

Le rôle des fondations privées pour l'encouragement de la recherche dans le domaine des maladies rares

Jacques Rognon, Cortaillod

Introduction

La recherche médicale est financée principalement par les Universités, les Ecoles polytechniques, le Fonds national de la recherche scientifique, les entreprises pharmaceutiques et quelques fondations privées. Dans le cas des maladies rares, dont la prévalence de l'affection est inférieure à 1 pour 2000, il est clair que l'engagement financier des Instituts universitaires et des entreprises pharmaceutiques est très faible. Le rôle des fondations privées est donc central pour encourager la recherche dans cette catégorie de maladies.

Le développement de la Fondation Suisse de Recherche sur les Maladies Musculaires (FSRMM), créée il y a 28 ans, est un exemple intéressant du rôle que peut jouer une fondation privée pour encourager la recherche dans un domaine si longtemps oublié.

Création et développement de la FSRMM

Origine et buts de la Fondation

Les myopathies ou maladies neuromusculaires font partie des maladies rares, c'est-à-dire des maladies qui affectent moins d'une personne sur 2000. On compte quelque 10'000 malades en Suisse. La dystrophie de Duchenne et l'atrophie spinale sont les plus connues. Ces maladies sont d'origine génétique, évolutives et pour l'instant incurables.

En 1982, Jacques Rognon a appris que ses deux garçons souffraient de myopathie. Constatant que la recherche dans ce domaine avait été longtemps négligée, il a créé il y a 28 ans, avec l'aide de son épouse et de quelques amis, la Fondation Suisse de Recherche sur les Maladies Musculaires (FSRMM) www.fsrmm.ch.

La Fondation a pour but de promouvoir en Suisse la recherche scientifique sur les maladies musculaires touchant les enfants et les adultes. A cette fin, elle décerne en premier lieu des bourses à des chercheurs travaillant

dans ce domaine. Elle peut, en second lieu, encourager matériellement les activités scientifiques par d'autres moyens appropriés.

Organes

Conseil de fondation

La Fondation est gérée par un Conseil de fondation qui se réunit deux fois par an.

Il est responsable de la gestion financière et administrative, de la recherche de fonds et du choix final des boursiers proposés par le Conseil scientifique. Il est formé d'une quinzaine de personnalités provenant des trois régions linguistiques de Suisse et représentant le monde scientifique, économique et politique.

Conseil scientifique

Le Conseil scientifique se réunit une fois par année. Il est responsable d'analyser et de sélectionner les projets des boursiers. Le Conseil scientifique est formé d'éminents spécialistes de la recherche fondamentale et de la recherche clinique des universités de Suisse.

La composition des deux conseils se trouve sur le site www.fsrmm.ch.

Ressources

N'ayant pas bénéficié d'un don ou d'un legs au départ, la Fondation a dû mener une politique active de recherche de ressources. Elle est financée par l'économie, par des fondations, par des loteries et par des personnes privées. Depuis 1989, elle est soutenue par le Téléthon, vaste opération caritative qui mobilise une fois par année des milliers de bénévoles. Le Téléthon est la principale source de financement de la Fondation puisqu'il représente le 75 % des ses ressources. Le Téléthon étant peu connu en Suisse alémanique, on peut dire qu'une grande partie du financement provient de Suisse romande et du Tessin.

Activités

L'essentiel des activités est consacré à l'octroi de bourses et au soutien financier de séminaires. Grâce au fonctionnement reposant

surtout sur le bénévolat, la Fondation a pu maintenir des frais administratifs très bas, de l'ordre de 7 %.

Attribution des bourses

Depuis sa création, la FSRMM a soutenu 66 chercheurs travaillant dans toutes les facultés de médecine de notre pays pour un montant total de 22 millions de francs. A fin 2012, elle a financé la 128^{me} bourse. La liste des boursiers se trouve sur le site www.fsrmm.ch. Les principaux thèmes de recherche soutenus par la FSRMM sont:

- New therapy approaches for limb-girdle muscular dystrophy 2D and 2B (groups M. Sinnreich and M. Jaconi)
- Disease mechanisms and potential therapies for congenital muscle dystrophies (group M. Rüegg and Santhera Pharmaceuticals)
- Therapy approaches for spinal muscular atrophy (groups D. Schümperli and F. Allain)
- Potential treatments and efficacy studies for Duchenne's and Becker's Muscular dystrophies (groups T. Wallimann and U. Ruegg)
- New diagnostic tools for muscular dystrophies (group W. Z'Graggen)
- Skeletal muscle function and repair, cell therapy (groups L. Bernheim, S. Treves, C. Handschin, P. Sonderegger, N. Mermoud)

Bien que le financement de la fondation soit essentiellement assuré par la Suisse romande et le Tessin, la répartition des bourses de recherche obéit exclusivement aux critères de qualité et à l'intérêt porté par l'institut universitaire aux myopathies. La figure 1 en est une parfaite illustration.

