
Charte d'engagement contre le cancer de l'enfant et de l'adolescent

Briser le mur de l'impasse thérapeutique

Signée le 12 février 2022

Colloque FAST

Paris – France

Préambule

1. La mobilisation massive contre le cancer de l'adulte cache des formes rares chez l'enfant et l'adolescent

Le cancer est l'une des principales causes de mortalité en France.

Dans le domaine de la santé, le cancer est la pathologie qui concentre les efforts de la recherche, du financement, des pouvoirs publics, des acteurs de la solidarité, de l'innovation et du soin dans toutes ses dimensions.

Le combat est considérable au niveau national et européen et la France y occupe une place de premier plan.

Au sein de cette « mobilisation générale », le cancer de l'enfant et de l'adolescent a le statut de cancer rare.

En effet, les cancers diagnostiqués dans cette catégorie relèvent de plusieurs pathologies pour lesquelles les cohortes de patients sont peu nombreuses.

Pour cette raison, son traitement n'est pas au cœur de cette mobilisation massive de moyens, conséquence de l'absence de modèle économique pour les acteurs privés de la santé, laboratoires pharmaceutiques et sociétés de biotechnologies.

Les enfants ne sont pas des adultes en miniatures. Ils ont besoin de solutions thérapeutiques spécifiques à leur type de cancer, différent de celui de l'adulte.

Ne bénéficiant pas des moyens d'ampleur alloués au cancer de l'adulte, le cancer reste encore la première cause de décès par maladie des enfants de plus de 1 an en France et en Europe.

2. Des progrès considérables contre le cancer de l'adulte mais une impasse thérapeutique dans le traitement des cancers de l'enfant et de l'adolescent

Un nombre trop limité d'essais cliniques pour lutter contre le cancer de l'enfant et de l'adolescent contribue à une impasse thérapeutique pour 2 patients sur 10 et à des séquelles graves pour plus de la moitié d'entre eux.

Le taux de survie est resté le même depuis 15 ans alors que des progrès considérables ont été faits chez l'adulte ces dernières années.

Aujourd'hui, ce statut de cancer rare est un frein très significatif au progrès thérapeutique, seule voie pour soigner plus et mieux.

Ces avancées doivent être conduites dans la compréhension des cancers de l'enfant, dans le diagnostic, la recherche de nouvelles molécules et l'accélération de la médecine de précision.

Pour progresser, la France joue un rôle central en Europe notamment avec le plus grand nombre d'enfants inclus dans les essais cliniques et des acteurs de référence dans le domaine du soin, de la recherche et de l'innovation.

3. Le recours nécessaire à la solidarité pour mettre un terme à une injustice sociale

La caractéristique des cancers pédiatriques est l'insuffisance des investissements industriels et publics souvent compensée par la solidarité citoyenne

L'enjeu de ce combat est ainsi d'amplifier les investissements notamment par la réponse d'appel à projets au niveau national et européen.

Celui-ci est aussi de communiquer davantage sur les cancers pédiatriques pour mobiliser plus de solidarité citoyenne.

4. La nécessité de faire mieux avec moins

Le statut de cancer rare est une réalité bloquante qui doit être prise en compte.

L'enjeu est de trouver des voies de contournement à cet obstacle majeur.

En comparaison avec le cancer de l'adulte, il est tenu de faire mieux avec moins.

Dans ce cadre contraint, une des voies est de capitaliser sur la recherche faite sur le cancer de l'adulte pour l'adapter de manière plus efficace au cancer de l'enfant.

L'efficacité de la mise en œuvre de ces passerelles est un enjeu clé.

Mais face aux spécificités des cancers de l'enfant (par exemple, la réponse à l'immunothérapie qui diffère fortement), il faudra aussi aller chercher de nouvelles pistes et développer des médicaments dédiés.

De même, le recours à l'analyse des données et à l'intelligence artificielle sont des solutions pour faire mieux, plus vite et moins cher.

5. La nécessité de définir un cadre réglementaire mieux adapté au combat contre le cancer de l'enfant et de l'adolescent

L'accélération du développement de nouvelles thérapies pour l'enfant et l'adolescent nécessite aussi de modifier plus vite le cadre réglementaire actuel qui ne prend pas assez en compte les spécificités de l'oncologie pédiatrique.

