

## ASCO 2025 / Nouvelle thérapie ciblée prometteuse dans des cancers pédiatriques très rares

Certaines tumeurs pédiatriques très rares, en particulier du système nerveux central, présentent des anomalies spécifiques au niveau du gène ALK. L'étude de phase 1/2 iMATRIX révèle qu'une thérapie ciblée de nouvelle génération agissant sur ces altérations (l'alectinib) est une option thérapeutique prometteuse pour les enfants atteints de ces cancers. Les résultats de cette étude sont présentés le 31 mai 2025 en communication orale au congrès de l'ASCO par le Pr François Doz, pédiatre oncologue, directeur adjoint de la recherche clinique, de l'innovation et de l'enseignement du centre SIREDO<sup>1</sup> de l'Institut Curie, coordonnateur de l'étude iMATRIX.

Chez les enfants et les adolescents, les tumeurs malignes présentant des fusions au niveau du gène ALK – telles que certains gliomes infantiles de haut grade et certains sarcomes – sont des cancers de mauvais pronostic. Les tumeurs myofibroblastiques inflammatoires (non malignes mais localement envahissantes) présentent également souvent ce type de fusion. **Avec moins de 10 cas par an en France, ces cancers pédiatriques sont très rares.**

**Dans ce contexte, l'alectinib est un inhibiteur oral de nouvelle génération de l'oncogène ALK, très spécifique.** Les inhibiteurs de ALK ont été évalués dans certains cas de tumeurs de l'enfant : les lymphomes anaplasiques à grandes cellules (présentant une fusion de ALK) et certains cas de neuroblastomes (en cas de mutation ou amplification de ALK) mais pas dans les tumeurs rares du système nerveux central ou certains sarcomes.

### Un essai précoce révélant une bonne tolérance et des résultats d'efficacité très prometteurs

L'étude multicentrique de phase I/II iMATRIX vise à **évaluer l'innocuité et l'efficacité de l'alectinib chez les patients de moins de 18 ans atteints de tumeurs solides ou du système nerveux central présentant des fusions de ALK** et pour qui les traitements antérieurs se sont avérés inefficaces. Autre objectif de l'étude : confirmer la dose recommandée pour la poursuite en phase 2 de l'essai clinique et recueillir les données pharmacocinétiques du médicament.



*« L'alectinib a été bien toléré chez les jeunes patients atteints de ces tumeurs avec fusion de ALK qui sont très rares et difficiles à traiter. Et surtout, les résultats d'efficacité, bien qu'encore très préliminaires, sont prometteurs. En démontrant un profil bénéfice-risque favorable, nous allons travailler à la poursuite de l'évaluation clinique de ce médicament »,* déclare le **Pr François Doz**.

Au total, 22 enfants ont participé à l'étude. Les résultats d'efficacité clinique sont très bons : la majorité des patients a présenté une réponse anti-tumorale (un taux de réponse globale de plus 87,5 % chez 16 patients, une stabilisation de la maladie pour 2 enfants). Par ailleurs, l'alectinib présente un profil de sécurité favorable chez ces patients pédiatriques.

---

<sup>1</sup> Le **centre SIREDO (Soins, Innovation, Recherche, en oncologie de l'Enfant, de l'adolescent et de l'adulte jeune) de l'Institut Curie** est l'un des plus grands centres européens de prise en charge et de recherche sur les cancers de l'enfant, de l'adolescent et de l'adulte jeune. Chaque année, plus de 700 jeunes patients, dont 390 nouveaux patients, sont pris en charge au sein de SIREDO.

## Le gène ALK : des recherches pionnières à l'Institut Curie

Les équipes de l'Institut Curie ont acquis **une expertise internationale dans l'étude du gène ALK (pour Anaplastic Lymphoma Kinase) et de ses anomalies, à l'origine de certains cancers pédiatriques**. Ainsi, les **inhibiteurs « anti-ALK »** constituent une stratégie thérapeutique contre différents types de tumeurs, en particulier pédiatriques.

**C'est en 2008, à l'Institut Curie, que le Dr Olivier Delattre, directeur de SIREDO et le Dr Isabelle Janoueix, directrice de recherche à l'Inserm et cheffe d'équipe à l'Institut Curie ont mis en évidence le gène ALK et son implication dans le neuroblastome** (la tumeur maligne solide extra-crânienne la plus fréquente chez les enfants). Depuis, les recherches ne cessent d'avancer dans le domaine, en particulier grâce aux travaux du Dr Gudrun Schleiermacher, pédiatre et directrice adjointe à la recherche translationnelle du centre SIREDO de l'Institut Curie. Dans les neuroblastomes, on observe le plus souvent des mutations ou des amplifications du gène ALK tandis que les fusions du gène ALK sont extrêmement rares dans cette pathologie.

L'étude iMATRIX-alectinib présentée à l'ASCO 2025, concerne des enfants atteints de tumeurs solides et de tumeurs du système nerveux central avec fusion du gène ALK. L'Institut Curie prend en charge ces cancers et dispose de toutes les ressources pour étudier, scruter, analyser les fusions de ALK, notamment à travers l'unité de génétique somatique au sein du service de pathologie de l'Institut Curie.

*« La force de l'Institut Curie, et du centre SIREDO pour ce qui concerne les cancers pédiatriques, c'est ce dialogue constant entre recherche fondamentale, translationnelle et clinique. C'est cette synergie vertueuse qui permet d'innover et d'accélérer la recherche pour nos jeunes patients », conclut le Pr François Doz.*

*Alectinib in children and adolescents with solid or CNS tumors harboring ALK-fusions: A data update from the iMATRIX alectinib phase I/II open-label, multi-center study. Oral abstract session - Pediatric Oncology, 31 mai 2025. Pr François Doz*

### Contacts presse :

Elsa Champion – [elsa.champion@curie.fr](mailto:elsa.champion@curie.fr) / 07 64 43 09 28  
Sao-Maï Petitjean - [sao-mai.petitjean@havas.com](mailto:sao-mai.petitjean@havas.com) / 06 74 37 10 92

### A propos de l'Institut Curie

L'Institut Curie, 1er centre français de lutte contre le cancer, associe un centre de recherche de renommée internationale et un ensemble hospitalier de pointe qui prend en charge tous les cancers y compris les plus rares. Fondé en 1909 par Marie Curie, l'Institut Curie rassemble sur 3 sites (Paris, Saint-Cloud et Orsay) 3 800 chercheurs, médecins et soignants autour de ses 3 missions : soins, recherche et enseignement. Fondation reconnue d'utilité publique habilitée à recevoir des dons et des legs, l'Institut Curie peut, grâce au soutien de ses donateurs, accélérer les découvertes et ainsi améliorer les traitements et la qualité de vie des malades. Pour en savoir plus : [curie.fr](https://www.curie.fr) ; [Facebook](#), [LinkedIn](#), [Instagram](#), [Bluesky](#)