

# JPND Research Strategy

Tackling the challenge of Alzheimer's and other neurodegenerative diseases in Europe

## Résumé opérationnel



**JPND**  
research

EU Joint Programme – Neurodegenerative Disease Research



## 1. Contexte et objectifs de la stratégie de recherche


Les maladies neurodégénératives (MND) sont des affections invalidantes en progression, étroitement liées au vieillissement, et pour la plupart dépourvues de traitement curatif. Parmi ces maladies, celles touchant les fonctions cognitives expliquent la plus grande partie de leur progression. Au premier rang de ces atteintes, la maladie d'Alzheimer et les affections apparentées touchent plus de 7 millions de personnes en Europe, ce chiffre devant doubler tous les 20 ans avec le vieillissement croissant de la population. La prise en charge annuelle des patients atteints de troubles des fonctions cognitives en Europe est estimée à 130 milliards d'euros. Ces quelques chiffres font des maladies neurodégénératives liées à l'âge un des défis médicaux et sociétaux majeurs auquel notre société doit faire face.


La programmation conjointe européenne sur les maladies neurodégénératives (JPND = Joint Programming on Neurodegenerative Disease) est une initiative collaborative de recherche innovante développée spécifiquement pour s'attaquer au défi croissant posé par les MND. Cette initiative a pour ambition d'accroître l'impact de la recherche européenne en mettant en cohérence et en développant les programmes de chaque pays, ainsi qu'en identifiant des objectifs partagés qui bénéficieront d'actions communes. Cette Stratégie de recherche offre un cadre pour les investissements futurs en ce domaine et aborde la question de savoir comment l'effort européen de recherche peut être exploité avec la meilleure efficacité pour améliorer la prévention, le diagnostic, le traitement et la prise en charge de ces affections handicapantes.

## 2. Priorités scientifiques et actions de développement


### Priorités scientifiques

Afin d'atteindre un impact significatif il est nécessaire de favoriser les approches innovantes et multi-disciplinaires, ainsi que de renforcer et d'étendre les ressources existantes au travers de l'ensemble des domaines de la recherche fondamentale, clinique, translationnelle et de la recherche en sciences humaines et sociales. Plusieurs priorités thématiques pour de futurs programmes de recherche ont ainsi pu être identifiées:

- **Les origines des maladies neurodégénératives:** des connaissances approfondies sont nécessaires sur les causes spécifiques des MND, leurs facteurs de risque et leurs facteurs protecteurs, ainsi que sur les événements initiaux conduisant à la maladie. La caractérisation des populations à risque doit permettre à terme de nourrir les stratégies préventives ; cela nécessitera de développer des travaux visant à identifier de nouveaux facteurs de risque génétiques, épigénétiques et environnementaux, et d'analyser leurs interactions. Parallèlement, il est nécessaire d'avancer sur la compréhension des mécanismes du vieillissement normal et sur ses liens avec le développement et la progression des MND. La caractérisation des facteurs environnementaux et comportementaux influençant ces mécanismes apportera aussi des éclairages sur les moyens susceptibles de protéger et de récupérer de ces affections.
  - **Les mécanismes des maladies et les modèles:** Une compréhension plus complète des mécanismes sous-jacents de ces maladies est nécessaire. Elle permettra de promouvoir le développement de nouvelles approches diagnostiques et thérapeutiques, ainsi que la caractérisation des moments d'intervention les plus appropriés. Parmi les multiples approches possibles, il est nécessaire d'établir de nouveaux modèles cellulaires et animaux qui reflètent avec exactitude les éléments clés du processus de la maladie, et qui prennent en compte des facteurs
- 




tels que le caractère progressif des MND, les co-morbidités ainsi que les effets du sexe et du vieillissement. Des efforts seront également nécessaires afin d'élucider les bases biologiques et environnementales des symptômes comportementaux et psychologiques des MND.

