

Journée internationale des cancers de l'enfant

Tumeurs cérébrales pédiatriques : les innovations de l'Institut Curie vers de nouvelles thérapies et moins de séquelles



A l'occasion de la 22^{ème} édition de la Journée Internationale du Cancer de l'Enfant le 15 février 2024, l'Institut Curie fait un focus sur les tumeurs cérébrales de l'enfant. Ces tumeurs rares qui touchent près de 500 nouveaux enfants chaque année en France sont biologiquement très différentes de celles des adultes et ont un pronostic très variable. A l'Institut Curie, chercheurs et médecins sont engagés dans des recherches prometteuses pour soigner toujours plus et mieux les enfants.

Chez les enfants de moins de 15 ans, les tumeurs cérébrales sont les cancers les plus fréquents après les leucémies¹. Ces cancers rares peuvent survenir au niveau du cerveau, du tronc cérébral, du cervelet ou de la moelle épinière. Il en existe de nombreux types : **tumeurs embryonnaires (médulloblastome et tumeurs térétoïdes rhabdoïdes atypiques (ATRT)), tumeurs gliales (ou gliomes), épendymomes** et encore plus rarement des tumeurs germinales, des tumeurs des plexus choroïdes, des méningiomes, des craniopharyngiomes... **Le traitement standard implique chirurgie, chimiothérapie, radiothérapie et en particulier protonthérapie.** Grâce à des propriétés de focalisation et d'irradiation très spécifique, la protonthérapie est particulièrement adaptée à ces tumeurs cérébrales pédiatriques situées dans des régions particulièrement sensibles et en développement. **Le Centre de protonthérapie à Orsay de l'Institut Curie est le 1^{er} centre en France et 3^e dans le monde pour cette prise en charge spécifique.**

A l'Institut Curie, au cœur du centre SIREDO², 1^{er} centre intégré de France dédié aux cancers touchant les moins de 25 ans, les travaux continus entre la recherche et la clinique ont permis des avancées considérables dans la lutte contre les tumeurs cérébrales pédiatriques.

Médulloblastome : explorer la biologie des tumeurs pour mieux les traiter

Le médulloblastome se développe dans le cervelet et est la tumeur cérébrale maligne la plus fréquente chez les enfants (un cas sur 20 000 enfants par an en France). A l'Institut Curie, plusieurs équipes s'attèlent à caractériser et mieux comprendre les mécanismes impliqués dans le développement du médulloblastome, un groupe de tumeurs très hétérogènes. **L'équipe Signalisation, développement et tumeurs cérébrales dirigée par le Dr Olivier Ayrault** met en œuvre des approches originales et pluridisciplinaires qui intègrent des données génomiques, transcriptomiques, protéomiques voire même métabolomiques grâce à des équipements ultraperfectionnés pour identifier de nouveaux mécanismes biologiques. En 2018, des travaux publiés dans *Cancer Cell*⁴ avaient décrits **pour la première fois l'implication de la protéine SRC dans le sous-groupe le plus répandu en clinique.** Aujourd'hui, les travaux se poursuivent : des études sont en cours pour évaluer comment cibler cette protéine SRC et élaborer de nouvelles stratégies thérapeutiques. Ces travaux sont menés en collaboration à l'échelle internationale (Allemagne, Angleterre, Canada, Japon et US) et en lien direct avec les équipes cliniques en France, en particulier dans le cadre du Paris Kids Cancer portés par l'AP-HP, Gustave Roussy et l'Institut Curie.

¹ [Les tumeurs cérébrales \(e-cancer.fr\)](http://e-cancer.fr)

² SIREDO pour Soins, Innovation, Recherche, en oncologie de l'Enfant, de l'adolescent

Une autre équipe de l'Institut Curie dirigée par le **Dr Celio Pouponnot s'intéresse à un sous-type agressif de médulloblastome nommé groupe 3 tout à fait particulier en décryptant les voies de signalisation en jeu au sein des cellules dans les processus tumoraux**. Les chercheurs ont notamment identifié un agent pharmacologique ciblant la voie TGFβ (voie de signalisation du facteur de croissance transformant bêta) comme étant d'intérêt thérapeutique dans ce sous-groupe de haut risque de médulloblastome. Les études se poursuivent à l'international sur l'importance du ciblage de cette voie.

