



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

ORGANISÉ PAR  
IMAGINE  
FOR *Margo*  
Children without CANCER



PALAIS DU LUXEMBOURG, 8 FÉVRIER 2020



# ÉDITO



Après une année 2019 riche en collaboration entre les secteurs associatif, privé et public, qui a encore démontré que travailler ensemble est la meilleure façon d'avancer plus vite dans le domaine de la recherche en cancérologie pédiatrique, je suis heureuse de vous accueillir pour la 7<sup>e</sup> édition de notre colloque FAST. Ce rendez-vous annuel a prouvé son intérêt à maintes reprises : en facilitant les échanges entre les différents acteurs de la recherche, il participe à la création de nouvelles synergies et permet de renforcer les actions communes en vue d'accélérer la recherche.

Lors du précédent colloque, nous avons mis l'accent sur l'importance d'une stratégie de financement collaboratif de la recherche. Le lancement de l'initiative Fight Kids Cancer avec deux autres associations européennes fin 2019 est une étape clé dans ce sens. Cet appel à projets européen récurrent, inédit dans le domaine de la recherche en cancérologie pédiatrique, va permettre de sélectionner de manière indépendante les projets les plus impactants et d'accompagner les chercheurs sur la durée et de manière significative. De plus, notre forte collaboration avec l'Institut National du Cancer, via la *Task Force Pédiatrie*, a permis d'allouer les fonds publics supplémentaires dédiés à la recherche fondamentale.

Au niveau européen, les projets d'Horizon Europe 2021-2027, la Mission Cancer et le Plan Cancer européen nouvellement lancés montrent que le cancer est une priorité dans l'agenda européen. 2020 va être une année décisive pour que le cancer des enfants y trouve une place majeure.

En France, nos actions avec le collectif GRAVIR et la plateforme IMPACT resteront essentielles afin de fédérer les différents acteurs français autour de la cause.

Enfin, l'accélération de la médecine de précision en cancérologie pédiatrique montre l'impact de notre soutien auprès des chercheurs français et européens qui font un travail remarquable. Cependant les challenges restent nombreux: donner accès à des traitements innovants à davantage d'enfants ; mieux comprendre certains cancers pédiatriques, notamment ceux qui sont encore incurables, et leurs mécanismes de résistance ; améliorer les traitements pour diminuer les séquelles.

C'est dans ce contexte que notre colloque FAST 2020 s'ouvre. Que cette journée d'échanges et de discussions contribue à construire ensemble un éco-système fort, impactant et durable pour accélérer la recherche.

Je vous souhaite un excellent colloque !

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





# NOS ACTIONS ET AVANCÉES

## MOBILISER LES ACTEURS DE LA RECHERCHE



### En France

- Une *Task Force* pilotée par l'INCa depuis fin 2018, et qui réunit 3 collectifs d'associations de parents dont le collectif GRAVIR que nous avons co-fondé, a permis de définir les besoins de la recherche fondamentale en cancérologie pédiatrique et de sélectionner les axes prioritaires à financer avec le budget annuel de 5 Millions d'euros accordé par le Ministère de la Recherche. Ce groupe de travail a notamment permis de lancer un appel à projets sur la mobilité internationale des jeunes chercheurs et de financer 4 projets destinés à promouvoir le partage des données en cancérologie pédiatrique.
- Le collectif GRAVIR a lancé pour la première fois une vague de sensibilisation au cancer des enfants à l'occasion de Septembre en Or 2019 : de nombreux politiques, personnalités, chercheurs et médecins ont ainsi affiché leur soutien à la cause en portant le ruban doré et en communiquant au travers de photos sur les réseaux sociaux.
- La plateforme IMPACT a continué ses travaux de mobilisation concernant les délais d'ouverture des essais cliniques et a finalisé une étude inédite sur le recensement des molécules innovantes des industriels du médicament pouvant être repositionnées en pédiatrie.



### En Europe

Horizon Europe 2021-2027, la Mission Cancer et le Plan Cancer européen sont de belles opportunités sur l'agenda européen mais représentent aussi un véritable challenge pour que les cancers des enfants et des jeunes y trouvent la place qui leur revient. Membre de la *Cancer Assembly*, Patricia Blanc, notre Présidente, y veillera activement, avec les associations membres de CCI-Europe et les médecins de la SIOPE.

