

N° 112- 1^{er} TRIMESTRE 2018

Champs de vision

Revue trimestrielle
Bureau de dépôt
Bruxelles X, P3009439

TOUR D'HORIZON DES ACTIVITÉS DE LA FONDATION ROI BAUDOIN

www.kbs-frb.be • www.bonnescauses.be



Fondation
Roi Baudouin

Agir ensemble pour une société meilleure

PRÉCARITÉ ÉNERGÉTIQUE DE L'ANALYSE AUX RECOMMANDATIONS

Sous la présidence d'honneur de S.M. la Reine Mathilde



Un nouvel élan pour la recherche sur les maladies rares

Touchant moins d'une personne sur 2.000 – mais dans 75% des cas, des enfants – les [maladies rares](#) sont les parents pauvres de la médecine. La Fondation Roi Baudouin entend jouer un rôle majeur pour stimuler la recherche dans ce domaine.

Cette préoccupation est partagée par un nombre croissant de philanthropes : pas moins de dix Fonds gérés au sein de la Fondation Roi Baudouin sont en effet spécifiquement consacrés à une maladie rare. L'une des dernières initiatives en date est le Fonds 101 Génomes. On la doit aux parents du petit Aurélien, un enfant atteint d'une maladie rare, le syndrome de Marfan. Mais, comme souvent, leur

démarche va bien au-delà de leur cas particulier et poursuit un objectif d'intérêt général.

Gènes protecteurs

"Le syndrome de Marfan est causé par l'altération d'un gène, qui perturbe la production de fibrilline, une protéine essentielle du tissu conjonctif", explique Romain Alderweireldt, papa d'Aurélien et initiateur du Fonds 101 Génomes. "Il

en résulte diverses conséquences qui touchent l'ensemble du corps : principalement des atteintes cardiovasculaires, des risques de subluxation du cristallin, de fortes scolioses, un allongement démesuré du squelette... À l'exception du Losartan (aux résultats mitigés), il n'existe pas de médication spécifique, mais les bêta-bloquants aident à réduire la pression artérielle".



Base de données

Comment promouvoir la recherche sur les maladies rares ? En mettant à la disposition des chercheurs une base de données croisées contenant les données génomiques et phénotypiques de patients atteints de ces maladies. "On peut espérer qu'un tel outil permettra de mieux comprendre la maladie et d'identifier des gènes modificateurs protecteurs dont l'action bénéfique pourrait être répliquée par des médicaments", poursuit Romain Alderweireldt.

Car il n'y a pas de bonne recherche sans de bonnes données : c'est l'idée de base sur laquelle repose le Fonds 101 Génomes. Romain Alderweireldt : "L'intérêt de notre démarche est qu'elle n'est pas focalisée sur une seule équipe de chercheurs mais qu'elle a vocation à nourrir de nombreuses recherches tout en permettant aux différentes équipes de réaliser de substantielles économies en leur évitant d'avoir à financer le séquençage complet des génomes des patients des cohortes étudiées. Notre projet pilote vise à créer une base de données d'au moins 101 patients atteints du syndrome de Marfan.

Une fois cette plateforme bio-informatique mise en place, la méthode pourra être reproduite pour d'autres maladies rares".

Démarche altruiste

Si la maladie d'Aurélien a été le déclencheur de cette démarche, c'est donc un objectif beaucoup plus large qui est poursuivi. C'est d'ailleurs une caractéristique que le Fonds 101 Génomes partage avec les autres Fonds consacrés aux maladies rares : leurs initiateurs sont conscients que les avancées médicales espérées ne bénéficieront peut-être pas directement à leur proche qui est atteint de la maladie. Mais cela ne les empêche pas de s'engager pour tous les patients concernés !



M. ET MME ALDERWEIRELDT,
fondateurs du Fonds 101 Génomes

Lisez le récit d'Aurélien sur www.kbs-frb.be/fr/Newsroom/Stories
Plus d'informations sur le Fonds 101 Génomes : www.f101g.org

UN PRIX PRESTIGIEUX

Avec le lancement du [Prix Generet](#), c'est toute la recherche sur les maladies rares qui va bénéficier d'une impulsion nouvelle. Ce Fonds décernera en effet chaque année un montant considérable pour soutenir un projet de recherche innovant.

Plus encore que dans d'autres domaines, la recherche sur les maladies rares souffre d'un manque de moyens en raison du faible nombre de patients potentiels. En attribuant un Prix prestigieux (d'un montant de 500.000 €, avec

possibilité d'obtenir un soutien d'un montant équivalent après deux ans), le Fonds Generet veut changer la donne et inciter des chercheurs de haut niveau à développer ou à réorienter leurs travaux sur une ou plusieurs maladies rares.

Contrairement aux autres Fonds, l'accent n'est pas mis au départ sur une pathologie bien précise : le Fonds Generet lancera un appel annuel et sélectionnera un projet de recherche parmi les propositions venues du terrain. Seuls des

chercheurs chevronnés, qui ont déjà fait la preuve de leur excellence, pourront entrer en ligne de compte. L'équipe de recherche devra être attachée à une université belge, mais des collaborations avec des partenaires étrangers sont bien sûr possibles et même souvent indispensables.

La sélection sera effectuée par un comité scientifique de haut niveau, en collaboration avec le FNRS, le FWO-Vlaanderen et des experts internationaux.

PLUS D'INFOS ?

Pour connaître tous les Fonds consacrés aux maladies rares gérés par la Fondation Roi Baudouin : www.kbs-frb.be, tapez 'Maladies rares' dans le moteur de recherche.