

Inclusion dans une phase précoce: Spécificité pédiatrique du parcours de soins

Alexandra Léger, ARC CHU NANTES

Dr Emilie De Carli, Oncologue pédiatre CHU ANGERS



Contexte de l'oncologie pédiatrique

- ▶ 2500 nouveaux cas de cancer chez l'enfant et adolescent chaque année en France
- ▶ Moins de 1% de l'ensemble des cancers en France
- ▶ 1^{ère} cause de décès par maladie chez l'enfant, soit 20% des patients
- ▶ Multitude de maladies rares et hétérogènes avec des caractéristiques propres
⇒ véritable défi pour la recherche
- ▶ La recherche clinique=partie intégrante des traitements pour **guérir plus et mieux**

La recherche clinique en pédiatrie

- ▶ Concerne les personnes de moins de 18 ans.
- ▶ Les enfants sont considérés comme des personnes vulnérables selon le code de la santé publique (CSP).
- ▶ Ils sont répartis en différentes catégories en fonction de leur âge :
(catégories variables en fonction des protocoles)
 - ▶ les prématurés,
 - ▶ les enfants nés à terme (0 à 27 jours),
 - ▶ les petits enfants (28 jours à 23 mois),
 - ▶ les enfants (2 à 11 ans)
 - ▶ et les adolescents (12 à 18 ans). D'après l'article L1121-7 du CSP
- ▶ Les mineurs ne peuvent être sollicités que si des recherches d'une efficacité comparable ne peuvent être effectuées sur des personnes majeures.

Problématique de la recherche clinique en pédiatrie

- ▶ Très peu d'industries pharmaceutiques investissent :
 - ▶ Car les enfants représentent une étroite partie de la population d'où faible rentabilité
 - ▶ Des difficultés techniques et éthiques peuvent également être un frein pour ces investissements
- ▶ Ainsi, il n'existe pas suffisamment de médicaments adaptés aux enfants :
 - ▶ L'une des principales conséquences est la prescription de médicaments pour adultes aux enfants, donc prescription hors AMM.
 - ▶ Le médecin prescripteur peut, par exemple, adapter la dose et la durée de traitement au poids de l'enfant. Ceci peut entraîner des effets indésirables.

Problématique de la recherche clinique en pédiatrie

- ▶ La recherche clinique pédiatrique progresse de plus en plus et est **primordiale** pour assurer une prise en charge **optimale** des enfants avec des traitements **adaptés** à leur pathologie et leur âge.
- ▶ Depuis 2007: obligation des industriels d'ouvrir des essais cliniques en pédiatrie.

