

Dossier de presse

Oncologie pédiatrique : les enfants ne sont pas des « petits adultes » et ont besoin de médicaments développés spécifiquement pour eux

L'oncologie pédiatrique est un domaine spécifique de la recherche contre le cancer qui nécessite encore plus de travailler en lien étroit avec le monde académique et les autorités de santé.

C'est pour répondre aux besoins thérapeutiques majeurs des enfants atteints de cancer, mais aussi pour mieux prendre en charge, chez l'adulte, les effets à long terme dus aux traitements du cancer dans l'enfance qu'une équipe de recherche Roche-Genentech de 60 personnes est dédiée à l'oncologie pédiatrique.

Février 2017

Contact presse

Gisèle Calvache

Roche SAS

Tél. : +33 (0)1 47 61 40 12

Mobile : +33 (0)6 14 44 52 39

gisele.calvache@roche.com

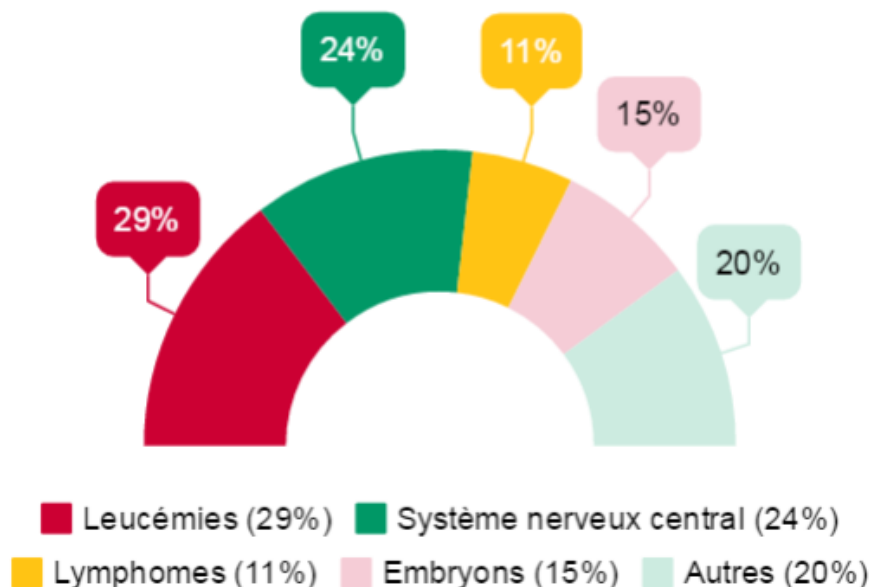
Sommaire

Epidémiologie des cancers pédiatriques en France	p. 3
L'oncologie pédiatrique : un véritable défi	p. 4
Les cancers pédiatriques, une priorité du Plan Cancer 3	p. 5
iMATRIX de Roche, complémentaire d'eSMART	p. 5
La recherche onco-pédiatrique de Roche en chiffres clés	p. 6
A propos du Dr Raphaël Rousseau	p. 6
A propos de Roche	p. 7

Epidémiologie des cancers pédiatriques en Franceⁱ

- Le cancer est la quatrième cause de décès entre 0 et 15 ans, mais la deuxième cause de décès après les accidents pour les plus de 1 an.
Les cancers représentent 6,6% des décès chez l'enfant en 2012.
- En France, les cancers pédiatriques sont des maladies rares qui représentent 1 à 2% de l'ensemble des cancers. Chaque année, environ 1 750 nouveaux cas de cancers sont recensés chez les enfants et adolescents. Un enfant sur 440 environ sera atteint d'un cancer avant l'âge de 15 ans.
- Le Plan cancer 2014-2019 a fait de la pédiatrie l'une de ses priorités, afin d'améliorer l'accès des enfants, adolescents et des jeunes adultes à l'innovation et à la recherche.
- Parmi les cancers les plus fréquents chez l'enfant, on retrouve les leucémies (29% des cas), les tumeurs du système nerveux central (24%), les lymphomes (11%), les tumeurs embryonnaires qui représentent un quart des cancers de l'enfant (néphroblastome, neuroblastome, rétinoblastome,...), puis, moins répandus, les sarcomes, cancers du rein, tumeurs osseuses, mélanomes ou encore les cancers du foie.

