



ATAXIE
ATAXIA
CANADA



Genome Québec



MUSCULAR
DYSTROPHY
CANADA
DYSTROPHIE
MUSCULAIRE
CANADA

APPEL DE DEMANDES CONCOURS THÉRAPIES INNOVANTES POUR LES ATAXIES HÉRÉDITAIRES

Avril 2023

1. APERÇU

Les ataxies héréditaires sont un groupe de maladies neurologiques, dégénératives rares qui sont hétérogènes quant à la pathologie et aux mécanismes moléculaires causaux. Les ataxies sont un sujet qui touche particulièrement le Québec, car certaines des ataxies y sont plus répandues que dans le reste du Canada, en raison d'évènements fondateurs. Les ataxies peuvent être associées à une mortalité précoce et plusieurs comorbidités. Vivre avec une maladie rare apporte souvent son lot de difficultés puisque les personnes atteintes et leurs familles ont des besoins particuliers, font face à des ressources limitées et doivent composer avec un impact financier ce qui peut avoir un impact important sur leurs vies. Malgré cela, pour les ataxies, comme pour beaucoup d'autres maladies rares, les traitements actuellement disponibles se limitent encore largement à l'amélioration des symptômes. Les personnes atteintes d'une ataxie ont donc un besoin urgent de thérapies.

Pour répondre à ce besoin, [Génome Québec](#), [Ataxie Canada](#) et [Dystrophie musculaire Canada](#) joignent leurs forces pour lancer le concours *Thérapies innovantes pour les ataxies héréditaires*, pour encourager la découverte et le développement de nouvelles thérapies et mobiliser l'écosystème de la recherche.

Ce concours est ouvert aux chercheurs et chercheuses affiliées à une université **québécoise** et aux établissements affiliés (y compris les hôpitaux et les instituts de recherche), ainsi qu'à ceux et celles affiliés à un organisme sans but lucratif **au Québec** ayant un mandat explicite de recherche.

2. OBJECTIFS

Cet appel vise des demandes qui appuieront les objectifs suivants :

- Répondre aux besoins des personnes atteintes d'une ataxie héréditaire du groupe **des ataxies couvertes par Ataxie Canada**, où l'ataxie est le principal symptôme et est de nature **génétique (récessive ou dominante) et progressive**. Cela comprend des conditions telles que l'ataxie de Friedreich (AF), l'ataxie de Beauce (SCAR8, ARCA1), les ataxies spinocérébelleuses (SCA), les ataxies avec apraxie oculomotrice (AOA1-4), les ataxies épisodiques (incluant SCA27B) et les autres ataxies cérébelleuses. **L'ataxie télangiectasie et l'ataxie de Charlevoix-Saguenay ne font pas partie des maladies couvertes par cet appel.**
Dans le cadre de cet appel de demandes, Dystrophie musculaire Canada vise à financer des projets portant sur l'Ataxie de Friedreich (voir section [4.7](#) pour plus de détails).
Pour toute question sur les ataxies admissibles : tia-ita@genomequebec.com
- Soutenir la découverte et le développement de nouvelles thérapies en exploitant les approches *omiques**¹.
- Encourager la recherche multidisciplinaire au Québec, au profit de la recherche sur les ataxies héréditaires.

La recherche *omique**¹ (ou recherche cherchant à modifier la fonction d'un ou plusieurs gènes) et la recherche qui porte sur la découverte ou le développement d'une thérapie innovante conçue pour une ataxie héréditaire (du groupe définit ci-dessus) sont des sujets de recherche **obligatoires** dans ce concours.

*¹ *Omique* : désigne les études utilisant des technologies à haut débit d'information génétique d'une cellule ou d'un organisme, y compris la fonction de gènes spécifiques, leurs interactions entre eux et l'activation et la suppression de gènes. La définition englobe également certaines disciplines connexes comme l'édition du génome, la thérapie génique, l'épigénomique, la métabolomique, la métagénomique, la nutriginomique, la pharmacogénomique, la protéomique, la transcriptomique et la bio-informatique. Les projets qui intègrent des données issues de l'imagerie médicale, de dossiers de santé électroniques ou de dispositifs portables sont les bienvenus s'ils sont liés aux données *omiques*.

