



COMMUNIQUÉ DE PRESSE

ASCO 2022 - PRÉSENTATION ORALE

Villejuif, le 7 juin 2022

L'ÉTUDE SACHA SÉCURISE L'UTILISATION CHEZ LES ENFANTS DE MÉDICAMENTS ANTICANCÉREUX INNOVANTS HORS ESSAIS CLINIQUES

Bien que l'accès aux thérapies innovantes dans les essais cliniques ait augmenté ces dernières années, en France, pour le traitement des cancers pédiatriques en échec thérapeutique, il reste des besoins médicaux non couverts. Lorsqu'un enfant ne peut pas participer à un essai clinique ou lorsqu'il n'y a pas d'essai clinique pour son cancer, les pédiatres prescrivent des médicaments innovants hors essais cliniques pour répondre au mieux au besoin thérapeutique de chaque patient. Il s'agit alors de médicaments autorisés pour le traitement du cancer chez l'adulte mais pas chez l'enfant ou de médicaments qui n'ont pas encore une Autorisation de Mise sur le Marché (AMM) et pour lesquels l'Agence Nationale de Sécurité du Médicament (ANSM) autorise des accès compassionnels ou des accès précoces.

L'étude observationnelle SACHA recueille systématiquement et de manière prospective à l'échelle nationale les données de tolérance et d'efficacité des thérapies innovantes administrées dans ces conditions. SACHA collecte des « données de vie réelle ». Cette étude sécurise l'accès aux thérapies innovantes en assurant la déclaration en pharmacovigilance des événements indésirables graves s'ils surviennent. Si des signaux d'efficacité pour un médicament sont observés, alors tout est fait pour monter un essai clinique afin de confirmer ou non ces premiers signaux. SACHA est une étude de la Société Française de lutte contre les Cancers et les leucémies de l'Enfant et de l'adolescent (SFCE), pilotée et promue par Gustave Roussy en collaboration avec l'ANSM. Elle est ouverte dans les 32 centres français d'onco-hématologie pédiatrique. L'étude SACHA est présentée à l'oral lors de l'*American Society of Clinical Oncology (ASCO)* le 6 juin par le Pr Gilles Vassal, onco-pédiatre à Gustave Roussy.

Abstract n°10006 présenté à l'oral par le Pr Gilles Vassal lundi 6 juin 2022 à 23h36



[Les explications du Pr Vassal en vidéo](#)

L'accès aux thérapies innovantes dans le traitement des cancers pédiatriques s'est développé de façon significative en France ces dernières années, que ce soit dans le cadre de grands programmes de recherche comme AcSé-ESMART, d'essais cliniques ou de mise sur le marché (ex. le larotrectinib autorisé en même temps chez l'adulte et l'enfant).

De plus, un enfant ou adolescent en rechute de son cancer, ou en échec thérapeutique, se voit aujourd'hui prescrire un séquençage complet de sa tumeur dans le cadre du plan France Génomique 2025, dont le programme de recherche MAPPYACTS avait démontré la faisabilité et le bénéfice. Les résultats sont discutés au sein de réunions de concertation pluridisciplinaires interrégionales, regroupant les 32 centres de la SFCE. L'objectif est d'orienter vers les thérapeutiques les plus adaptées, individualisées selon les altérations tumorales de chaque enfant, dans le cadre d'essais cliniques. « *La meilleure façon de donner accès à un médicament innovant chez l'enfant est de le faire participer à un des essais cliniques du portefeuille d'essais pédiatriques ouverts* » explique le Pr Gilles Vassal, pédiatre et oncologue à Gustave Roussy.

Toutefois, malgré cette forte dynamique d'élargissement du panel des essais de nouveaux traitements, certains enfants ou adolescents n'y sont pas éligibles ou il n'y pas d'essai clinique sur le médicament correspondant au profil moléculaire de leur tumeur. L'offre thérapeutique demeure insuffisante. Dans ces situations, les pédiatres prescrivent des médicaments innovants hors essais cliniques. Il s'agit alors de médicaments autorisés pour le traitement du cancer chez l'adulte mais pas chez l'enfant ou de médicaments qui n'ont pas encore une AMM et pour lesquels l'ANSM autorise des accès compassionnels ou des accès précoces. Avant SACHA les données de tolérance et d'efficacité de ces prescriptions n'étaient pas collectées ou de façon anecdotique, sans déclaration systématique des événements indésirables graves en pharmacovigilance.

