



COLLOQUE  
**FAST**  
6<sup>e</sup> ÉDITION

ORGANISÉ PAR  
IMAGINE  
FOR *Margo*  
Children without CANCER



PALAIS DU LUXEMBOURG, 16 FÉVRIER 2019





# ÉDITO



2019 s'ouvre sur notre 6<sup>e</sup> colloque FAST. Il réunit les acteurs majeurs de la recherche en oncologie pédiatrique en France. Ce rendez-vous annuel est devenu incontournable : c'est une véritable occasion d'avancer ensemble - médecins, chercheurs, politiques, institutionnels, laboratoires pharmaceutiques, fondations, associations de patients et de parents - afin d'accélérer la recherche sur les cancers pédiatriques. Échanger sur les progrès et les contraintes de chacun permet de définir des plans d'action pertinents, pour avancer plus vite. Chaque année, nous élaborons ensemble des propositions afin de créer des synergies entre les différents acteurs, optimiser le fonctionnement de certains organismes, augmenter les sources de financement, mais aussi améliorer les réglementations françaises et européennes. Cela a permis de grandes avancées concrètes.

En tant que maman de Margo, qui n'a pas pu être soignée avec des médicaments innovants et prometteurs, je continue sans relâche de rappeler que pour les familles, le temps est compté et nous devons tout faire pour permettre aux enfants malades d'avoir accès aux médicaments et aux thérapies les plus efficaces dans les meilleurs délais.

Je remercie Gérard Larcher, Président du Sénat, et la sénatrice Catherine Deroche, qui nous soutiennent depuis le début, et nous permettent de nous réunir chaque année dans ce lieu prestigieux. Je remercie également les chercheurs et les médecins qui travaillent au quotidien pour trouver des solutions afin de mieux soigner les enfants, et tous ceux qui s'engagent à nos côtés afin d'aider à accélérer la recherche.

Je souhaite que cette 6<sup>e</sup> édition permette de renforcer encore l'élan donné à la recherche afin de continuer à augmenter les chances de guérison pour les enfants atteints d'un cancer.

Excellent colloque à tous !



Patricia Blanc  
Présidente et fondatrice de l'association Imagine for Margo – Children without Cancer.



# LES AVANCÉES DEPUIS

## MOBILISER LES ACTEURS DE LA RECHERCHE



### En France

En octobre 2018, l'ANSM annonce la **mise en place d'une procédure accélérée d'autorisation d'essais cliniques** (Fast Track) pour les traitements innovants **et une proposition de loi est votée** modifiant la désignation des Comités de Protection des Personnes. Ces deux mesures demandées lors du colloque de février 2018 devraient permettre aux enfants d'accéder plus rapidement aux essais cliniques, augmentant l'espoir de bénéficier de traitements innovants plus efficaces.

Le 12 novembre 2018, **Frédérique Vidal, Ministre de l'Enseignement supérieur, de la Recherche et de l'Innovation, annonce un fonds récurrent supplémentaire de 5 millions d'euros pour la recherche sur les cancers pédiatriques**. Une première en France qui va permettre de répondre à des besoins de la recherche fondamentale. Nous travaillons activement au sein du collectif GRAVIR avec le Ministère et l'INCa sur la désignation des besoins et l'affectation de ce montant.

Le 29 novembre 2018, **la proposition de loi de Nathalie Elimas en faveur d'une meilleure prise en charge des cancers pédiatriques a été votée à l'unanimité à l'Assemblée Nationale**. Cette proposition de loi, que nous avons fortement soutenue avec le collectif GRAVIR, prévoit notamment une évaluation décennale des besoins en cancérologie pédiatrique afin d'y affecter les moyens correspondants, avec des crédits publics déterminés par décret chaque année.



### En Europe

**Une mission sur les cancers pédiatriques a été proposée par la Commission européenne** parmi les priorités du programme Horizon Europe 2021 – 2027. Nous nous mobilisons activement avec Unite2Cure et la SIOPE pour que cela soit validé au premier trimestre 2019.

# LE DERNIER COLLOQUE



## FINANCER LA RECHERCHE

**1 779 000 euros collectés pour la recherche,**

grâce à la course Enfants sans Cancer City à La Défense et à la course Enfants sans Cancer au Domaine National de Saint-Cloud.



Course Enfants sans Cancer - 7<sup>e</sup> édition



Course Enfants sans Cancer City - 1<sup>re</sup> édition

Cela nous a permis d'affecter des fonds à **quatre programmes de recherche** supplémentaires :

- le programme BIG DATA de ITCC,
- le programme NIVO-ALCL,
- le programme BEACON-IMMUNO
- le programme SELUDEX



Déploiement de la course Enfants sans Cancer en Belgique et au Luxembourg avec le lancement des courses « Run to Kick » et « LëtZ Go Gold » par l'association KickCancer et la Fondation Kriibskrank Kanner. 100% des dons collectés affectés à la recherche sur les cancers pédiatriques.