# DEPUIS LE DERNIER COLLOQUE



## FINANCER LA RECHERCHE

Plus de 2 Millions d'euros collectés pour la recherche,  
grâce aux courses Enfants sans Cancer



8<sup>e</sup> édition



2<sup>e</sup> édition

100% des dons collectés lors des deux courses ont été affectés à trois programmes de pointe : BIOMEDE IA, MAPPYACTS et AcSé-ESMART.

**Le modèle Enfants sans Cancer continue de se déployer avec succès en Europe :**

- 2e édition des courses Run to Kick en Belgique et Letz Go Gold au Luxembourg en septembre 2019 : 865.000 euros ont été collectés.
- Déploiement de la course prévu en Italie en 2020.

## Lancement d'un appel à projets inédit de 3 Millions d'euros



Dynamiser la recherche en Europe et faire converger les fonds collectés vers les programmes les plus impactants : c'est l'ambition de l'appel à projets Fight Kids Cancer, que nous avons lancé le 15 janvier 2020 avec la Fondation belge Kick Cancer et la Fondation luxembourgeoise Kriibskrank Kanner, en collaboration avec l'ESF - European Science Foundation - et un comité d'experts scientifiques internationaux.

Cette démarche vise à remédier au manque structurel de recherche dédiée aux cancers pédiatriques en assurant un fonds de dotation récurrent qui sera attribué chaque année aux meilleurs projets de recherche européens.

Pour sa première édition en 2020, l'appel à projets Fight Kids Cancer propose deux axes de recherche : les essais cliniques en phase précoce et la recherche translationnelle.

# PROGRAMME

## Further Accelerating Specific Tre

### 9h30 Accueil & introduction

Patricia Blanc, *Présidente d'Imagine for Margo*  
Frédérique Vidal, *Ministre de l'Enseignement Supérieur, de la Recherche et de l'Innovation*

### 9h45 Témoignage

Fabrice Donguy, *papa d'Anatole*

### 10h00 Les avancées de la médecine de précision

#### **Gliome infiltrant du tronc cérébral : traitements ciblés et intelligence artificielle**

Dr Jacques Grill, *Gustave Roussy, programme BIOMEDE*

#### **Larotrectinib : un nouveau médicament au développement exemplaire**

Pr François Doz, *Institut Curie*

#### **La médecine de précision en 2020 et ses axes de développement**

Pr Virginie Gandemer, *Présidente de la SFCE - Société Française de lutte contre les Cancers et leucémies des Enfants et adolescents*

#### **Comment assurer l'égalité d'accès aux traitements innovants ?**

Sylvain Besle, *Gustave Roussy, coordinateur projet ACCE*

Pr Jean-Hugues Dalle, *Président du Conseil Scientifique de la SFCE*

Dr Pablo Berlanga Charriel, *Gustave Roussy, projet SACHA*

### 11h30 Accélérer l'innovation

Pr Gilles Vassal, *Gustave Roussy, Président du consortium européen ITCC - Innovative Therapies for Children with Cancer*

### 11h50 Cancers pédiatriques : une priorité nationale ?

Pr Norbert Ifrah, *Président de l'INCa - Institut National du Cancer*

Nathalie Elimas, *députée du Val-d'Oise*

### 12H10 Horizon Europe – Plan Cancer & Mission Cancer : quelle place pour la pédiatrie ?

Christine Chomienne, *Vice-Présidente du Cancer Mission Board*

Véronique Trillet-Lenoir, *Députée européenne*

Patricia Blanc, *Présidente d'Imagine for Margo, membre de la Cancer Assembly*

# COLLOQUE FAST

atments for children with cancer



## 12h30 – 14h00 Déjeuner Salle Coty

### 14h00 Mieux guérir grâce au sport

Dr Blandine Vallentin, *Co-responsable coordination médicale, Sourire à la Vie, Marseille*  
Témoignage

