



Sciences Economiques et Sociales de la Santé  
& Traitement de l'Information Médicale

sesstim.univ-amu.fr

**Emilien SCHULTZ**

Chercheur en Sociologie au sein de l'équipe  
CanBIOS - UMR 1252 - SESSTIM

**L'accès des enfants et adolescents en rechute de cancer aux essais précoces en France**

**mars 2019**



**Cliquez ici pour voir l'intégralité des ressources associées à ce document**

L'ACCÈS DES ENFANTS ET ADOLESCENTS EN RECHUTE  
DE CANCER AUX ESSAIS PRÉCOCES EN FRANCE.

PRÉSENTATION DES PREMIERS RÉSULTATS DU PROJET  
ACCE

**SYLVAIN BESLE, SOLENN CAROF,  
ÉMILIE SCHULTZ**  
ÉQUIPE CANBIOS

08/03/2019

**GUSTAVE /  
ROUSSY**  
CANCER CAMPUS  
GRAND PARIS



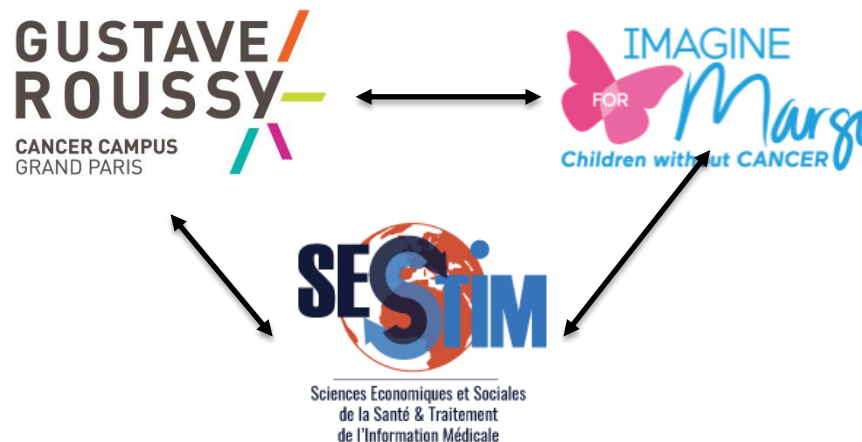
# LE PROJET ACCE

Quelques mots de présentation

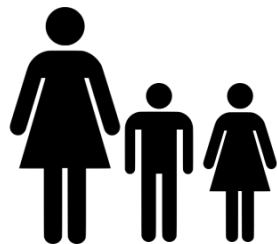


# SINCRO : Sociologie des innovations en cancérologie (SESSTIM-GR)

- **Contexte:**
  - 20 % des cancers pédiatriques sont non-curables
  - Peu de traitements disponibles car développés chez l'adulte
  - Promesses de la médecine de précision et des nouvelles molécules
- **ACCE : L'accès aux innovations thérapeutiques pour les enfants et adolescents atteints de cancers avancés en France et en Europe**



# Cancers avancés et accès à la recherche : une approche sociologique



Entretiens familles et enfants (N=18)

Parcours de patients & de leurs familles

Observations de services CLIPP (N=5)



Organisation des hôpitaux et des unités d'onco-hémato pédiatrique

## Trajectoires de soin multisituées



Participation à des Colloques médicaux + suite du projet

Entretiens médecins centres SFCE (N=18) + Associations (N=29) + Données essais



# L'intégration de la médecine de précision

1. **Innover dans la prescription** : Mappyacts et l'orientation vers la médecine de précision
2. **Prescrire l'innovation** : intégration dans l'organisation de l'oncologie pédiatrique
3. **Entre option et prescription** : conséquences pour les acteurs

