

Appel à projets – Questionnaire de recherche pilote France Maladies Rares (FraMaRa)

Thème : Vivre avec la maladie

FraMaRa / BNDMR, mai 2026

1. Résumé

1.1. Contexte du PNMR4 et de l'application France Maladies Rares

France Maladies Rares (FraMaRa) est une application numérique nationale dédiée aux maladies rares, inscrite dans l'action 6.3 du Plan National Maladies Rares 4 (PNMR4). Développée au sein de la Banque Nationale de Données Maladies Rares (BNDMR), elle poursuit trois objectifs stratégiques : permettre aux patients de contrôler leurs données de santé, faciliter leur participation à la recherche, et les orienter dans l'écosystème de soins et d'accompagnement. La première version de l'application sera déployée fin 2026.

1.2. Contexte du pilote questionnaire de recherche

Dans le cadre du déploiement de FraMaRa, l'équipe projet souhaite proposer aux associations de patients de diffuser des questionnaires standardisés pour évaluer le fardeau de la maladie aux personnes suivies dans les centres experts maladies rares français. Cet appel à projets vise à sélectionner les premiers questionnaires pilotes déployés dans l'application.

Le présent appel à projets est centré sur la thématique « Vivre avec la maladie » et est ouvert exclusivement aux associations de patients membre de l'Alliance Maladies Rares et/ou affiliée à une Filière de Santé Maladies Rares. Les questionnaires éligibles doivent porter sur le vécu de la maladie au quotidien : qualité de vie, retentissement social, fardeau de la maladie ressenti par le patient ou ses proches aidants, impact sur la vie professionnelle et familiale, parcours de vie. La notion de fardeau de la maladie (« disease burden ») est ici entendue au sens large : elle englobe la charge physique et psychologique autant que les difficultés pratiques et économiques liées à la vie avec une maladie rare.

Les candidatures doivent s'appuyer sur des questionnaires standardisés validés, adaptés à la population cible et disponibles en français. Sur le plan réglementaire, les questionnaires éligibles relèvent du cadre des sciences humaines et sociales (SHS) et feront l'objet d'un avis du Comité Scientifique et Éthique (CSE) de la BNDMR pour les projets sélectionnés.

Ce premier déploiement permettra de valider la chaîne complète de diffusion par FraMaRa d'un questionnaire en conditions réelles — intégration technique, ciblage des utilisateurs dans BaMaRa, diffusion via l'application, collecte des réponses et restitution à l'association partenaire — avant d'ouvrir la fonctionnalité à l'ensemble de l'écosystème.

1.3. Questionnaires standardisés éligibles – exemples

Les candidatures doivent s'appuyer sur un instrument standardisé validé et disponible en français. Deux exemples de questionnaires éligibles sont donnés à titre indicatif :

Questionnaire	Description et pertinence
PROMIS-29	29 items couvrant la fonction physique, l'anxiété, la dépression, la fatigue, le sommeil, la participation sociale et la douleur. Validé en français, adapté à toutes les maladies rares.
Zarit Burden Interview	22 items évaluant la charge des aidants (version courte à 12 items disponible). Validé en français. Complémentaire au PROMIS-29 pour mesurer l'impact familial de la maladie.

D'autres instruments standardisés validés, adaptés à la thématique « Vivre avec la maladie » et disponibles en français, sont également éligibles.

1.4. Objectifs de l'appel à projets

L'objectif est de sélectionner un nombre limité de projets portés par des associations de patients, pour lesquels un questionnaire standardisé sur le thème « Vivre avec la maladie » sera intégré à FraMaRa dans le cadre d'un pilote. Les projets retenus contribueront à la production de connaissances sur le vécu des patients et de leurs proches, tout en permettant à l'équipe FraMaRa de documenter un retour d'expérience structuré avant montée en charge.

1.5. Moyens alloués pour les lauréats

L'équipe France Maladies Rares (BNDMR) s'engage à apporter aux associations lauréates :

- Chefferie de projet : coordination de l'ensemble des étapes d'intégration et de déploiement du questionnaire;
- Développement et déploiement du questionnaire dans FraMaRa, en lien avec l'association partenaire ;
- Collecte des réponses et production d'une analyse descriptive en vue de leur restitution à l'association.

Aucun financement spécifique n'est prévu pour la conduite des recherches.

