

Leucémies pédiatriques en 2019 : des progrès majeurs, mais restons mobilisés pour continuer à avancer !

Pediatric leukemias in 2019: Major progress, but remain mobilized to keep moving forward!

Arnaud Petit^{1,2,3}

¹ Hôpital Armand Trousseau, Service d'hématologie et d'oncologie pédiatrique, 26 avenue du Dr Arnold Netter, 75012 Paris

² Sorbonne Université, Sorbonne Université, UMRS_938, CDR Saint-Antoine, GRC n°07, GRC MyPAC, Paris

³ CONECT-AML (Collaborative Network for Children and Teenagers with Acute Myeloid Leukemia)

<arnaud.petit@aphp.fr>

L'hématologie pédiatrique est une discipline dynamique en évolution constante, qui mobilise sans relâche les communautés scientifiques, médicale et associative, tant les attentes sont grandes en termes d'amélioration du taux de guérison, mais également de qualité de guérison.

Cette discipline a su bénéficier régulièrement depuis quarante ans des avancées de la biologie et de la recherche clinique. Elle profite dans notre pays d'un solide réseau de cliniciens, chercheurs et biologistes, rassemblés aujourd'hui au sein du comité leucémies de la Société Française de lutte contre les Cancers et les leucémies de l'Enfant et de l'adolescent (SFCE) lui permettant de mener des projets ambitieux. Sous l'impulsion de l'Institut National du Cancer (INCa), la France s'est dotée d'un outil original, les réunions de concertation pluridisciplinaire interrégionales (RCPPI), qui permet à chaque enfant traité sur le territoire de bénéficier de l'expertise collégiale de plusieurs spécialistes, lui garantissant de recevoir le traitement le plus adapté. Pour faire face aux situations rares, certaines réunions de concertation pluridisciplinaire (RCP) nationales de recours se sont également mises en place.

Pour assurer à l'enfant malade et sa famille un traitement au plus près de son domicile, des réseaux régionaux ville-hôpital se sont constitués pour limiter l'impact des traitements sur la qualité de vie.

Si les progrès permettent désormais de guérir plus de 85 % des enfants et

adolescents (< 15 ans) atteints de LAL, et plus de 70 % des enfants et adolescents (< 15 ans) atteints de LAM, l'effort de recherche doit être maintenu par une politique ambitieuse visant à défendre les intérêts des enfants et des adolescents malades.

L'un des sujets principaux est l'accès aux nouveaux traitements en pédiatrie, dont le développement reste trop lent, du fait d'une recherche portée très majoritairement sur les patients adultes. Si l'Europe a su montrer l'exemple et innover en créant un dispositif incitant les industriels à développer des nouveaux médicaments chez l'enfant, les délais entre les premiers essais chez l'adulte et l'accès à l'enfant doivent être raccourcis drastiquement.

Malgré les imperfections de ce dispositif, l'hématologie pédiatrique a bénéficié ces dernières années de l'émergence de l'immunothérapie et des thérapeutiques ciblées, véritables révolutions dans l'approche thérapeutique des leucémies pédiatriques. Guérir d'une leucémie sans chimiothérapie est devenu une réalité, comme par exemple dans les LAM à promyélocytes grâce à la combinaison ATRA/Arsenic.

Guérir certaines formes de leucémies aiguës lymphoblastiques de la lignée B réfractaires ou en rechute, hier encore au-delà de toutes ressources thérapeutiques, est aujourd'hui possible grâce aux divers anticorps monoclonaux (bispécifiques ou couplés à la chimiothérapie) ou grâce à la thérapie cellulaire par « *CART Cells* ».

Ces innovations sont sources d'un espoir infini, mais leurs coûts est tel

que leur utilisation non maîtrisée pourrait rapidement mettre en péril notre dispositif d'assurance maladie. Si leur intégration est clairement établie pour certains traitements et dans des indications très particulières, leur place reste encore à définir plus globalement dans l'arbre décisionnel complexe des différentes stratégies thérapeutiques de prise en charge des leucémies pédiatriques. Aujourd'hui, ces innovations ont principalement bénéficié aux LAL de la lignée B, mais les attentes sont majeures pour parvenir à les intégrer dans la prise en charge des LAM et des LAL T pédiatriques, pour lesquelles les traitements « de sauvetage » en cas de maladies réfractaires ou en rechute manquent cruellement.

Pour avancer et accélérer l'innovation, les collaborations européennes et internationales existantes doivent se renforcer, en intégrant à nos côtés les associations de parents et de patients. Ces dernières participent de plus en plus aux réflexions sur la recherche aux côtés des médecins et assurent un relais efficace auprès des gouvernements pour les convaincre de faire évoluer la loi ou pour maintenir les budgets nécessaires à une recherche ambitieuse en oncologie et en hématologie pédiatriques. Elles sont également aux côtés des pédiatres

pour convaincre nos tutelles que les patients guéris justifient d'une attention particulière nécessitant un suivi à long terme, afin de réduire l'impact potentiel des séquelles liées aux traitements. Enfin, des réflexions doivent être menées pour mieux accompagner les fratries, qui dans les familles touchées par le drame d'une telle maladie, sont des victimes collatérales qui sont également impactées mais restent encore trop souvent ignorées.

Ce dossier consacré aux leucémies pédiatriques vise à partager les connaissances actuelles sur la biologie des cellules leucémiques, à faire le point sur les approches thérapeutiques actuelles, à présenter les innovations thérapeutiques et à faire connaître les moyens mis en œuvre pour favoriser la recherche. Une place importante est accordée à l'accompagnement des patients et des familles au quotidien, à la nécessité du suivi prolongé des patients guéris, au questionnement éthique de la recherche et à la place grandissante des associations de parents et anciens patients.

Liens d'intérêts : l'auteur déclare n'avoir aucun lien d'intérêt en rapport avec l'article.