# PROGRAMME

## Further Accelerating Specific Tre

### 8h45 - Café d'accueil

### 9h30 - Introduction

Patricia Blanc, Pdte d'Imagine for Margo

Lise Marzouk, témoignage, universitaire et écrivain, auteure de « Si »

### 10h00 - Des avancées règlementaires prometteuses

#### L'accès précoce aux médicaments innovants s'accélère

Catherine Deroche, Sénatrice de Maine-et-Loire, Présidente du groupe d'études cancer au Sénat

#### Table ronde

Elodie Chapel, Directrice des politiques d'autorisations et d'innovation, ANSM

Dr Lotfi Boudali, Direction onco-hématologie, ANSM

David Simhon, Vice Pdt de la commission nationale des recherches impliquant les personnes humaines

Dr Pablo Berlanga Charriel, Gustave Roussy, projet SACHA de la SFCE

### Vers une meilleure prise en charge des cancers pédiatriques

Nathalie Elimas, Députée du Val d'Oise, co-pdte du groupe d'études cancer à l'Assemblée Nationale

#### Table ronde

Pr Norbert Ifrah, Pdt de l'Institut National du Cancer

Pr Virginie Gandemer, Pdte de la SFCE, CHU de Rennes

Frédéric Brochard, association Hubert Gouin - Enfance & Cancer

### 11h30 - Mappyacts : mieux personnaliser les traitements pour les enfants

Sylvain Besle, Gustave Roussy, coordinateur du projet ACCE

### 11h45 - Nouveautés et perspectives de la recherche : immuno-thérapie, BIG DATA et intelligence artificielle

#### Table ronde

André Baruchel, Chef du service hématologie-immunologie pédiatrique, Robert Debré

PATRONAGE

PRÉSIDENT DU SÉNAT

# COLLOQUE FAST

atments for children with cancer



Olivier Delattre, Directeur du centre d'oncologie SIREDO, Institut Curie  
Gilles Vassal, Pdt de ITCC, Gustave Roussy  
Matahi Moarii, Chef de la recherche translationnelle, OWKIN

**12h30 - Déjeuner salle Coty**

**14h00 - Des enjeux majeurs pour 2019 : nouveaux financements et nouveaux modes de coopération**

**Fonds dédié à la recherche sur les cancers pédiatriques**

Frédérique Vidal, Ministre de l'Enseignement supérieur, de la Recherche et de l'Innovation

**Des collectifs pour agir ensemble : GRAVIR, IMPACT**

**Table ronde**

Muriel Hattab, Pdte de l'association Princesse Margot, GRAVIR  
Laure Lechertier, membre du CA de la Fondation Bristol-Myers Squibb, GRAVIR  
Dominique Valteau Couanet, Pdte du Conseil Scientifique de la SFCE, GRAVIR  
Thomas Borel, Directeur des Affaires Scientifiques et RSE du Leem, IMPACT

**Vers un financement collaboratif de la recherche ?**

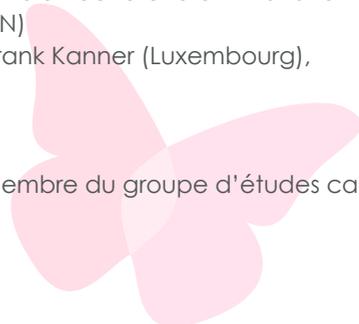
**Table ronde**

Patricia Blanc, Pdte, association Imagine for Margo  
François Dupré, DG Fondation ARC pour la Recherche sur le cancer  
Pr Jacqueline Godet, Pdte de la Ligue contre le Cancer  
Pr Christine Chomienne, Directrice Pôle Recherche et Innovation de l'INCa, ITMO Cancer (INSERM-AVIESAN)  
Anne Goeres, DG Fondation Kriibskrank Kanner (Luxembourg), Unite2Cure

**15h45 : Conclusion**

Marta de Cidrac, Sénatrice des Yvelines, membre du groupe d'études cancer au Sénat

**16h00 - Fin du colloque**



**Guerrier, journaliste**





# ACCÉLÉRER LA RECHERCHE

## MOBILISER LES ACTEURS DE LA RECHERCHE

**ACCÉLÉRER**   
LE DÉVELOPPEMENT DE  
MÉDICAMENTS  
AVEC

  
**ACCELERATE**  
INNOVATION FOR CHILDREN AND ADOLESCENTS WITH CANCERS

 **MOBILISER**  
EN EUROPE  
AVEC

   
**Childhood Cancer International**

  
**UNITE  
2 CURE**

**PROPOSER**   
DES PLANS D' ACTIONS  
AVEC

   
**COLLECTIF GRANVIE**  
FRANCAIS UN CAP POUR LES ENFANTS  
ET ADOS AFFLIGES DE CANCER

# UNE PRIORITÉ ABSOLUE



## FINANCER LA RECHERCHE

pour aider les médecins et chercheurs à mieux comprendre et mieux soigner les cancers des enfants.

### Quelques chiffres depuis 2011 :



#### **+7 Millions d'euros**

ont été affectés à la recherche pour financer des programmes innovants afin de trouver des traitements spécifiques et mieux adaptés pour les enfants et adolescents atteints de cancer.



#### **+2 400 enfants**

atteints de cancer en France et en Europe ont accès aux programmes de recherche que nous cofinançons.



#### **+16 nouveaux traitements**

ont été proposés aux enfants en échec thérapeutique de certains cancers grâce aux programmes de recherche que nous cofinançons.



# COLLECTIF GRAVIR



Le Collectif GRAVIR, qui réunit des professionnels de santé, des associations de patients et de parents, des fondations de recherche sur le cancer et des mouvements de sensibilisation citoyenne, s'est constitué en juillet 2017. Son objectif est d'alerter l'opinion et les différentes parties prenantes sur l'urgence d'agir plus vite et mieux, tant au niveau du diagnostic que de la prise en charge du traitement et du suivi des cancers des enfants et des jeunes.