# INNOVER DANS LA PRESCRIPTION

Intégrer la médecine de précision dans  
les parcours de soin



# Les essais de médecine de précision comme un espoir pour l'oncologie pédiatrique



Le Figaro.fr

Santé, mardi 14 juin 2016 - 18:19 UTC +02:00 695 mots

Actualité ; Santé

## Cancer de l'enfant, la France lance un essai unique au monde

**Les enfants et adolescents atteints de cancer sans solution thérapeutique pourront entrer dans un essai français basé sur la signature moléculaire de «leur» cancer, grâce notamment à l'association Imagine for Margo.**

En faire profiter tous les enfants en échec thérapeutique

Les cancers pédiatriques sont rares mais ils représentent, en France, la première cause de décès par maladie chez les enfants. Malheureusement, les essais cliniques menés par les industriels du médicament sont aussi rares. «Chaque année en France, un cancer est diagnostiqué chez 1700 enfants et 800 adolescents», a expliqué Thierry Breton, directeur général de l'Institut du Cancer (Inca), lors d'une conférence de presse organisée pour le lancement de l'essai «AcSé-ESMART», qui vise justement à combler ce manque et à stimuler les initiatives dans ce champ thérapeutique trop pauvre.

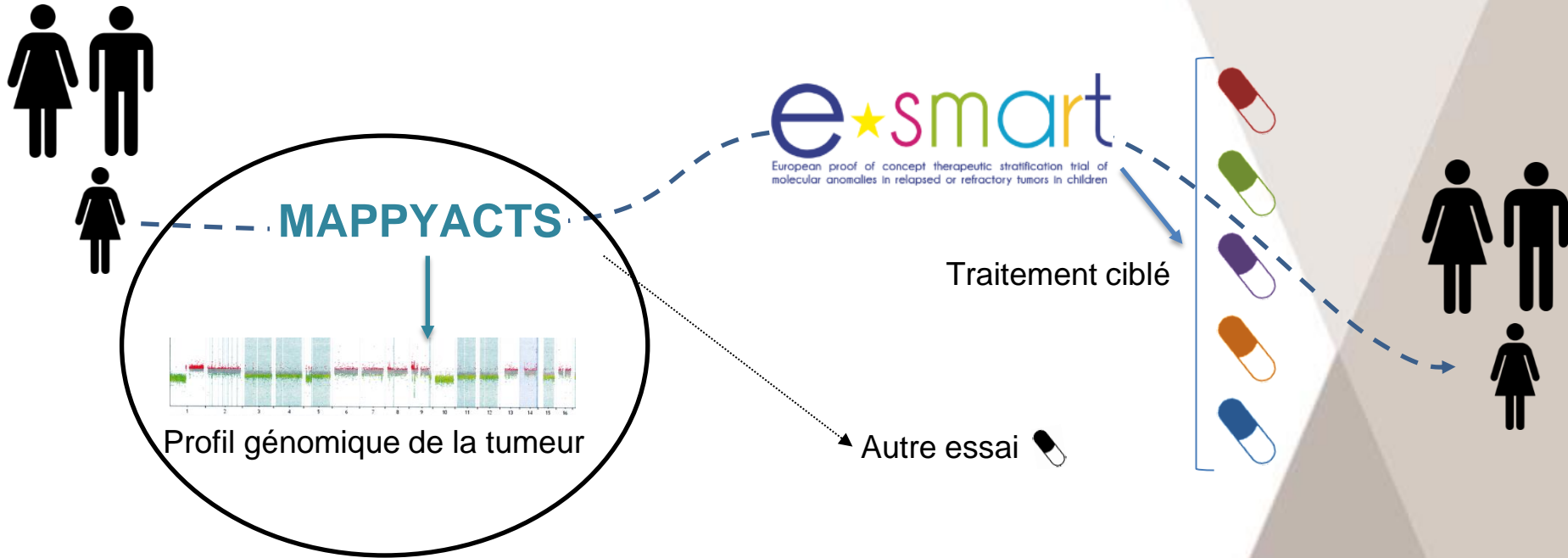
### Médecine de précision à grande échelle

«On entre dans la médecine de précision à grande échelle», se félicite le Dr Birgit Georger, onco-pédiatre à Gustave-Roussy et coordinatrice de l'essai AcSé-ESMART. «Cet essai ne permet pas seulement d'accélérer l'accès aux traitements innovants de façon sécurisée, il va aussi générer de la connaissance sur les signaux moléculaires impliqués dans les différents cancers», ajoute-t-elle.

