

Innovative Therapies  
for Children with Cancer



# MÉDECINE DE PRÉCISION: La Stratégie Européenne et ses premières applications

**Gilles Vassal,**  
Gustave Roussy, Villejuif

**Sénat, le 20 février 2016**



# Stratégie PCM

1. Faire le portrait moléculaire tumoral (35000 gènes) à la rechute
2. Traiter par une thérapie qui « matche » la tumeur, dans un essai clinique
3. Proposer un traitement même s'il ne « matche » pas la tumeur et même s'il n'y a pas de biomarqueur
4. Créer une grande base de données européenne pour trouver de nouvelles cibles thérapeutiques



# Projet National MAPPYACTS

PI B Geogerger

MolecuAr ProfilAng for Pediatric and Young AduLt Cancer TreatmEnt Stratification

Enfant et adolescent, en rechute, tumeur solide et leucémie

Biopsie à la  
rechute



Portrait Moléculaire  
Tumoral (WES/RNAseq)



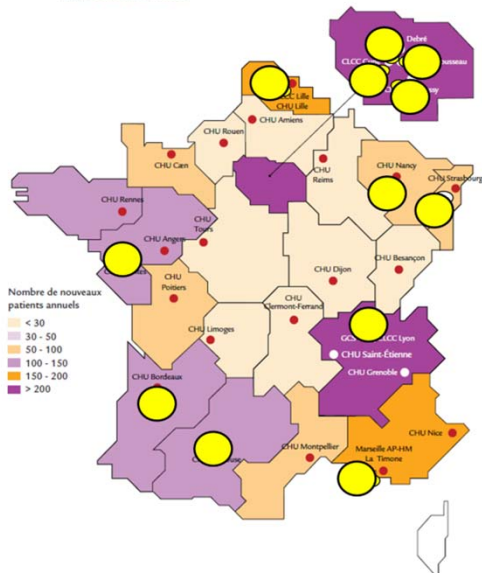
RCP  
moléculaire



Traitement



FIG. 4 : CARTOGRAPHIE ET ACTIVITÉ DES 29 CENTRES SPÉCIALISÉS VISITÉS ENTRE 2006 ET 2009



GUSTAVE  
ROUSSY  
CANCER CAMPUS  
GRAND PARIS

institut Curie  
Together, let's beat cancer.

RCP  
moléculaire Nationale

INSTITUT  
NATIONAL  
DU CANCER

300 enfants en 3 ans  
PHRC 2015  
Fondation ARC  
Ouverture décembre 2015

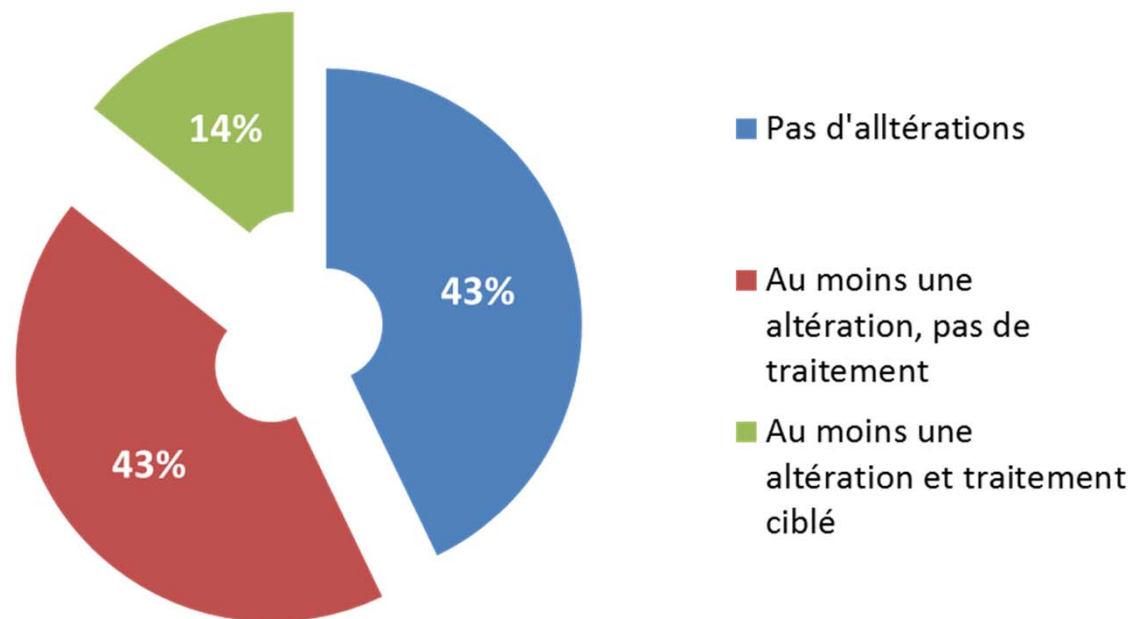
FONDATION ARC  
POUR LA RECHERCHE  
SUR LE CANCER  
Reconnue d'utilité publique

# MOSCATO – cohorte enfant

56 enfants

Biopsies à la rechute

Portraits moléculaires



Augmenter le nombre de médicaments accessibles



# Elargir le nombre de médicaments disponibles

*Traiter par une thérapie ciblée*

*Faire le Portrait Moléculaire*

**MAPPYACTS**

**MATCH**

**M  
A  
T  
C  
H**

**eSMART**

European Proof-of-Concept Therapeutic Stratification Trial of Molecular Anomalies in Relapsed or Refractory Tumors in children (ESMART)