Cancers les plus fréquents chez l'enfant



- Avec 6 000 décès par an en Europe, le cancer est la première cause de mortalité chez l'enfant âgé de plus d'un an.



« Vous avez certainement remarqué que les enfants ne sont pas des petits adultes. Ce n'est pas une surprise, pourtant cela représente un défi unique pour la recherche en cancérologie. Les enfants atteints de cancer méritent des traitements sûrs et efficaces, développés spécifiquement pour eux ».

Docteur Raphaël Rousseau, directeur médical, groupe de recherche et développement en oncologie pédiatrique, Genentech (filiale du groupe Roche, San Francisco – USA)

L'oncologie pédiatrique : un véritable défi

Si plus de 80 % des enfants atteints de cancer peuvent être guéris, nombre d'entre eux subiront les effets à long terme des traitements. Et pour les 20% que la recherche ne peut encore guérir, il est urgent de développer des traitements nouveaux et différents. Car à de rares exceptions près, les cancers de l'enfant sont différents de ceux de l'adulte. Par ailleurs, un corps d'enfant étant en croissance, donc en constante évolution, l'impact des traitements peut être différent de celui observé chez l'adulte. L'oncologie pédiatrique vise précisément à développer une approche médicale spécifique pour les enfants.

C'est dans cette perspective que Roche est engagé en oncologie pédiatrique, avec 25 études cliniques ayant permis d'inclure à ce jour près de 1600 enfants atteints de cancer dans le monde.

Nos efforts portent sur l'ensemble des tumeurs de l'enfant. Nous avons décidé d'aller au-delà des obligations réglementaires, fidèles à notre parti-pris d'aller là où la science nous mène : si le mécanisme d'action de la molécule est tel qu'il peut s'avérer efficace dans un cancer de l'enfant, alors nous développons ce médicament chez l'enfant, qu'il existe ou non une obligation réglementaire. Notre démarche unique a pour mission d'identifier, parmi toutes les molécules du groupe, les plus efficaces pour traiter les cancers pédiatriques avec toujours comme seul objectif de proposer des médicaments pour enfants.

L'industrie pharmaceutique se doit d'innover en oncologie pédiatrique pour améliorer le pronostic des cancers de l'enfant.

Pour Raphaël Rousseau, « il ne faut pas protéger les enfants *de* la recherche mais *par* la recherche ! ». Pour le Dr Leila Kockler, directeur médical tumeurs solides et référente de Roche France pour les essais pédiatriques, « *L'enfant aussi a droit à la médecine personnalisée* ». Les équipes de Roche sont déterminées à relever le défi.

En France, Roche mène actuellement 8 études en oncologie pédiatrique, avec à ce jour près de 350 patients inclus.

Les cancers pédiatriques, une priorité du Plan Cancer 3

A l'heure actuelle, trop peu de médicaments sont développés spécifiquement pour les enfants, c'est pourquoi l'accès aux médicaments innovants pour les enfants et adolescents est l'un des enjeux du Plan Cancer 2014-2019.

Par leurs caractéristiques biologiques et histopathologiques, les cancers de l'enfant diffèrent de ceux de l'adulte et nécessitent des traitements adaptés. La conduite d'études cliniques et l'évaluation des effets des médicaments doivent être envisagées différemment. Pour Roche, transposer chez l'enfant des résultats cliniques obtenus chez l'adulte n'est pas acceptable, et des essais cliniques spécifiquement adaptés à la maturité physiologique de l'enfant sont indispensables.

Entreprises du médicament, acteurs académiques de la recherche et du soin, parents d'enfants malades et décideurs de la santé doivent travailler ensemble afin de répondre aux besoins prioritaires de ces patients particuliers.

