

PUBLIÉ LE 02/11/2021 - MIS À JOUR LE 29/04/2026

L’ANSM et Gustave Roussy mettent en place un accès compassionnel d’un traitement innovant pour certaines tumeurs cérébrales chez l’enfant, l’adolescent et l’adulte

INNOVATION - ACCÈS DÉROGATOIRE

Actualisation du 29/04/2026

Un autre médicament à base de dordaviprone est accessible depuis avril 2026 pour le traitement d’enfants de plus de 10 kg, d’adolescents et d’adultes atteints de certaines tumeurs cérébrales malignes récidivantes.
Pour que les patients puissent en bénéficier, les prescripteurs doivent faire une demande d’accès compassionnel.

Ce médicament remplace les préparations magistrales d’ONC201.

- Consultez les critères d'accès et le PUT-SP pour Dordaviprone

Nous supprimons le PUT dans l’actualité ci-dessous, il n’est plus en vigueur.

Actualisation du 13/01/2025

Consultez la version actualisée du protocole d'utilisation thérapeutique

Grâce à un travail collaboratif entre l’ANSM, Gustave Roussy, l’INCa, la SFCE et l’ANOCEF, le produit ONC201 sera mis à disposition dans le cadre d’un accès compassionnel pour traiter la récidive de tumeurs cérébrales malignes de la ligne médiane chez les enfants, adolescents et adultes.

Les tumeurs gliales malignes de la ligne médiane sont des tumeurs cérébrales se développant principalement chez les enfants et les jeunes adultes. Leur pronostic est toujours défavorable avec une médiane de survie de 9 à 10 mois après le diagnostic.
Le traitement de première intention repose actuellement sur la radiothérapie **seule ou associée à everolimus**.
Après la rechute ou la progression sous radiothérapie, il n’existe pas de thérapeutique médicale connue comme efficace.

Le produit ONC201 actuellement à l’étude aux Etats-Unis et produit par un laboratoire pharmaceutique a montré des signaux d’efficacité chez des patients **en rechute** d’une tumeur cérébrale maligne de la ligne médiane (tumeurs du thalamus) avec mutation H3K27M.
Cependant, ONC201 n’est actuellement pas mis à disposition en dehors des Etats-Unis par le laboratoire exploitant.
Les patients en rechute qui n’ont pas de propositions d’essai clinique en France tentent de s’approvisionner à l’étranger par leurs propres moyens.

Compte-tenu du besoin thérapeutique non couvert et de la gravité de la maladie, l’ANSM a déployé de nombreuses actions en collaboration notamment avec l’association « Nathanaël, du Rêve et de l’Espoir », afin de mettre à disposition ONC201 en France pour les patients en rechute dans le cadre d’un **protocole d’utilisation thérapeutique compassionnel**.

Ainsi, ONC201 est désormais mis à disposition pour les patients français en rechute, après radiothérapie, d’une tumeur gliale maligne de la ligne médiane avec mutation H3K27M au travers de préparations magistrales fabriquées par la pharmacie de Gustave Roussy, à partir d’une matière première identifiée et qualifiée en partenariat avec les laboratoires de contrôle de l’ANSM. Le médecin référent prenant en charge le patient présentera le cas en **réunion de concertation pluridisciplinaire (RCP) moléculaire nationale** qui évaluera les possibilités thérapeutiques pour

chaque patient, adulte et enfant, afin de recommander la meilleure option thérapeutique, ONC201 ou un autre traitement en essai clinique, en particulier en fonction des résultats de séquençage de la tumeur. L'ONC201 sera uniquement accessible aux patients dont le dossier aura été évalué et validé par cette réunion nationale.

Cet accès compassionnel encadré est ouvert et permet d'offrir aux patients en rechute une possibilité de traitement supplémentaire. Il pourra être maintenu lorsque l'essai clinique BIOMEDE 2.0 sera ouvert aux inclusions en France, ce dernier étant destiné à des patients en **première intention de traitement**, en association avec la radiothérapie.
Le projet et le protocole de traitement ont été approuvés par la Société Française de lutte contre les Cancers et leucémies de l'Enfant et de l'adolescent (SFCE), l'Association des Neuro-Oncologues d'Expression Française (ANOCEF). L'avis d'associations de patients a été recueilli pour répondre au mieux aux besoins des patients et au mieux informer les patients et les familles.

Consulter la FAQ sur le site de Gustave Roussy