Imagine for Margo est membre fondateur du collectif GRAVIR.

## Dernières actions :

- Mobilisation des politiques pour une meilleure prise en charge des cancers pédiatriques en France.
- Le 24 janvier 2019, le collectif GRAVIR a présenté officiellement sa candidature au Premier Ministre pour faire de la lutte contre le cancer des enfants et des jeunes la grande cause nationale 2019.

## Résultats :

- Suite au vote de 5 Millions d'euros supplémentaires pour la recherche sur les cancers pédiatriques, plusieurs réunions de travail ont eu lieu avec le Ministère de la Recherche pour échanger sur l'affectation de ce montant.
- Une Proposition de Loi a été votée à l'unanimité à l'Assemblée Nationale le 29 novembre 2018 et va permettre un renforcement de la recherche sur les cancers pédiatriques, un assouplissement de la possibilité pour les enfants malades de participer à des essais cliniques et un meilleur soutien aux familles.

*Liste des membres : APPEL – Association Philanthropique de Parents d'Enfants atteints de Leucémie ou autres cancers, Association Hubert Gouin – Enfance & Cancer, Association Imagine for Margo, Association Laurette Fugain, Association Les Petits Citoyens, Association Lisa forever, Association Princesse Margot, Fonds pour les Soins Palliatifs, La Ligue contre le Cancer, Fondation ARC pour la recherche sur le cancer, Société Française de lutte contre les Cancers et les leucémies de l'Enfant et de l'adolescent, Fondation Bristol-Myers Squibb pour la Recherche en Immuno-oncologie, Fondation AstraZeneca*

*Portes-paroles : Patricia Blanc (Imagine for Margo) et Muriel Hattab (Princesse Margot)*

 @collectifgravir

# PLATEFORME IMPACT



La plateforme IMPACT – Innover, Mobiliser, Partager Autrement pour Combattre et Traiter les enfants et les jeunes adultes atteints de cancer - réunit les Entreprises du Médicament (LEEM), des médecins, des chercheurs et des associations de familles et de patients. Elle a pour ambition d'« agir autrement pour vaincre les cancers des enfants et des jeunes adultes. »

Imagine for Margo est membre fondateur de la plateforme IMPACT.

## Trois objectifs principaux :

- Renforcer l'offre thérapeutique
- Faciliter l'accès aux traitements pour tous
- Améliorer la qualité de vie des enfants et l'accompagnement de leur famille

## Quelques chiffres :

- 45 jours, c'est l'objectif cible pour les délais d'autorisation d'essais cliniques
- 130 familles d'enfants malades ont déjà bénéficié d'une aide pour les frais de trajet et d'hébergement
- 80% des enfants atteints de cancer guérissent mais les conséquences de leurs traitements nécessitent un suivi à l'âge adulte.

Liste des membres : le LEEM, ITCC, la SFCE, les associations Imagine for Margo, Laurette Fugain, Unapeclé et Hubert Gouin - Enfance & Cancer.



# ACCELERATE



ACCELERATE est une plateforme multidisciplinaire qui réunit des académiques, des associations de parents, des industriels et des régulateurs au niveau international.

Son objectif est d'accélérer l'innovation - et notamment le développement de nouveaux médicaments - pour les enfants et adolescents atteints de cancer.

## **Au sein d'ACCELERATE, deux groupes de travail sont en cours :**

Le groupe 1 a pour objectif de favoriser l'inclusion des enfants dans les essais cliniques adultes. Il est piloté par Nathalie Gaspar (Gustave Roussy) et Chris Copland (Unite2Cure).

Le groupe 2 a pour objectif de mettre en place un nouveau business model pour favoriser les investissements dans le développement de nouveaux médicaments en oncologie pédiatrique. Il est piloté par Delphine Heenen (association Kick Cancer) et Sam Blackman (consultant pharma, US).

## **Dernières actions :**

- 3<sup>e</sup> forum stratégique pédiatrique sur l'immunologie à Londres en septembre 2018 : identification des molécules d'immunothérapie les plus prometteuses pour les cancers pédiatriques, avec les médecins et les laboratoires pharmaceutiques européens et américains.
- Élargissement de la plateforme ACCELERATE à des membres américains.

Patricia Blanc est membre du Comité Exécutif de la plateforme et du groupe 2. Elle a aussi participé au 3<sup>e</sup> forum stratégique sur l'immunothérapie à Londres.

 [www.accelerate-platform.eu](http://www.accelerate-platform.eu)  
 [contact@accelerate-platform.eu](mailto:contact@accelerate-platform.eu)



Unite2Cure est un groupement européen de parents, de représentants de patients et d'organismes à but non lucratif créé en 2015, dont Imagine for Margo est membre fondateur. Il est soutenu par de nombreux chercheurs et médecins de grands centres de recherche français et internationaux.

Son objectif est de mobiliser les politiques au niveau européen afin de faire changer le Règlement pédiatrique, de faciliter l'accès des enfants et adolescents aux essais cliniques adultes et d'obtenir des financements européens pour la recherche.

