



Association BPAN France

APPEL A PROJETS DE RECHERCHE 2025

MALADIE BPAN (WDR45)

Date limite de dépôt de dossiers : 20 octobre 2025

Budget total maximum : 30 000 euros – Durée maximale : 24 mois

Contact : aap2025@bpanfrance.fr

La maladie BPAN:

BPAN (Beta-propeller Protein-Associated Neurodegeneration) est une maladie rare, neurodégénérative d'origine génétique liée à des mutations, dans la plupart des cas de Novo, du gène WDR45 sur le chromosome X. Elle fait partie de la famille NBIA (neurodégénérescence avec surcharge intracérébrale en fer) et touche 35 à 45 % de la population NBIA, avec une prévalence estimée à 2 à 3 par million d'individus. À ce jour il n'y a pas de traitement pour cette maladie qui a des conséquences gravissimes pour les malades et leurs familles.

BPAN présente un large spectre phénotypique, la gravité des symptômes varie considérablement d'un patient à l'autre et génère une mauvaise qualité de vie des patients.

La maladie évolue en deux stades. Le premier stade survient pendant l'enfance et se caractérise par un retard de développement, une déficience intellectuelle, accompagnés souvent de troubles du sommeil, de troubles autistiques et de crises d'épilepsie.

À l'adolescence ou à l'âge adulte, les personnes atteintes présentent une apparition relativement soudaine de dystonie-parkinsonisme progressif et de déclin cognitif.

La maladie BPAN est progressive, les symptômes s'aggravent avec le temps. Il n'existe pas à ce jour de traitements curatifs. Les traitements actuels sont uniquement symptomatiques. Le pronostic vital des patients est engagé.

Le gène WDR45 code la protéine WIPI 4 impliquée, entre autres, dans le contrôle de la voie de l'autophagie. Les variants génétiques décrits sont divers et conduisent probablement à la perte de fonction de la protéine codée.

Outre des défauts d'autophagie, l'absence de WDR45/WIPI4 entraîne des perturbations du métabolisme cellulaire avec une dyshoméostasie du fer, des défauts du stress du reticulum endoplasmique, des mitochondries et de la ferroptose.

Différents modèles in-vitro et in-vivo de la maladie BPAN ont été développés, mais à ce jour nous ne disposons pas de molécules thérapeutiques efficaces, ni de biomarqueurs prédictifs spécifiques de la maladie pour aider à surveiller la progression de la maladie,

Association BPAN France – 39 rue de la Morandière – 37230 Fondettes

Association Loi 1901 – R.N.A. : W011005569 – SIRET : 882 406 093 00022
contact@bpanfrance.fr - Tél. : +33 6 85 23 00 21 - <https://bpanfrance.fr>



Association BPAN France

tester l'efficacité de molécules thérapeutiques ou des traitements lors de futurs essais cliniques.

L'Association BPAN France

Créée en janvier 2019 par des familles de personnes atteintes de BPAN, l'Association BPAN France est une association à but non lucratif, de loi 1901, reconnue d'intérêt général dont le but principal de soutenir les malades et leurs familles et de soutenir et stimuler la recherche. L'association est membre d'EURORDIS.

Critères d'éligibilité

Cet appel à projets est destiné à soutenir **en France** des programmes de recherche translationnelle, préclinique ou clinique innovants, en vue de trouver un traitement curatif ou de ralentir ou stopper la progression de la maladie BPAN.

Il peut s'agir d'une aide au lancement de nouveaux programmes de recherche réalisés au sein d'établissements publics ou de la poursuite de programmes de recherche prometteurs.

Une priorité sera donnée aux projets les plus susceptibles d'avoir un impact rapide sur les patients BPAN en permettant d'accélérer le passage en phase clinique.

Par exemple:

Validation de modèles cellulaires dérivés de patients (IPSC, organoïdes).

Test de molécules thérapeutiques approuvées FDA ou EMA issues de criblages in-vitro sur des modèles in-vivo.

Identification de biomarqueurs spécifiques de la maladie BPAN pour mesurer l'efficacité de molécules thérapeutiques testées dans les modèles in-vitro et in-vivo et mesurer l'évolution de la maladie lors des futurs essais cliniques.

Projet améliorant la qualité de vie quotidienne des patients.

avec une attention marquée pour les projets au stade de preuve de concept.

La nouveauté du projet, sa faisabilité, l'expertise des chercheurs impliqués et le bénéfice attendu de la recherche devra être explicitement détaillé.

Modalités de financement :

Cet appel à projets de recherche prévoit un soutien financier total maximum de 30 000 euros pour une durée maximale de 24 mois.