Analyse des données de toxicité et d'efficacité en vie réelle

Mise en place en mars 2020, SACHA (Sécurisation de l'Accès aux molécules innovantes en Cancérologie et en Hématologie pour les enfants, les Adolescents et les jeunes adultes) est une étude prospective observationnelle promue par Gustave Roussy et ouverte dans les 31 centres SFCE pour collecter de façon exhaustive les données de toxicité et d'efficacité des thérapies innovantes administrées en accès compassionnel ou hors-AMM aux enfants, adolescents et jeunes adultes (moins de 25 ans) en rechute d'un cancer ou en échec thérapeutique et non éligibles à un essai clinique.

L'objectif du projet est d'encadrer et de sécuriser ces prescriptions grâce à la mise en place d'un suivi organisé, en vie réelle. SACHA génère également des connaissances, notamment en pharmacovigilance (tolérance, événements indésirables graves, toxicité), et va améliorer les pratiques. Les résultats de l'étude doivent ainsi permettre, soit de justifier l'arrêt de certaines prescriptions individuelles lorsqu'elles sont mal tolérées et/ou inefficaces, ou de recommander l'ouverture d'un essai clinique en cas de taux de réponse effectif.

En avril 2022, 340 enfants, adolescents ou jeunes adultes avaient déjà participé à l'étude et 52 médicaments ont pu être évalués.

Un portail web collaboratif et sécurisé, géré par l'Unité Fonctionnelle de PharmacoVigilance de Gustave Roussy, a été mis en place pour le recueil et l'analyse des données d'intérêt.

Le projet est soutenu par l'ANSM. SACHA collecte les données de tolérance et d'efficacité de tous les médicaments innovants pour lesquels des accès compassionnels sont autorisés par l'ANSM.

« Outil fiable et utile de collecte exhaustive de données en vie réelle, SACHA répond aussi aux attentes des autorités de santé » précise le Pr Gilles Vassal. Le projet a également vocation à s'ouvrir à d'autres pays pour créer une étude de cohorte observationnelle internationale.

L'étude SACHA est financée par Imagine for Margo, Hubert Gouin « Enfance et cancer » et la Fondation du LEEM.

Abstract n°10006

Securing access to innovative anticancer therapies for children, adolescents, and young adults outside clinical trials: The SACHA study of the French Society of Pediatric Oncology (SFCE).

Oral abstract session

Lundi 6 juin 2022 | 23:36 – 23:48 UTC+2

A propos de Gustave Roussy

Classé premier centre européen et sixième au niveau mondial, Gustave Roussy constitue un pôle d'expertise globale entièrement dédié aux patients atteints de cancer. L'Institut est un pilier fondateur du biocluster en oncologie Paris Saclay Cancer Cluster. Source d'innovations thérapeutiques et d'avancées diagnostiques, l'Institut accueille près de 50 000 patients chaque année et développe une approche intégrée entre recherche, soins et enseignement. Expert des cancers rares et des tumeurs complexes, Gustave Roussy traite tous les cancers, à tous les âges de la vie. Il propose à ses patients une prise en charge personnalisée qui allie innovation et humanité, où sont pris en compte le soin mais aussi la qualité de vie physique, psychologique et sociale. Avec 4 100 salariés répartis sur deux sites, Villejuif et Chevilly-Larue, Gustave Roussy réunit les expertises indispensables à une recherche de haut niveau en cancérologie ; un quart des patients traités sont inclus dans des essais cliniques.

Pour en savoir plus sur Gustave Roussy et suivre les actualités de l'Institut : www.gustaveroussy.fr, [Twitter](#), [Facebook](#), [LinkedIn](#), [Instagram](#)

CONTACTS PRESSE

presse@gustaveroussy.fr

Tél. 01 42 11 50 59 – 06 17 66 00 26

Claire Parisel - Raphaëlle Bartet

