

## COMMUNIQUÉ DE PRESSE

Villejuif, le 2 septembre 2025

# SEPTEMBRE EN OR : UNE RECHERCHE AMBITIEUSE POUR DÉFIER LE PRONOSTIC DES CANCERS PÉDIATRIQUES INCURABLES

Acteur historique dans la lutte contre les cancers de l'enfant et de l'adolescent, Gustave Roussy a permis des avancées majeures dans la compréhension et le traitement des tumeurs pédiatriques, qui touchent plus de 2 500 jeunes chaque année en France. La recherche a déjà permis de nombreux progrès mais les chercheurs et les équipes médicales restent mobilisés pour guérir les 20 % de patients qui perdent encore le combat face à la maladie. Focus sur deux programmes de recherche dédiés à des tumeurs encore incurables menés par Gustave Roussy, qui s'est engagé à guérir le cancer de l'enfant au 21<sup>e</sup> siècle.

Septembre, mois de sensibilisation dédié aux cancers pédiatriques, est l'occasion chaque année de mobiliser le grand public derrière un objectif commun : guérir le cancer de l'enfant au 21<sup>e</sup> siècle. Cette édition 2025 sera marquée par un *Goûter en or* organisé au Jardin d'Acclimatation à Paris, ainsi que par deux campagnes, l'une digitale et l'autre d'appel aux dons, respectivement nommées « *Petits héros, grandes victoires* » et « *De la grande médecine pour les plus petits patients* ».

À Gustave Roussy, la mobilisation des soignants et des chercheurs est constante tout au long de l'année. Cet effort de chaque instant est possible grâce à la générosité du public et des grands mécènes de l'Institut. La campagne « *Guérir le cancer de l'enfant au 21<sup>e</sup> siècle* », portée par la Fondation Gustave Roussy sous l'impulsion de Frédéric Lemos et le parrainage du président Nicolas Sarkozy, a permis depuis 2017 de collecter plus de 20 millions d'euros.

L'un des grands défis de la médecine reste de traiter les cancers pédiatriques encore incurables. Pour répondre à cet enjeu, deux projets de recherche ont été lancés à Gustave Roussy pour développer de nouvelles approches thérapeutiques et améliorer le pronostic de tous les enfants atteints par ces pathologies.

## D'importants progrès dans la compréhension des gliomes

Le Dr Jacques Grill, onco-pédiatre à Gustave Roussy, dirige le seul laboratoire en France entièrement dédié aux gliomes pédiatriques, la tumeur cérébrale la plus répandue chez les enfants et les adolescents. Son équipe se concentre en particulier sur le gliome infiltrant du tronc cérébral (GITC ou DIPG en anglais), une tumeur au pronostic très sombre.

Les travaux du Dr Grill et de son équipe dans le cadre du programme BIOMEDE sont internationalement reconnus et ont contribué à faire évoluer les connaissances sur les GITC. Depuis 2014, BIOMEDE a permis, grâce notamment aux soutiens de la campagne « *Guérir le cancer de l'enfant au 21<sup>e</sup> siècle* » et des associations de patients comme Imagine for Margo :

- D'établir que le gliome infiltrant du tronc cérébral n'est pas une pathologie uniforme, mais qui réunit quatre sous-types différents, comme l'a depuis reconnu l'OMS dans une nouvelle classification.
- De mener à bien l'essai clinique BIOMEDE 1.0 (2014-2019), qui a permis de démontrer l'intérêt de la biopsie au diagnostic pour les patients touchés par cette tumeur. Sur les 233 enfants inclus dans ce premier essai, quatre peuvent aujourd'hui être considérés comme guéris, une première mondiale dans cette pathologie.
- D'ouvrir l'essai clinique BIOMEDE 2, l'unique essai clinique comparatif international dédié aux gliomes du tronc cérébral et de la ligne médiane, pour évaluer l'ONC201, un traitement innovant, en comparaison à l'everolimus, le standard actuel.
- De produire dans la pharmacie de Gustave Roussy et de mettre à disposition des patients traités en France et en Europe l'ONC201 dans le cadre d'un protocole d'utilisation thérapeutique compassionnel développé avec l'ANSM et les associations de patients.
- De préparer l'essai BIOMEDE 3, qui proposera des traitements encore plus personnalisés aux enfants atteints de tumeurs du tronc cérébral en s'appuyant sur les données collectées lors des précédents essais cliniques.