### 14h15 Mobiliser et agir ensemble

#### **Collectif GRAVIR - Franchir un cap dans les cancers des enfants et des jeunes**

Nicolas Reymes, *Fondation ARC pour la recherche, membre de GRAVIR*  
Michel Lauzzana, *député du Lot-et-Garonne, Co-Président du groupe d'études cancer à l'Assemblée Nationale*  
Marta de Cidrac, *Sénatrice des Yvelines, membre du groupe d'études cancer au Sénat*

#### **Collectif IMPACT : quel IMPACT peuvent avoir les industriels du médicament ?**

Frédéric Collet, *Président du LEEM - Les Entreprises du Médicament*  
Pr Gilles Vassal, *Gustave Roussy : recensement des molécules innovantes et repositionnement en pédiatrie*

### 15h15 Oser le financement collaboratif de la recherche

Delphine Heenen, *Présidente de la Fondation KickCancer, Belgique*  
Alain Eychene, *Directeur du pôle Recherche et Innovation à l'INCa*  
François Dupré, *Directeur général de la Fondation ARC pour la Recherche*  
Iris Pauporté, *déléguée à la Recherche, la Ligue contre le Cancer*

### 15h45 Conclusion

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

## 16h00 Fin du colloque





# ACCÉLÉRER LA RECHERCHE

## MOBILISER LES ACTEURS DE LA RECHERCHE

**ACCÉLÉRER**  
LE DÉVELOPPEMENT DE  
MÉDICAMENTS  
AVEC



**MOBILISER**  
EN EUROPE  
AVEC



**PROPOSER**  
DES PLANS D' ACTIONS  
AVEC



COLLECTIF GRAVIER  
FRANCHIR UN CAP POUR LES ENFANTS  
ET JEUNES ATTEINTS DE CANCER

# NOTRE 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 :



#### 10 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.



#### 3 000 enfants

atteints de cancer en France et en Europe ont accès aux programmes de recherche que nous co-finançons.



#### 20 nouveaux traitements

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



# 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 :

- À l'occasion de Septembre en Or 2019, mois du cancer des enfants au niveau international : mobilisation des chercheurs, médecins, laboratoires, politiques et personnalités. Une opération réussie pour sa première édition, avec de nombreux relais du ruban doré sur les réseaux sociaux et une belle visibilité du mouvement.
- Aide à l'allocation du budget annuel du Ministère de la Recherche pour la recherche fondamentale sur les cancers pédiatriques et au lancement de deux appels à projets avec la Task Force pilotée par l'INCa, dont le collectif GRAVIR fait partie.

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

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

 @collectifgravir

 @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.

## Dernières actions :

- Lancement du premier appel à projets depuis le renouvellement de la Fondation du LEEM pour soutenir 12 initiatives innovantes, avec un montant global de 600 000 euros.
- Mise en place d'une cartographie dynamique des molécules développées en onco-pédiatrie. Objectif : développer un outil pour le choix des molécules potentiellement efficaces dans le cancer de l'enfant.
- Lancement du label « Entreprises ambassadrices des dons de vie ».

*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, quatre groupes de travail sont en cours afin de :**

- favoriser l'inclusion des enfants dans les essais cliniques des adultes,
- assurer un meilleur suivi à long terme des enfants,
- améliorer la qualité des dossiers académiques soumis aux régulateurs,
- développer la collaboration internationale.

## **Dernières actions :**

- En avril 2019, le 4<sup>e</sup> Pediatric Strategic Forum a réuni à Rotterdam l'EMA, la FDA, les médecins et industriels du médicament pour évaluer les meilleurs traitements à prioriser sur les leucémies (AML).
- ACCELERATE est maintenant une structure associative de droit Belge.

Patricia Blanc est membre du Comité Exécutif de la plateforme ACCELERATE.

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

## CCI EUROPE & SIOPE



Childhood Cancer International est le plus grand réseau mondial d'associations sur la cause du cancer des enfants. Il représente 188 organisations associatives et sociétales à travers 96 pays et 5 continents.

CCI Europe représente et regroupe les associations européennes de parents afin de :

- améliorer le soutien médical et psychologique pour les enfants et adolescents atteints de cancer,
- réduire les inégalités de traitements et de soins,
- améliorer la qualité de vie des patients après la maladie.

Imagine for Margo est membre de CCI Europe et travaille en étroite collaboration avec d'autres associations du réseau sur les sujets de recherche et de mobilisation en Europe.