La recherche comme une option thérapeutique pour les cancers avancés

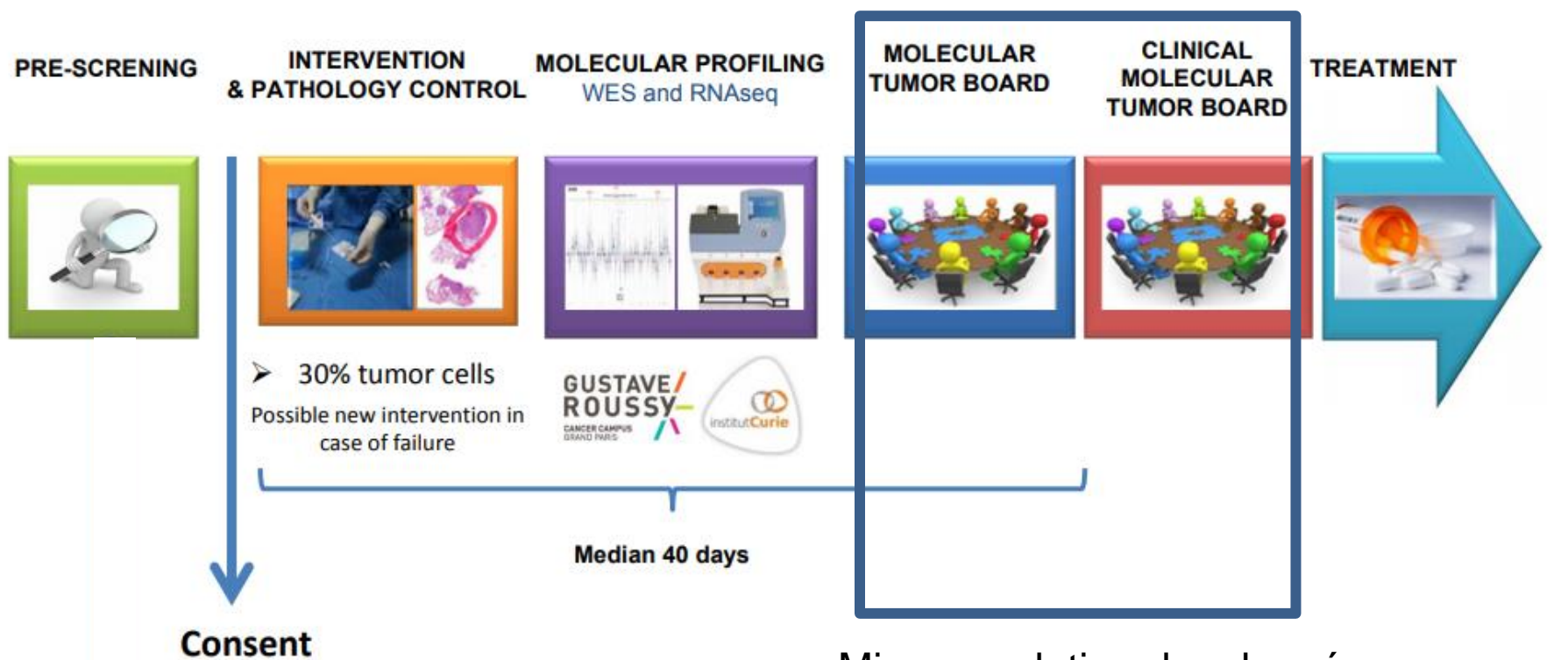


# Intégration de la médecine de précision dans les parcours