Activités de la Fondation au niveau national et international

Soutien à la firme Santhera Pharmaceutical

Pour encourager cette start-up travaillant dans le domaine des maladies rares et fondée par un des boursiers de la FSRMM, la Fondation a décidé en 2002 et 2003 de s'engager pour un montant représentant le 25 % de ses réserves. Santhera travaille dans les domaines suivants: L'Ataxie de Friedreich, la dystrophie de Duchenne, une neuropathie qui touche la vue, (Leber's Hereditary Optic Neuropathy) et une dyskinesie qui concerne les patients atteints de la maladie de Parkinson.

Création d'une chaire de myologie

Dans tous les départements de neurologie de Suisse, on s'occupe des maladies neuro-musculaires, sans avoir une chaire spécifique. Sous l'impulsion de Myosuisse, qui regroupe les 2 associations de myopathes en Suisse et la FSRMM, l'Université de Bâle a créé, en 2009, une chaire dont le titulaire est Michael Sinnreich. Myosuisse décida alors d'allouer à l'Université de Bâle une somme annuelle de 200'000 francs pendant 3 ans.

Organisation de séminaires

Il est important que les chercheurs financés par la Fondation puissent se rencontrer pour échanger les résultats de leur recherche. Aussi la Fondation organise tous les deux ans à Macolin un séminaire de deux jours qui réunit quelque 60 chercheurs. Elle soutient également d'autres séminaires nationaux ou internationaux organisés par les Facultés de médecine de Suisse. Depuis sa création, la FSRMM a dépensé 246'000 francs pour cette activité. La liste des séminaires soutenus par la Fondation se trouve sur le site www.fsrmm.ch.

Participation à la création de registres de patients

Dans sa phase ultime de développement, un médicament a besoin de subir des tests cliniques. Dans le cas des maladies rares, le recrutement de patients volontaires est une tâche difficile, car elle doit être entreprise sur une base internationale. Des registres de patients ont été établis en Europe dans le cadre du programme TREAT-NMD qui a été financé par des fonds européens de 2007 à

2011. Les deux premiers registres concernent la dystrophie de Duchenne/Becker et l'Amyotrophie spinale. La Suisse participe au développement de ces registres. P.-Y. Jeannet et C. Bloetzer à Lausanne et A. Klein à Zurich en sont responsables.

Soucieuse d'assurer en Suisse la pérennité des 2 registres existants et la création de nouveaux registres concernant d'autres myopathies, Myosuisse a chargé la FSRMM de s'occuper de cette tâche.

Participation à l'European Neuro Muscular Centre (ENMC)

Ce centre situé en Hollande organise annuellement une dizaine d'ateliers (workshops) réunissant les spécialistes européens poursuivant des recherches dans les différentes formes de maladies neuromusculaires. Ce centre participe également à des programmes européens. La FSRMM participe aux activités et, à ce jour, elle a financé l'ENMC pour un montant de 716'000 francs.

Avenir de la Fondation

Le financement de la FSRMM est relativement vulnérable puisqu'il dépend à 75 % d'une seule source: le Téléthon. De plus, on doit constater que les réserves financières de la FSRMM sont modestes au vu des engagements à moyen terme. Il est à craindre qu'après 26 ans, le Téléthon ne s'essouffle. Il faut intensifier le contact avec les nombreux organisateurs du Téléthon, afin que cette source importante de financement se maintienne. Mais il faut aussi chercher d'autres sources de financement

spécialement en Suisse alémanique où le Téléthon n'est pas connu (legs, gestion de fortune, fondations, etc). On constate qu'il est de plus en plus difficile de trouver des sponsors pour des activités qui ne font pas la une des médias et le mécénat s'essouffle!