Cette accélération passe par l'adoption du principe de mécanisme d'action qui veut que toute solution thérapeutique qui bénéficie d'une présomption d'efficacité entre en essai clinique chez l'enfant et l'adolescent

6. La nécessité de fédérer les parties prenantes

Le combat contre le cancer est caractérisé par une multitude d'acteurs qu'il est primordial de fédérer pour réussir.

Pour ce faire, le défi est de réunir sur un objectif commun, de la conception à l'exécution, des acteurs appartenant chacun à une sphère particulière, avec leur propre agenda et leurs différences culturelles ; principalement le soin (public et privé), la recherche (publique et privée), l'innovation (grands groupes et start-up), le financement (public, privé et solidaire), les familles des patients et les autorités réglementaires (nationales, européennes et nord-américaines).

Plus particulièrement, il conviendra aussi de travailler en complémentarité avec les écosystèmes et cluster cancer existant pour une action concertée sur la recherche et le traitement des cancers pédiatriques.

Ces différences sont aussi renforcées par les spécificités nationales des parties prenantes.

Face à cette diversité, le point important est que les acteurs sont déjà globalement organisés et unis dans ce combat commun qui transcende majoritairement ces particularités.

Cet alignement est une des conditions de la réussite. L'objectif de cette charte est de contribuer à ce rassemblement.

7. La nécessité d'une coopération internationale renforcée

La spécificité de l'innovation thérapeutique est d'être à l'échelle internationale parce que les progrès requièrent une collaboration entre les parties prenantes situées majoritairement en Europe et en Amérique du Nord.

Ceci est d'autant plus vrai pour les cancers pédiatriques, la communauté active à l'échelle mondiale étant à la fois limitée en nombre et dispersée dans différents pays.

Compte tenu des spécificités du cancer de l'enfant et de l'adolescent, l'enjeu est de faciliter cette coopération qui a un très fort effet de levier.

8. Franchir le cap de la mise en production

Aujourd'hui la coordination internationale entre les acteurs qui se mobilisent contre le cancer de l'enfant et de l'adolescent est une réalité qui donne des résultats probants.

Elle a permis de détecter les obstacles réglementaires, thérapeutiques, d'organisation et de financement.

Elle a aussi identifié des solutions mais qui se heurtent au défi d'une mise en œuvre rapide.

Le point de faiblesse du dispositif est relatif à la transformation des leviers d'action identifiés en actions opérationnelles jusqu'à l'atteinte d'objectifs précis, à fixer de façon concertée.

Aujourd'hui la communauté des parties prenantes, dans toutes ses composantes, est consciente que le principal maillon faible du combat contre le cancer de l'enfant et de l'adolescent est la mise en opération une fois que les défis et les solutions pour y répondre ont été identifiés.

Cette réponse opérationnelle est attendue de longue date par les parties prenantes, à l'échelle française, européenne et aussi nord-américaine.

La France apparaît comme étant l'un des écosystèmes de santé les mieux placés pour apporter cette réponse.

Contribuer à la réussite de cette nouvelle étape de mise en œuvre est l'objectif de cette charte d'engagement.

* * *

Par l'adhésion à ce préambule et aux articles qui suivent, les signataires, (ci-après « les parties prenantes ») s'engagent à une mobilisation opérationnelle pour briser le mur de l'impasse thérapeutique des cancers de l'enfant et de l'adolescent.

Les engagements résultant de la signature de cette charte s'inscrivent dans une démarche de volonté et dépendent, naturellement, des rôles, expertises et ressources de chacun.

Cette démarche vise également à mobiliser tous ceux qui souhaitent apporter leur soutien à ce combat qui ne pourra se gagner sans solidarité.

Article 1

Les spécificités des cancers de l'enfant et de l'adolescent

Les cancers de l'enfant et de l'adolescent et les cancers de l'adulte sont des maladies différentes.

Les cancers de l'enfant et de l'adolescent ne peuvent donc pas être seulement traités avec des solutions thérapeutiques définies pour l'adulte.

La guérison des cancers de l'enfant et de l'adolescent nécessite le développement de traitements spécifiques.

* * *

Les parties prenantes reconnaissent la spécificité thérapeutique des cancers de l'enfant et de l'adolescent par rapport aux cancers de l'adulte.

Article 2

Le statut de cancer rare

Les cancers de l'enfant et de l'adolescent sont une douleur familiale et sociale extrême.