de soin par la recherche



Apporte une nouvelle solution au moment de la rechute

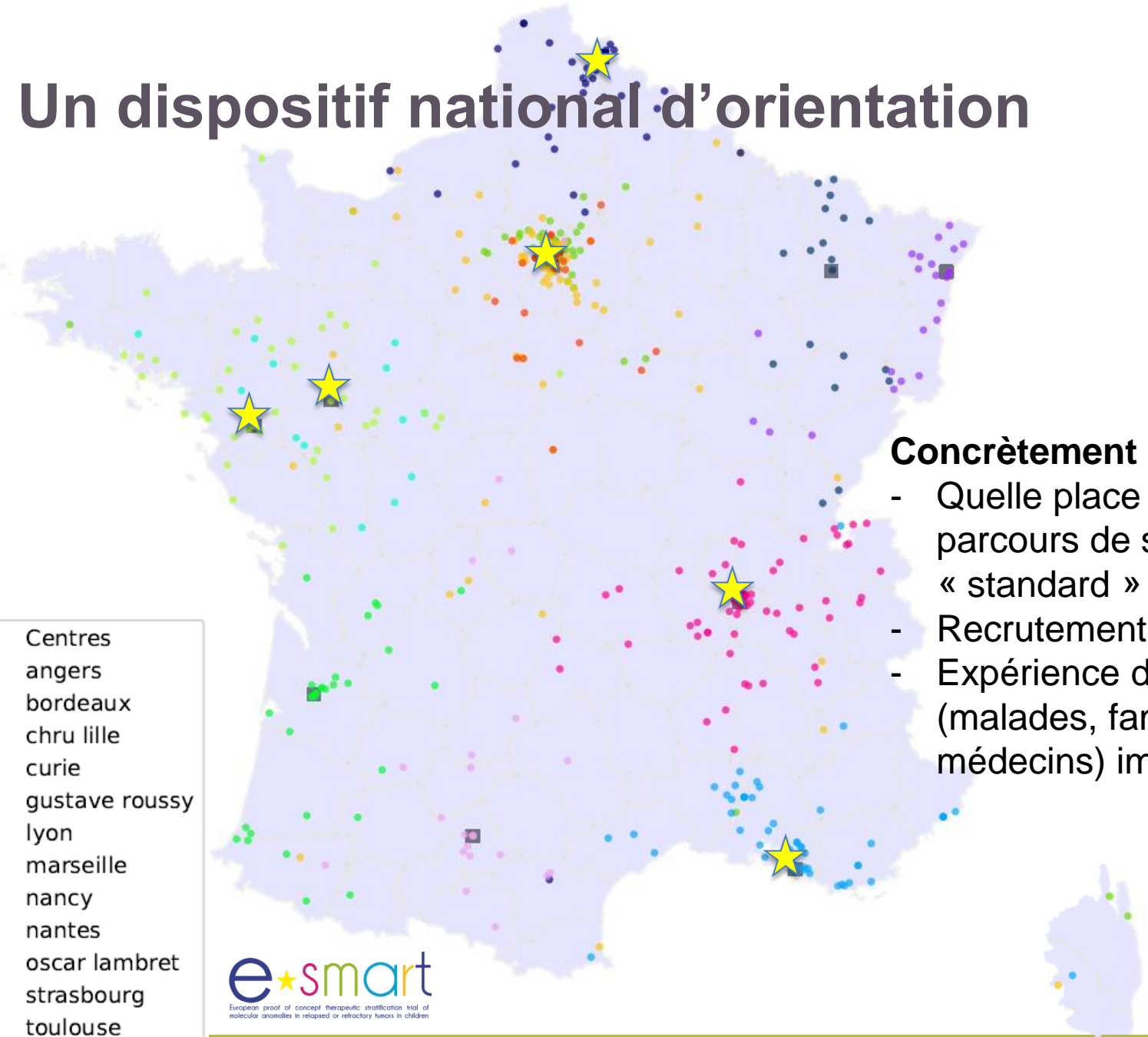
# Un relais vers la médecine de précision