## Dernières actions :

- 2016 : actions de mobilisation de la Commission européenne sur le Règlement européen qui débouche sur le vote en décembre 2016 d'une résolution par le Parlement européen visant à adapter la réglementation européenne relative aux médicaments pédiatriques.
- Décembre 2017 : lettre ouverte au commissaire européen à la santé, co-signée par 43 associations de parents en Europe, afin de le sensibiliser à l'urgence de faire modifier le Règlement pédiatrique européen.
- 2018 : réunion de travail avec la Commission européenne afin de définir un plan d'action pour mieux faire appliquer le Règlement européen en attendant qu'il soit modifié.
- Mai 2018 : mobilisation des autorités et des laboratoires pharmaceutiques sur l'accès des adolescents aux essais cliniques adultes.
- Fin 2018 - début 2019 : mobilisation des politiques en Europe afin que le cancer des enfants fasse partie des priorités de Horizon Europe 2021-2027.

 [www.unite2cure.org](http://www.unite2cure.org)

 @Unite2Cure

 [unite2cure@gmail.com](mailto:unite2cure@gmail.com)



La Société Européenne d'Oncologie Pédiatrique (SIOPE Europe ou SIOPE) est la seule organisation pan-européenne représentant tous les professionnels de santé travaillant dans le domaine des cancers de l'enfant et de l'adolescent. Elle compte plus de 1 600 membres dans 34 pays européens.

Sa mission est d'augmenter les taux de guérison et la qualité de vie des patients guéris en intégrant soins, recherche et éducation dans une dynamique où tous les professionnels travaillent ensemble par une approche résolument multidisciplinaire.

En novembre 2015, la SIOPE a lancé au Parlement Européen « Le Plan Cancer Européen pour les Enfants et les Adolescents » pour mieux :

- accélérer le développement des thérapies innovantes en s'appuyant sur la recherche fondamentale et sur la médecine de précision ;
- garantir l'équité d'accès aux traitements et aux soins standard de qualité ainsi qu'à la recherche clinique au travers de toute l'Europe ;
- prendre en compte les besoins spécifiques des adolescents avec ceux des jeunes adultes ;
- améliorer le suivi à long terme et la prise en charge des adultes guéris d'un cancer pédiatrique ;
- intensifier la recherche pour comprendre pourquoi un enfant développe un cancer.

En 2007, SIOPE est devenue une organisation indépendante sans but lucratif dans la loi Belge et domiciliée à Bruxelles, membre fondateur d'ECCO (European CanCer Organisation).

Imagine for Margo est membre de SIOPE.

-  [www.siope.eu](http://www.siope.eu)
-  [@SIOPEurope](https://twitter.com/SIOPEurope)
-  [office@siope.eu](mailto:office@siope.eu)

## CCI & AACR



**Childhood  
Cancer  
International**

Childhood Cancer International est le plus grand réseau mondial d'associations sur la cause du cancer des enfants. Il compte 171 organisations membres à travers 88 pays et 5 continents, parmi lesquels 20 sont des réseaux nationaux.

CCI collabore avec des décideurs politiques, des experts du développement international influents, des professionnels médicaux et de santé, des entreprises du secteur privé et public, des membres de la société civile.

L'engagement de CCI est d'assurer la disponibilité et l'accessibilité des traitements de base et des soins de qualité pour les enfants atteints de cancer, et ce partout.

Imagine for Margo est membre de CCI Europe.

 [www.childhoodcancerinternational.org](http://www.childhoodcancerinternational.org)

 [@childhoodcancerinternational](https://www.facebook.com/childhoodcancerinternational)

 [@CCIntOrg](https://twitter.com/CCIntOrg)

 [headoffice@cci.care](mailto:headoffice@cci.care)



**American Association  
for Cancer Research\***

American Association for Cancer Research regroupe des médecins et des scientifiques spécialisés en oncologie.

Sa mission est de prévenir et guérir le cancer grâce à la recherche, à l'éducation, à la communication, à la collaboration, au financement et à la mobilisation.

Patricia Blanc est membre du groupe de travail sur les cancers pédiatriques depuis l'été 2018.

 [www.aacr.org](http://www.aacr.org)

 [@aacr.org](https://www.facebook.com/aacr.org)

 [@AACR](https://twitter.com/AACR)

# FINANCER LA RECHERCHE :



Plus de 7 Millions affectés à

MIEUX

## MICCHADO

TOUS LES CANCERS  
ET LEUCÉMIES  
À HAUT RISQUE  
AU DIAGNOSTIC

Séquençages complets  
du génome des tumeurs  
et analyses  
immunologiques

600 patients

Cofinancement  
1.200 K€

## MAPPYACTS

TOUS LES CANCERS  
ET LEUCÉMIES  
  
EN RECHUTE

Séquençages complets  
du génome des tumeurs  
et analyses  
immunologiques

600 patients

Cofinancement  
700 K€



MIEUX

## VINILO

GLIOME BAS  
GRADE  
EN RECHUTE

1 NOUVEAU  
TRAITEMENT

155 patients

Cofinancement  
180 K€

## BEACON

NEUROBLASTOME  
EN RECHUTE

2 NOUVEAUX  
TRAITEMENTS

Imagerie fonctionnelle

224 patients

Cofinancement  
800 K€



## BIOMEDE

TUMEUR TRONC  
CÉRÉBRAL  
AU DIAGNOSTIC

3 NOUVEAUX  
TRAITEMENTS

Profil moléculaire tumoral

255 patients

Cofinancement  
1.375 K€

## PARC

TOUS LES CANCERS  
ET LEUCÉMIES  
EN RECHUTE

1 NOUVEAU  
TRAITEMENT

250 patients

Cofinancement  
130 K€



essais cliniques incluant des

Imagine for Margo apporte également son soutien financier à la thèse du

# LA STRATÉGIE D'IMAGINE FOR MARGO

## la recherche depuis 2011

### COMPRENDRE

#### BIG DATA

PROGRAMME ITCC

Analyse de l'intégralité des données génomiques, immunologiques et cliniques issues de plusieurs programmes de recherche

