

Onco-pédiatrie

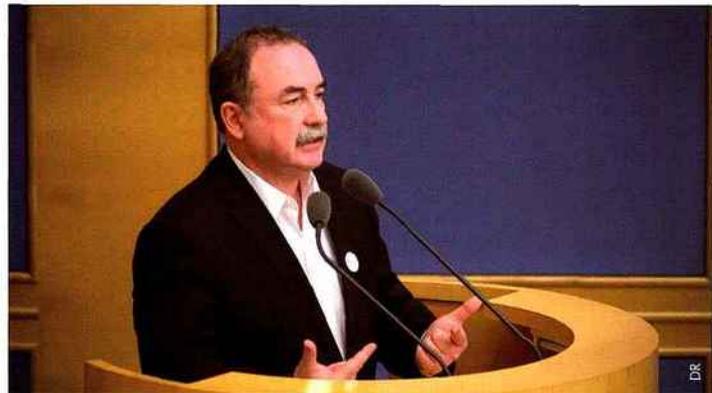
Un accès difficile à l'innovation

Succès dans la plupart des aires thérapeutiques, le règlement européen pédiatrique (REP) est un échec en cancérologie. Les parties prenantes réclament sa révision, pour que les nouvelles molécules bénéficient aux enfants en rechute.

Depuis l'entrée en vigueur du règlement pédiatrique européen, « 80 plans d'investigation pédiatrique ont été approuvés en cancérologie, mais les besoins sont encore très loin d'être satisfaits », indiquait le Pr Gilles Vassal, directeur de la recherche clinique à Gustave-Roussy et président du programme européen ITCC (Innovative Therapies for Children with Cancer), à l'occasion d'un colloque organisé au Sénat le 20 février par l'association Imagine for Margo, sur le cancer des enfants. « 2 500 enfants et adolescents sont diagnostiqués chaque année », a rappelé Patricia Blanc, présidente d'Imagine for Margo. Avec 500 décès par an, le cancer demeure en France la première cause de décès par maladie chez les enfants de plus d'un an. Si la grande majorité des jeunes patients peut être guérie par un premier traitement, seuls 40 % des malades en rechute ont accès à un médicament innovant en France – un chiffre qui tombe à moins de 10 % à l'échelle européenne.

Des dérogations trop fréquentes

Pourtant, dans cette aire thérapeutique, les laboratoires multiplient les demandes de dérogation ou s'efforcent de retarder au maximum la mise en œuvre des plans d'investigation pédiatrique (PIP). Il est vrai que leur développement est particulièrement complexe dans ces populations. Chez l'enfant, le cancer peut être assimilé à une maladie rare, voire très rare, d'où la difficulté de recruter le nombre requis de participants aux essais cliniques. De plus, les candidats médicaments ont souvent des effets secondaires toxiques, qui doivent être contrebalancés par un bénéfice important afin de justifier le lancement d'essais pédiatriques.



Gilles Vassal, directeur de la recherche clinique à Gustave-Roussy : « Trop de médicaments destinés à l'adulte ne sont pas développés chez l'enfant alors que leur mécanisme d'action peut laisser espérer un bénéfice. »

Pour Gilles Vassal, trop de médicaments destinés à l'adulte ne sont pas développés chez l'enfant alors que leur mécanisme d'action peut laisser espérer un bénéfice. Il cite le cas du crizotinib (Pfizer), indiqué dans le cancer du poumon non à petites cellules : une pathologie qui ne concerne que les adultes. Le laboratoire a bénéficié d'une dérogation, injustifiée selon lui car l'altération moléculaire ciblée par le médicament existe, elle, dans plusieurs cancers pédiatriques.

Une plate-forme de propositions

Convaincus de la nécessité d'un réajustement du REP, les parties prenantes (sociétés savantes, patients, industriels) se sont mobilisées et ont créé une plate-forme de propositions. La première vise à imposer la conduite de PIP en fonction du mécanisme d'action des médicaments, et non de leur indication chez l'adulte. La deuxième consiste à « prioriser » pour une évaluation chez l'enfant les meilleurs médicaments parmi les centaines développés chez l'adulte. Pour Raphaël Rousseau, responsable du développement pédiatrique chez Roche Genentech, cette priorisation serait même l'une des conditions nécessaires à la mise en œuvre de la première proposi-

tion. « Si on ne se livre pas à cet exercice préalable, on va se retrouver face à un raz-de-marée de molécules concurrentes sur un marché non concurrentiel », prévient-il. Pour autant, il estime qu'il sera compliqué d'imposer aux industriels – en particulier aux petites sociétés – des PIP plus systématiques sans garantie de retour. « Six mois d'extension de brevet, c'est très bien... quand le médicament arrive effectivement jusqu'au marché. Il faudrait plutôt réfléchir à des incitations fiscales. » Un écueil dont les parties prenantes ont bien conscience : la troisième proposition de la plate-forme consiste justement à garantir une plus grande flexibilité et efficacité des incitations. Ces propositions sont soutenues par la députée européenne Françoise Grosse-tête, rapporteur du REP il y a dix ans. Celle-ci déplore une forme d'inertie de la part de la Commission européenne sur ce sujet. « Une étude sur la mise en œuvre du REP est en cours, dont les résultats sont attendus pour 2017. Mais pourquoi attendre, puisque les dysfonctionnements sont connus ? », plaide-t-elle. Une résolution pourrait être soumise dès cette année au vote du Parlement européen.

Julie Wierzbicki