3. ÉCHÉANCIER

Date	Étape
28 avril 2023	Lancement du concours
8 juin 2023	Date limite pour soumettre l'inscription obligatoire par courriel à tia-ita@genomequebec.com
Fin juin 2023	Avis d'admissibilité
3 octobre 2023	Date limite pour soumettre la demande (y compris le budget) par courriel à tia-ita@genomequebec.com
Fin novembre 2023	Revue par les pairs
Fin décembre 2023	Avis de décision
1^{er} avril 2024	Début du projet
Mi-avril	Premier versement aux projets

Note: Génome Québec, en accord avec Ataxie Canada et Dystrophie musculaire Canada, se réserve le droit de modifier les dates, si nécessaire. Toute modification apportée sera indiquée sur le [site du concours](#).

Veuillez communiquer avec Génome Québec pour toute question sur le processus de demandes et l'échéancier : tia-ita@genomequebec.com

4. DESCRIPTION DU CONCOURS

4.1. Domaine de recherche financé

Ce concours soutient des projets de recherche portant sur la découverte ou le développement de thérapies innovantes pour une ataxie héréditaire utilisant les *omiques*.

Le concours cible des projets de recherche appliquée dans la mesure où ils pourraient mener à des résultats concrets susceptibles d'avoir une applicabilité clinique et le potentiel d'améliorer, à court, moyen ou long terme, le bien-être des personnes atteintes d'une des ataxies héréditaires mentionnées à la section 2. Les projets se situant tôt dans le processus de découverte (« haut risque, haut rendement ») de nouveaux médicaments seront admissibles. Les fonds pourront donc servir comme fonds d'amorçage dans une catégorie d'investissement qui serait trop risquée pour des investissements du secteur privé, promouvant ainsi l'innovation.

Les projets pourraient s'inscrire dans les domaines suivants (sans s'y limiter) : l'identification et la confirmation des cibles ou des candidats, la conception de molécules (incluant des molécules thérapeutiques d'ARN, d'ADN ou de nature protéique), l'amélioration des vecteurs et de méthodes de livraison (si en lien avec des méthodes génomiques), des preuves de concept dans des modèles, l'analyse du mécanisme de thérapies en culture cellulaire ou en modèles, ou des méthodes informatiques. Les études précliniques, jusqu'à la preuve de concept dans des modèles sont admissibles, ainsi que des études pour améliorer la stratification de personnes atteintes pour des études cliniques si une composante *omique* fait partie du projet. Des projets susceptibles d'affecter la progression de la maladie et des symptômes clés sont également admissibles.

Afin de mener à des solutions intéressantes pour les personnes atteintes, le milieu clinique ou d'autres utilisatrices et utilisateurs, la recherche financée par ce concours doit mener à des livrables concrets, doit être collaborative et multidisciplinaire. Les équipes doivent posséder toute l'expertise nécessaire pour atteindre les objectifs du projet. Pour s'assurer que les livrables du projet correspondront aux besoins des personnes atteintes, les équipes devront justifier les retombées potentielles futures pour les personnes atteintes.

Des utilisateurs ou utilisatrices (tels que définis dans les *Lignes directrices financières de Génome Québec* à l'[Annexe II](#)) ne sont pas nécessaires pour ce concours.

Liste non-exhaustive d'exemples concrets de projets admissibles :

- Développement de thérapies utilisant de petites molécules, ARN/ADN, thérapie génique, édition génique, cellule souche pluripotente induite, reprogrammation de cellules souches, ou toute recherche pouvant mener à telles thérapies;
- Développement d'un pipeline computationnel (y compris ceux issus de méthodes d'intelligence artificielle) pour identifier de nouvelles cibles impliquées dans une ou plusieurs ataxies;
- Conception de nouvelles structures d'ARN pour améliorer la livraison des ARN antisens dans le système nerveux central.

Sujets non admissibles pour ce concours :

- Études ayant pour seul but une meilleure compréhension de la maladie;
- Études ayant pour seul but la conception *de novo* d'un modèle qui ne présente qu'une amélioration marginale d'un modèle existant;
- Projets entièrement dédiés à la création et l'acquisition d'infrastructures;
- Études cliniques portant sur des sujets humains;
- Projets de séquençage sans hypothèse.

4.2. Équité, diversité et inclusion (EDI)

Chez Génome Québec, nous comprenons que la qualité de la recherche en *omiques* s'améliore et que les solutions prodiguées par celle-ci sont plus complètes lorsque différentes perspectives et expertises sont amenées à travailler ensemble, en laissant la place à une variété de points de vue et d'idées.