Mise en relation des données génomiques avec des essais/molécules

« Il y a une RCP biologie et une RCP clinique [...] mardi soir, on discute avec les biologistes. Quand je dis "on", ça veut dire les biologistes, les bioinformaticiens et l'investigateur principal. **On discute des résultats moléculaires en eux-mêmes. Qu'est-ce qui est pertinent? Qu'est-ce qui, pour eux, est d'importance dans ce profil?** Il y a vraiment une forte dimension génétique. Et eux nous disent quelles sont les altérations d'intérêt qu'ils retiennent. **Après, le jeudi, on transmet uniquement ces altérations d'intérêt aux cliniciens**, qui se connectent tous les jeudis midi. Et c'est eux qui nous disent "Voilà, le patient a eu sa chirurgie, aujourd'hui il va très bien, il n'a plus besoin de traitement, mais s'il rechute, j'ai besoin de savoir ce qu'il a". Ou alors ils nous disent "Pour le moment, il a tel traitement mais il ne répond pas bien, j'ai vraiment besoin rapidement d'avoir une possibilité". **Et s'il nous dit ça, devant les altérations d'intérêt identifiées, on va lui dire "Ton patient, il a trois altérations intéressantes.** Pour la première, il existe une molécule dans le cadre d'un essai clinique, donc tu peux lui proposer cet essai clinique. La deuxième, il n'y a pas d'essai clinique ouvert en France, mais il y en a un aux Etats-Unis, ou il y en a dans la littérature qui on fait ça et ça, mais il n'y a pas d'essai clinique donc voilà.". Et la troisième possibilité, ça consiste à dire "On a cette altération, qui est très importante, mais il n'y a aucune molécule de disponible" » [responsable scientifique Mappyacts]

# Un dispositif national d'orientation



## Concrètement :

- Quelle place dans le parcours de soin « standard » ?
- Recrutement des patients ?
- Expérience des individus (malades, familles, médecins) impliqués ?

