

Nous joindre

Vous avez un projet dans une maladie rare ?
N'hésitez pas à nous contacter !

ORPHANDEV
CIC CPCET
Bâtiment F
Hôpital de la Timone
13385 Marseille Cedex 5
Tel : 04 91 38 75 63
Fax : 04 91 47 21 40
orphandev@gmail.com

Nous rejoindre

Vous êtes intéressé par la recherche clinique dans les
maladies rares ? Vous souhaitez être connecté avec un
réseau d'experts ?

Unités de recherche,
Centres de référence,
Centres de compétence maladies rares,
Laboratoires pharmaceutiques,
Associations de patients,

rejoignez nous !

Demande d'adhésion :



orphandev@gmail.com



Réseau national
de développement
de médicaments
et de thérapeutiques
biologiques
dans les maladies rares



*Orphandev, soutenu par le
Centre National de Gestion des Essais de Produits de Santé
(CeNGEPS), fait également partie de la
Fondation nationale Recherche Maladies Rares.*



La recherche clinique Maladies Rares

Les années 2000 s'ouvrent sur une nouvelle ère thérapeutique pour les patients atteints de maladies rares :

- Adoption du Règlement du Médicament Orphelin en Europe
- Séquençage complet du génome humain
- Identification de nombreuses anomalies génétiques
- Meilleure compréhension des mécanismes physiopathologiques de nombreuses maladies
- Développement de nouveaux modèles cellulaires

La France, des atouts certains pour la recherche clinique dans les maladies rares

- Des **politiques de santé** en faveur des maladies rares (Plans Nationaux Maladies Rares)
- Une structuration de l'**offre de soins** harmonisée via les centres de référence et les centres de compétence
- Une **recherche** académique fructueuse
- Des **investigateurs** impliqués
- Des **associations** de patients fortement mobilisées (AFM, AMR...)

Les contraintes de l'évaluation thérapeutique dans les maladies rares

Complexité des essais cliniques dans les maladies rares

Les difficultés habituelles de la conduite d'un essai clinique pour un médicament normal se cumulent dans le cas d'un médicament orphelin :

- Etiologie de la maladie parfois indéterminée ou peu documentée
- Difficultés méthodologiques
- Effectifs limités de patients
- Logistique beaucoup plus lourde...

Face à ces difficultés, les promoteurs de thérapeutiques pour les maladies rares peuvent se décourager...

- Taux d'attrition plus important pour une molécule orpheline
- Mêmes exigences d'essais cliniques de qualité de la part des autorités compétentes, dans le respect de l'éthique
- Peu de réponses au besoin de structuration pour aider à la réalisation d'essais cliniques

Orphandev, des compétences dédiées à la conception et à la réalisation d'essais cliniques de qualité dans les maladies rares

Grâce à son **expérience des essais cliniques** en général et plus spécifiquement des essais menés dans les maladies rares, l'équipe d'**Orphandev met à disposition** des industriels, des cliniciens et des chercheurs **une plateforme de compétences et un réseau d'experts afin d'optimiser l'élaboration et la conduite d'essais dans le domaine des maladies rares.**

Vos besoins...



Laboratoires pharmaceutiques

- Réalisation des essais cliniques dans les meilleurs délais
- Respect des objectifs fixés au protocole
- Accès à un réseau de professionnels spécialistes
- Accès à une plateforme experte dans la réalisation d'essais thérapeutiques

Médecins

- Surmonter les difficultés méthodologiques de l'évaluation thérapeutique dans une maladie rare
- Résoudre les questions logistiques notamment lors d'études multicentriques

Chercheurs

- Passer du modèle cellulaire au patient
- Etablir des connexions avec les cliniciens

Orphandev vous apporte des solutions sur mesure



- Aide dans la transposition d'études pré cliniques chez les patients
- Support scientifique pour l'élaboration d'une étude
- Soutien dans la recherche de financements (PHRC, ANR...)
- Aide dans la constitution de dossiers réglementaires auprès des autorités compétentes afin d'obtenir les autorisations à la mise en place d'un essai dans les plus brefs délais
- Accès à une plateforme experte dans la réalisation d'essais thérapeutiques
- Optimisation du recrutement des patients
- Assistance sur le terrain lors de la conduite de l'essai (identification des freins et leviers...)

Et bien d'autres services...