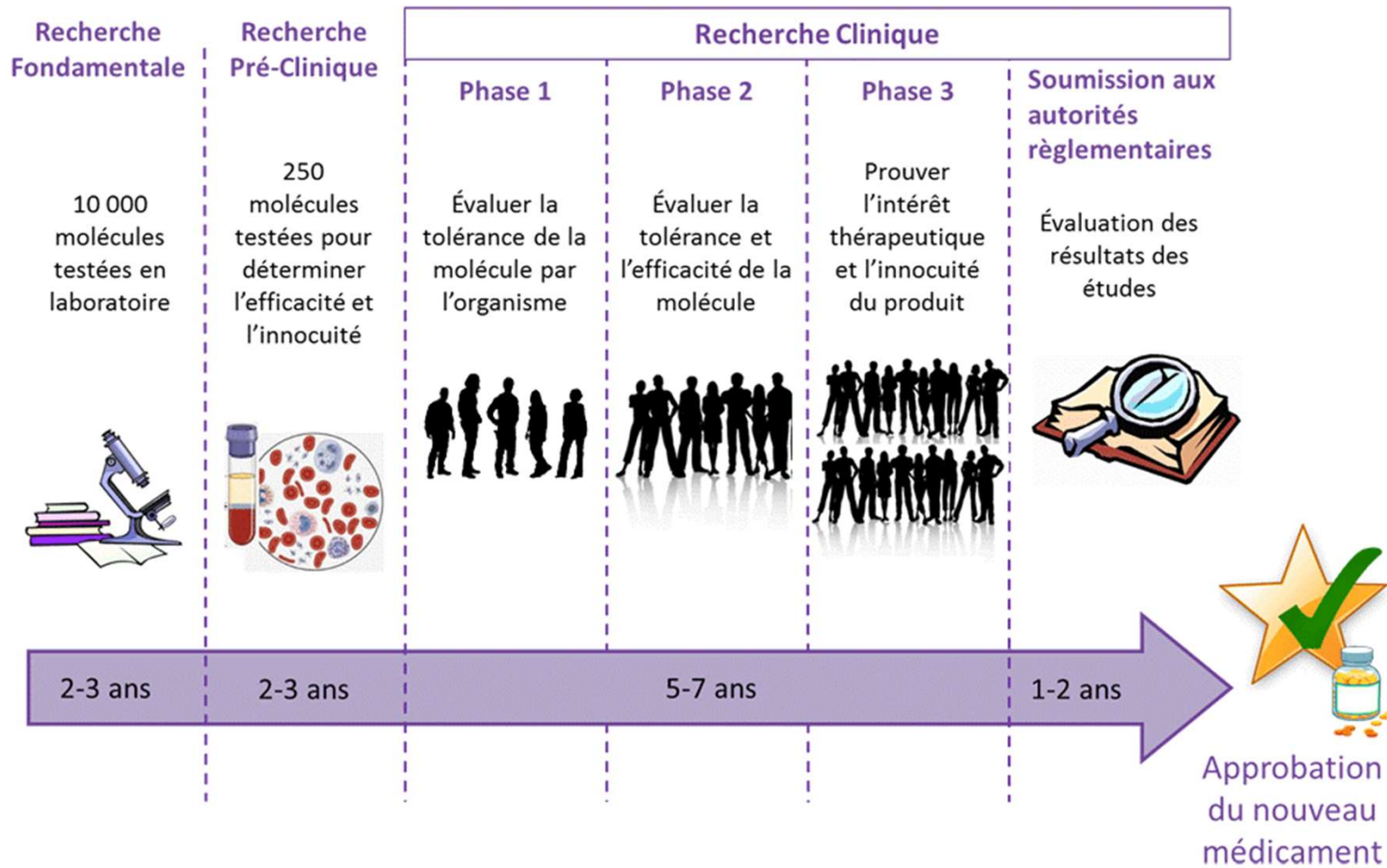
Réglementation et spécificité pédiatrique

▶ Consentement d'un mineur:

- Signature du consentement par les 2 parents obligatoire
- L'avis du patient mineur sera systématiquement recherché, dans la mesure où son âge le permet (en général à partir de 8 ans)
- Dès que le mineur atteint sa majorité au cours de la participation à une étude, un nouveau consentement est requis.

▶ Prélèvements : volume sanguin à respecter en fonction du poids du patient (spécificité pédiatrique mais pas forcément PP)

