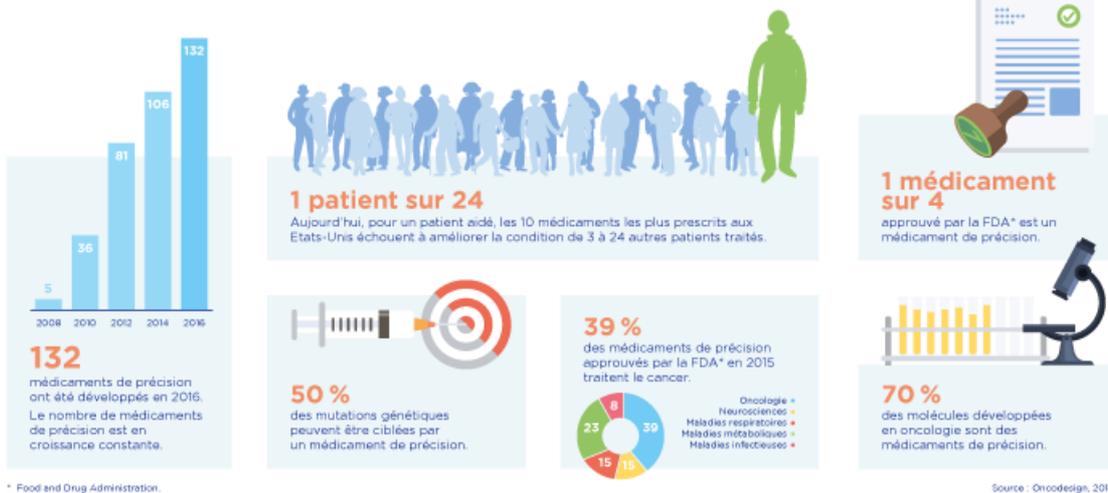


## Médecine de précision : en quoi accélère-t-elle le progrès thérapeutique ?

Au lieu de prescrire le même traitement à tous les patients atteints de la même pathologie, la médecine de précision repose sur la prescription du traitement le plus adapté à chaque patient. Des biomarqueurs pharmacogénomiques permettent notamment de cibler le traitement optimal pour chacun.

Aujourd'hui, 70 % des molécules développées en oncologie sont déjà des médicaments de précision.

### MÉDECINE DE PRÉCISION ET INTELLIGENCE ARTIFICIELLE : DÉJÀ UNE RÉALITÉ



### Chiffres

**6 500**

c'est le nombre de tests déterminants pour l'accès à une thérapie ciblée qui ont été effectués en 2016 à l'Institut Curie, structure pionnière en médecine de précision dans la lutte contre le cancer.

### Contexte

- Les réponses à un même traitement peuvent varier sensiblement d'un individu à l'autre. La médecine de précision, également appelée médecine personnalisée, a pour objectif de proposer au patient un traitement adapté aux caractéristiques de sa maladie, en considérant ce patient dans son environnement et avec ses habitudes de vie.
- La recherche en médecine de précision a permis d'identifier certains biomarqueurs. L'objet de la pharmacogénomique est précisément d'étudier l'effet des gènes sur la réponse aux médicaments. Les biomarqueurs pharmacogénomiques, qui permettent de prédire la réponse à un médicament ou sa toxicité, sont le

plus souvent des variants d'enzymes impliquées dans le métabolisme des médicaments, ou des protéines de transport des médicaments.

Ils sont utilisés pour éviter des surdosages suivis d'effets indésirables, éviter des sous-dosages et l'utilisation de certains médicaments chez des sujets à risque. [\(1\)](#)

- Ainsi, depuis le début des années 2000, les traitements du cancer ne sont plus décidés uniquement en fonction des caractéristiques anatomiques et cliniques (localisation et taille de la tumeur, stade de développement...). Les progrès du séquençage à haut débit ont en effet permis la mise au point de tests moléculaires diagnostics et de thérapies ciblées. Il est aujourd'hui possible d'identifier la cause de ces anomalies génomiques dans la tumeur.
- Une fois le portrait moléculaire dressé et les anomalies identifiées, les mutations dites « actionnables » orientent le choix du traitement vers la thérapie ciblée appropriée. 70 % des molécules développées en oncologie sont déjà des médicaments de précision.