Par ailleurs, **l'Unité de génétique somatique de l'Institut Curie est le laboratoire de référence national pour tous les essais cliniques européens sur le médulloblastome** et le Pr François Doz, directeur adjoint de la recherche clinique, l'innovation et l'enseignement de SIREDO est porteur national des essais cliniques européens sur les médulloblastomes de risque standard des enfants de plus de trois ans.

Elucider les origines héréditaires des tumeurs cérébrales pédiatriques

Autre terrain d'investigation des équipes de l'Institut Curie : la recherche de **potentielles prédispositions génétiques du médulloblastome**. Grâce un travail national collaboratif mené conjointement par les équipes de l'Institut Curie et de Gustave Roussy, le conseil génétique des familles d'enfants présentant des médulloblastomes dans le cadre d'une prédisposition pourra être plus adapté pour éviter les situations de stress inutiles et anticiper au plus près le risque familial réel.

L'espoir des immunothérapies dans les tumeurs rhabdoïdes cérébrales

Les tumeurs rhabdoïdes sont particulièrement rares, agressives et se développent pendant la petite enfance. Elles sont la plupart du temps observées dans le système nerveux central, **sous le nom de tumeurs rhabdoïdes térétoïdes atypiques (ATRT)** dont la survie globale ne dépasse pas les 40%. **L'équipe du Pr Franck Bourdeaut, pédiatre et chercheur, à l'Institut Curie a révélé en octobre 2023, grâce à la confrontation entre l'imagerie et des outils bioinformatiques appliqués à l'échelle de la cellule unique, différents progéniteurs neuronaux susceptibles d'être à l'origine de la mise en place de tumeurs ATRT**. Par ailleurs, d'autres travaux majeurs menés par le Pr Franck Bourdeaut, en collaboration avec les équipes des Dr Eliane Piaggio et Joshua Waterfall à l'Institut Curie, ont permis **d'identifier une réponse immunitaire d'origine épigénétique**, laissant entrevoir la possibilité de mener des essais cliniques dans le domaine. Une collaboration avec l'équipe du Dr Celio Pouponnot étudie comment l'irradiation de ces ATRT pourraient les rendre plus visibles par le système immunitaire et un essai clinique européen sur les tumeurs rhabdoïdes ATRT sera lancé dans le courant de l'année 2024 pour évaluer l'effet de cette irradiation.

Des tumeurs avec réarrangement de BCOR

Ces tumeurs avec réarrangement du gène BCOR sont des tumeurs embryonnaires rares qui apparaissent chez de jeunes enfants, sans traitement standard et avec un pronostic sombre. **A l'Institut Curie, l'équipe Biologie computationnelle et génomique intégrative du cancer dirigée par le Dr Florence Cavalli s'attèle à caractériser précisément ces tumeurs avec altération du gène BCOR**. En collaboration avec les équipes du Dr Raphaël Margueron, du Pr Franck Bourdeaut et de l'hôpital Saint-Anne, leur projet vise à mieux comprendre l'hétérogénéité tumorale de ces cancers agressifs afin d'identifier les mécanismes responsables de la progression de ces tumeurs pédiatriques rares et pour lesquelles il n'existe pas de traitement standard.

Chiffres clés

Les cancers pédiatriques en France

2283 nouveaux cas par an

1% de l'ensemble des cancers en France

83% de survie à 5 ans

Incidence des cancers pédiatriques

28% de leucémies

27% de tumeurs du système nerveux central dont tumeurs cérébrales

11% lymphomes

A l'Institut Curie

390 nouveaux patients par an

SIREDO, 1^{er} centre intégré en France dédié aux cancers touchant les moins de 25 ans

43 études cliniques en 2022

incluant **100 enfants et ados**

Source : [Les cancers pédiatriques en France \(e-cancer.fr\)](https://www.e-cancer.fr)

Contacts presse

Elsa Champion - elsa.champion@curie.fr / 07 64 43 09 28 /

Catherine Goupillon-Senghor - catherine.goupillon-senghor@curie.fr / 06 13 91 63 63

Joséphine Legrand - institutcurie@havas.com / 07 88 61 74 01

Mélany Mandikian - institutcurie@havas.com / 07 88 08 73 06

Retrouvez le nouvel [espace presse](#) de l'Institut Curie dédié aux journalistes

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) plus de 3 700 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, [Twitter](#), [Facebook](#), [LinkedIn](#), [Instagram](#)*