- **Les définitions des maladies et les diagnostics:** Les examens cliniques standards ne parviennent pas à saisir la complexité potentielle des MND les plus communes; le raffinement et la mise à jour des critères diagnostiques actuels sont donc nécessaires. La multiplicité des formes cliniques et des sous-types de MND, y compris les phases précédant l'apparition des symptômes, nécessitent d'être mieux définies; des outils diagnostiques nouveaux et plus performants sont nécessaires pour permettre la détection plus précoce et plus précise des MND. L'identification de nouveaux biomarqueurs est déterminante et devrait permettre d'établir des liens entre les études cliniques et les modèles animaux, et fournir également des indicateurs de la progression des maladies, du pronostic et des effets des traitements. La standardisation et l'harmonisation de ces outils et des méthodes d'examen sont essentielles pour garantir la comparabilité des résultats et pour assurer des études multi-centriques de qualité.
  - **Les traitements et la prévention:** Les progrès dans l'identification de nouvelles cibles et le développement de médicaments spécifiques de ces cibles seront renforcés par la promotion de va-et-vient permanents entre les modèles animaux et cellulaire et les études cliniques. Les procédures destinées à améliorer la sélection (ou la stratification) des sujets entrant dans les essais cliniques aideront à favoriser la démonstration de l'efficacité clinique des nouveaux traitements. Des études devraient également être encouragées pour développer davantage d'interventions dans le champ psychosocial, en accordant une attention toute particulière à l'intégration sociale des patients et à l'engagement des aidants. La mise en place de cohortes précliniques de patients souffrant de MND offrirait une plateforme d'essai d'interventions destinées à prévenir ou à ralentir la progression de ces maladies. Enfin, des études à plus long terme devraient être poursuivies afin de promouvoir la médecine régénérative et développer de nouveaux systèmes pour l'administration et le ciblage des médicaments et composés biologiques vers des sites spécifiques du cerveau et du système nerveux périphérique.
  - **L'offre de soins et la prise en charge sociale:** Actuellement, la coordination entre les systèmes de santé et la prise en charge sociale dans chaque pays est inefficace. Aussi est-il nécessaire d'évaluer l'équité de l'accès, l'efficacité et l'efficience des procédures de diagnostic, de traitement, et de prise en charge et de soutien des MND en Europe. Il y a un besoin important d'identification des facteurs critiques qui influent sur la dépendance et la qualité de vie liée à la santé chez les personnes souffrant de MND, en tenant compte des effets des co-morbidités, de la nutrition et de la fragilité inhérente aux personnes âgées, ainsi que des interactions avec la famille, les aidants, l'environnement et les systèmes de santé et de protection sociale. Il est également nécessaire de tenir compte du fait que les études thérapeutiques actuelles, fondées sur des preuves cliniques, sont issues d'essais avec des périodes d'observations courtes dans des conditions de surveillance et de suivi intense qui ne reflètent pas complètement la situation quotidienne des patients. Aussi est-il indispensable de construire des indicateurs qui traduisent mieux les perspectives à long terme des patients et des aidants. Les nouvelles technologies d'assistance peuvent aider à répondre aux besoins des patients atteints de MND et de leurs aidants aux stades précoce et modéré, sous réserve que l'accent soit mis spécifiquement sur la prise en charge des MND, plus que sur le soutien au vieillissement en général. Des recherches supplémentaires devront également être entreprises pour développer le domaine des soins palliatifs et de la fin de vie, qui, avec d'autres domaines de la recherche en MND, devraient s'intégrer légitimement dans les questions éthiques complexes inhérentes à ces affections.
- 




## Actions de développement

Un certain nombre d'activités transversales seront nécessaires pour faire progresser les priorités scientifiques décrites ci-dessus:

- **Connaître nos capacités de recherche:** L'activité de recherche nationale et européenne sur les MND a été cartographiée afin d'identifier les lacunes et les opportunités de recherche qui peuvent être abordées par une meilleure coordination et une meilleure stratégie d'investissement. Ces informations sont rassemblées dans une base de données qui sera rendue publique ; cette base présentera l'état de la recherche sur les MND en Europe et permettra de promouvoir une meilleure utilisation des ressources et des infrastructures.
  - **Une infrastructure de soutien et des plates-formes:** afin de créer un environnement propice à la recherche sur les MND, il faut encourager l'intégration et l'harmonisation des données et des matériels biologiques, et promouvoir leur usage en libre accès. La standardisation des recommandations, des méthodes et des outils de collecte de données et d'analyse devra être développée. Cela permettra de répondre par exemple aux besoins des plates-formes technologiques à haut débit et des biobanques, et de mieux exploiter les cohortes de population. Les cadres politiques devraient être revus afin de faciliter la recherche dans l'ensemble des structures de soins, y compris en hôpitaux, en services de soins primaires et en ville.
  - **Travailler en partenariat avec l'industrie:** Beaucoup d'organisations privées se sont engagées dans la recherche sur les MND : industries pharmaceutiques, entreprises des secteurs du diagnostic, des biotechnologies et des technologies de l'information et de la communication, prestataires de soins y compris les prestataires de soins à domicile. L'interaction entre les secteurs académiques et privés est essentielle pour fournir de nouvelles approches de traitement et de prise en charge. L'échange de données et de ressources entre industries et universités devrait également être encouragé.
  - **Travailler avec les organismes de réglementation:** La promotion de la valorisation de la recherche au profit des patients nécessite l'engagement et la coopération des principales agences nationales et européennes, afin de s'assurer que les réglementations soient aisément compréhensibles pour les chercheurs et proportionnées aux risques. Des réseaux de soutien en matière de réglementation devront être encouragés, afin de faciliter l'accès aux bonnes pratiques pour la conception des études et d'aborder de manière précoce les goulots d'étranglement potentiels.
  - **Le partenariat international au-delà de l'Europe:** Il est évident que les besoins en matière de recherche clinique et l'impact sociétal des MND constituent un problème mondial. Des opportunités peuvent émerger afin d'harmoniser les efforts de recherche sur les MND dans le monde. Une telle coopération devra faire l'objet d'une stratégie concertée et apporter une valeur ajoutée aux objectifs du JPND.
  - **Le renforcement des ressources disponibles:** Certains domaines de recherche manquent de ressources et doivent être renforcés. Par conséquent, des réseaux devront être établis entre les disciplines et les chercheurs. Un effort particulier sera nécessaire afin de promouvoir la recherche clinique et translationnelle. Il faudra augmenter le nombre de chercheurs sur les MND ayant une expertise dans le domaine de l'économie de la santé, des statistiques, de la biologie systémique et de la bioinformatique. Afin de s'assurer que l'excellence dans le domaine des soins et des sciences humaines et sociales soit plus largement établie en Europe, des centres
- 