2. Soumission des projets

2.1. Contenu du dossier de soumission

Le dossier de soumission doit parvenir complet à l'équipe FraMaRa avant la date de clôture. Tout dossier incomplet sera rejeté. Il comprend un formulaire de candidature (disponible en annexe) comportant les éléments suivants :

Partie administrative et engagements

1. Les coordonnées complètes de l'association et la signature de son responsable.
2. Les nom, qualité et coordonnées du responsable de l'étude au sein de l'association.

Protocole de la recherche

3. L'intitulé complet du projet.
4. La justification de l'ancrage thématique dans « Vivre avec la maladie », incluant le cas échéant la dimension fardeau de la maladie.
5. La population cible : codes ORPHA, critères d'inclusion et d'exclusion, période d'inclusion, périmètre des centres concernés.
6. Questionnaire standardisé retenu : nom, version, justification du choix, nombre d'items et durée de passation estimée.
7. Résultats agrégés demandés par sous-groupes (stratification)
8. Les modalités de diffusion des résultats et de retour aux patients membres de l'association.

2.2. Dates importantes

Étape	Description
20 mai 2026	Publication de l'appel à projets
16 juin 2026	Session de présentation de l'appel à projet avec questions/réponses ouverte aux candidats
26 juillet 2026	Date de clôture des candidatures
À partir de septembre 2026	Passage en CSE BNDMR pour les projets sélectionnés
T4 2026	Implémentation fonctionnelle du questionnaire dans FraMaRa
1er semestre 2027	Ouverture et collecte des réponses
2e semestre 2027	Restitution des données au porteur partenaire

Le dossier de candidature est à envoyer à victor.hannoithiaux@aphp.fr au plus tard le 26 juillet 2026 à 23h59.

3. Projets attendus

3.1. Critères d'éligibilité

Pour être éligible, un projet doit satisfaire l'ensemble des conditions suivantes :

- Être porté par une association de patients membre de l'Alliance Maladies Rares et/ou affiliée à une Filière de Santé Maladies Rares.
- Porter sur la thématique « Vivre avec la maladie » au sens large : qualité de vie, fardeau de la maladie, vécu de l'aidant, impact social ou professionnel, parcours de vie.
- S'appuyer obligatoirement sur un questionnaire standardisé validé, adapté à la population cible et disponible en français.
- Concerner au moins une maladie rare identifiée par un code ORPHA, avec une population représentée dans BaMaRa (<https://www.bndmr.fr/wp-content/uploads/2026/04/Rapport-BNDMR-20260201re.pdf>).
- Soumettre un dossier de candidature complet avant le 26 juillet 2026.
- S'engager à respecter le cadre applicable : RGPD et avis du CSE de la BNDMR (cadre SHS).

3.2. Critères de sélection

Les dossiers seront évalués selon les critères suivants :

- Nombre de personnes concernées par le questionnaire au regard de la population disponible dans BaMaRa.
- Pertinence et clarté de l'ancrage thématique dans « Vivre avec la maladie ».
- Adéquation du questionnaire standardisé retenu à la population et à la question de recherche.
- Faisabilité d'implémentation et qualité du ciblage envisagé dans BaMaRa.

3.3. Modalités de sélection

La procédure de sélection se déroule en deux étapes :

1. Instruction des dossiers complets par l'équipe projet FraMaRa selon une grille d'évaluation basée sur les critères d'éligibilité et de sélection.
2. Passage en CSE BNDMR à partir de septembre 2026 pour les projets sélectionnés. Les résultats sont notifiés sous deux semaines après chaque passage, avec retour argumenté aux candidatures non retenues.

Toute question relative à cet appel à projets peut être adressée lors de la session de questions/réponses organisée le 16 juin 2026, ou à tout moment à victor.hannothiaux@aphp.fr

3.4. Engagements de l'association lauréate

En acceptant les conditions du présent appel à projets, l'association lauréate s'engage à :

- Désigner un responsable de l'étude chargé d'assurer l'interface avec l'équipe FraMaRa tout au long du projet ;
- Obtenir l'avis favorable du CSE de la BNDMR et assurer la conformité RGPD préalablement à l'ouverture du questionnaire aux utilisateurs ;
- Communiquer activement auprès de ses membres sur le questionnaire afin de maximiser le taux de complétion ;
- Produire une publication ou un rapport de résultats diffusé publiquement à l'issue du projet ;
- Soumettre toute communication sur ces données à l'équipe BNDMR avant diffusion ou soumission ;
- Mentionner France Maladies Rares et la BNDMR dans toute publication issue du projet ;
- Diffuser un résumé grand public des résultats via le portail de transparence de la BNDMR.