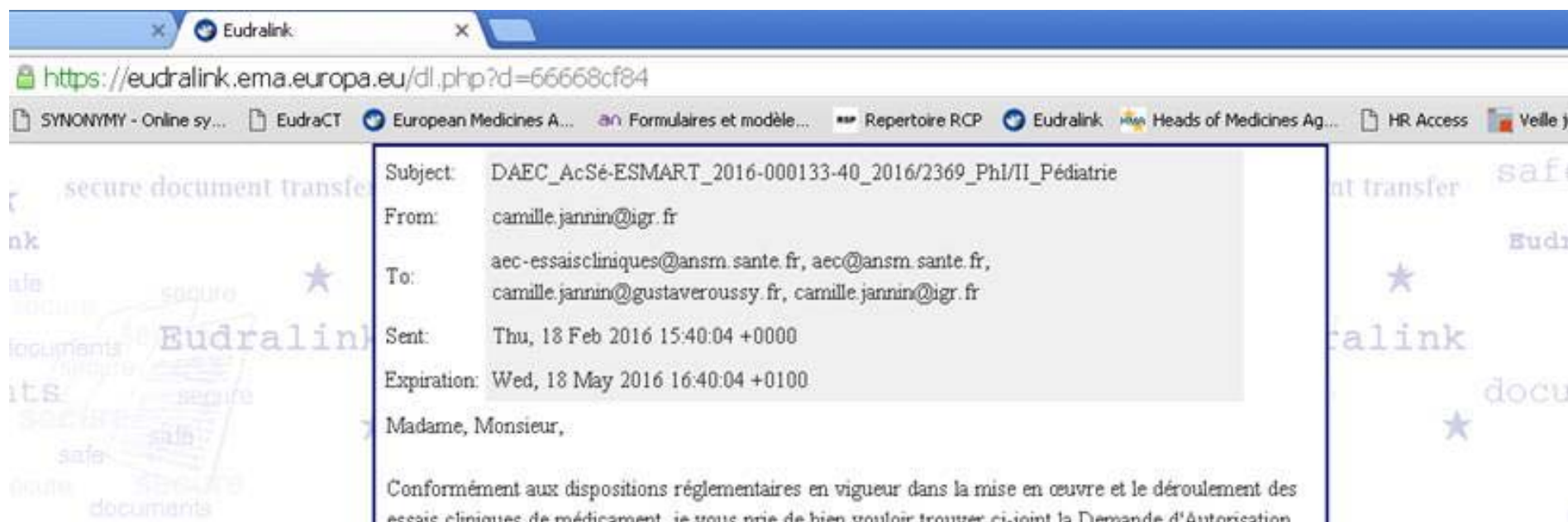
**UN Essai académique  
20 médicaments de  $\geq 3$  industriels**

**Portefeuille  
Essais  
ITCC de  
nouveaux  
médicaments**

ITCC #	Agent/Combo
ITCC-021	E
ITCC-024	P
ITCC-025	I
ITCC-027	E
ITCC-011	N
ITCC-015	V
ITCC-037	G
ITCC-033	M C
ITCC-034	I
ITCC-041	L
ITCC-022	V
ITCC-032	T
ITCC-045	V
ITCC-038	A
ITCC-047	R
ITCC-044	D
ITCC-050	L
ITCC-036	P
ITCC-049	A
ITCC-0xx	N
ITCC-0xx	M
ITCC-0xx	M
ITCC-0xx	T



**PI B Geoger**



**Déposé à l'ANSM le 18 février à 15h40**





- Essai de Phase I/II
- Vague 1: 5 nouveaux médicaments, 7 bras de traitement

		<b>Nouveau</b>		
A	Novartis	Ribociclib	+	everolimus
B	Novartis	Ribociclib	+	chimiothérapie
C	AstraZeneca	AZD1775	+	chimiothérapie
D	AstraZeneca	Olaparib		chimiothérapie
E	AstraZeneca	AZD2014		
F	AstraZeneca	AZD2014	+	chimiothérapie
G	BMS	Nivolumab	+	cyclophosphamide/RT

- 300 enfants 3 ans
- Tous les patients auront un profil moléculaire
- Inclusion même si absence d'altérations moléculaires



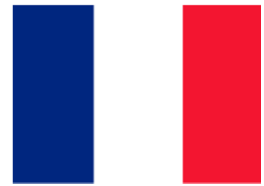
**Wave 1**  
**Q2 2016**



**Wave 2**  
**Q4 2016**







# team



# The ITCC Precision Cancer Medicine program

## 1. Generate molecular profiling for each patient

### Molecular Matching Trials at relapse

WES, RNA seq, methylome  
immunophenotype

**INFORM** (Germany)



**MAPPYACTS**

(France, Spain, Italy, Israel, Ireland)



**iTHER** (Netherland)

**COMET** (UK)

2. **MATCH**

## 3. Evaluate drugs and combinations

**Phase 1 & 2 ITCC Trials**

(sponsored by industry and ISTs)

**MATRIX trial**

(Genentech/Roche)

**eSMART trial**

IST multi-agent from multi-company



## 4. Create

**European clinico –  
biological database**

## 5. New knowledge

*new druggable pathways  
for specific pediatric drug development*

Innovative Therapies  
for Children with Cancer



# 2016

1. Lancer eSMART et introduire la deuxième vague de nouveaux médicaments
2. Projet Portrait Moléculaire Tumoral au diagnostic pour les pathologies à haut risque de rechute
3. Mettre en place un accès simple à l'information sur les essais ouverts
4. Structurer la base de données européenne