 <https://ccieurope.eu/>  
 @childhoodcancerinternational  
 @CCIntOrg  
 [headoffice@cci.care](mailto:headoffice@cci.care)



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 1 900 membres dans 36 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.

Imagine for Margo et plusieurs associations européennes de CCI Europe travaillent en coordination avec la SIOPE pour améliorer le règlement pédiatrique européen et pour assurer une place majeure de la pédiatrie au sein de la Mission Cancer, du Plan Cancer européen et d'Horizon Europe 2021-2027.

 [www.siope.eu](http://www.siope.eu)  
 @SIOPEurope  
 [office@siope.eu](mailto:office@siope.eu)

## MISSION CANCER & AACR



Patricia Blanc est membre de la *Cancer Assembly* qui conseille les experts européens de la *Mission Cancer*. L'objectif est de définir la stratégie et les actions à mettre en œuvre en Europe pour lutter contre le cancer.

L'enjeu pour *Imagine for Margo* est de s'assurer que les cancers pédiatriques seront au cœur des préoccupations de la *Mission Cancer* dont les axes prioritaires seront définis début 2020.

 [https://ec.europa.eu/info/index\\_fr](https://ec.europa.eu/info/index_fr)

 @EuropeanCommission

 @EU\_Commission

**AACR** American Association for Cancer Research\* regroupe des médecins et des scientifiques spécialisés en cancérologie.

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 Comité pédiatrie depuis l'été 2018 et à ce titre, a participé à la conférence annuelle AACR en avril 2019.

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

 @aacr.org

 @AACR



Innovative Therapies for Children with Cancer (ITCC) est un consortium européen créé en 2003 qui rassemble 56 départements d'oncologie et hématologie pédiatriques et 25 laboratoires de recherche répartis dans 13 états membres de l'Union Européenne (Allemagne, Autriche, Danemark, Belgique,

Espagne, France, Grande-Bretagne, Irlande, Italie, Pays-Bas, Suède, Suisse, Finlande) et Israël.

La mission de ITCC est de développer de nouveaux médicaments pour le traitement des cancers de l'enfant et de l'adolescent en coopération avec tous les acteurs, les entreprises pharmaceutiques, les instances réglementaires, les parents et les patients. Plus de 450 professionnels de la recherche clinique travaillent dans les centres ITCC où chaque année 4 500 nouveaux patients sont pris en charge. ITCC conduit des essais précoces de phase I et II.

ITCC, en coopération avec la SIOPE et CDDF a fondé la plateforme ACCELERATE en 2013 pour accélérer le développement de nouveaux médicaments et faire travailler tous les acteurs ensemble.

Imagine for Margo a co-financé 9 essais ITCC européens : VINILO, BEACON, BIOMEDE, AcSé-ESMART, PARC, MAPPYACTS, BIG DATA, SELUDEX et NIVO ALCL.

 [www.itcc-consortium.org](http://www.itcc-consortium.org)  
 @ITCC\_eu  
 [itcc.network@gmail.com](mailto:itcc.network@gmail.com)

