

INTRODUCTION

Le groupe de travail *Cancers Rares*

Anne-Paule GIMENEZ-ROQUEPLO

www.canceropole-idf.fr



Cancers rares : faciliter l'accès aux
thérapies innovantes

#KRARES



île de France

Missions

- Favoriser une recherche translationnelle et clinique autour des cancers rares en facilitant le développement de nouvelles méthodologies ;
- Soutenir l'action d'associations impliquées dans les cancers rares, en particulier en favorisant les interactions associations/chercheurs ;
- Proposer des actions d'animation scientifique autour des cancers rares dans le but de faire progresser la recherche sur ce type de cancer, mais également de faciliter le transfert des connaissances sur les différents types de cancers.

5 axes ont été définis pour 2015

- Axe 1** Définition/Liste des Cancers Rares
- Axe 2** Liens avec les associations de patients
- Axe 3** Liens avec les industriels
- Axe 4** Actions structurantes
- Axe 5** Communication

Composition du GT

- Alexandre Andlauer** Président de l'association 'Franck, un rayon de soleil'
- Jérôme Bertherat** Coordonnateur du réseau national de référence COMETE-CANCER
- Claire Blesbois** Présidente de l'association 'VHL France'
- Franck Bourdeaut** Pédiatre à l'Institut Curie
- Brigitte Bressac** Généticienne à Gustave Roussy
- Jean-François Emile** Anatomopathologiste à l'Hôpital Ambroise Paré
- Judith Favier** Directrice de recherche à l'INSERM
- Anne-Paule Gimenez-Roqueplo** Généticienne à l'hôpital européen Georges Pompidou
- Michel Kalaramides** Neurochirurgien à l'hôpital de la Pitié-Salpêtrière
- Stéphane Richard** Coordonnateur du réseau national de référence PREDIR
- Jean-Yves Scoazec** Coordonnateur du réseau anatomopathologique TENpath

Enquête Cancers Rares

Dans le cadre du Plan Cancer 2014-2019, le Cancéropôle Ile de France a décidé de soutenir la recherche sur les Cancers Rares et mis en place un groupe de travail qui souhaite recenser les équipes et chercheurs travaillant sur un cancer rare en Ile de France afin d'accroître leur visibilité.

- 1. Menez-vous des recherches sur un/des cancer(s) rare(s) ?*
- 2. Sur quel(s) type(s) de cancer(s) rare(s) travaillez-vous ?*
- 3. Donnez 5 mots clés caractérisant vos recherches*
- 4. Quelles sont vos coordonnées ?*
- 5. Acceptez-vous que vos coordonnées soient accessibles sur le site web du Cancéropôle?*
- 6. Quels sont les difficultés/besoins inhérents à la thématique 'cancers rares' de votre recherche que vous souhaiteriez partager avec le GT ?*



■ Définition/liste des cancers rares

- On considère un cancer comme étant rare si son **incidence annuelle est inférieure à 6 cas pour 100 000 habitants**.
- La liste des **cancers rares solides de l'adulte** a été établie d'après la classification **publiée en 2011 par le groupe RARECARE**.
- A ces cas, s'ajoutent les **formes héréditaires de cancers**, ainsi que **la plupart des cancers pédiatriques** (liste basée sur **International classification of children cancer**, 2005).
- Liste disponible sur <http://www.canceropole-idf.fr/gt-cancers-rares/annuaires>

Projet EXORARE

Mise en place d'une RCP moléculaire de recours dans les cancers rares solides

Projet de recherche en soins

Objectif principal :

Evaluer l'impact du séquençage complet des exons couplé au séquençage d'ARN dans la prise en charge des patients adultes atteints de cancers rares solides dans deux structures hospitalières (l'Assistance Publique des hôpitaux de Paris et l'Institut Gustave Roussy), qui ont déjà mis en place des RCPs similaires pour les cancers fréquents dans le cadre des plateformes omiques développées avec le soutien du Cancéropôle Ile de France dans le cadre de la mission M6 plateformes du plan Cancer 3.

Objectifs secondaires :

- Evaluer la faisabilité de ce type d'approche pour les cancers rares
- Evaluer l'utilisation de plateformes techniques, dédiées en premier lieu aux cancers fréquents, pour les patients atteints de cancers rares.
- Etablir des comparaisons (type de variations génétiques actionnables, pratique de la médecine personnalisée, etc..) entre les différents cancers rares et entre les cancers rares et les cancers fréquents.

