

## FICHE CANCER DU NOURRISON

### Fibrosarcome infantile : des thérapeutiques ciblées 80 % plus efficaces que les chimiothérapies conventionnelles

**Le fibrosarcome infantile est un sarcome des tissus mous de l'enfant, qui touche des nouveau-nés et nourrissons âgés en moyenne de moins de trois mois.** Pour le traiter, si la chirurgie n'est pas possible, deux options sont envisageables : une chimiothérapie conventionnelle ou une nouvelle thérapeutique ciblée nommée larotrectinib. Ce médicament vise de manière très spécifique les tumeurs porteuses d'une anomalie génétique, quasi constante dans les cellules du fibrosarcome infantile, le gène NTRK (*neurotrophic tyrosine receptor kinase*).



© Institut Curie / LOMBARDI Pedro

### La première étude comparative entre le larotrectinib et la chimiothérapie

Afin de bien caractériser les bénéfices de cette nouvelle molécule, l'équipe du Dr Daniel Orbach, chef du service clinique d'oncologie pédiatrique, adolescents et jeunes adultes du centre SIREDO (Soins, Innovation, Recherche en oncologie de l'Enfant de l'adolescent et de l'adulte jeune) de l'Institut Curie, a comparé cette thérapeutique ciblée avec les chimiothérapies conventionnelles utilisées historiquement, dans le cadre d'une étude (EPI-VITRAKVI). Les résultats sont sans appel.

**« Il y a 80 % fois moins de risques de rechute et de nécessité de traitement complémentaire, comme une radiothérapie, une amputation ou un traitement de deuxième ligne, avec le larotrectinib »,** explique le Dr Daniel Orbach. **« C'est d'autant plus intéressant que le nouveau médicament est, en plus, beaucoup plus simple à administrer que la chimiothérapie : une cuillère de sirop donnée matin et soir à domicile par les parents aux tout-petits, contre la pose d'un cathéter central et des injections de chimiothérapie chaque semaine en hôpital de jour. »**

### Un meilleur traitement pour tous les enfants atteints par le fibrosarcome infantile en France

Le Dr Daniel Orbach, avec l'aide de Bayer, le laboratoire qui a développé la molécule, a présenté ces résultats prometteurs auprès de la Haute Autorité de Santé (HAS), ce qui a conduit à autoriser le remboursement du larotrectinib en France dès mars 2023. **« Cela signifie que tous les nourrissons avec cette tumeur des tissus mous en France peuvent bénéficier de la nouvelle molécule »,** s'enthousiasme le pédiatre. **« Jusqu'alors, la thérapeutique ciblée était proposée uniquement dans le cadre d'un protocole prospectif, baptisé SCOUT, qui se déroulait principalement en Ile-de-France. »**

Aujourd'hui, les recherches se poursuivent. Il convient de vérifier si la molécule n'apporte pas d'effets indésirables dans la durée. **« L'étude se poursuit également afin d'analyser l'efficacité du larotrectinib pour des patients présentant d'autres tumeurs portant l'anomalie NTRK, comme des cancers communs de l'adulte ou des tumeurs cérébrales chez l'enfant »,** conclut le Dr Daniel Orbach.

Communication orale / - Session SOFT TISSUE SARCOMAS, 14 octobre 2023 - Dr Daniel Orbach - Comparison of Clinical Outcomes of Patients With Infantile Fibrosarcoma Treated With Larotrectinib in the SCOUT Study Versus Historical Cohort - THE EPI-VITRAKI STUDY

## La régression spontanée reste très rare dans le fibrosarcome infantile

Le fibrosarcome infantile est une tumeur maligne rare (4,3 cas/million d'enfants/an) qui survient souvent chez des enfants de moins d'un an. Dès lors, il peut être tentant d'espérer une régression spontanée pour épargner des traitements à des nouveau-nés. Mais est-ce une bonne idée ? Pour le savoir, le **Dr Daniel Orbach et ses collègues ont recensé les cas de fibrosarcome infantile qui régressaient tout seuls en France, en Allemagne, à Dublin et dans une partie de l'Italie entre 2006 et 2016. Résultat ? Moins de 5 % d'entre eux ont régressé spontanément.** « Dans la mesure où ce cancer dispose d'un bon pronostic, attendre de voir comment il évolue ne nous semble pas être l'option à privilégier, résume le Dr Daniel Orbach. Les tumeurs grossissent vite et même si elles métastasent peu, elles peuvent finir par nécessiter des chirurgies mutilantes. Retarder l'opération peut éventuellement se faire pour quelques semaines, pour laisser un peu de répit à un tout petit, mais dans la majorité des cas, la tumeur ne disparaîtra pas d'elle-même. »

Quant à savoir par quels mécanismes la régression spontanée du fibrosarcome infantile a parfois lieu, la question reste entière. Comme l'explique le médecin-chercheur, « il y a tellement peu de cas que les données manquent pour pouvoir étudier le sujet ».

Communication orale / Session INTERESTING SOLID TUMORS - 14 octobre 2023 -Dr Daniel Orbach – Does spontaneous infantile fibrosarcoma regression exist?