

## 15ème législature

<b>Question N° : 74</b>	<b>De M. Patrice Verchère ( Les Républicains - Rhône )</b>	<b>Question écrite</b>
<b>Ministère interrogé &gt;</b> Solidarités et santé	<b>Ministère attributaire &gt;</b> Solidarités et santé	
<b>Rubrique &gt;</b> santé	<b>Tête d'analyse &gt;</b> Cancers pédiatriques	<b>Analyse &gt;</b> Cancers pédiatriques.
Question publiée au JO le : <b>11/07/2017</b> Réponse publiée au JO le : <b>26/09/2017</b> page : <b>4573</b>		

### Texte de la question

M. Patrice Verchère attire l'attention de Mme la ministre des solidarités et de la santé sur la recherche sur les cancers pédiatriques. En effet, le cancer est aujourd'hui la première cause de mortalité des enfants par maladie. Chaque année, près de 500 enfants décèdent d'un cancer, et plus de 2 500 nouveaux cas sont diagnostiqués. Pourtant, on constate un manque cruel de financement puisque seulement 2 % des fonds de recherche anti-cancer sont alloués aux cancers pédiatriques. Les raisons de cette situation sont multiples : une mauvaise individualisation des traitements et une inadéquation de certains protocoles ; un manque et un arrêt des recherches de nouvelles molécules pour le traitement des cancers pédiatriques pour des motifs de non-rentabilité ; une absence de traitement chimiothérapeutique efficace adapté aux enfants et ; un financement national et européen trop faible de la recherche spécialisée (fondamentale, transrationnelle et clinique). C'est pourquoi il lui demande les intentions du Gouvernement pour développer le financement de la recherche oncologique pédiatrique, notamment s'il envisage la création d'un fonds dédié et de contributions obligatoires qui pourraient être prélevés sur le chiffre d'affaires des entreprises du secteur pharmaceutique.

### Texte de la réponse

En France, le nombre de nouveaux cas de cancers chez l'enfant de moins de 15 ans est estimé à 1700 par an et 700 chez les adolescents entre 15 et 19 ans. Ces chiffres sont stables selon les registres des cancers de l'enfant qui couvrent la totalité du territoire national depuis le début des années 2000. Le taux global de guérison de 80 % est très différent selon les types de cancers. La recherche sur les cancers des enfants doit donc identifier de nouvelles pistes de traitements pour les cancers que l'on ne sait pas traiter aujourd'hui, et permettre de réduire les effets indésirables et les séquelles à long terme provoqués par les traitements. L'effort de recherche français sur les cancers pédiatriques, réalisé dans le cadre des deux premiers plans cancers, représente un financement de 38 millions d'euros sur la période 2007 - 2011 (soit 10 % du financement de la recherche publique en cancérologie). Le développement des médicaments en cancérologie pédiatrique montre un retard certain par rapport à la cancérologie des adultes, les indications pédiatriques n'étant pas jugées prioritaires par les laboratoires pharmaceutiques. La stratégie de recherche sur les cancers pédiatriques, portée par l'institut national du cancer (INCa) dans le cadre du Plan cancer 2014-2019, repose sur trois axes complémentaires : -réaliser le séquençage complet du génome des tumeurs de l'enfant d'ici la fin du Plan et rechercher de nouvelles cibles thérapeutiques ; -favoriser la mise en place d'essais cliniques innovants chez les enfants, en s'appuyant sur un groupe coopérateur national rassemblant les hématologues et oncologues pédiatres, les chercheurs et associations de parents et une structuration territoriale de centres d'essais cliniques de phase précoce en pédiatrie (CLIP2). L'INCa négocie avec les industries du médicament pour les inciter à proposer systématiquement leurs molécules chez l'enfant dans le cadre du programme CLIP2 ; - soutenir au niveau européen la révision en 2017 du règlement européen relatif aux