méthodologiques pourraient être créés pour soutenir le développement d'études et l'évaluation des interventions, des services et des parcours de soins.


- **Éducation et formation:** Les conseils donnés aux patients atteints de MND par les professionnels de santé et les acteurs sociaux doivent être fondés sur une bonne compréhension de la maladie. Le patient a besoin d'être informé sur les caractéristiques de son affection, et sur les différents traitements possibles existants fondés sur des preuves cliniques. L'enseignement dans les domaines clinique et de la recherche, ainsi que les programmes de formation devront tenir compte de ce besoin, et devront faire en sorte que la culture « recherche » fasse partie intégrante de l'approche de soins et de la prise en charge sociale. En parallèle, il est nécessaire de diffuser des messages de santé publique permettant à terme de lutter contre les facteurs de risques des MND associés à une mauvaise hygiène de vie. La diffusion de ces messages devra s'appuyer sur des études s'intéressant aux moyens les plus adaptés pour obtenir des changements de comportement à l'échelle des populations.
- **Liens avec les décideurs politiques:** le JPND fournit un cadre permettant de mettre en évidence les questions importantes devant être traitées par les programmes nationaux, ce qui devrait permettre d'harmoniser les approches politiques des différents pays. Deux lacunes concernant la mise en œuvre de ces programmes en relation avec les politiques développées autour des MND doivent être abordées en particulier : d'une part celle concernant les nouvelles technologies d'aide à la personne, comme par exemple la télémédecine, l'aide technologique à domicile et les autres offres de services existantes; d'autre part la garantie que les résultats à venir de la recherche seront effectivement mis en œuvre dans les politiques de santé publique.
- **Communication et sensibilisation:** Afin d'assurer un transfert efficace tant auprès des politiques que dans les pratiques, l'agenda de recherche doit se connecter et s'engager avec un large éventail de secteurs. Le JPND s'assurera que toutes les parties prenantes sont bien informées sur les recherches en cours sur les MND et leurs conséquences afin d'accroître la sensibilisation et le soutien à ces recherches de la part des décideurs, des patients, des associations de patients et d'aidants et du grand public. Cela devrait également aider à augmenter la participation aux études et à la recherche et à réduire la stigmatisation liée aux MND.


### 3. Mise en œuvre de la stratégie de recherche

Cette stratégie de recherche fournit un cadre d'opportunités pour les pays impliqués dans le JPND et décidés à participer à des actions conjointes. Ces actions seront mises en œuvre par des activités de coopération visant à réallouer ou à coordonner les financements nationaux afin d'en obtenir un impact accru, ainsi que par la mise à disposition de nouveaux fonds. Un des critères fondamentaux de cette mise en œuvre sera que la recherche ainsi soutenue se devra d'être de la plus haute qualité scientifique.

### 4. Résumé

Le JPND est une action pilote de programmation conjointe, une approche nouvelle et souple ayant la capacité de répondre à un défi sociétal majeur qu'aucun État membre agissant isolément ne pourrait relever efficacement. Ce document reflète la vision commune des 24 pays européens impliqués dans l'initiative, et propose une approche stratégique destinée à soutenir la recherche mondiale en exploitant au mieux les nouvelles opportunités scientifiques,





en luttant contre les obstacles grâce aux progrès de la recherche, et en fournissant de nouvelles approches en matière de prévention, d'intervention et de prise en charge.

Les recommandations énoncées dans l'agenda stratégique de recherche concernent l'ensemble des recherches et approches nécessaires à l'obtention d'un impact significatif, tout en reconnaissant le rôle majeur qu'ont toutes les parties prenantes dans sa mise en œuvre. Le but ultime est d'entreprendre des recherches qui puissent être transformées en de nouvelles actions destinées à améliorer la santé et le bien-être des patients atteints de MND, de leurs familles et des aidants, et assurer un bénéfice économique et sociétal dans toute l'Union Européenne.

[www.neurodegenerationresearch.eu](http://www.neurodegenerationresearch.eu)

