PUBLIÉ LE 08/01/2026 - MIS À JOUR LE 09/01/2026

Gustave Roussy et l'ANSM permettent à des patients atteints d'un cancer rare un accès sécurisé à un nouveau traitement

INNOVATION - ACCÈS COMPASSIONNEL

Le birabresib, qui cible une spécificité des carcinomes NUT, n'était jusqu'alors pas disponible aux enfants et adultes porteurs de ce cancer très agressif. Depuis le lundi 24 novembre, ce médicament, élaboré par le département de pharmacie de Gustave Roussy à coût réel, pourra après validation par une RCP moléculaire nationale hebdomadaire être prescrit à l'ensemble des patients français éligibles, dans le cadre sécurisé d'un protocole d'utilisation temporaire utilisé à titre exceptionnel. Ensemble, l'Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé (ANSM) et Gustave Roussy ont travaillé de manière rapprochée pour permettre un accès à des solutions thérapeutiques pour ces patients sans traitement. Les patients et leurs accompagnants ont également joué un rôle clé dans ce processus, contribuant à rendre cette avancée possible.

Les carcinomes NUT sont des tumeurs rares et agressives qui touchent majoritairement les jeunes adultes, avec un âge médian au diagnostic inférieur à 37 ans. Anciennement appelés « carcinomes de la ligne médiane », ils sont liés à des anomalies génétiques impliquant le gène *NUTM1* et prennent majoritairement naissance dans les régions médianes du thorax, de la tête et du cou, mais aussi dans l'abdomen et le pelvis. Le pronostic de ces tumeurs est défavorable, du fait de leur croissance rapide et de leur forte propension à métastaser : la majorité des patients présente des métastases au diagnostic. Une dizaine de cas sont diagnostiqués chaque année en France. Encore peu connus, ils sont sous-diagnostiqués, car confondus avec d'autres cancers plus fréquents. Ils font ainsi partie des cancers dits « ultra-rares ».

Le traitement standard des carcinomes NUT repose sur la chirurgie lorsque la tumeur est localisée, ainsi que sur la chimiothérapie à haute dose et la radiothérapie. Mais du fait de l'agressivité de ces tumeurs, l'efficacité de ces traitements reste limitée, et la médiane de survie globale est inférieure à 7 mois.

Espoir d'une thérapie ciblée

Le développement de la médecine de précision et des thérapies ciblées, qui s'attaquent à des failles très spécifiques des tumeurs pour mieux les détruire, offre aujourd'hui un nouvel espoir aux patients atteints d'un carcinome NUT. Ces cancers sont causés par une anomalie génétique qui lie ensemble le gène *NUTM1* et un gène appartenant à la famille des protéines BET. Cette protéine anormale agit alors comme un véritable moteur qui pousse la tumeur à se développer très rapidement, au point que la cellule tumorale en devient totalement dépendante. Les scientifiques ont donc cherché à « couper le moteur » : c'est exactement ce que permettent les inhibiteurs de BET, des médicaments conçus pour bloquer l'action de ces protéines..

Au total, 14 essais cliniques ont été menés lors des dernières années pour évaluer des inhibiteurs de BET, dont certains ont montré, dans de très petites cohortes, une réponse de la maladie chez des patients atteints d'un carcinome NUT, même si les effets restent encore limités dans le temps. Pour une maladie aussi rare et agressive, ces inhibiteurs représentent toutefois une avancée importante et ouvrent une voie thérapeutique qui n'existait pas jusqu'ici. Parmi l'ensemble des molécules testées, le birabresib s'est distingué par un profil d'efficacité prometteur, et une tolérance acceptable avec des effets secondaires pouvant être facilement pris en charge. Malheureusement, cette molécule ne dispose d'aucune autorisation de mise sur le marché ni d'un accès précoce en France ou en Europe, et aucun essai clinique n'est à ce jour ouvert dans le monde.

Médicament élaboré à Gustave Roussy

En raison de la rareté des carcinomes NUT, aucun traitement n'est disponible en Europe et seuls quelques essais cliniques très précoces sont en cours évaluations, mais ne sont accessibles en Europe. Pour pallier cette problématique, l'ANSM et Gustave Roussy ont mis en place un protocole d'utilisation temporaire (PUT) qui sécurise l'accès à titre exceptionnel au birabresib, pour les patients porteurs d'un carcinome NUT.

Consultez le protocole d'utilisation thérapeutique et de recueil d'informations pour la préparation magistrale de Birabresib, 20 mg gélule

Ce protocole d'utilisation temporaire, qui a ouvert le lundi 24 novembre, encadre l'administration du birabresib chez des patients porteurs d'un carcinome NUT prétraités et en rechute, après une analyse permettant de confirmer la fusion du gène NUTM1 avec une protéine BET. La sélection des patients est validée en réunion nationale de concertation pluridisciplinaire moléculaire (RCP moléculaire), qui réunit oncologues, pharmaciens, biologistes et pathologistes de façon hebdomadaire à Gustave Roussy, garantissant une équité d'accès.
Le traitement est préparé à Gustave Roussy par les pharmaciens du département de pharmacie clinique de l'Institut. Les préparations de birabresib sont réalisées sous forme de gélules de 20 mg, permettant d'atteindre la dose recommandée de 80 mg par jour. Des contrôles sont réalisés à chaque étape afin d'assurer la qualité et la sécurité de la préparation. Ce traitement est délivré à coût réel, conformément à l'engagement de Gustave Roussy de ne réaliser aucun bénéfice sur ce type de préparation magistrale.