# FINANCER LA RECHERCHE :

Plus de 10 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**

Co-financement

**1 200 K€**

## MAPPYACTS

**TOUS LES CANCERS  
ET LEUCÉMIES  
EN RECHUTE**

Séquençages complets  
du génome des tumeurs  
et analyses immunologiques

**1 200 PATIENTS**

Co-financement

**1 734 K€**

MIEUX

## VINILO

**GLIOME  
BAS GRADE  
EN RECHUTE**

1 NOUVEAU  
TRAITEMENT

**144 PATIENTS**

Co-financement

**180 K€**

## BEACON

**NEUROBLASTOME  
EN RECHUTE**

2 NOUVEAUX  
TRAITEMENTS

**160 PATIENTS**

Co-financement

**833 K€**

## BIOMEDE

**TUMEUR TRONC  
CÉRÉBRAL  
AU DIAGNOSTIC**

3 NOUVEAUX  
TRAITEMENTS

**310 PATIENTS**

Co-financement

**1 605 K€**

## PARC

**TOUS LES CANCERS  
ET LEUCÉMIES  
EN RECHUTE**

1 NOUVEAU  
TRAITEMENT

**64 PATIENTS**

Co-financement

**130 K€**

# 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

Co-financement

**360 K€**

### AUTRES PROJETS

Projets SFCE, bourses GFAOP, thèses de jeunes chercheurs, autres

Co-financement

**1 586 K€**



## SOIGNER

### ACSÉ-ESMART

**TOUS LES CANCERS ET LEUCÉMIES EN RECHUTE**

10 NOUVEAUX TRAITEMENTS

**440 PATIENTS**

Co-financement

**1 832 K€**

### SELUDEX

**LEUCÉMIES LYMPHOBLASTIQUES AIGUES EN RECHUTE**

1 NOUVEAU TRAITEMENT

**21 PATIENTS**

Co-financement

**140 K€**

### NIVO ALCL

**LYMPHOMES ANAPLASTIQUES À GRANDES CELLULES EN RECHUTE**

1 NOUVEAU TRAITEMENT

**40 PATIENTS**

Co-financement

**600 K€**



# 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*

**« L'essai qui peut changer la donne dans les cancers pédiatriques de haut risque »**  
selon l'Institut Curie.

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**, afin de mieux comprendre et caractériser la résistance aux traitements de certains cancers chez les enfants. 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 (146 inclus en 2019)

**Pays concernés** : France

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



Le programme MICCHADO a déjà été présenté lors de conférences en France et en Europe :

- Réunion nationale de la SFCE (Paris, novembre 2017 ; Paris, novembre 2019)
- ITCC Biology (Amsterdam, juillet 2018 ; Paris, novembre 2018 ; Londres, mai 2019)
- Congrès ESMO (Barcelone, Septembre 2019). Le Dr Schleiermacher a été invitée par le groupe BMS afin de présenter le programme MICCHADO.
- SIOP (Lyon, octobre 2019)

# 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.

Les premiers résultats de MAPPYACTS ont été présentés dans plusieurs congrès internationaux en 2019. Les séquençages ont été menés sur 500 enfants et adolescents français, italiens et irlandais atteints d'un cancer dont la moitié d'entre eux avaient moins de 13 ans. Sur les 390 patients dont les données ont pu être exploitées, 271 (soit 70 %) présentaient au moins une altération génétique, potentielle cible d'un traitement. En France, ce séquençage génomique a ainsi permis d'identifier 6 jeunes patients porteurs d'une fusion TRK et les inclure dans des essais thérapeutiques testant une nouvelle thérapie ciblée, le larotrectinib, qui présente une efficacité durable et un taux de réponse de 94% dans les cancers pédiatriques.

MAPPYACTS permet aussi de générer des données essentielles pour la recherche. Début 2020, 35 nouveaux programmes de recherche ont été validés par un comité scientifique commun à Gustave Roussy et à l'Institut Curie et permettront de faire avancer la recherche dans différents domaines : analyse des prédispositions génétiques, évaluation de la réponse au traitement, étude d'immuno-marquage, comparaison avec une biopsie liquide, études des réponses aux traitements, analyse de l'égalité d'accès aux nouveaux traitements ...

**Promoteur :** Gustave Roussy

**Investigateur principal :** Dr Birgit Geoerger

**Début du programme :** janvier 2016

**Recrutement (en cours) :** 759 patients inclus au 31 décembre 2019

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

**Financement Imagine for Margo :** 1 734 000€

**Autres co-financeurs :** INCa et Fondation ARC



Le programme MAPPYACTS a déjà été présenté plusieurs fois en France et à l'international :

- Conférence annuelle de l'ASCO à Chicago (États-Unis) en juin 2019
- Conférence annuelle de l'ACR à Atlanta (États-Unis) en avril 2019
- Conférence annuelle de la SIOP à Lyon (France) en octobre 2019

# 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, structurer et analyser l'intégralité des données génomiques, immunologiques et cliniques de plusieurs programmes de recherche européens conduits dans ITCC. 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

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

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



# 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.

**Résultats de la phase II (terminée)** : en cours d'analyse.

**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 (terminé)** : 109 patients

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

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

**Autre co-financeur (phase II)** : INCa



Les résultats de la phase I ont été présentés à la conférence annuelle de l'ASCO à Chicago aux États-Unis en 2016.