La présente opportunité de financement permet aux équipes multidisciplinaires d'amener différentes voix à la table et de travailler sur des principes d'équité, de diversité et d'inclusion afin d'améliorer l'impact du projet de recherche, non seulement sur les livrables scientifiques, mais aussi sur les individus travaillant sur ces solutions, ceux qui les mettront en œuvre, et ceux qui en bénéficieront. Nous invitons les équipes à considérer et à se pencher sur les enjeux d'EDI spécifiques à leur projet ou pour la recherche en maladies rares en général.

Si aucune considération liée à l'EDI ne s'applique à leur recherche, les équipes candidates sont invitées à développer leur réflexion à cet égard. Dans le cas où les enjeux identifiés ne sont pas actionnables, les équipes sont invitées à détailler les limites à la conception d'activités permettant d'atténuer ces enjeux.

Nous recommandons aux équipes de consulter le guide du [CRSNG](#) pour la prise en compte des principes EDI et les critères d'évaluation de cette opportunité de financement ([Annexe I](#)).

4.3. Admissibilité

- Pour recevoir des fonds, les chercheuses et chercheurs doivent répondre aux critères d'admissibilité indiqués dans les *Lignes directrices financières de Génome Québec* ([Annexe II](#));
- La personne candidate ne peut présenter qu'une seule demande en tant que directeur ou directrice de projet;
- La demande doit correspondre aux objectifs du concours (voir section [2](#));
- À noter que l'engagement d'un utilisateur ou d'une utilisatrice (tels que définis dans les lignes directrices financières de Génome Québec) n'est pas obligatoire pour ce concours;
- Les fonds ne peuvent être accordés qu'à des établissements admissibles basés au Québec. Cependant le partage des ressources et de l'expertise sous forme de collaboration tant au niveau national qu'international est encouragé.

4.4. Fonds disponibles

- L'enveloppe totale du concours est de 1 000 000 \$.
- Chaque équipe peut demander un budget total allant de 165 000 \$ à 330 000 \$ pour une durée de deux (2) ans;
- Dystrophie musculaire Canada contribuera seulement aux projets qui ciblent l'ataxie de Friedreich (voir section [4.7](#));
- Aucun cofinancement n'est requis pour ce concours.

4.5. Règles et politiques du concours

4.5.1 Règles financières et gestion de projets financés

Les *Lignes directrices financières de Génome Québec* gouvernent les règles et politiques applicables à ce concours, à la gestion des projets financés et à toute dépense prévue (voir [Annexe II](#)).

Survol des coûts admissibles et inadmissibles :

Ce concours permet de financer les :

- Salaires et avantages sociaux du personnel;
- Équipements. Les projets ne proposant que la création ou l'acquisition d'infrastructures ne seront pas admissibles. Dans ce contexte, les coûts pour les équipements totalisant jusqu'à 15% du budget total sont admissibles. L'utilisation de plateformes existantes au Québec est encouragée;
- Consommables;
- Frais généraux et administratifs. Ces frais ne peuvent pas dépasser 5% des coûts non administratifs du projet;
- Services fournis par des tiers.

Coûts inadmissibles :

- Tout frais engagé à l'extérieur du Québec;
- Des frais indirects du projet, comme les frais institutionnels (« overhead costs »);
- Des coûts qui sont déjà financés par d'autres sources;
- Les coûts pour les salaires des chercheurs et chercheuses;
- Les salaires des chercheuses et chercheurs, ou des membres de la haute direction, qui sont actuellement financés par leurs organisations respectives ne font pas partie des frais admissibles;
- Les coûts généraux et administratifs dépassant 5% du budget non-administratif;
- Le total des coûts d'infrastructure et d'équipement dépassant 15 % du budget total.

Durée du projet : La durée du projet financé est de 2 ans, du 1^{er} avril 2024 au 31 mars 2026, avec la possibilité de demander une prolongation sans frais additionnels d'un an (sujet à approbation par Génome Québec, en accord avec les autres bailleurs de fonds).

Déboursement des fonds

- Pour les projets requérant des autorisations institutionnelles et/ou des attestations pour les activités de recherche, les fonds ne seront pas débloqués tant que le directeur ou la directrice de projet ainsi que l'institution hôte ne se sont pas engagés à veiller à ce que lesdits documents aient été obtenus avant la tenue de telles activités;

- Une révision du budget sera effectuée pour s’assurer de l’admissibilité des dépenses, et des ajustements pourraient être requis de la part de l’équipe;
- La signature d’une entente entre Génome Québec et les institutions impliquées est une condition préalable au versement des fonds;
- La réception à Génome Québec des rapports financiers et scientifiques demandés (exhaustivité et respect des délais) sera requise pour recevoir les versements de fonds au cours du projet;
- Les dépenses du projet sont admissibles à compter de la date de l’offre d’octroi (voir section [3](#)).