Le birabresib sera accessible de manière équitable aux patients suivis à Gustave Roussy et, via un circuit coordonné, sur l'ensemble du territoire national.

Faire avancer les connaissances

Ce protocole d'utilisation temporaire permettra également de faire avancer les connaissances sur les carcinomes NUT. La réunion de concertation pluridisciplinaire nationale dédiée collectera les données moléculaires afin d'identifier une population de patients qui tirerait le meilleur bénéfice du birabresib. Ces projets seront appuyés par le programme de profilage moléculaire des tumeurs STING de Gustave Roussy, permettant de dresser un profil génomique et immunologique des tumeurs, tout en suivant en temps réel l'efficacité et la tolérance des patients au birabresib.

C'est la deuxième fois que Gustave Roussy met en place, avec l'ANSM, un protocole de ce type. Depuis 2021, l'Institut coordonne un accès similaire pour l'ONC201. Ce médicament, qui n'était alors accessible qu'aux États-Unis, est destiné aux patients, souvent des enfants et de jeunes adultes, atteints de tumeurs cérébrales de la ligne médiane porteuses de la mutation H3K27M. Ce dispositif a permis en trois ans à plus de 250 patients en situation de rechute de recevoir ce traitement, et a donné lieu à de nombreuses publications scientifiques.

« Le carcinome NUT est l'un des cancers les plus rares et les plus agressifs que nous rencontrons. Il touche des patients de tout âge, certains très jeunes et pour lesquels les options thérapeutiques sont aujourd'hui extrêmement limitées. La mise à disposition du birabresib grâce à ce protocole représente une avancée majeure : elle permet d'encadrer, dès maintenant, l'accès à une alternative ciblée fondée sur une vulnérabilité biologique très spécifique de ces tumeurs. Notre vocation est d'ouvrir la voie à de nouvelles approches, d'accélérer la mise à disposition des traitements prometteurs et de faire progresser la prise en charge de tous les patients. Le lancement de ce protocole illustre pleinement cette mission. C'est le seul programme au monde de ce type, qui a pu voir le jour grâce au soutien et à l'implication des patients et de leurs accompagnants. La France est capable de très belles choses lorsque volonté et intelligence collective s'alignent », souligne le Pr Benjamin Besse, directeur de la recherche clinique de Gustave Roussy et spécialiste des cancers NUT.

« Ce dispositif est le fruit d'un engagement collectif avec l'ANSM et s'appuie sur l'expertise unique de notre pharmacie hospitalière. Il garantit une équité d'accès sur tout le territoire, un suivi rigoureux et une collecte de données essentielles pour faire progresser la recherche. Comme nous l'avons démontré avec le programme ONC201, Gustave Roussy a la capacité de concevoir et de déployer des solutions pour répondre aux besoins urgents des patients atteints de cancers rares. », ajoute le Pr Bernard Do, chef du département de pharmacie de Gustave Roussy.

À propos de Gustave Roussy

Classé premier centre français, premier européen et sixième au niveau mondial, Gustave Roussy constitue un pôle d'expertise globale entièrement dédié aux patients vivant avec un cancer. L'Institut est un pilier fondateur du biocluster en oncologie Paris-Saclay Cancer Cluster. Source d'innovations thérapeutiques et d'avancées diagnostiques, l'Institut accueille chaque année près de 50 000 patients dont 3 500 enfants et adolescents et développe une approche intégrée entre recherche, soins et enseignement. Expert des cancers rares et des tumeurs complexes, Gustave Roussy traite tous les cancers, à tous les âges de la vie. Il propose à ses patients une prise en charge personnalisée qui allie innovation et humanité, où sont pris en compte le soin mais aussi la qualité de vie physique, psychologique et sociale. Avec 4 100 salariés répartis sur deux sites, Villejuif et Chevilly-Larue, Gustave Roussy réunit les expertises indispensables à une recherche de haut niveau en cancérologie ; 32 % des patients traités sont inclus dans des études cliniques. Pour en savoir plus sur Gustave Roussy et suivre les actualités de l'Institut : www.gustaveroussy.fr, X, Facebook, LinkedIn, Instagram et Bluesky.

A propos de l’ANSM

L’Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé est l’acteur public qui permet, au nom de l’État, l’accès aux produits de santé en France et qui assure leur sécurité tout au long de leur cycle de vie. Au cœur du système de santé, l’ANSM agit au service des patients et de leur sécurité, aux côtés des professionnels de santé et en concertation avec leurs représentants respectifs.
L’ANSM favorise l’accès à des produits innovants via des procédures d’autorisation adaptées à chaque stade de la vie du médicament avant et après sa mise sur le marché.
Au travers de ses évaluations, ses expertises et sa politique de surveillance, elle s’assure que les produits de santé disponibles en France soient sûrs, efficaces, accessibles et bien utilisés.
Avec 1 000 collaborateurs, répartis sur trois sites : Saint-Denis, Lyon et Montpellier-Vendargues, L’ANSM s’appuie sur un réseau d’expertise et de surveillance national, européen et mondial dans le respect des principes de déontologie et de transparence.

Contacts presse

- **Gustave Roussy :**
  Claire Parisel et Léona Pinto –presse@gustaveroussy.fr – Tél. 01 42 11 50 59 – 01 42 11 63 59 – 06 17 66 00 26
- **ANSM :**
  Sixtine Reboul et Naomi Beuzet – presse@ansm.sante.fr – Tél. 01 55 87 30 33 – 01 55 87 30 66

Pour en savoir plus

Protocole d’utilisation temporaire utilisé à titre exceptionnel de Birabresib pour les patients adultes et enfants atteints d’un carcinome NUT - Institut Gustave Roussy