

RENCONTRES DE L'INCA 4 février 2016

L'accès à l'innovation pour les enfants et adolescents atteints de cancer
Discours de Patricia Blanc, Imagine for Margo

Merci pour votre invitation et pour me permettre de faire un point sur l'accès à l'innovation pour les enfants et adolescents atteints de cancer.

C'est un sujet sur lequel l'association Imagine for Margo s'investi fortement depuis sa création il y a 4 ans, car **ma fille Margaux, décédée à l'âge de 14 ans d'une tumeur au cerveau, n'a justement PAS eu accès à des traitements innovants**, mais juste à un protocole standard, avec une vieille chimio qui datait de 30 ans et développée pour des adultes.

Or, **Donner accès à l'innovation** aux enfants et adolescents atteints de cancer doit être une PRIORITE , je dirai même une **PRIORITE DE SANTE PUBLIQUE**.

Quelques chiffres, qui sont d'ailleurs très peu connus :

- Le cancer reste la **1^{ère} cause de décès des enfants par maladie**.
- 1 enfant sur 440 diagnostiqué avant l'âge de 15 ans
- Avec 500 décès par an, plus d'un enfant meurt chaque jour du cancer en France
- Si l'on guérit 80% des enfants, ce n'est d'abord qu'une statistique à 5 ans., il y a de **FORTES DISPARITÉS** dans ce pourcentage selon les tumeurs, et ces enfants ont bien trop souvent de lourdes séquelles suite aux traitements ou à la maladie.

Il faut donc réussir à guérir mieux ces enfants, ces jeunes, et aussi les guérir davantage.

Pour cela, les enfants et les adolescents doivent avoir accès à l'innovation et ne plus être les oubliés de la Recherche.

En effet, **très peu de fonds** sont alloués à la recherche pédiatrique. Avec 60 types de cancers différents, cela reste une maladie rare, **un marché non rentable financièrement pour l'industrie pharmaceutique**.

En conséquence, **la plupart des médicaments donnés aux enfants sont off label, c'est à dire des médicaments d'adulte non légalement autorisés chez l'enfant.**

Alors que l'innovation se développe fortement dans les cancers des adultes, avec de très nombreuses nouvelles molécules,

On estime qu'aujourd'hui, **en Europe, seulement 10% des enfants en rechute ont accès à l'innovation.**

Pourtant, l'année 2016 est l'année pour AGIR afin d'accélérer l'innovation et cela, pour principalement 2 raisons :

-la 1^{ere} est que **la médecine de précision démarre à peine chez l'enfant** : il faut que cela **s'accélère** et que l'on soit prêt à pouvoir proposer des traitements ciblés les plus adaptés aux anomalies des tumeurs des enfants. Donc **il nous faut les médicaments.**

-la 2^{ème} est que c'est en 2016 que nous devons faire des propositions pour que **l'environnement réglementaire européen** soit plus favorable au développement de médicaments pédiatriques par les industriels ; En y ajoutant à la fois des **obligations et des incitations.**

La médecine de précision, qui se base sur les résultats des portraits moléculaires, le séquençage de la tumeur, permet de mieux comprendre les anomalies moléculaires et donc de mieux cibler les traitements.

On voit chez l'adulte que certaines molécules sont très prometteuses, comme l'est aussi l'immunothérapie.

Mais **très peu de ses nouvelles innovations sont accessibles aux enfants ou le sont très tard.**

Au niveau européen, le **réseau ITCC est un acteur majeur du développement des innovations thérapeutiques** pour les enfants et adolescents atteints de cancer et déploie son activité dans 12 pays.

ITCC réalisent la moitié de son activité en France, dans 11 centres d'oncologie pédiatriques répartis sur tout le territoire.

En France, sur les 2 dernières années, 200 enfants et adolescents en rechute d'une tumeur ou l'une leucémie ont participé à un essai précoce ITCC afin d'avoir accès à de nouveaux médicaments.