Au-delà des souffrances individuelles, l'impasse thérapeutique qui touche 20 % des enfants malades et les séquelles des enfants sauvés sont une blessure sociale qui ne saurait être tolérée davantage en raison des progrès thérapeutiques considérables qui

ont été fait ces dernières années, notamment dans le combat contre le cancer de l'adulte.

Le nombre d'enfants et d'adolescents souffrant de cancers ne permet pas aux seuls acteurs privés de la santé d'investir dans le développement des solutions thérapeutiques, faute de modèle économique équilibré.

* * *

Les parties prenantes reconnaissent le statut de cancer rare aux cancers de l'enfant et de l'adolescent.

Article 3

L'action solidaire des parties prenantes

Le statut de cancer rare oblige à une solidarité des parties prenantes pour le développement de traitements appropriés dans un cadre réglementaire adapté.

Cette action solidaire est celle des familles de patients et de leurs représentants, des professionnels de santé et des experts en oncologie hématologie pédiatrique, des établissements de soin et centres spécialisés, des pouvoirs publics européens, nationaux et territoriaux ainsi que des agences et des établissements qui en dépendent, des industriels de la santé – grands laboratoires et sociétés de biotechnologie – des investisseurs, des associations, des fondations, des organismes de collecte de dons et de lutte contre le cancer. Au-delà, cette action solidaire repose aussi sur la mobilisation citoyenne de toute personne physique et de toute personne morale qui souhaite participer à ce combat.

* * *

Les parties prenantes s'engagent à une action solidaire contre le cancer de l'enfant et de l'adolescent.

Article 4

L'accélération de la découverte de nouveaux traitements

Les cancers de l'enfant et de l'adolescent sont aujourd'hui majoritairement traités avec des molécules anciennes qui ont été surtout développées au cours des 30 dernières années chez l'adulte.

Les traitements actuels ont atteint leurs limites ce qui explique que le taux de guérison des enfants et des adolescents n'a pas progressé au cours des quinze dernières années.

De plus, les enfants sauvés, pour beaucoup, souffrent de séquelles importantes tout au long de leur vie.

Au cours des dernières années, la recherche médicale a été marquée par des avancées d'importance qui seront encore amplifiées, dans un avenir proche, par le recours de plus en plus important à l'intelligence artificielle et à l'analyse des données couplées à la médecine de précision.

Dans ce contexte, l'état de la science permet des avancées significatives dans le traitement des cancers de l'enfant et de l'adolescent.

Les parties prenantes soulignent que ces progrès doivent être réalisés à une vitesse qui tient compte de l'urgence dans l'obtention des traitements attendus.

* * *

Les parties prenantes s'engagent à accélérer la mise au point de nouveaux traitements.

Article 5

Le renforcement de la coopération internationale

En raison du statut de cancer rare des cancers de l'enfant et de l'adolescent, la communauté des parties prenantes est plus restreinte que celle agissant contre le cancer de l'adulte.

Mais cette communauté est caractérisée par une implication très forte de ses membres notamment les représentants des patients, les professionnels de santé, les établissements de soins, les experts en oncologie hématologie pédiatrique, les organismes de recherche et les industriels de la santé disposant d'unités spécialisées dans le traitement des cancers de l'enfant et de l'adolescent.

Dans ces conditions, une coopération internationale renforcée entre les parties prenantes est une des conditions majeures de la découverte de nouveaux traitements.

* * *

Les parties prenantes s'engagent à contribuer à une coopération internationale renforcée dans la lutte contre les cancers de l'enfant et de l'adolescent.

Article 6

L'adoption accélérée du développement des médicaments selon leurs mécanismes d'action

Les cancers de l'enfant et de l'adolescent et les cancers de l'adulte sont des maladies différentes.

Un cancer de l'adulte n'existe pas forcément chez l'enfant et l'adolescent.

Dans ces conditions, le Règlement européen sur les médicaments pédiatriques qui donne la possibilité de déroger au développement en pédiatrie si la maladie de l'adulte n'existe pas chez l'enfant, n'est pas adapté à l'oncologie pédiatrique.

Cette inadaptation réglementaire a conduit à un très fort retard de développement de nouveaux traitements anti-cancéreux chez l'enfant et l'adolescent au cours des quinze dernières années.