## I Enjeux

- L'étude MOSCATO (Molecular Screening for Cancer Treatment Optimization), publiée le 1er avril 2017 dans la revue Cancer Discovery, a démontré que l'analyse du portrait moléculaire d'une tumeur cancéreuse permettait d'identifier la thérapie adaptée et d'améliorer le pronostic des patients face au cancer. Cette publication est le résultat des travaux de recherche d'équipes françaises (Gustave Roussy, Inserm, Université Paris-Sud). [\(2\)](#)
- « Les résultats de MOSCATO sont sans appel et tranchent en faveur des analyses génomiques pour optimiser les traitements du cancer », avait déclaré Jean-Charles Soria, alors chef du Département de l'innovation thérapeutique et des essais précoces (Ditep) de Gustave Roussy à l'occasion de cette publication. Et d'ajouter : « Dans cette étude, la carte génétique tumorale de 843 patients a été établie, ce qui représente l'analyse de milliers de gènes. Chez environ la moitié des patients ont été trouvées des mutations contre lesquelles il était possible d'agir. Au final, environ un quart des patients a pu recevoir une thérapie ciblée et chez 33 % de ces patients, la thérapie ciblée a freiné la maladie. »
- Dans le domaine cardiovasculaire, les stratégies antiplaquettaires personnalisées sont attendues pour bientôt, ainsi que des traitements personnalisés contre l'arythmie et l'athérosclérose. [\(3\)](#)

## I Nos Actions

- En cancérologie, 51 thérapies ciblées sont actuellement disponibles. [\(1\)](#)  
En dehors du cancer, d'autres pathologies peuvent aussi bénéficier de ces traitements de pointe. Un laboratoire a ainsi fabriqué un nouveau type d'anticholestérol, qui contient un anticorps permettant d'inhiber l'activité d'un gène dont on a découvert qu'il était le plus souvent inactif chez les individus ayant un taux de cholestérol bas.
- Par ailleurs, médecins et entreprises du médicament souhaitent favoriser un accès plus rapide aux traitements pour les patients en situation critique. Il convient, pour cela, d'agir pour que les patients puissent intégrer les essais cliniques le plus tôt possible afin de bénéficier des traitements prometteurs rapidement. En effet, avec le développement de la médecine de précision, c'est la cartographie génétique de la tumeur, et non le diagnostic histologique, qui va permettre de décider de l'inclusion d'un patient dans un essai clinique.
- Actuellement, l'ensemble des trois phases des essais cliniques prend une dizaine d'années.

Ce schéma n'est pas adapté à l'innovation. Par ailleurs, les essais cliniques traditionnels se concentrent sur une seule molécule dans une seule maladie.

Ce n'est plus compatible avec la logique des innovations expérimentales.

- Cette modification des grandes étapes de la recherche clinique passera par deux améliorations :
  1. en phase précoce, des essais limités en taille avec la possibilité d'une autorisation de mise sur le marché conditionnelle précoce ;
  2. une phase post-autorisation de mise sur le marché et de préremboursement d'expérimentation en situation semi-réelle de prescription.

(1). <https://curie.fr/actualite/medecine-de-precision/tout-savoir-sur-la-medecine-de-precision>

(2). <https://www.gustaveroussy.fr/fr/moscato-efficacite-de-la-medecine-de-precision>

(3). <https://www.ottawaheart.ca/fr/the-beat/2018/06/04/la-m%C3%A9decine-de-pr%C3%A9cision-plus-qu%E2%80%99un-terme-%C3%A0-la-mode>