



Communiqué de presse
14 juin 2016

Lancement de l'essai "AcSé-ESMART" unique au monde dans les cancers pédiatriques

***Son objectif : doubler en deux ans le nombre de médicaments
pour les enfants atteints de cancers***

Les cancers pédiatriques sont des cancers rares et représentent la première cause de décès par maladie chez les enfants. Chaque année en France, 1 700 nouveaux cas sont diagnostiqués chez les enfants et 800 chez les adolescents. Ainsi, l'Institut national du cancer s'engage fortement pour que les enfants touchés par un cancer aient accès à l'innovation.

Financé par l'Institut national du cancer, l'association Imagine for Margo et promu par Gustave Roussy, l'essai européen AcSé-ESMART de phase précoce du réseau ITCC¹ est officiellement lancé.

ESMART fait partie du programme AcSé de l'Institut national du cancer. Ce programme pionnier et unique au monde vise à faciliter l'Accès Sécurisé aux thérapies ciblées innovantes. Deux autres essais sont conduits en France depuis 2013 et ciblent les tumeurs présentant des altérations moléculaires présentes dans plus de 20 types de cancers de l'adulte ou de l'enfant.

AcSé-ESMART est le troisième essai thérapeutique du programme et le premier essai clinique entièrement dédié aux cancers pédiatriques :

- Cet essai vise à accélérer l'accès à l'innovation thérapeutique pour les enfants et les adolescents. Il a pour objectif de tester dix molécules innovantes (thérapies ciblées, immunothérapies, seules ou en association) au sein des 6 centres pédiatriques labellisés par l'Institut national du cancer pour les essais de phases précoces (CLIP²). Trois laboratoires pharmaceutiques - Astrazeneca, Novartis et BMS - mettront à disposition et distribueront leurs molécules à l'ensemble des 6 CLIP² pédiatriques.
- Il a pour ambition de doubler en deux ans le nombre de nouveaux médicaments qui seront proposés aux enfants en fonction des caractéristiques moléculaires de leur tumeur.
- Il inclura 260 enfants en échec thérapeutique, sur trois ans.
- Il s'inscrit dans la continuité du projet MAPPYACTS, cofinancé par la fondation ARC pour la recherche sur le cancer et le programme hospitalier de recherche clinique national - lancé en décembre 2015 - qui vise à identifier les anomalies moléculaires de plus de 300 enfants ayant un cancer en échec thérapeutique, afin de leur proposer de nouveaux médicaments adaptés dans les essais thérapeutiques précoces.
- Il se positionne en complément des essais de développement promus par les industriels, encore trop peu nombreux et qui doivent être encouragés en parallèle et dans la suite du programme.

¹ Innovative Therapies for Children with Cancer

Selon Natalie HOOG LABOURET, Responsable de la mission AcSé au sein de l'Institut national du cancer, « *le programme AcSé, unique au monde, évolue pour s'adapter aux spécificités de la prise en charge des cancers chez l'enfant. Ainsi, en fonction du profil moléculaire de leur tumeur, les enfants en situation d'échec thérapeutique bénéficieront d'un accès sécurisé sur l'ensemble du territoire national, au sein des 6 CLIP² pédiatriques, à une ou plusieurs molécules, parmi un panel de traitements médicamenteux mis à disposition par plusieurs firmes pharmaceutiques* ».

Pour le Pr Gilles VASSAL, Directeur de la Recherche Clinique de Gustave Roussy, « *l'enjeu est d'accélérer l'accès aux innovations pour les enfants et les adolescents en échec thérapeutique d'un cancer ou d'une leucémie. Grâce au Plan Cancer qui en a fait une priorité et grâce au soutien des associations et organismes caritatifs, la France est leader en Europe* ».

Le Dr Birgit GEOERGER, onco-pédiatre à Gustave Roussy et coordinatrice de l'essai AcSé-ESMART précise, « *les enfants ont le droit de bénéficier des bouleversements actuels de la cancérologie. Mais ce ne sont pas des adultes miniatures. Le design unique de cet essai va leur permettre d'avoir accès à tout un panel d'innovations de manière précoce et dans le cadre sécurisé d'une étude clinique* ».