Pour pallier ces retards, les cadres réglementaires des pays occidentaux sont en train d'évoluer vers l'adoption du principe du mécanisme d'action qui veut que toute solution thérapeutique qui bénéficie d'une présomption d'efficacité entre en essai clinique chez l'enfant et l'adolescent.

Alors que les États Unis ont commencé à mettre en œuvre ce principe depuis 2020, la Commission Européenne a engagé un processus en vue de son adoption en 2023 pour une application qui pourrait ne pas être effective avant 2026.

Les parties prenantes considèrent que l'application du principe du mécanisme d'action permettra des progrès significatifs dans le développement de nouvelles thérapies chez l'enfant et l'adolescent et que, par conséquent, son application doit être mise en œuvre sans délai.

* * *

Les parties prenantes s'engagent à œuvrer sans délai au développement du médicament anti-cancéreux chez l'enfant selon le mécanisme d'action

Article 7

L'accès rapide aux molécules en développement

Dans le cadre du développement du médicament chez l'enfant selon son mécanisme d'action, la partie prenante concernée s'engage à :

Informer les autres parties prenantes des molécules dont elle dispose qui pourrait contribuer à la mise au point de nouveaux traitements contre le cancer de l'enfant et de l'adolescent ;

Consentir, par principe, au démarrage sans délai des essais cliniques chez l'enfant et l'adolescent quand cela est médicalement et scientifiquement justifié ;

Examiner avec les parties prenantes concernées les conditions et modalités de mise en œuvre desdits essais cliniques ;

Examiner avec les parties prenantes concernées les conditions et modalités de financement desdits essais cliniques.

Article 8

L'investissement dans le développement de médicaments spécifiques aux cancers de l'enfant

Les cancers de l'enfants sont différents des cancers de l'adulte.

Il existe des cibles spécifiques pédiatriques qui ne sont pas dans les cancers de l'adulte. Comme les cancers pédiatriques sont rares, il n'y a quasiment pas d'investissement dans des médicaments spécifiques.

* * *

Les parties prenantes s'engagent à investir et à faciliter le développement de médicaments spécifiques aux cancers pédiatriques.

Article 9

La prise en compte des parties prenantes dans la mise en œuvre des essais cliniques

Le développement de nouveaux traitements des cancers de l'enfant requiert la coopération étroite des industriels de la santé, du corps médical, des établissements de soins, des autorités de santé, des organismes de recherche, des patients et de leurs représentants.

Les parties prenantes considèrent que l'accélération et l'optimisation du processus de développement de nouveaux traitements nécessitent la prise en compte du point de vue de l'ensemble des parties prenantes dans la décision de mise en œuvre des essais cliniques.

Dans ce cadre, notamment en cas de présomption de principe d'action, les parties prenantes s'engagent à un examen approfondi de toute demande d'ouverture d'essai clinique (examen incluant impact potentiel, conditions de mise en œuvre, possibilités de financement) émanant de toute autre partie prenante.

* * *

Les parties prenantes s'engagent à procéder à une évaluation approfondie des demandes d'ouverture d'essais cliniques émanant de toute partie prenante,.

Article 10

La formation à l'oncologie pédiatrique

Le cancer de l'enfant et de l'adolescent comprend des spécificités fortes qui doivent être prises en compte au cours du traitement.

Parmi les enfants et les adolescents sauvés de cette pathologie, la majorité souffre de séquelles importantes tout au long de leur vie.

Les effets secondaires du traitement des cancers de l'enfant et de l'adolescent ont un impact, pour la plupart, tout au long de leur vie.

La formation de tous les acteurs impliqués dans le suivi à long terme doit être renforcée pour assurer la meilleure prise en charge possible et l'amélioration de la qualité de vie.

En outre, les représentants des patients sont de plus en plus parties prenantes aux appels à projets et lors de l'élaboration de programmes de recherche notamment pour la définition de leur contenu, de leurs objectifs et de leurs modalités de mise en œuvre. Cette participation requiert l'amélioration de leur formation, condition de l'optimisation du combat contre le cancer de l'enfant et de l'adolescent.

Les parties prenantes considèrent donc qu'il est nécessaire d'améliorer la formation aux particularités des cancers de l'enfant et de l'adolescent pour améliorer la qualité des soins prodigués à cette catégorie de patients tout au long de leur vie et renforcer l'efficacité des programmes de recherche.

