être l'obtention d'une molécule en mesure de soulager nos insuffisances rénales chroniques. Les chercheurs ouverts sur la société sont aussi les plus actifs académiquement ; en effet la moitié des chercheurs pratique des activités de diffusion et de vulgarisation de leurs recherches.

RÉDACTION REIN INFOS  
DÉCEMBRE 2008 (LIGUE REIN & SANTÉ)

\_\_LES RENCONTRES  
AVEC L'AFSSAPS  
**2<sup>ème</sup> Rencontre avec les PME innovant  
dans le domaine de la santé - 19/11/2008**  
<http://afssaps.sante.fr:80/htm/1/exppub/innovation.htm>

\_\_COLLOQUE « RECHERCHE  
BIOMÉDICALE ET PROTECTION  
DES PERSONNES  
**La première des lois de bioéthique a 20  
ans » – 11 décembre 2008**  
<http://afssaps.sante.fr/htm/1/exppub/d011208.pdf>

...DE L'ESPOIR...

En filtrant le sang et en le débarrassant de ses toxines, de ses déchets et de ses sels minéraux excédentaires, les reins jouent un rôle important dans le corps humain. Les maladies touchant ces organes peuvent condamner les patients à subir des dialyses tout au long de leur vie.

Récemment, grâce à des cellules souches de la moelle osseuse, une équipe de chercheurs menée par le biologiste Raghu Kalluri est parvenue à réduire chez des souris les symptômes liés au syndrome d'Alport, une maladie génétique qui empêche les reins de bien remplir leur rôle de filtration. Ils forment le vœu de voir un jour un monde sans dialyse...

En filtrant le sang et en le débarrassant de ses toxines, de ses déchets et de ses sels minéraux excédentaires, les reins jouent un rôle important dans le corps humain. Les maladies touchant ces organes peuvent condamner les patients à subir des dialyses tout au long de leur vie.

Récemment, grâce à des cellules souches de la moelle osseuse, une équipe de chercheurs menée par le biologiste Raghu Kalluri est parvenue à réduire chez des souris les symptômes liés au syndrome d'Alport, une maladie génétique qui empêche les reins de bien remplir leur rôle de filtration. Ils forment le vœu de voir un jour un monde sans dialyse...

Il reste encore beaucoup de chemin à parcourir avant que l'on ne vive dans un monde sans dialyse, mais la possibilité que des cellules transplantées échangent leur bagage génétique avec les cellules originelles et aident à guérir le syndrome d'Alport est bien réelle.

[HTTP://WWW.FUTURA-SCIENCES.COM/  
FR/NEWS/T/VIE-1/D/VERS-UN-MONDE-  
SANS-DIALYSE-GRACE-AUX-CELLULES-  
SOUCHES\\_8818/](http://www.futura-sciences.com/fr/news/t/vie-1/d/vers-un-monde-sans-dialyse-grace-aux-cellules-souches_8818/)