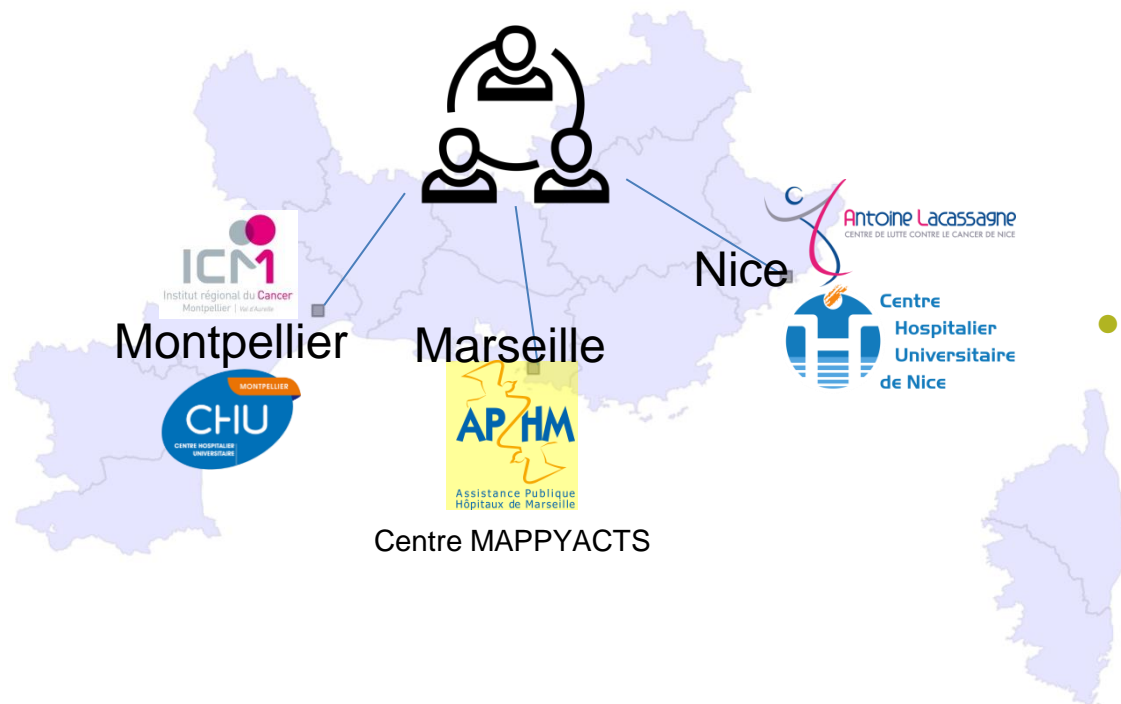
# PRESCRIRE L'INNOVATION

Comment MAPPYACTS est intégré aux parcours de soin ?



# L'étude repose sur l'infrastructure en inter-région de l'oncologie pédiatrique

## Exemple du Sud-Est



- **Une diversité régionale**
  - 5 centres d'oncologie pédiatrique ayant des spécialités propres
  - Un territoire étendu, difficile d'accès (Corse, Alpes, Pyrénées) & éloigné de l'Île-de-France
- **Une organisation autour de RCP hebdomadaires**
  - Permet d'identifier les cas d'enfants éligibles à MAPPYACTS

# Une opportunité locale d'accès à la recherche ...

« Avec le protocole MAPPYACTS et ESMART, les transferts de patients [...] se font plus facilement parce qu'il y a des choses à proposer, là où, il y a 5 à 10 ans, il y avait moins d'essais précoces à proposer. **Parce que c'était quand même assez concentré sur l'Île-de-France [et] Lyon** » (Médecin, Marseille)

## ... intégrée à la pratique

« De toute façon, quand on arrive, au bout d'un moment, à une deuxième ligne ou troisième ligne, qu'il y a plus de possibilité, la logique c'est de dire : « bon, est-ce qu'il y a un autre traitement ? Oui. Essai précoce, oui ou non ? Si oui, etc. Est-ce que MAPPYACT, oui... » [s'interrompt] **Pour nous, c'est [souligne] automatique.** » [médecin, Montpellier]



# Mappyacts : option, recommandation ou prescription de la recherche ?

- **Ouvre vers de nouvelles options hors des traitements standards**
  - > Essais précoces
  - > Usage hors-AMM des molécules
- **Mappyacts s'intègre dans les routines**
  - > Facilite la recommandation
- **Spécificité des essais précoces**
  - > Favorise la délégation : une forme de prescription ?