Parallèlement, l'équipe du Dr Grill travaille au développement d'un nouveau traitement ciblant une protéine qu'ils ont découvert en 2019 : VRK3. Identifiée comme vitale à la survie des cellules tumorales du gliome infiltrant du tronc cérébral, cette protéine représente une vulnérabilité prometteuse. Dans des modèles précliniques, son inhibition a entraîné la mort rapide des cellules cancéreuses. L'objectif est désormais de développer un médicament ciblant VRK3 pour ouvrir une nouvelle voie thérapeutique contre le GITC.

## **Association inédite de deux thérapies cellulaires**

Le neuroblastome est la tumeur solide non-cérébrale la plus fréquente chez le jeune enfant. Grâce aux avancées de l'immunothérapie, 80 % des enfants malades sont aujourd'hui guéris. Mais pour les enfants atteints d'une forme réfractaire ou en rechute, il n'existe encore aucune solution thérapeutique efficace.

Actuellement, les recherches se concentrent sur les traitements par cellules CAR-T, qui consistent à modifier les lymphocytes du patient afin qu'ils reconnaissent et détruisent plus efficacement les cellules cancéreuses. Utilisée avec succès contre certains cancers du sang, cette approche a été adaptée en Italie au traitement des neuroblastomes réfractaires, en ciblant la molécule GD2 présente à la surface des cellules tumorales. Les résultats sont prometteurs, mais durables chez seulement un tiers des patients : les CAR-T anti-GD2 peinent en effet à persister dans l'organisme.

À Gustave Roussy, les équipes de la Dr Laurie Menger et du Pr Florent Ginhoux ont conçu une thérapie cellulaire inédite : associer des cellules CAR-T GD2 à des macrophages modifiés, appelés CAR-iMAC.

Ces macrophages, produits en laboratoire à partir d'un simple échantillon de peau reprogrammé en cellules souches pluripotentes induites (iPSC), sont modifiés pour cibler eux aussi la molécule GD2. Leur rôle : remodeler le microenvironnement tumoral afin de le rendre plus favorable à l'action des CAR-T et prolonger leur efficacité.

Administrées conjointement, les cellules CAR-T GD2 et les CAR-iMAC semblent agir en synergie. Les premiers résultats en laboratoire confirment que cette combinaison améliore l'efficacité des CAR-T contre le neuroblastome.

Cette approche, encore au stade expérimental, ouvre de nouvelles perspectives pour renforcer l'efficacité des thérapies cellulaires chez les enfants sans autre option de traitement.

---

#### **À propos de Gustave Roussy**

Classé premier centre français, premier européen et quatrième au niveau mondial, Gustave Roussy constitue un pôle d'expertise globale entièrement dédié aux patients vivant avec un cancer. L'Institut est un pilier fondateur du biocluster en oncologie Paris-Saclay Cancer Cluster. Source d'innovations thérapeutiques et d'avancées diagnostiques, l'Institut accueille chaque année près de 50 000 patients dont 3 500 enfants et adolescents et développe une approche intégrée entre recherche, soins et enseignement. Expert des cancers rares et des tumeurs complexes, Gustave Roussy traite tous les cancers, à tous les âges de la vie. Il propose à ses patients une prise en charge personnalisée qui allie innovation et humanité, où sont pris en compte le soin mais aussi la qualité de vie physique, psychologique et sociale. Avec 4 100 salariés répartis sur deux sites, Villejuif et Chevilly-Larue, Gustave Roussy réunit les expertises indispensables à une recherche de haut niveau en cancérologie ; 40 % des patients traités sont inclus dans des études cliniques. Pour en savoir plus sur Gustave Roussy et suivre les actualités de l'Institut : [www.gustaveroussy.fr](http://www.gustaveroussy.fr), [X](#), [Facebook](#), [LinkedIn](#), [Instagram](#).

#### **CONTACTS PRESSE**

##### **GUSTAVE ROUSSY :**

Claire Parisel et Léona Pinto – [presse@gustaveroussy.fr](mailto:presse@gustaveroussy.fr) – Tél. +33 1 42 11 50 59 – +33 6 17 66 00 26