* * *

Les parties prenantes s'engagent à œuvrer pour améliorer la formation aux spécificités de l'oncologie pédiatrique, en particulier le suivi à long terme.

Article 11

L'information des familles sur les solutions thérapeutiques

Les familles de patients placés dans une impasse thérapeutique sont dans une quête intense de solutions médicales pour continuer à lutter contre la maladie.

Des solutions thérapeutiques peuvent exister dans d'autres systèmes de santé ou, plus largement, dans toute autre communauté de recherche ou de soin.

L'accélération de la découverte de nouveaux traitements et la nécessité d'apporter des réponses adaptées aux situations d'urgence des patients requiert la mise en place de systèmes d'information accessibles sur toute solution thérapeutique potentielle.

* * *

Les parties prenantes s'engagent à œuvrer pour une information accessible aux patients et leurs familles sur toute solution thérapeutique potentielle.

Article 12

L'information des familles sur les aides sociales

Les familles touchées par le cancer de l'enfant ou de l'adolescent sont socialement fragilisées.

Cette fragilité peut être la conséquence d'abandon d'activités professionnelles pour une implication entière auprès de leur enfant.

Cette situation nécessite donc de faciliter l'information des familles précarisées sur les aides sociales dont elles peuvent bénéficier et concevoir tout autre mécanisme de solidarité qui répondrait à des besoins légitimes non couverts par les dispositifs existants.

* * *

Les parties prenantes s'engagent à œuvrer pour une meilleure information des familles des patients sur les aides sociales existantes, à en faciliter l'accès pour toutes les familles et à concevoir tout autre mécanisme de solidarité qui répondrait à des besoins légitimes non couverts par les dispositifs existants.

Paris, le 12 février 2022.

Signataires de la charte d'engagement en soutien à l'onco pédiatrie
Colloque FAST 12 février 2022

Nom et qualité du représentant	Entité représentée
Virginie Gandemer, Présidente	SFCE (Société Française de lutte contre les cancers et leucémies de l'enfant et de l'adolescent)
Jean-Yves Blay, Président	UNICANCER (fédération des centres de lutte contre le cancer)
Fabrice Barlési, Directeur Général	Gustave Roussy
Thierry Philip, Président	Institut Curie
Michael Lukasiewicz, Directeur médical France	ROCHE
Laurence Destré-Vellay , head of Market Access France	BAYER
Olivier Bogillot, Président	SANOFI
Christophe Durand, Directeur Général	Bristol Myers Squibb
Nathalie Varoqueaux, Directrice médicale Amgen France	AMGEN
Hugues Bienaymé, Directeur Général	ORPHELIA
Frédéric Collet, Président	LEEM
Gilles Alberici, Président	Fondation d'entreprise Dominique & Tom Alberici-Octalfa
Yann Gozlan, Président	Creative Valley
Roland Lescure, Présidente de la commission des affaires économiques	Assemblée Nationale
Fadila Khattabi, Présidente de la commission des affaires sociales	Assemblée Nationale
Michel Lauzzana, Co-Président du groupe d'études cancer	Assemblée Nationale
Sandrine Josso, Co-Présidente du groupe d'études cancer	Assemblée Nationale

Catherine Deroche, Présidente de la commission des affaires sociales	Sénat
Sophie Primas, Présidente de la commission des affaires économiques	Sénat
Valérie Pécresse, Présidente	Région Ile de France
Pierre Morange, Maire, administrateur,	Maire de Chambourcy, Choose Paris Region
Patrick Poirot, Vice-Président	UNAPECLE (Union Nationale des Associations de Parents d'Enfants atteints de Cancer ou de Leucémie)
Virginie Coussy Charret, Présidente	Association Lisa forever
Stéphanie Fugain, Présidente	Association Laurette Fugain
Rose Fromont, Présidente	APPEL
Muriel Hattab, Présidente	Association Princesse Margot
Catherine Jacquet, Directrice Générale	Association les petits Citoyens
Anne Gouin, Présidente	Association Hubert Gouin, enfance et cancer
Patricia Blanc, Présidente	Association Imagine for Margo
Paul Rinaudo, Président	ADLIN Science

Soutiens non signataires (cf vidéo de soutien adressée au colloque FAST):

Gérard Larcher, Président du Sénat

Annie Delmont Koropoulis, Présidente du groupe cancer au Sénat