

SACHA - TKI - Sarcome

Titre	Expérience sur l'utilisation des inhibiteurs de tyrosine kinase multi-cible chez les enfants, adolescentes et jeunes adultes porteurs d'un sarcome en France
Investigateur	Pablo Berlanga
Statut	Clos
Pathologie	Sarcome

Descriptif

Les sarcomes sont un groupe rare et hétérogène de tumeurs solides avec plus de 50 types différents. Le traitement de première ligne reste la résection chirurgicale complète dans les sarcomes localisés associée à une radiothérapie/chimiothérapie néoadjuvante ou adjuvante selon le type histologique. Malgré les progrès des dernières décennies, de nouvelles thérapies sont nécessaires. Depuis les années 80, les recherches en biologie moléculaire ont permis d'élargir notre compréhension des réseaux complexes de transduction du signal qui régulent la croissance des cellules normales et malignes. Parmi les médicaments testés, les stratégies utilisant des inhibiteurs de tyrosine kinase (ITK) multi-cible avec des activités anti-angiogéniques ont montré une efficacité, même si limitée, dans le traitement des patients avec quelques sous-types de sarcomes, comme le régorafénib, cabozantinib, pazopanib, lenvatinib. Ces 4 ITK ont pour principale cible commune le récepteur du VEGF (vascular endothelial growth factor) qui joue un rôle crucial dans l'angiogenèse et donc dans la croissance et la dissémination des cellules malignes.

Chez les patients adultes, le pazopanib est le seul ITK actuellement approuvé par l'EMA/FDA pour les patients atteints de sarcome des tissus mous après l'échec d'autres traitements. Aucun ITK n'est approuvé chez les patients de moins de 18 ans. Par contre, suite aux données d'activité anti-tumorale rapportées et l'absence d'autres alternatives thérapeutiques, ces ITK sont souvent prescrits dans la vie réelle. Notamment, selon l'étude SACHA, ces ITK représentent la deuxième classe de médicaments hors AMM la plus prescrite chez les patients de moins de 25 ans sur la période 2020-2022 en France.

L'objectif principal de cette étude est d'analyser le profil de toxicité en vie réelle des ITK utilisés après la première ligne de traitement des sarcomes en France dans l'étude SACHA-France. Les objectifs secondaires sont d'analyser l'activité anti-tumorale de ces traitements.