# 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 a été atteint début 2019. Les résultats sont attendus début 2020.

En parallèle de 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.**

Le bras d'immunothérapie du programme, BEACON-IMMUNO, a démarré le 14 août 2019 et 18 patients avaient été recrutés au 31 décembre 2019. Il apporte 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 (terminé) :** 160 patients

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

**Financement Imagine for Margo :** 833 000€

**Autres co-financeurs :** Cancer Research UK et Solving Kid's Cancer



UNIVERSITY OF  
BIRMINGHAM



Le programme BEACON a été présenté à trois reprises à l'international

- Conférence annuelle de l'ASCO à Chicago (États-Unis) en juin 2019.
- Au congrès annuel ESMO à Barcelone fin septembre 2019.
- Conférence annuelle de la SIOP à Lyon (France) en octobre 2019.

# BIOMEDE

## 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** (DIPG - Diffuse Intrinsic Pontine Glioma), cancer dont la survie est en moyenne de moins d'un an.

La première phase de BIOMEDE a permis de comparer trois médicaments - everolimus, erlotinib et dasatinib - attribués en fonction des résultats des profils moléculaires obtenus par séquençage de la tumeur au diagnostic. Après inclusion de 230 patients et l'analyse moléculaire de 193 d'entre-eux, l'étude ne montre pas de différence significative entre les trois traitements sur le plan de la survie globale. En comparaison avec les études publiées évaluant la radiothérapie seule, il existe un gain de survie de 2 à 3 mois en médiane, certains patients ayant des survies au-delà de 2 ans, inhabituel dans cette maladie.

Les résultats biologiques obtenus apportent des informations pronostiques nouvelles. Les résultats des analyses moléculaires identifient, pour la première fois dans un essai, des marqueurs biologiques pronostiques permettant de différencier des formes plus ou moins agressives de ces gliomes infiltrants du tronc cérébral. Par ces deux résultats, l'étude BIOMEDE établit un standard dans la prise en charge de ces affections qui marquera les développements thérapeutiques futurs dans les gliomes infiltrants du tronc cérébral. **« À l'avenir nous ne pourrions donc plus considérer ces tumeurs comme une seule entité et il sera capital de tenir compte de ces anomalies pour mieux analyser les résultats des essais et adapter le traitement »** Dr Jacques Grill, le 3 décembre 2019.

En parallèle, un nouveau médicament - ONC201 - qui montre des premiers signes d'efficacité pour certaines formes de gliomes en rechute dans un essai clinique aux États-Unis, sera disponible en France au premier semestre 2020 dans le cadre de BIOMEDE.

**Promoteur :** Gustave Roussy

**Investigateur principal :** Dr Jacques Grill

**Durée du programme :** octobre 2014 – octobre 2022

**Recrutement (en cours) :** 310 patients inclus au 31 décembre 2019

**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 :** 1 605 000€

**Autre co-financeur :** INCa

**GUSTAVE  
ROUSSY**  
CANCER CAMPUS  
GRAND PARIS



Premiers résultats de BIOMEDE présentés au congrès 2019 de la SNO aux États-Unis.

# 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 (22 patients recrutés au 31 décembre 2019)

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

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

**Autre co-financeur** : 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.**

À ce jour 4 traitements innovants sont proposés dans AcSé-ESMART et des discussions sont en cours pour apporter 6 nouvelles options thérapeutiques avec l'implication de 7 laboratoires pharmaceutiques.

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 Georger

**Durée du programme** : 2016 – 2021

(3 ans de recrutement, 1 an de suivi)

**Recrutement phase I (en cours)** : objectif de 440 patients (132 patients inclus au 31 décembre 2019)

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

**Financement Imagine for Margo** : 1 832 000€

**Autres co-financeurs** : l'INCa et la Fondation ARC



Le programme AcSé-ESMART a été présenté à la conférence annuelle de l'ASCO à Chicago aux États-Unis en juin 2019.

# 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)  
(8 patients recrutés au 31 décembre 2019)

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

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

**Autre co-financeur** : Cancer Research UK (21 adultes)



UNIVERSITY OF  
BIRMINGHAM

Innovative Therapies  
in Children with Cancer



# 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**