Données de

**3 000 patients**

**Cofinancement  
360 K€**

#### Autres projets

SFCE/LÉON BÉRARD

Cartographie et classification des cancers pour trouver des thérapies ciblées

**Cofinancement  
610 K€**

### SOIGNER

#### AcSé ESMART

TOUS LES CANCERS  
ET LEUCÉMIES  
EN RECHUTE

10 NOUVEAUX  
TRAITEMENTS

**260 patients**

**Cofinancement  
1.022 K€**

#### SELUDEX

LEUCÉMIES  
LYMPHOBLASTIQUES  
AIGUES  
EN RECHUTE

1 NOUVEAU  
TRAITEMENT

**21 patients**

**Cofinancement  
140 K€**

#### NIVO ALCL

LYMPHOMES  
ANAPLASIQUES  
À GRANDES CELLULES  
EN RECHUTE

1 NOUVEAU  
TRAITEMENT

**40 patients**

**Cofinancement  
600 K€**

traitements d'immunothérapie

Dr Sarah Morice (CHU de Nantes) sur le développement des ostéosarcomes



# MICCHADO

## ANALYSE MOLÉCULAIRE ET IMMUNOLOGIQUE DES TUMEURS ET LEUCÉMIES À HAUT RISQUE AU DIAGNOSTIC

*Molecular and Immunological Characterisation of High risk Childhood Cancer at Diagnosis*

MICCHADO est un programme qui a pour objectif de **réaliser une analyse moléculaire complète et une évaluation immunologique des tumeurs et leucémies à haut risque** des enfants **dès le diagnostic**. Grâce à des technologies de pointe, comme le séquençage à haut débit, ces analyses vont permettre de mieux comprendre les mécanismes d'échappement et de résistance aux traitements dès les premières lignes. Des prélèvements sanguins réalisés pendant le suivi des patients en plus des séquençages complets initiaux permettront de suivre l'évolution des tumeurs de manière très précise.

En collaboration avec d'autres projets en cours, **ce programme va permettre d'orienter beaucoup plus vite vers de meilleures stratégies thérapeutiques.**

**Promoteur** : Institut Curie

**Investigateur principal** : Dr Gudrun Schleiermacher

**Durée du programme** : 2018 – 2024 (3 ans de recrutement, 3 ans de suivi)

**Recrutement (en cours)** : objectif de 600 patients

**Pays concernés** : France

**Financement Imagine for Margo** : 1 200 000€



# MAPPYACTS

## ANALYSE MOLÉCULAIRE AVANCÉE DES TUMEURS ET LEUCÉMIES EN RECHUTE

*MoleculAr Profiling for Pediatric and Young Adult Cancer Treatment Stratification*

MAPPYACTS est un programme qui a pour objectif de **réaliser une analyse moléculaire à haut débit et une évaluation immunologique des tumeurs et leucémies des enfants en rechute ou en échec thérapeutique pour orienter vers des traitements innovants**. Il s'agit de séquencer l'ensemble des gènes exprimés dans la tumeur ou leucémie pour trouver la ou les anomalies qui pourraient être ciblées par de nouveaux médicaments, proposés dans des essais thérapeutiques comme AcSé-ESMART. **En trois ans, 536 enfants ont pu bénéficier d'une analyse moléculaire avancée de leur tumeur ou leucémie.**

Ainsi, grâce à MAPPYACTS, les enfants en France dont la tumeur présentait une fusion du gène NTRK ont participé à l'évaluation du larotrectinib, premier traitement ciblé efficace pour une tumeur solide pédiatrique. Ce médicament, Vitrakvi, est maintenant approuvé aux USA et en cours d'évaluation pour qu'il soit commercialisé et disponible en Europe. De plus, toutes les données des analyses moléculaires générées par MAPPYACTS créent les BIG DATA qui vont permettre de mieux comprendre la biologie des tumeurs pédiatriques - projet BIG DATA de ITCC. Ainsi, la recherche fondamentale va apporter les nouvelles connaissances indispensables pour **améliorer les traitements actuels et trouver des traitements innovants**.