Afin d'accélérer l'innovation, l'ambition d'ITCC est :

- 1) de proposer à plus d'un enfant sur 2 en rechute non curable d'un cancer, au moins un nouveau médicament, au mieux en association,
- 2) accélérer l'introduction des nouveaux médicaments en première ligne de traitement (et non attendre la rechute) pour les cancers de mauvais pronostic.

Quels moyens en France pour y arriver ? Plusieurs initiatives ont démarrées :

Le plan cancer 3, en créant 6 centres labellisés d'investigation précoce pédiatrique (**les CLIPP**), a tout d'abord renforcé la capacité à développer des innovations.

Ensuite, **l'essai MAPPYACT**, soutenu par le PHRC et par la Fondation ARC, a démarré récemment et **propose aux enfants en rechute un portrait moléculaire complet**

300 patients seront inclus sur 3 ans.

Les portraits moléculaires sont réalisés à Gustave Roussy et à l'Institut Curie.

MAPPYACT s'inscrit d'ailleurs dans une démarche européenne, avec plusieurs programmes du même type dans d'autres pays européens, ce qui permettra à terme **une grande base de données clinico-biologique**.

L'on pourra donc bientôt mieux connaître mieux les anomalies des tumeurs des enfants mais il faudra alors être capable de proposer le traitement le mieux adapté avec les médicaments les plus prometteurs.

D'ou la nécessité d'accélérer l'accès à des essais cliniques, de repenser la manière de les concevoir.

Et en ce sens, le programme ESMART qui s'intègre dans le programme Acsé (accès sécurisé au médicament) du Plan cancer 3 piloté par l'INCa est un bel exemple d'accès à l'innovation.

ESMART sera une première mondiale dans les cancers de l'enfant :
Il proposera au moins 10 médicaments innovants provenant de plusieurs industriels évalués en phase précoce (médicament seul et en association) dans un seul et même protocole.

C'est un programme transversal, qui permettra aux enfants en rechute ou en échec thérapeutique d'avoir un traitement ciblé, quelque que soit leur tumeur, solide ou leucémie.

Pour mettre en place ESMART, il a fallu aller chercher les molécules LES PLUS ADAPTEES auprès des laboratoires.

Je sais Mme Buzyn que vous y avez passé du temps, vous et aussi votre collaboratrice Natalie Hoog Labouret, je vous en remercie.

Je remercie aussi les équipe de Gustave Roussy, promoteur du projet, et notamment le Pr Vassal, le Dr Birgit Georger, ainsi que les laboratoires qui ont déjà accepté d'y participer.

J'encourage les autres industriels qui ont été sollicités à rejoindre ce programme,

et aussi les autorités réglementaires, qui viennent de recevoir le projet de l'étudier et donner leur accord dans les meilleurs délais.

C'est un programme suffisamment porteur d'espoir pour les familles qui mérite de ne pas perdre de temps.

De notre côté, **Imagine for Margo s'est engagé à verser 1 million d'euros pour booster le démarrage du projet ESMART, car nous savons trop bien comme le temps est précieux quand un enfant est en rechute.**

L'innovation se développe aussi en 1ere ligne de traitement, notamment pour les tumeurs du tronc cérébral, qui est la tumeur au plus mauvais pronostic.

A Gustave Roussy, l'essai **BIOMEDE** de ITCC, propose, au diagnostic, trois thérapies ciblées selon les résultats de la biopsie.

Avec de plus, un portrait moléculaire afin d'orienter les autres traitements au moment de la progression tumorale.

La **création des CLIPP** ainsi que le programme **Acsé - ESMART** montrent que **le plan cancer 3 a été un accélérateur de l'accès à l'innovation en onco-pédiatrie.**

En 2016, le programme **PAIR pédiatrique** (Programme d'action intégré de Recherche), soutenu par la Ligue contre la Cancer et la Fondation ARC, compléteront ce dispositif en soutenant la Recherche fondamentale et translationnelle.

Voilà donc des **initiatives qui démarrent, ENFIN**, pour que les enfants ne soient plus les oubliés de la recherche.

Mais **ce n'est qu'un début**, il faut **continuer à construire ensemble**.