Etapes de création d'un médicament



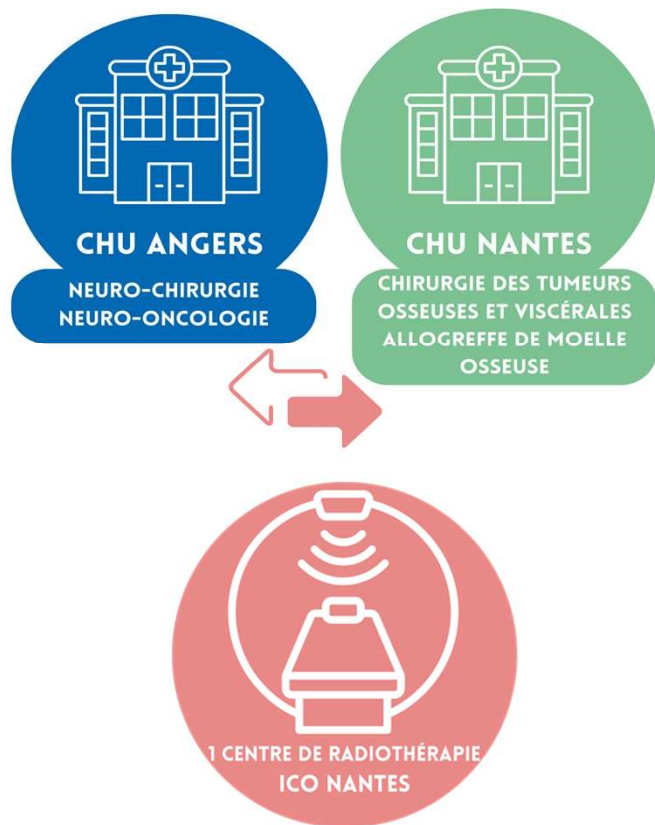
Rôle de l'ARC dans le parcours de soin



Parcours de soins

CAS PRATIQUES

Organisation régionale: filières de soins en oncologie pédiatrique



ITCC
INNOVATIVE THERAPIES FOR CHILDREN
AND ADOLESCENTS WITH CANCER

**Institut de
Cancérologie
de l'Ouest**

unicancer PAYS DE LA LOIRE

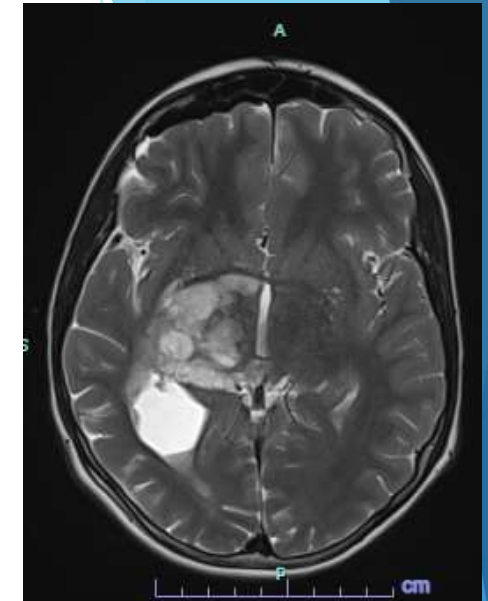
Eva, 11 ans

- ▶ Diagnostic d'**ostéosarcome** localisé de l'extrémité supérieure de l'humérus droit
 - ▶ Traitement dans le protocole Sarcome 13 (alternance M-EI puis API)
 - ▶ Chirurgie d'exérèse R0, mauvaise réponse histologique
 - ▶ Fin de traitement: rémission complète
- ▶ +2 ans fin de traitement: rechute métastatique pulmonaire unique
 - ▶ Chirurgie puis surveillance
- ▶ +1 an de la rechute : progression pleuropulmonaire lobaire inférieure droite avec infiltration péricardique et péri-oesophagienne
 - ▶ Pas d'indication à un traitement local
 - ▶ Proposition d'une phase précoce SPARTO phase I/II



Pierre, 10 ans

- ▶ Diagnostic d'un **gliome de bas grade** au CHU de Rennes
 - ▶ Chirurgie d'exérèse partielle
 - ▶ Relecture à Angers dans le cadre du réseau anapath RENOCLIP
- ▶ Progression tumorale itérative sur 3 ans nécessitant:
 - ▶ Plusieurs chirurgie d'exérèse partielle (x4)
 - ▶ 3 lignes de chimiothérapie
 - ▶ Vinblastine
 - ▶ vincristine/carboplatine
 - ▶ Irinotecan/bevacizumab
- ▶ Reprise chirurgicale : nouvelle relecture RENOCLIP : critères d'agressivité avec **mutation FGFR1**, reclassification en DNET
- ▶ Proposition d'inclusion dans le bras O du protocole eSMART : patient adressé au CHU d'Angers
- ▶ Réponse partielle après 10 cycles de Futibatinib (traitement en cours)



Parcours de soins - recherche clinique

Centre de prise en charge initiale



Bilan de screening

présentation/
Signature du
consentement



Validation
des critères
d'inclusion



Consultation avec
l'investigateur
confirmation progression
de la maladie et
traitement envisagé



Recueil et
transmission des
données,
surveillances des
EIGs



Traitement et suivi

Inclusion dans CRF,
Implication de la pharmacie.
Programmation des rendez-
vous avec les coordinatrices

Merci de votre attention



Equipe de coordination

Cheffe de projet Mme Patricia Madihano

Docteur Estelle Thebaud

Docteur Emilie De Carli