**Promoteur** : Gustave Roussy

**Investigateur principal** : Dr Birgit Geoerger

**Durée du programme** : janvier 2016 – décembre 2019

(3 ans de recrutement, 1 an de suivi)

**Recrutement (en cours)** : objectif de 600 patients  
(536 patients inclus au 31 décembre 2018)

**Pays concernés** : France, Espagne, Danemark, Italie, Irlande

**Financement Imagine for Margo** : 700 000€

**Autres cofinanceurs** : INCa et Fondation ARC



# PROGRAMME BIG DATA DE ITCC\*

## AGRÉGER ET ANALYSER LES DONNÉES DE PLUSIEURS PROGRAMMES DE RECHERCHE EUROPÉENS

L'objectif de ce programme ambitieux est d'**agréger l'intégralité des données génomiques, immunologiques et cliniques** de plusieurs programmes de recherche européens conduits dans ITCC. Il s'agit de stocker, structurer et agréger les données cliniques et bioinformatiques, sachant qu'un portrait moléculaire d'une tumeur d'un enfant représente 100 Go. Il permettra d'utiliser les outils de machine learning et d'intelligence artificielle pour générer des nouvelles connaissances afin de mieux comprendre les cancers pédiatriques et trouver de nouvelles cibles thérapeutiques pour le développement de nouveaux médicaments spécifiques aux cancers de l'enfant. Le financement d'Imagine for Margo est destiné à la structuration des données des programmes MAPPYACTS et MICCHADO.

**Promoteur :** ITCC

**Investigateur principal :** Pr Gilles Vassal

**Durée du programme :** mars 2018 – mars 2021

**Nombre de patients :** 400 patients de MAPPYACTS au 31 décembre 2018

**Objectif du programme ITCC :** 3 000 exomes disponibles en 2020

**Financement Imagine for Margo :** 360 000€



*\*ITCC – Innovative Therapies for Children with Cancer – consortium européen de 56 départements d'oncologie et hématologie pédiatriques et 22 laboratoires de recherche dans 12 pays européens et Israël.*

# VINILO

## RECHERCHE DE NOUVEAUX TRAITEMENTS SUR LES GLIOMES DE BAS GRADE DES ENFANTS EN RECHUTE

*Phase I-II Study of Vinblastine in combination with Nilotinib in Children and Adolescents with Refractory or Recurrent Low-Grade Glioma: a SIOPE-Brain Tumor and ITCC protocol*

VINILO (ITCC-022) est un essai de phase I et II qui porte sur les gliomes de bas grade chez les enfants, **tumeur cérébrale la plus fréquente en pédiatrie**. Ces tumeurs sont habituellement traitées par chimiothérapie (Vinblastine) qui permet, dans la plupart des cas, de les faire régresser ou de les stabiliser. Cependant, après l'arrêt de la chimiothérapie, dans plus de 2 cas sur 3, la tumeur réapparaît. L'enjeu de cet essai est donc de **trouver un traitement qui permet une régression ou, a minima, une stabilisation de la tumeur de façon durable** même après l'arrêt de la chimiothérapie, en agissant sur le système immunitaire pour que celui-ci « auto-surveille » la tumeur : **une approche d'immunothérapie originale**. C'est donc l'efficacité de la nouvelle combinaison de la chimiothérapie Vinblastine et du médicament Nilotinib qui est explorée dans cet essai.

**Résultats de la phase I (terminée)** : 75% des patients traités en échec d'un premier traitement ont eu une régression ou une stabilisation de leur tumeur. En janvier 2018, plusieurs patients étaient toujours en rémission après l'arrêt du traitement. **Les résultats de la phase I ont été présentés au congrès mondial de l'ASCO – American Society of Clinical Oncology – aux États-Unis en 2016**. La publication est en cours. Les résultats de cette phase I ont convaincu l'Institut National du Cancer de financer la phase II.

**Promoteur** : Gustave Roussy

**Investigateur principal** : Dr Jacques Grill

**Durée du programme** : juillet 2013 – janvier 2020  
(2 ans Phase I, 3 ans Phase II, 2 ans de suivi)

**Recrutement phase I (terminé)** : 35 patients inclus

**Recrutement phase II (en cours)** : objectif de 122 patients  
(93 patients inclus au 31 décembre 2018)

**Pays concernés** : France, Royaume-Uni, Espagne, Pays-Bas, Danemark, Suisse

**Financement Imagine for Margo (phase I)** : 180 000€

**Autre cofinanceur (phase II)** : INCa



# BEACON

## RECHERCHE DE NOUVEAUX TRAITEMENTS POUR LES NEUROBLASTOMES À HAUT RISQUE DES ENFANTS EN RECHUTE

*A randomised phase IIb trial of **BEvAC**izumab added to temozolomide ± IrinOtecan for children with refractory/relapsed **Neuroblastoma***

BEACON (ITCC-032) est un essai de phase II qui porte sur le **neuroblastome, deuxième tumeur solide la plus fréquente chez les enfants**, quand il est considéré à haut risque et en cas de rechute. **C'est devenu la stratégie globale en Europe.** Il évalue le rôle d'un traitement anti-angiogène, le bevacizumab, qui cible les vaisseaux sanguins d'une tumeur, en association avec la chimiothérapie. L'objectif de recrutement sera atteint début 2019. Les résultats sont attendus pour la fin de l'année 2019.

En parallèle à l'essai, un réseau d'imagerie fonctionnelle a été mis en place pour une meilleure analyse des résultats de BEACON et créer ainsi une infrastructure européenne unique pour d'autres projets ITCC. Une base commune à l'Institut Curie et l'ICR – Institute of Cancer Research – au Royaume-Uni, a été créée en 2017 afin de consolider toutes les données issues de l'imagerie.

Le protocole BEACON a été amendé pour introduire **un nouveau bras de traitement associant l'immunothérapie anti-GD2 (dinutuximab) et la chimiothérapie. BEACON-IMMUNO** sera ouvert en 2019 et apportera une alternative thérapeutique supplémentaire aux enfants en échec des traitements de première ligne.