Depuis 2014, l'INCa a lancé plusieurs initiatives pour mobiliser l'ensemble des acteurs, notamment le développement d'essais cliniques « multi-tumeurs » qui permet d'élargir l'accès des enfants, adolescents et jeunes adultes aux molécules innovantes.

Le projet eSMART s'inscrit dans le prolongement du projet international MAPPYACTS. Ce dernier cherche à déterminer le portrait moléculaire des tumeurs en vue de proposer une thérapie ciblée adaptée. eSMART vise à mieux connaître les fondements moléculaires des cancers pédiatriques ; le séquençage complet du génome de plusieurs tumeurs de l'enfant est en effet le préalable au développement de traitements ciblés. Roche est partenaire du projet eSMART.

iMATRIX de Roche, complémentaire d'eSMART

La réglementation pédiatrique impose d'évaluer les nouveaux médicaments dès lors que la maladie adulte ciblée par ces médicaments existe aussi chez l'enfant ; or les cancers pédiatriques diffèrent de ceux de l'adulte.

Le programme iMATRIX de Roche a pour but d'accélérer le développement de nouveaux médicaments anticancéreux chez l'enfant. Une fois les médicaments les plus prometteurs identifiés dans des modèles précliniques, un large essai clinique international de phase I-II permet de rapidement déterminer la bonne dose, l'innocuité et éventuellement l'efficacité de plusieurs médicaments évalués en parallèle dans des groupes de patients d'âges pédiatriques atteints de divers types de tumeurs.

Tout enfant dont la tumeur a été identifiée comme pouvant potentiellement répondre à un ou plusieurs médicaments peut alors participer à cet essai innovant et collaboratif. L'idée est ainsi d'offrir à ces enfants souffrant de tumeurs rares, en rechute ou réfractaires, la possibilité de bénéficier le plus tôt possible d'un ou plusieurs médicaments de Roche.

iMATRIX se base sur le mécanisme d'action du médicament et les caractéristiques moléculaires des tumeurs pédiatriques, limitant le risque d'exposer les enfants à des médicaments qui ne marcheraient pas.

Le programme iMATRIX est ouvert dans plus de 50 sites aux Etats-Unis et en Europe. Plus de 90 enfants atteints de divers cancers réfractaires ont pu participer à l'essai en moins d'un an. La collaboration des investigateurs académiques mais aussi des parents dans cette approche centrée sur l'enfant se révèle primordiale et explique le succès du recrutement rapide dans iMATRIX. Les résultats sont en cours d'analyse. Nous sommes en pourparlers avec les agences réglementaires européennes et américaines pour améliorer la rapidité d'autorisation de cette plateforme pour de futurs médicaments.

Roche met cette plateforme à disposition de tous, afin que la communauté des chercheurs - académiques et d'autres entreprises biopharmaceutiques - puisse évaluer de manière homogène des médicaments de classes similaires. C'est une avancée et c'est le signe d'une réelle volonté de coopérer dans l'intérêt des enfants atteints de cancers.

Notre ambition à moyen terme est que tous les industriels utilisent le même outil pour pouvoir mieux choisir parmi l'ensemble des médicaments des portefeuilles de molécules les plus efficaces et les plus sûrs pour les enfants atteints de cancers, plutôt que de travailler sans concertation.

Cette approche pourrait en outre permettre d'optimiser les coûts de développement, et ainsi inciter plus de laboratoires pharmaceutiques, en particulier ceux de petite taille, à s'engager dans la recherche en cancérologie pédiatrique.

La recherche onco-pédiatrique de Roche en chiffres clés (au 11/01/17)

- **Dans le monde**

25 études actives, incluant 1571 patients.

- **En France**

- 8 études actives ou en suivi, pour un total de 350 patients.

- En 2016, Roche s'engage dans le programme pédiatrique AcSé-eSMART de l'INCa, complémentaire de l'essai iMATRIX, en mettant à disposition son portefeuille de molécules anticancéreuses.