Ce projet réunira l'Assistance Publique Hôpitaux de Paris et l'Institut Gustave Roussy et s'adossera à différents Centres Experts INCa 'Cancers rares'. Il se focalisera en première intention sur ***des cancers rares pour lesquels il existe une expertise en recherche clinique et académique en Île de France.***

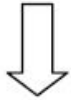
Il s'agit

- des tumeurs cérébrales primitives rares (Centre de référence POLA, sites APHP et IGR)
- des corticosurrénales, paragangliomes et phéochromocytomes malins (Centre de référence COMETE-Cancer, sites APHP & IGR)
- des cancers de la thyroïde réfractaires (Centre de référence TUTYREF, sites APHP & IGR)
- des cancers du rein héréditaires et des cancers rares du rein (Centres de référence PREDIR & CARARE, sites APHP & IGR)
- des histiocytoses (centre de références des histiocytoses, hôpital de la Pitié-Salpêtrière).

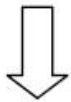
Critères d'inclusion :

- Patient atteint d'un des cancers concernés
- Résistance de la néoplasie au traitement de référence, avec risque vital
- Espérance de survie > 3 mois.
- Disponibilité de tissu tumoral congelé primitif et métastatique (lorsque le primitif est identifiable)
- Signature d'un consentement "exome"

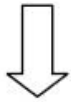
RCP moléculaire



Consultation d'Oncogénétique



Plateforme



RCP moléculaire



✓ **Présentation du dossier en RCP moléculaire**

✓ Si accord de la RCP, prise de rendez-vous pour **consultation d'oncogénétique rapide** pour information et signature d'un consentement informé 'exome' et prélèvement sanguin (ADN constitutionnel)



✓ **Envoi des échantillons à la plateforme** (Oncomolpath HEGP ou BMO IGR)

✓ Extraction des acides nucléiques et/ou qualification

✓ Séquençage et analyse bioinformatique

✓ Interprétation des variations génétiques identifiées

✓ **Discussions des résultats et des options thérapeutiques en RCP moléculaire**

✓ Recueil des données cliniques d'inclusion et de suivi par l'intermédiaire du Centre expert

✓ Consultation d'oncogénétique si mutation incidente découverte chez un patient souhaitant être informé

■ Communication: Mini-site Cancers Rares

<http://cancersrares.canceropole-idf.fr>



GROUPES DE TRAVAIL CANCERS RARES

ANNUAIRES

ASSOCIATIONS DE PATIENTS

LIENS UTILES

RETOUR SUR LE SITE DU CIDF

Colloque

CANCERS RARES

FACILITER L'ACCÈS AUX THÉRAPIES INNOVANTES

REMERCIEMENTS

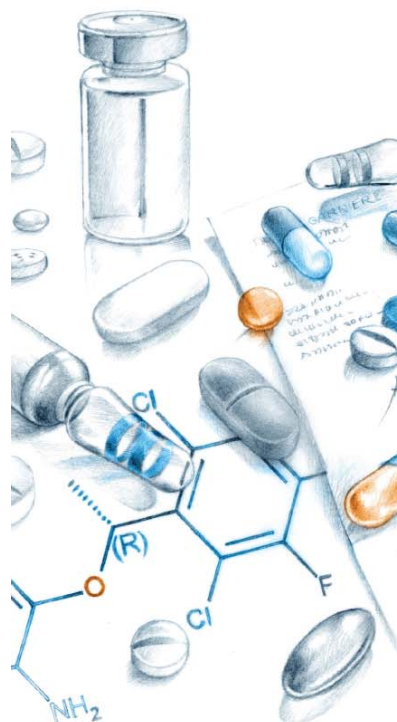
à ceux qui ont construit
le programme

à ceux qui vont intervenir
pendant cette journée

à ceux qui vont animer
cette journée

à Charlotte RICHARD

à Pascale GRAMAIN



JEUDI 24 MARS 2016
9H00 - 16H30

ESPACE VOCATION RÉPUBLIQUE
22 RUE RENÉ BOULANGER
75010 PARIS

 #KRARES

Les chercheurs et cliniciens travaillant sur les cancers rares se retrouvent confrontés à des difficultés propres à leur thématique.

L'objectif de la journée est de permettre aux chercheurs, cliniciens et industriels d'envisager de nouvelles manières de favoriser l'accès aux nouvelles molécules pour les patients atteints et pour la recherche sur les cancers rares.

Les problèmes étant notamment de nature réglementaire, des représentants des agences de santé participeront aux discussions afin de réfléchir à des mécanismes facilitateurs.

La journée abordera les questions suivantes :

1. Peut-on adapter le chemin de décision dans les laboratoires pharmaceutiques à la problématique des cancers rares ?
2. Peut-on faciliter la délivrance des traitements innovants pour les cancers rares ?