



Communiqué de presse  
20 juin 2017

## Immunothérapie et cancers rares : lancement de 2 nouveaux essais AcSé

L'émergence de l'immunothérapie par anti PD1 comme nouvelle stratégie thérapeutique en oncologie a conduit à l'élaboration de deux nouveaux essais dans le cadre du programme AcSé de l'Institut national du cancer, afin que les patients atteints d'un cancer rare aient aussi accès à l'innovation. Ce programme pionnier et unique au monde vise à faciliter l'Accès Sécurisé aux thérapies innovantes dont fait partie l'immunothérapie par anti PD1, et à recueillir des données scientifiques sur ces nouvelles molécules pour les cancers de l'adulte ou de l'enfant.

Financés par l'Institut national du cancer, la Ligue contre le cancer et respectivement par les laboratoires pharmaceutiques BMS et MSD, les essais AcSé nivolumab et AcSé pembrolizumab, promus par UNICANCER et coordonnés par le Pr. Soria, chef du département Innovation Thérapeutique et Essais Précoces de Gustave Roussy, ont officiellement été lancés en mai 2017.

Il s'agit des quatrième et cinquième essais du programme. Les trois autres essais sont actuellement conduits en France depuis 2013 et ciblent les tumeurs ayant des altérations moléculaires présentes dans plus de 20 types de cancers.

Les essais AcSé-Nivolumab et AcSé-Pembrolizumab ont pour objectif d'évaluer deux agents anti PD1 dans le traitement de certains cancers rares.

- 11 types de cancers rares (cohortes) sont à ce jour concernés par ces deux essais ;
- Ils s'appuient sur l'organisation des réseaux cancers rares labellisés par l'Institut national du cancer ;
- Ils devraient permettre d'inclure sur trois ans près de 550 patients atteints de cancer rares et en échec thérapeutique.

Selon Natalie HOOG LABOURET, Responsable de la mission AcSé au sein de l'Institut national du cancer, « les essais que nous lançons permettent aux patients de recevoir ces molécules innovantes dont un bénéfice thérapeutique est attendu dans un cadre sécurisé en évitant le hors AMM. Les données que nous recueillerons sur les 11 cohortes nous permettront par la suite d'ouvrir de nouvelles cohortes, ou de fermer celles pour lesquelles aucun effet thérapeutique n'aura été démontré ».

Pour le Pr Jean-Charles Soria, Investigateur principal, chef du département Innovation Thérapeutique et Essais Précoces de Gustave Roussy, « ces essais ont un rôle clé pour permettre à des patients porteurs de cancers rares (donc le plus souvent exclus des essais cliniques classiques), d'accéder à l'immunothérapie par anticorps anti-PD1. Ceci constitue une perspective thérapeutique prometteuse pour ces patients. L'utilité de cette approche et sa sécurité seront évaluées de façon prospective et rigoureuse ».

Selon le Professeur Jacqueline Godet, Présidente de la Ligue contre le cancer, « les immunothérapies apportent un vrai espoir aux patients atteints de cancers, mais suscitent aussi des attentes énormes. Cependant, les industriels mènent des essais cliniques pour les cancers les plus fréquents au risque d'oublier les cancers les plus rares, alors que justement, dans ces situations, le besoin thérapeutique est le plus criant. La Ligue voit dans ce programme « AcSé immunothérapie et cancers rares »

l'opportunité d'offrir aux patients atteints de ces cancers, l'accès aux traitements les plus novateurs, dans un grand nombre d'établissements de soins, à travers des protocoles de traitement avec des risques encadrés ».

AcSé en bref :

- Proposer aux patients adultes et enfants atteints de cancer et en échec de thérapies validées, d'accéder à un traitement basé sur une anomalie moléculaire de leur tumeur, dans le cadre sécurisé d'un essai thérapeutique de phase 2. Les patients ayant accès à un essai clinique existant ne sont pas concernés par le programme AcSé ;
- Etudier l'intérêt de ces molécules ciblées innovantes, en termes d'efficacité et de tolérance, chez des patients atteints de cancers de différents types cytologiques ou histologiques, présentant l'anomalie moléculaire ciblée, en l'absence d'AMM dans cette indication, d'essai clinique de développement, d'ATU de cohorte ou de RTU ;
- Garantir une égalité d'accès des patients aux traitements innovants sur tout le territoire français.