- Continuer à être plus flexible dans l'accès aux médicaments tout en gardant un cadre sécurisé
- Savoir garder et développer l'innovation dans notre pays (nous avons encore des familles obligées de partir à l'étranger pour accéder à un traitement non accessible en France)
- Ne pas créer d'inégalités sur le territoire et donc faciliter le transfert des enfants dans les établissements où les innovations thérapeutiques seront en évaluation,
- Faciliter aussi l'information pour les professionnels et les familles sur l'existence de ces essais : que l'information soit transparente et centralisée

Ces informations pourraient être par exemple regroupées au sein d'un **observatoire des cancers des enfants** qui permettrait aussi de mesurer les résultats des différentes initiatives et informer les familles.

Je terminerai par **un autre point important pour accélérer l'innovation ; l'adaptation de la Règlementation européenne**.

Depuis maintenant 2 ans, ensemble, médecins, chercheurs académiques, industriels du médicament, régulateurs (membres au comité pédiatrique et de l'agence européenne du médicament) ainsi que des associations de parents, travaillons ensemble pour booster l'innovation, dans le cadre d'une **plateforme européenne d'oncologie pédiatrique**.

Nous avons fait un état des lieux de la Règlementation européenne sur le médicament pédiatrique, afin de comprendre pourquoi, alors qu'elle est un succès dans plusieurs maladies de l'enfant, il y a **des freins majeurs pour l'industrie dans le développement dans les cancers des enfants** :

- des retards importants dans le démarrage des médicaments
- des dérogations **inacceptables** au regard de la biologie des tumeurs pédiatriques ou le potentiel de certains médicaments ciblés
- des Plan d'Investigation Pédiatriques souvent inadéquats ou infaisables.

Les propositions issues de cette plateforme viennent d'être formalisées avec à la fois :

- Une obligation de développer** des médicaments pédiatriques si le mécanisme d'action du médicament a un potentiel bénéfique chez l'enfant
- Une priorisation des développements** sur les médicaments les plus adaptés
- Une incitation plus tôt et plus importante** pour les industriels, notamment s'ils investissent dans des **maladies spécifiques aux enfants**.

Ces mesures, présentées la semaine dernière lors d'une réunion au **Parlement européen**, ont aussi été présentées au **Ministère à la Direction Générale de la Santé** cette semaine, car nous souhaitons que la France, comme en 2007, soit leader de cette adaptation de la Réglementation qui permettra de développer l'accès à innovation pour les enfants et adolescents atteints de cancer.

Nous avons le soutien de plusieurs parlementaires et **nous en appelons à Mme la Ministre afin qu'elle puisse porter ces mesures, au Conseil de l'Europe**.

Les associations de parents se mobilisent fortement.

C'est d'ailleurs pour cela que nous avons créé cet été **un mouvement des associations européennes UNITE2CURE** afin de sensibiliser et mobiliser en faveur de traitements nouveaux pour les enfants et adolescents et **porter nos demandes auprès des députés européens dans les différents Etats membres**.

En conclusion,

Le plan cancer 3, et tout particulièrement, grâce à l'impulsion de sa Présidente, a permis de donner une vraie dynamique à l'innovation pour les enfants et les adolescents.

Certains industriels accompagnent ce mouvement en étant dans ESMART ou en faisant des développements volontaires, mais cela reste **encore très loin d'être la majorité** et nous avons besoin **d'investissements supplémentaires** et de **l'aide de la Réglementation** pour faire une **VRAIE différence**.

IL RESTE ENCORE ENORMEMENT DE CHEMIN A FAIRE MAIS

j'espère vous avoir montré qu'avec la dynamique engagée, **nous avons aujourd'hui les moyens de faire de 2016 l'année de l'accélération de l'innovation thérapeutique pour les enfants et adolescents atteints de cancer**.

Cela ne pourra se faire efficacement que **ENSEMBLE**
En tous les cas, **vous pouvez compter sur MA TRES FORTE**
DETERMINATION, ainsi que sur celle de **nombreuses associations** de
parents, de nombreux oncologues pédiatres et chercheurs avec lesquels
nous travaillons, pour **NE RIEN LACHER AFIN D'Y ARRIVER.**

Je vous remercie pour votre attention