4.5.2 Politiques

- Les changements au sein du projet (y compris les changements liés à la science, aux finances et au membres de l’équipe) devront être approuvés et gérés par Génome Québec, qui informera Ataxie Canada et Dystrophie musculaire Canada, le cas échéant.
- Le soutien de Génome Québec, du ministère de l’Économie, de l’Innovation et de l’Énergie du Québec, d’Ataxie Canada et de Dystrophie musculaire Canada, le cas échéant, doit être souligné dans la diffusion des résultats de recherche.
- Génome Québec tient au principe de partage rapide des résultats des recherches qu’il finance, y compris l’accès libre aux publications, la diffusion des données et le partage de ressources à la communauté scientifique. En fournissant à l’ensemble de la communauté scientifique un accès rapide aux résultats des projets financés par Génome Québec, la recherche sera accélérée au bénéfice du public.
- Génome Québec privilégie que la publication des résultats de la recherche financée soit évaluée par des pairs et publiée dans des répertoires en ligne, des bases de données publiques appropriées ou des revues garantissant un accès gratuit dans les 12 mois suivant la publication. Au niveau des chercheurs, les politiques suivantes des trois organismes subventionnaires fédéraux devraient orienter la diffusion des résultats, la gestion des données et leur partage :
 - [Politique sur le libre accès aux publications](#)
 - [Politique sur la gestion des données de recherche](#)
- Génome Québec reconnaît l’importance de maintenir la confidentialité des informations sensibles sur le plan commercial et recherche un équilibre entre l’ouverture et la protection de la propriété intellectuelle. Les candidats peuvent donc demander une exemption des exigences en matière de partage de données pour permettre la commercialisation des résultats de recherche. Ces demandes seront évaluées par Génome Québec, et les candidats et candidates seront rapidement informés de la décision.

4.6. Processus et éléments des demandes

Le processus de présentation des demandes comprend deux étapes : l’inscription obligatoire et la demande. Tous les documents doivent être envoyés par courriel au plus tard aux dates butoirs indiquées à la section [3](#) à tia-ita@genomequebec.com. Toute question concernant ce concours peut être envoyée à la même adresse. Le processus d’évaluation des documents est détaillé à la section [4.7](#).

[Formulaire d’inscription](#)

Formulaire de demande à venir, informations requises:

- Sommaire vulgarisé;
- Sommaire de projet;
- Description du projet;
- Tableau Gantt;
- Liste de références;



ATAXIE
ATAXIA
CANADA



Genome Québec



MUSCULAR
DYSTROPHY
CANADA
DYSTROPHIE
MUSCULAIRE
CANADA

- Bénéfices, incluant la pertinence du projet pour des personnes atteintes d'une ataxie ainsi que les considérations quant au partage de données et de ressources, à la dissémination du savoir et au transfert de la technologie;
- Composition de l'équipe et formation de la relève;
- Considérations d'équité, diversité et inclusion;
- Informations additionnelles pour le budget;
- CVC du directeur ou de la directrice de projet et des membres de l'équipe (joint comme document PDF);
- Budget et documents justificatifs.

4.7. Processus d'évaluation

Inscription: Les inscriptions feront d'abord l'objet d'un tri administratif. Une seule inscription par directeur ou directrice sera acceptée. Les documents qui ne respectent pas les contraintes de format (sections manquantes, non-respect de la limite de pages, etc.) ne seront pas considérés comme admissibles. Les personnes non admissibles à recevoir des fonds qui auront soumis une demande seront avisées du refus de leur inscription. L'admissibilité sera évaluée notamment pour vérifier si le projet s'inscrit dans les deux domaines obligatoires de recherche (recherche *omique* et thérapies pour une ataxie listée à la section [2](#)).

Demande: Afin de garantir que les objectifs de Génome Québec, Ataxie Canada et Dystrophie musculaire Canada pour ce concours sont atteints, les demandes seront soumises à un comité indépendant d'évaluation par les pairs afin de juger leur mérite selon les critères listés à l'[Annexe I](#). Ce comité sera organisé par Génome Québec. Les projets ayant obtenu une note inférieure à 70% de chacun des évaluateurs ne seront pas discutés par les pairs lors de la tenue du comité.

Les projets seront sélectionnés pour financement selon l'ordonnement déterminé par le comité d'évaluation jusqu'à ce que les fonds soient épuisés.