Trois essais sont actuellement ouverts aux inclusions :

- AcSé-Crizotinib - médicament autorisé aux patients adultes souffrant d'un cancer du poumon et présentant comme altération moléculaire, une translocation du gène ALK - ouvert depuis 2013, a permis de traiter 215 patients présentant une ou plusieurs des altérations moléculaires ciblées par la molécule (ALK, MET et ROS1) dans plus de 20 types de cancer différents.
  - AcSé-Vemurafenib - médicament indiqué dans le traitement des mélanomes chez les patients présentant la mutation V600-BRAF - mis en place en octobre 2014, a permis de traiter 154 patients présentant une mutation BRAF (non-spécifique) dans plus de 10 types de cancer différents.
  - AcSé-eSMART - 1er essai clinique entièrement dédié aux enfants, a été ouvert en juillet 2016. Il met simultanément à disposition plusieurs thérapies ciblées dans un même essai clinique pour les enfants et adolescents porteurs de cancers réfractaires ou en rechute, en fonction du profil moléculaire de leur tumeur systématiquement recherché dans le cadre d'un programme soutenu par le PHRC. 47 enfants ont été inclus en moins de 10 mois en France.
- Plus de détails sur le programme AcSé sur le site de l'Institut national du cancer [ici](#)

A propos de l'Institut national du cancer :

Créé par la loi de santé publique du 9 août 2004, l'Institut national du cancer (INCa) est l'agence d'expertise sanitaire et scientifique en cancérologie de l'État. Chargé de coordonner les actions de lutte contre les cancers, l'Institut, par sa vision intégrée de l'ensemble des dimensions sanitaire, médicale, scientifique, sociale, économique liées aux pathologies cancéreuses, met son action au service des personnes malades, de leurs proches, des usagers du système de santé, de la population générale, des professionnels de santé, des chercheurs et des décideurs dans les domaines de la prévention, des dépistages, des soins, et de la recherche. [www.e-cancer.fr](http://www.e-cancer.fr)

A propos d'UNICANCER :

UNICANCER réunit l'ensemble des Centres de lutte contre le cancer (CLCC) : des établissements de santé privés à but non lucratif, exclusivement dédiés aux soins, à la recherche et à l'enseignement en cancérologie. UNICANCER est l'une des fédérations hospitalières représentatives de France. Créée en 1964, elle défend l'intérêt des Centres de lutte contre le cancer et gère la convention collective de leurs salariés. Au-delà de ses missions historiques de fédération hospitalière, elle a également pour objectif de faciliter le partage des compétences, des moyens et de meilleures pratiques entre les CLCC dans les domaines tels que la recherche, le médical, la stratégie hospitalière ou les achats. L'ambition d'UNICANCER est de permettre aux CLCC d'innover ensemble et toujours pour leurs

patients.

UNICANCER, en tant que promoteur académique, réaffirme son rôle d'acteur majeur de la cancérologie française via son département R&D UNICANCER. Promoteur de recherche clinique, il a le statut de délégation à la recherche clinique et à l'innovation (DRCI) et est chargé de mettre en œuvre la stratégie globale de recherche d'UNICANCER : favoriser l'accès à l'innovation et améliorer la prise en charge thérapeutique des patients atteints de cancer, notamment là où il y a un besoin non couvert, et améliorer les connaissances sur le cancer et ses traitements via une recherche translationnelle. En 2016 : 5400 patients inclus dans des essais cliniques au sein de 270 établissements de soins dont 20% à l'international ; Au total, [17 groupes d'experts](#) UNICANCER sont chargés de répondre à des questions de stratégies thérapeutiques et de recherche.

**UNICANCER en chiffres** : 20 établissements de santé, 19 000 salariés, 2,3 milliards d'euros de recettes, plus de 500 essais cliniques actifs promus en 2016, plus de 135 000 patients hospitalisés par an. Pour plus d'informations : [www.unicancer.fr](http://www.unicancer.fr)

A propos de la Ligue contre le cancer :

1er financeur associatif indépendant de la recherche contre le cancer, la Ligue contre le cancer est une organisation non-gouvernementale indépendante reposant sur la générosité du public et sur l'engagement de ses militants. Forte de près de 640 000 adhérents et 13 000 bénévoles, la Ligue est un mouvement populaire organisé en une fédération de 103 Comités départementaux. Ensemble, ils luttent dans quatre directions complémentaires : chercher pour guérir, prévenir pour protéger, accompagner pour aider, mobiliser pour agir. Aujourd'hui, la Ligue, fait de la lutte contre le cancer un enjeu sociétal rassemblant le plus grand nombre possible d'acteurs sanitaires mais aussi économiques, sociaux ou politiques sur tous les territoires. En brisant les tabous et les peurs, la Ligue contribue au changement de l'image du cancer et de ceux qui en sont atteints. Pour en savoir plus : [www.ligue-cancer.net](http://www.ligue-cancer.net)

Contacts presse :

Institut national du cancer : Julie Decoutère : 01 41 10 14 44 [presseinca@institutcancer.fr](mailto:presseinca@institutcancer.fr)

UNICANCER : Gwendoline Miguel : 01 76 64 78 00 [presse@unicancer.fr](mailto:presse@unicancer.fr)

Ligue contre le cancer : Elodie Audonnet : 01 53 55 25 31 [elodie.audonnet@ligue-cancer.net](mailto:elodie.audonnet@ligue-cancer.net)