**Promoteur :** University of Birmingham, Royaume-Uni

**Investigateur principal :** Dr Lucas Moreno

**Durée du programme :** juillet 2013 - juillet 2022  
(5 ans de recrutement, 4 ans de suivi)

**Recrutement (en cours) :** objectif de 160 patients  
(159 patients inclus au 31 décembre 2018)

**Pays concernés :** Royaume-Uni, France, Irlande, Espagne, Italie, Pays-Bas, Danemark, Autriche, Suisse, Allemagne, Belgique

**Financement Imagine for Margo :** 800 000€

**Autres cofinanceurs :** Cancer Research UK et Solving Kid's Cancer



UNIVERSITY OF  
BIRMINGHAM



## MÉDECINE DE PRÉCISION SUR LES GLIOMES INFILTRANTS DU TRONC CÉRÉBRAL DÈS LE DIAGNOSTIC

*Biological Medicine for Diffuse Intrinsic Pontine Glioma (DIPG) Eradication*

BIOMEDE (ITCC-051) est le **premier et seul essai international de phase II proposant un traitement innovant, dès le diagnostic, aux enfants souffrant d'un gliome infiltrant du tronc cérébral** (ou DIPG - Diffuse Intrinsic Pontine Glioma), cancer dont la survie est en moyenne de moins d'un an. Trois traitements différents sont attribués en fonction des cibles retrouvées lors de l'analyse de la tumeur après biopsie stéréotaxique. Le comité de suivi international indépendant a analysé les résultats intermédiaires en 2018. Il a conclu que la tolérance était satisfaisante et qu'il était nécessaire de continuer les inclusions pour définir quel sera le meilleur des trois traitements. L'essai sera donc poursuivi pour inclure les 250 patients initialement prévus, ce qui est attendu pour fin 2019.

BIOMEDE est en cours d'amendement pour **inclure des enfants ayant une tumeur gliale de la ligne médiane** (thalamus et moelle épinière) si elle présente les mêmes mutations d'histones que les gliomes infiltrants du tronc cérébral. Les enfants ayant une tumeur de ce type vont eux aussi pouvoir bénéficier des options de traitements proposées dans BIOMEDE.

Les séquençages complets des tumeurs financés par Imagine for Margo et réalisés dès le diagnostic permettent de trouver d'autres cibles thérapeutiques en cas d'échec du traitement initial : **une approche particulièrement innovante pour ce type de cancer**. Certains patients ont ainsi participé à l'essai AcSé-ESMART. Les analyses ont aussi permis d'identifier des sous-types biologiques de gliomes infiltrants du tronc cérébral qui pourront être utilisés pour mieux adapter les traitements par la suite. Les résultats des analyses des séquençages ont été présentés au Congrès International de Neuro-Oncologie Pédiatrique en juin 2017 à New York.

**En 2020, BIOMEDE sera amendé pour ouvrir BIOMEDE 2.0** et introduire un ou deux nouveaux médicaments dans le traitement au diagnostic des enfants ayant un gliome infiltrant du tronc cérébral ou une tumeur de la ligne médiane.

**Promoteur :** Gustave Roussy

**Investigateur principal :** Dr Jacques Grill

**Durée du programme :** octobre 2014 – octobre 2022  
(6 ans de recrutement, 2 ans de suivi)

**Recrutement (en cours) :** objectif de 250 patients traités  
(230 patients inclus au 31 décembre 2018, 194 traités dans l'essai)

**Pays concernés :** France, Royaume-Uni, Danemark, Suède, Australie, Pays-Bas, Espagne - en cours d'ouverture en Italie, Belgique, Finlande, Nouvelle-Zélande et Irlande

**Financement Imagine for Margo :** 1 375 000€

**Autre cofinanceur :** INCa



# PARC

## CIBLER LES PROTÉINES POUR BLOQUER LE DÉVELOPPEMENT DES TUMEURS ET LEUCÉMIES DES ENFANTS EN RECHUTE

*A Phase II study evaluating the activity of Pegylated recombinant human Arginase (BCT-100) in Relapsed/refractory Cancers of childhood*

PARC (ITCC-062) est un essai de phase II qui porte sur **tous les cancers et leucémies des enfants en rechute**. Il s'agit de tester l'efficacité d'un nouveau traitement pour **bloquer la croissance des tumeurs et leucémies en ciblant les protéines**. Le BCT-100 est une arginase qui métabolise un acide aminé, l'arginine, et en prive les cellules malignes. Cet essai permet d'aborder chez l'enfant le champ nouveau et innovant de l'inhibition du métabolisme tumoral.