Pertinence pour le mandat de Dystrophie musculaire Canada :

Après l'évaluation des demandes, Génome Québec partagera avec Dystrophie musculaire Canada les demandes sélectionnées par le comité indépendant d'évaluation par les pairs pour lesquelles les postulants avaient identifié un bénéficiaire direct pour l'ataxie de Friedreich. Ces documents seront évalués par un expert ou une experte externe de Dystrophie musculaire Canada quant à leur pertinence pour le mandat de Dystrophie musculaire Canada à l'intérieur du concours (notamment l'ataxie de Friedreich). La décision de Dystrophie musculaire Canada d'investir ou non dans le(s) projet(s) en question se basera sur cette évaluation. Si Dystrophie musculaire Canada décide d'investir dans un ou plusieurs projets, ces fonds remplaceront les fonds d'Ataxie Canada et n'augmenteront pas le budget total du projet.

5. CONTACT

Pour plus d'information, contactez :

tia-ita@genomequebec.com

ou

Annina Spilker

Gestionnaire de programmes et d'initiatives stratégiques, Affaires scientifiques, Génome Québec

aspilker@genomequebec.com

Annexe I. CRITÈRES D'ÉVALUATION

La pondération de chaque critère figure entre parenthèses. Les descripteurs qui suivent chaque critère ne sont pas exhaustifs.

I. Projet (85%)

Projet de recherche (40%)

- Pertinence par rapport aux objectifs et aux domaines du concours :
 - Soutenir la découverte de nouvelles cibles ou de thérapies innovantes pour une ataxie héréditaire (faisant partie du groupe défini sous la section [2](#)).
 - Promouvoir la recherche multidisciplinaire, en *omiques* et en ataxies héréditaires (faisant partie du groupe défini sous la section [2](#)).
- Excellence de la recherche, originalité et clarté de la demande et des objectifs.

Faisabilité du projet (25%)

- Faisabilité du projet, y compris, mais sans s'y limiter, les livrables pertinents selon un calendrier réalisable, le personnel disponible, la pertinence de la méthodologie et l'accès en temps opportun aux ensembles de données, aux échantillons ou tout autre matériel requis.
- Gestion des risques.
- Budget raisonnable et bien justifié.

Bénéfices du projet (20%)

- Justification de bénéfices potentiels raisonnablement attendus pour les personnes atteintes d'une ataxie héréditaire.
- Présence d'un plan raisonnable de gestion des données et des ressources conforme aux politiques des trois organismes subventionnaires fédéraux (voir section [4.5.2](#)).
- Une stratégie de transfert de connaissances bien définie.
- Un plan préliminaire crédible de transfert de technologie vers un utilisateur ou une utilisatrice (tels que définis dans les lignes directrices financières de Genome Québec).

II. Équipe, formation de la relève, et considérations EDI (15%)

Équipe et formation de la relève (10%)

- Excellence des chercheurs impliqués dans la demande (selon leur niveau d'avancement professionnel) et pertinence de leur expertise pour la recherche à effectuer.
- Justification de la composition de l'équipe (multidisciplinarité).
- Formation de la relève : Intégration de chercheurs et chercheuses en début de carrière (professeurs et professeures ayant accepté leur poste depuis cinq (5) ans ou moins, stagiaires postdoctoraux) au sein de l'équipe et formation d'étudiantes et étudiants (de premier cycle et aux cycles supérieurs) et de stagiaires postdoctoraux.

Considérations d'équité, diversité et inclusion (5%)

- Pertinence d'un enjeu EDI identifié pour le projet ou pour la recherche en maladies rares.
Si aucun enjeu n'est identifié, pertinence de la justification de l'absence d'un tel enjeu.
- Pertinence de l'activité proposée pour mitiger l'enjeu identifié ci-dessus.

Veillez consulter [CRSNG - Guide du CRSNG pour la prise en compte des considérations en matière d'équité, de diversité et d'inclusion dans la recherche \(nserc-crsng.gc.ca\)](#) pour des exemples quant aux considérations dans cette matière.

Cette section sera évaluée par un ou des experts en EDI. Leur évaluation sera fondée sur l'ensemble de la demande et les actions ou méthodes prévues par l'équipe de recherche pour répondre aux principes de l'EDI.



ATAXIE
ATAXIA
CANADA



Annexe II. LIGNES DIRECTRICES FINANCIÈRES DE GÉNOME QUÉBEC

https://genomequebec.com/wp-content/uploads/2023/06/LIGNES-DIRECTRICES-FINANCIERES-DE-GENOME-QUEBEC_Mars2020.pdf