# QUELLES CONSÉQUENCES ?

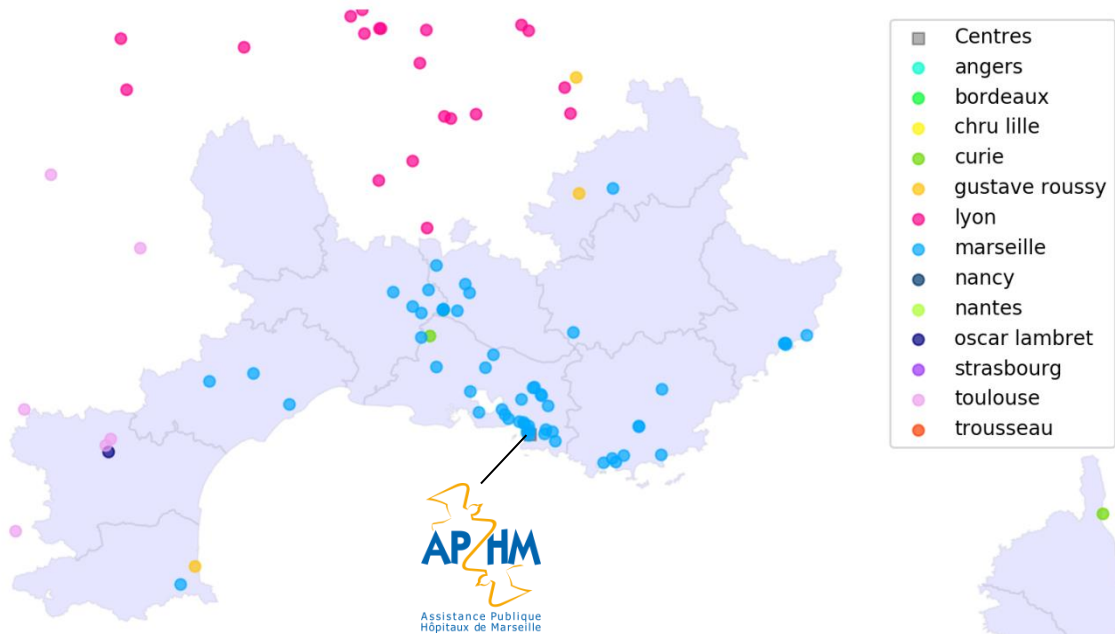
Éléments d'analyse sur Mappyacts



# Une opportunité thérapeutique supplémentaire en cas d'échec

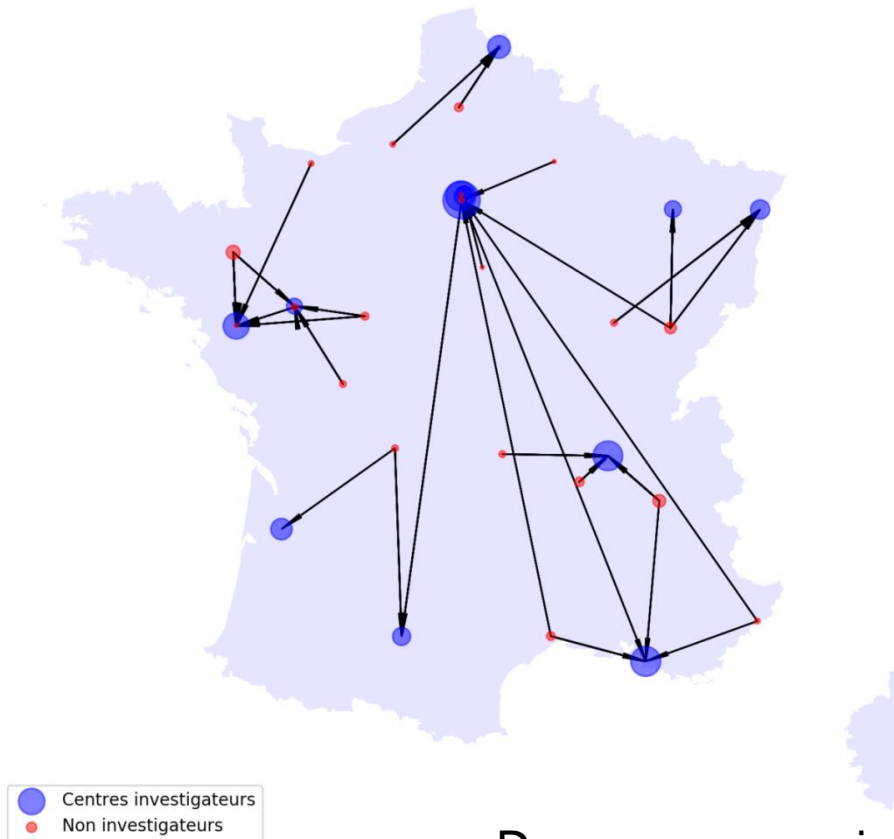
- **Des parents demandeurs d'option thérapeutique :**  
« Maman : Ça nous gênerait pas s'il fallait le faire. On est prêt à tout. Je leur ai dit, même à l'étranger, n'importe quoi, n'importe quoi. [...] On peut pas dire : ben, on fait plus rien. Ça, c'est pas possible. »
- **Systematisation à l'échelle nationale :** les hôpitaux peuvent référer leur patient vers des centres réalisant de la recherche