**Promoteur** : University of Birmingham

**Investigateur principal** : Dr Francis Mussai

**Durée du programme** : 2018 – 2022 (2 ans de recrutement, 2 ans de suivi)

**Recrutement phase II (en cours)** : objectif de 64 patients (5 patients recrutés au 31 décembre 2018)

**Pays concernés** : Royaume-Uni, Danemark, France, Allemagne, Irlande, Italie, Espagne, Pays-Bas, Australie, Nouvelle-Zélande

**Financement Imagine for Margo** : 130 000€

**Autre cofinanceur** : Cancer Research UK



UNIVERSITY OF  
BIRMINGHAM



# AcSé-ESMART

## DONNER ACCÈS À DES TRAITEMENTS INNOVANTS AUX ENFANTS EN RECHUTE OU EN ÉCHEC THÉRAPEUTIQUE, QUEL QUE SOIT LEUR CANCER

*European Proof-of-concept Therapeutic Stratification Trial of Molecular Anomalies in Relapsed of Refractory Tumors in children*

AcSé-ESMART (ITCC-057) est un essai de phase I et II, **unique au monde en pédiatrie**, qui porte sur **tous les cancers et leucémies des enfants en rechute ou en échec thérapeutique**. Le principe de cet essai est de proposer plusieurs options thérapeutiques avec des traitements innovants pour explorer l'efficacité de nouveaux médicaments seuls ou en combinaison, pour plusieurs types de cancers différents, et ce, dans un seul et unique essai thérapeutique. Les options de traitements sont proposées aux enfants en fonction des analyses moléculaires et immunologiques de leur tumeur ou leucémie, réalisées pour la plupart dans MAPPYACTS ainsi que dans d'autres programmes européens. **Cet essai accélère fortement l'accès des enfants en rechute ou en échec thérapeutique à un traitement innovant, quel que soit leur cancer**. AcSé-ESMART a été lancé avec 5 nouveaux médicaments dans 7 bras de traitement. Il a été amendé en 2018 pour introduire trois autres nouveaux médicaments dans 3 nouveaux bras de traitement.

Ce programme de grande envergure est piloté par Gustave Roussy dans le cadre du programme AcSé de l'Institut National du Cancer (INCa).

**Promoteur** : Gustave Roussy

**Investigateur principal** : Dr Birgit Geoerger

**Durée du programme** : août 2016 – août 2020  
(3 ans de recrutement, 1 an de suivi)

**Recrutement phase I (en cours)** : objectif de 260 patients  
(110 patients inclus au 31 décembre 2018)

**Pays concernés** : France, Pays-Bas - en cours d'ouverture en Allemagne, Espagne, Royaume-Uni, Danemark, Italie

**Financement Imagine for Margo** : 1 022 000€

**Autres cofinanceurs** : l'INCa et la Fondation ARC



# SELUDEX

## ÉVALUATION D'UN NOUVEAU TRAITEMENT POUR LES LEUCÉMIES LYMPHOBLASTIQUES AIGÜES

SELUDEX (ITCC-063) est **un essai thérapeutique international** de phase I/II qui porte sur **les leucémies lymphoblastiques aiguës** en situation de rechute ou d'échec thérapeutique. **C'est le cancer pédiatrique le plus fréquent** qui touche plus d'un enfant par jour en France. L'essai propose une combinaison du Selumetinib, un nouvel inhibiteur de MEK (thérapie ciblée) avec la dexaméthasone pour le traitement des leucémies présentant une mutation de RAS.

**Promoteur** : Université de Birmingham (Royaume-Uni)

**Investigateur International** : Dr Joseph Vormoor

**Investigateur principal (en France)** : Pr André Baruchel

**Durée du programme** : mars 2018 – septembre 2020

**Recrutement (en cours)** : objectif de 42 patients (21 enfants et 21 adultes)  
(5 patients recrutés au 31 décembre 2018)

**Pays concernés** : Royaume-Uni, France, Danemark, Irlande, Pays-Bas, Italie

**Financement Imagine for Margo** : 140 000€ (21 enfants)

**Autre cofinanceur** : Cancer Research UK (21 adultes)



UNIVERSITY OF  
BIRMINGHAM



# NIVO ALCL

## ÉVALUATION DU NIVOLUMAB POUR LES LYMPHOMES ANAPLASIQUES À GRANDES CELLULES

*Phase II trial of NIVOLumab for pediatric and adult relapsing/refractory ALK + ALCL,  
for evaluation of response in patients with progressive disease or as consolidative  
immunotherapy in patients in complete remission after relapse*

NIVO-ALCL (ITCC-076) est un essai **d'immunothérapie pour les lymphomes anaplasiques à grandes cellules**, cancer qui touche plus de 100 enfants chaque année en Europe. 1 enfant sur 4 rechute après les traitements de première ligne et doit donc subir des traitements parfois très toxiques notamment en cas d'allogreffe, et qui ne sont pas toujours efficaces.

L'objectif de ce programme est **d'évaluer l'efficacité d'un médicament innovant porteur d'espoir qui stimule le système immunitaire : le Nivolumab**. Si son efficacité est confirmée, ce traitement pourrait permettre de guérir des enfants pour lesquels les autres traitements ne fonctionnent pas et diminuer les indications de l'allogreffe actuellement utilisée pour les rechutes les plus graves.

**Promoteur** : Gustave Roussy

**Investigateur principal** : Dr Laurence Brugières

**Durée du programme** : septembre 2018 – septembre 2021

**Recrutement (en cours)** : objectif de 40 patients

**Pays concernés** : France, Royaume-Uni, Allemagne, Italie, Espagne, Pays-Bas

**Financement Imagine for Margo** : 600 000€













## Colloque FAST

Further **A**ccelerating **S**pecific **T**reatments for children with cancer  
*Pour accélérer le développement de traitements spécifiques pour les enfants atteints de cancer*

ORGANISÉ PAR

IMAGINE  FOR *Margo*  
Children without **CANCER**