Selon Patricia BLANC, Présidente, Imagine for Margo a souhaité prendre part au projet en finançant à hauteur d'un million d'euros. « *Pour ne pas perdre un temps précieux pour les familles, nous avons choisi de donner 1 million d'euros afin de démarrer au plus vite ce programme unique au monde et fortement porteur d'espoir. Nous allons proposer des traitements innovants et ciblés pour les enfants en rechute quel que soit leur type de tumeur. Avec ESMART, nous changeons d'échelle et repensons les essais cliniques pour accélérer l'accès à l'innovation, dans un environnement sécurisé* ».

AcSé en bref :

- Proposer aux patients adultes et enfants atteints de cancer et en échec de thérapeutiques validées, d'accéder à un traitement basé sur une anomalie moléculaire de leur tumeur, dans le cadre sécurisé d'un essai thérapeutique de phase 2. Les patients ayant accès à un essai clinique existant ne sont pas concernés par le programme AcSé ;
- Etudier l'intérêt de ces molécules ciblées innovantes, en termes d'efficacité et de tolérance, chez des patients atteints de cancers de différents types cytologiques ou histologiques, présentant l'anomalie moléculaire ciblée, en l'absence d'AMM dans cette indication, d'essai clinique de développement, d'ATU de cohorte ou de RTU ;
- Garantir une égalité d'accès des patients aux traitements innovants sur tout le territoire français.
- Plus de détails sur le programme AcSé sur le site de l'Institut national du cancer [ici](#)

A propos de l'Institut national du cancer :

Créé par la loi de santé publique du 9 août 2004, l'Institut national du cancer (INCa) est l'agence d'expertise sanitaire et scientifique en cancérologie de l'État. Chargé de coordonner les actions de lutte contre les cancers, l'Institut, par sa vision intégrée de l'ensemble des dimensions sanitaire, médicale, scientifique, sociale, économique liées aux pathologies cancéreuses, met son action au service des personnes malades, de leurs proches, des usagers du système de santé, de la population générale, des professionnels de santé, des chercheurs et des décideurs dans les domaines de la prévention, des dépistages, des soins, et de la recherche. www.e-cancer.fr

A propos de Gustave Roussy :

Gustave Roussy, premier centre de lutte contre le cancer en Europe, constitue un pôle d'expertise global contre le cancer entièrement dédié aux patients. Il réunit 3 000 professionnels dont les missions sont le soin, la recherche et l'enseignement. – www.gustaveroussy.fr – www.manifeste-innovationcancer.fr

A propos d'Imagine for Margo :

L'association *Imagine for Margo* a été créée fin 2011 suite au décès de Margaux (14 ans) d'une tumeur au cerveau. L'objectif principal est de collecter des fonds pour développer la recherche européenne sur des traitements spécifiques et innovants sur les cancers des enfants. De nombreuses actions sont aussi réalisées pour améliorer le bien-être des enfants et des familles. En 4 ans, 3

millions d'euros ont été affectés à ses actions, dont 90% à la recherche. L'association est un acteur majeur dans le financement de la recherche en pédiatrie. Les événements annuels principaux de l'association sont le colloque au Palais du Luxembourg à l'occasion de la journée mondiale du cancer des enfants le 15 février, la course/marche « enfants sans cancer » fin septembre (1million d'euros collectés en 2015) et une campagne de sensibilisation nationale signée Peter Lindbergh avec Mika (septembre).

Contacts presse :

Institut national du cancer : Julie Decoutère : 01 41 10 14 44 presseinca@institutcancer.fr

Gustave Roussy : Claire Parisel : 01 42 11 50 59 claire.parisel@gustaveroussy.fr

Imagine for Margo : Sabrina Palanza : 06 74 10 72 79 contact@imagineformargo.org