L'Association et l'organisme gestionnaire du projet lauréat signeront une convention de partenariat qui définira les conditions, droits et obligations de chacune des parties.

Association BPAN France – 39 rue de la Morandière – 37230 Fondettes

Association Loi 1901 – R.N.A. : W011005569 – SIRET : 882 406 093 00022
contact@bpanfrance.fr - Tél. : +33 6 85 23 00 21 - <https://bpanfrance.fr>

Association BPAN France

Le financement peut couvrir uniquement les frais de :

- Personnel temporaire (hors personnel administratif)
- Fonctionnement (consommables, produits, réactifs, petit matériel, ...)
- Sous-traitance / prestations de service (plateaux techniques, imagerie,...) sous réserve qu'elles ne portent que sur l'exécution d'une partie limitée du projet (20 % maximum du budget)
- Mission (à hauteur maximale de 1000 euros).

Le recours pour la réalisation du projet à la sous-traitance à des prestataires de service doit être pleinement justifié.

Les coûts d'environnement et frais de gestion ne sont pas éligibles.

Le budget prévisionnel doit être détaillé poste par poste.

Les projets pourront impliquer des acteurs étrangers dans la mesure où ceux-ci assureront leur propre financement.

Les collaborations et cofinancements sont autorisés, dès lors qu'aucun conflit d'intérêt n'existe et sous réserve de la mise en place d'outils permettant de garantir la traçabilité, la transparence et le contrôle par l'Association BPAN France de l'utilisation des fonds apportés au projet par l'Association.

Processus de soumission et de sélection des projets :

Le **dossier de candidature téléchargeable** en [CLIQUANT ICI](#), dûment rempli **en anglais** et signé par le demandeur sera adressé **au plus tard le 20 octobre 2025** à l'Association BPAN France **par email** à aap2025@bpanfrance.fr **au format Word et PDF** avec comme **objet de mail : Candidature AAP BPAN France 2025.**

L'Association centralisera les dossiers de candidature, évaluera leur recevabilité et sélectionnera le projet lauréat sur la base d'avis d'expert externes scientifiques du domaine au plus tard en décembre 2025 en prenant en compte les priorités de l'association. Les experts externes sollicités signeront un accord de confidentialité et d'absence de conflit d'intérêt.

Suivi scientifique et financier

L'Association assurera le suivi scientifique et financier du ou des projets de recherche avec l'aide éventuelle d'un expert choisi par l'Association et agréé par le lauréat.

Association BPAN France

Le financement sera débloqué sous conditions et sur présentation de facture en trois temps :

- 1^{ère} facture : Signature de la convention ; une visite d'un ou plusieurs membres de l'association BPAN France au sein du laboratoire et une rencontre avec l'équipe du porteur du projet pourra être demandée préalablement à la signature de la convention.
- 2^{ème} facture : Mi-parcours ; un rapport scientifique et financier précis devra être produit par le porteur pour justifier de l'atteinte des objectifs scientifiques intermédiaires fixés et de l'utilisation des fonds. Ce rapport sera présenté à l'association BPAN France lors d'une réunion. Un rapport grand public diffusable d'une page en français devra également être fourni à l'association.
- 3^{ème} facture : Fin de convention ; à l'issue du projet, et quels qu'en soient les résultats, le lauréat adressera à l'Association au plus tard 2 mois après la fin du projet :
 - Un rapport scientifique final en anglais
 - Un rapport grand public diffusable en français (données non confidentielles)
 - Un résumé vulgarisé en français des résultats de recherche.
 - Un rapport financier complet justifiant de l'utilisation des fonds attribués par l'Association.

Pour les projets d'une durée supérieure à 12 mois, le porteur devra adresser par mail tous les 6 mois un point d'avancement succinct du projet (une à deux pages en français).

Un contact sera pris avec le porteur du projet un an après la fin des travaux pour un bilan de valorisation.

Dans la mesure du possible, il est attendu une valorisation des travaux effectués et des résultats obtenus à la fin du projet, sous forme de publications et/ou de communications scientifiques et grand public.

Communication

Le lauréat mentionnera le soutien de l'Association dans les publications ou communications éventuelles sur le projet.

L'Association sera autorisée à communiquer sur le partenariat avec le lauréat et sur l'engagement du projet de recherche, mais toute communication sur les résultats des travaux ne pourra se faire qu'avec l'accord préalable du lauréat.

Le porteur du projet se rendra disponible pour la présentation de ses résultats finaux lors d'une réunion organisée par l'Association BPAN France.