Le problème de la relève des responsables, tant au Conseil de fondation qu'au Conseil scientifique, n'est pas simple à résoudre. Aujourd'hui, il est de plus en plus difficile de trouver des personnalités qui sont d'accord de s'engager bénévolement pour assurer la bonne marche d'institutions telles que les fondations. La création en juin 2010 de l'Alliance suisse des maladies rares (ProRaris) devrait augmenter la visibilité des maladies rares et sensibiliser le monde politique

Quelques conseils pour créer une fondation

Après 28 ans de fonctionnement de la FSRMM, il est peut-être utile d'essayer d'analyser quels sont les ingrédients indispensables pour créer et faire fonctionner une fondation qui doit assurer jour après jour son financement.

- Tout d'abord, il faut être directement ou indirectement touché par la cause à défendre.
- Il faut bien choisir la composition du conseil de fondation. Dans notre cas, nous avons trouvé des personnalités du monde scientifique, économique et politique des 3 régions linguistiques du pays qui permettent d'ouvrir des portes.
- Il faut entretenir un bon réseau de relations et profiter de chaque occasion pour présenter sa fondation.
- Pour assurer le financement, il faut être créatif et s'adapter à l'évolution des exigences du marketing. Le mécénat devient de plus en plus rare et le marketing toujours plus exigeant.
- Enfin il faut être persévérant et ne pas ménager son temps!

Conclusions

En 28 ans, la FSRMM a donné une grande impulsion à la recherche médicale en Suisse dans le domaine des maladies neuromusculaires. Elle a favorisé la création d'une communauté de chercheurs dans ce domaine. Les milieux académiques ont reconnu le travail accompli, puisque la Faculté de médecine de l'Université de Berne, en 2011, a décerné au

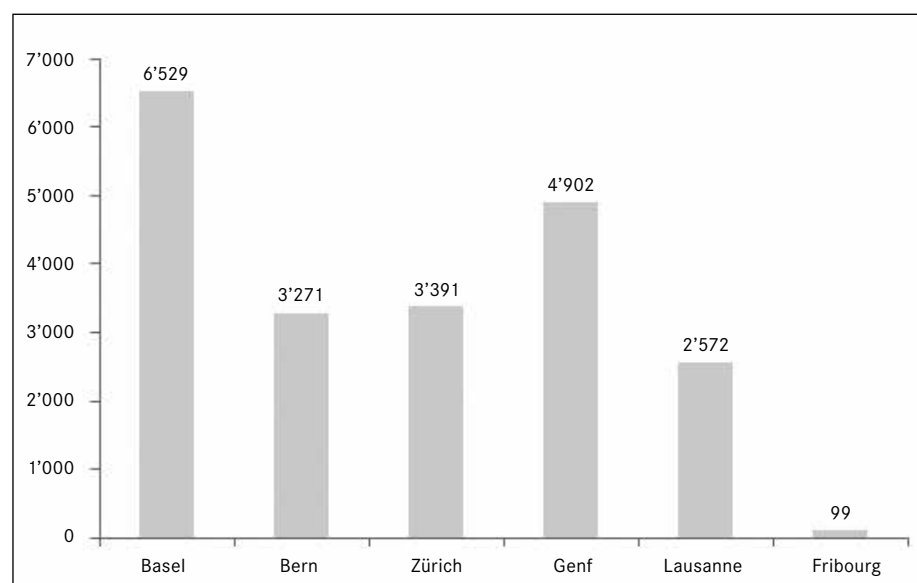


Figure 1: Répartition des bourses par université (Etat décembre 2012).

fondateur et président de la FSRMM le titre de Docteur honoris causa.

Il y a 28 ans, la recherche avait essentiellement un caractère fondamental. Les progrès de la génétique et de la biologie moléculaire ont permis une meilleure connaissance de ces maladies et donner des pistes thérapeutiques menant à des essais cliniques. Ces progrès ont également permis d'affiner considérablement les diagnostics. Cette évolution positive entraîne une constante croissance des demandes de soutien financier.

Lors de la cérémonie du 25^{ème} anniversaire de la FSRMM le 13 janvier 2011 à l'Ecole polytechnique fédérale de Lausanne, son président, Patrick Aebischer a insisté sur l'importance des fondations privées pour le développement de la recherche dans le domaine des maladies rares. Il a également souligné la motivation des fondateurs de la FSRMM.

Correspondance

Dr hc Jacques Rognon
Président de la FSRMM
Chemin des Jordils 4
2016 Cortaillod/NE