A propos du Dr Raphaël Rousseau

Avant de rejoindre Roche en 2009, Raphaël Rousseau était professeur d'oncologie pédiatrique à l'Université Claude Bernard de Lyon. Il a notamment lancé un programme de recherche translationnelle et clinique sur les cancers pédiatriques à haut risque à l'Institut d'Hématologie et d'Oncologie Pédiatrique de Lyon.

Il devient alors expert permanent en recherche médicale à l'AFSSAPS (aujourd'hui l'ANSM).

De 1998 à 2005, il mène des activités de recherche clinique au Texas Children's Cancer Center ainsi qu'au Center for Cell Therapy, Baylor College of Medicine, Houston, USA pour devenir ensuite, en 2005, professeur adjoint de pédiatrie au Baylor College of Medicine.

De 2005 à 2009, il coordonne le CHILDHOPÉ European Consortium évaluant l'efficacité et l'innocuité de lymphocytes T chimériques génétiquement modifiés pour le traitement de leucémies pédiatriques.

Auteur de plusieurs publications sur les neuroblastomes et leucémies des enfants, il reçoit en 2008 le *Cancer Foundation Advanced Clinical Research Award* de l'ASCO (American Society of Clinical Oncology).

Depuis South San Francisco, siège de la filiale américaine Genentech, il dirige actuellement une équipe de 60 personnes en charge du programme global de développement des médicaments pédiatriques innovants pour l'ensemble du groupe Roche.

A propos de Roche

Roche est une entreprise internationale à l'avant-garde de la recherche et du développement de produits pharmaceutiques et diagnostiques. L'amélioration de la qualité et de la durée de vie des patients, grâce aux progrès de la science, est au cœur de ses préoccupations. Rassemblant des compétences pharmaceutiques et diagnostiques sous un même toit, Roche est le leader de la médecine personnalisée, approche permettant de proposer le meilleur traitement possible à chaque patient.

Roche est la plus grande entreprise de biotechnologie dans le monde avec des médicaments différenciés dans les domaines de l'oncologie, de l'immunologie, des maladies infectieuses, de l'ophtalmologie et des affections du système nerveux central. Roche est également le numéro un mondial du diagnostic *in vitro* ainsi que du diagnostic histologique du cancer, et une entreprise de pointe dans la gestion du diabète.

Depuis sa fondation en 1896, Roche mène des recherches pour prévenir, identifier et traiter au mieux des maladies, et apporter une contribution durable à la société. La société vise également à améliorer l'accès des patients aux innovations médicales en travaillant avec toutes les parties prenantes concernées. Vingt-neuf médicaments développés par Roche font aujourd'hui partie de la Liste modèle de Médicaments Essentiels de l'Organisation Mondiale de la Santé, notamment des antibiotiques, des traitements antipaludéens et des anticancéreux permettant de sauver des vies. Pour la huitième fois consécutive, dans le cadre des Dow Jones Sustainability Indexes (DJSI), Roche a été désignée entreprise la plus durable dans le secteur des produits pharmaceutiques, des biotechnologies et des sciences de la vie.

Le groupe Roche, dont le siège est à Bâle, Suisse, opère dans plus de cent pays. En 2016, Roche comptait plus de 94 000 employés dans le monde et a consacré 9,9 milliards CHF à la recherche et au développement, son chiffre d'affaires s'élevant à 50.6 milliards CHF. Genentech, aux Etats-Unis, appartient entièrement au groupe Roche, qui est par ailleurs l'actionnaire majoritaire de Chugai Pharmaceutical, Japon.

Pour de plus amples informations, veuillez consulter www.roche.com.

Tous les noms de marque mentionnés sont protégés par la loi.

Contacts presse :

Gisèle Calvache, tél : +33 1 47 61 40 12 ; +33 6 14 44 52 39 - gisele.calvache@roche.com

ⁱ Les cancers en France édition 2015, INCa, avril 2016 (données essentielles, page 29)