# Pour les patients : des déplacements dans l'inter-région



- La moitié des patients et leurs familles parcourent plus de 63 km
- Des patients quittent l'inter-région

# Mais aussi des changements d'hôpitaux



- Une concentration des patients dans les centres investigateurs
- Un effet attracteur des centres de région parisienne

« Donc on va, on vient, un coup à Arnaud de Villeneuve, un coup à X., un coup à Marseille... Quand elle a besoin de transfusion, on est à l'hôpital de Sète [...] Donc on est un petit peu partout. . » [Mère]

# De nouvelles contraintes pour les patients

- Cas d'une jeune patiente prise en charge sur Marseille pour un essai:

La maman : « Alors, au tout début, sur Montpellier, on y allait tout le temps en taxi, parce qu'honnêtement, les premiers temps, on était tellement pas bien que, de conduire, c'était difficile. [...] Et puis, après, quand elle allait un petit peu mieux on prenait, nous, le véhicule pour aller à Montpellier [...]. Après **pour venir ici [à Marseille pour l'essai], on prend le taxi**, parce que déjà, d'une, elle peut être malade au retour, derrière. Ça arrive souvent. Et puis, nous, des fois, on n'est pas bien, suivant ce qu'on nous dit, il y a quand même **presque trois heures de route...**

# De nouvelles contraintes pour les unités

- Assurer la continuité de la prise en charge à un stade avancé de la maladie

« Il s'agit de **situations un peu délicates où la famille [...] revendique de rester** dans un centre ou dans un autre. Et donc, ça, c'est vrai que ça peut freiner certaines personnes [médecins] qui auraient, l'idée que le grand centre dépossède, un petit peu... [...] **L'intérêt, de toute façon, du patient, c'est de retourner près du centre qui l'a pris en charge dès le départ** ; donc nous, c'est ça qu'on privilégie d'abord. [...] Donc, notre politique c'est, bien sûr, d'essayer de refaire, adresser le patient de là où il était, et en principe, c'est, vraiment, comme ça que ça se passe. » (Médecin responsable de MAPPYACTS)

# Une nouvelle relation avec les soins palliatifs

« [...] On rencontre la famille qui dit : ah, non, non, mais il n'est pas question que vous veniez parce qu'elle démarre un essai thérapeutique à Marseille. Donc on ne fait pas la visite, l'enfant démarre l'essai, et puis il se dégrade, et puis on fait la visite de coordination quand l'enfant est déjà un peu dégradé et que... [s'interrompt] Et donc, voilà, c'est toute cette difficulté-là, de pouvoir, en même temps, faire cohabiter des choses qui se clivent très, très vite. **Et comme elles se clivent très vite, tout ce qui est de l'ordre de l'espérance amenée par la recherche proposée va venir en premier écran masquer tout le reste et on a beaucoup de mal à travailler le reste.** » [Pédopsychologique]

De nouvelles formes de coordination se mettent en place



# Conclusion

- **MAPPYACTS: un dispositif de prescription de la médecine de précision**
  - Assure un accès élargi à la recherche
  - Des trajectoires d'accès plus longues et complexes
- **Des enjeux multiples**
  - **Parcours de patients** : espoir, déplacements, continuité thérapeutique
  - **Organisation des services** : assurer une prise en charge globale des patients extérieurs (médicale, sociale, économique et psychologique)
  - **Coordination** entre la recherche et le système de santé

# Suite du projet pour l'année à venir

- **Analyser le lien entre MAPPYACTS et ESMART**
  - Données quantitatives des parcours de soin
- **Comparer le fonctionnement des centres à l'échelle nationale**
  - Organisation des services
- **Intégrer une dimension comparative internationale**
  - Etude UK 2019



## Remerciements

Chercheurs ACCE: **S Carof, S Besle, C Gabarro**

Participants à l'étude : médecins, personnel médical & associations

**Merci aux patients et à leurs familles**