médicaments à usage pédiatrique, afin de rendre la réglementation plus incitative pour les essais cliniques de nouvelles molécules. Le développement des médicaments en cancérologie pédiatrique a été annoncé comme l'une des cinq priorités de recherche pour les années à venir par les organismes publics et caritatifs internationaux, financeurs de la recherche sur le cancer et provenant de 23 pays. Ils s'étaient réunis à l'Institut en janvier 2014 pour le troisième International Cancer Research Funders' meeting. Les organisations hospitalières interrégionales de recours en oncologie pédiatrique (OIR), qui garantissent la qualité des prises en charge sur le territoire national, ont notamment pour missions de faciliter et d'encourager l'inclusion des enfants dans les essais cliniques en cours, en particulier pour les enfants atteints de cancers très rares, complexes ou en situation de rechute. Des mesures sont également prévues dans le Plan cancer pour que les frais d'hébergement et de transport soient pris en charge par le promoteur des essais cliniques en pédiatrie afin de favoriser leur accès. Le site de l'Institut du cancer met régulièrement à jour un point sur la recherche sur les cancers de l'enfant : <http://www.e-cancer.fr/Professionnels-de-la-recherche/Recherche-en-cancerologie-pediatrique> Les enfants atteints de cancer particulièrement complexes, ou qui se trouvent en situation d'échec thérapeutique, doivent pouvoir être orientés rapidement vers des essais cliniques qui leur permettent d'accéder à des médicaments innovants. Le programme AcSé (accès sécurisé aux molécules innovantes) est un nouveau type d'essai clinique. Il vise à permettre à tous les patients ayant une anomalie génétique, cible d'une thérapie ciblée, de pouvoir accéder à un médicament en dehors de son autorisation de mise sur le marché (AMM) initiale. Il bénéficie d'un financement de la Fondation ARC pour la recherche sur le cancer et d'une promotion par UNICANCER. Deux essais sont toujours ouverts à l'inclusion : AcSé crizotinib, et AcSé vemurafenib. Par principe, le programme AcSé est ouvert aux enfants si leur tumeur exprime l'anomalie ciblée par ces médicaments. Actuellement, 11 enfants ont été inclus dans l'essai AcSé crizotinib. Un troisième programme, AcSé ESMART, spécifiquement dédié aux enfants, adolescents et jeunes adultes, a été lancé en juin 2016. Premier essai clinique de ce genre en oncologie pédiatrique, il est également promu dans le cadre du consortium européen ITCC (Innovative Therapies for Children with Cancer). AcSé-ESMART vise à tester dix molécules innovantes (thérapies ciblées, immunothérapies, seules ou en association) au sein d'un seul et même essai clinique. Il a ainsi pour ambition de doubler en deux ans le nombre de nouveaux médicaments proposés aux enfants, en fonction du portrait moléculaire de leur tumeur. Ce programme inclura 260 enfants en situation d'échec thérapeutique sur trois ans. Il est promu par l'Institut Gustave Roussy (IGR) et financé par l'Institut national du cancer et l'association Imagine for Margo. Les centres d'essais cliniques de phase précoce (CLIP2) ont fait l'objet d'un nouvel appel à candidatures de labellisation en 2014 afin d'étendre leurs compétences aux cancers des enfants. Six CLIP2 sont ouverts à la recherche clinique de phase précoce en cancéropédiatrie depuis 2015. Dans le cadre des CLIP2, l'Institut, via des partenariats avec les industries du médicament, met à la disposition des investigateurs des molécules en développement. Il permet ainsi de financer, avec la Fondation ARC, la recherche clinique académique en France. Les industriels ont été avertis de la nécessité de mettre leurs molécules à la disposition des investigateurs pédiatres. L'Institut agit également au niveau européen en vue de favoriser le développement des médicaments anticancéreux pour les enfants. Il contribue à l'identification des situations cliniques devant faire l'objet de développements prioritaires et à les porter auprès de l'Agence européenne du médicament, et travaille sur des propositions d'évolution du règlement européen relatif aux médicaments à usage pédiatrique.