

# Projet de recherche

## Timone Cancerologie Pédiatrique

VENTOUX CONTRE CANCER 2026



### RANDOMET 2017

**Essai clinique randomisé pour enfants atteints de tumeur disséminée du rein : à la quête de chimiothérapie plus efficace et entraînant moins de séquelles au long terme.**

#### Présentation du projet.

Le néphroblastome est la tumeur rénale la plus fréquente de l'enfant, chez qui elle représente ± 6% de toutes les tumeurs malignes. A son diagnostic, au moins 15% des patients ont des métastases visibles (= propagation de la maladie ailleurs dans le corps, souvent les poumons).

Le traitement comprend une chimiothérapie avant l'intervention, une intervention par néphrectomie (qui enlève la tumeur et le rein) suivie d'une chimiothérapie ± radiothérapie. La chimiothérapie avant l'intervention des néphroblastomes métastatiques comprend actuellement une triple chimiothérapie par vincristine, actinomycine-D et doxorubicine (VAD). La survie à long terme de ces patients est de 82% ce qui n'est pas satisfaisant. Cependant, trois questions se posent. L'administration de doxorubicine éventuellement combinée à une radiothérapie peut induire des séquelles cardiaques et pulmonaires (17% d'insuffisance cardiaque), et l'actinomycine-D a une toxicité potentielle et grave au niveau du foie. L'efficacité du carboplatine et de l'étoposide est reconnue depuis longtemps, en traitement de deuxième ligne ou pour les néphroblastomes dont l'histologie est associée à un risque élevé. Ils sont combinés à la vincristine (VCE) dans une chimiothérapie employée pour d'autres tumeurs malignes de l'enfant. Le remplacement de l'actinomycine-D et de la doxorubicine devrait réduire le risque de séquelles à long terme. En outre, VCE pourrait guérir plus d'enfants et limiter les indications de radiothérapie pulmonaire, réduisant ainsi les effets secondaires liés à celle-ci.

Les patients français atteints de néphroblastome ont été traités pendant > 40 ans selon des protocoles SIOP (Société Internationale d’Oncologie Pédiatrique), fondée comme collaboration franco-néerlandaise en 1971 avec actuellement > 300 centres dans 32 pays collaborant dans le Groupe d'étude de la tumeur rénale (SIOP-RTSG). Cet essai clinique international randomisé de phase III, comparant la chimiothérapie alternative VCE à la chimiothérapie conventionnelle VAD, a été conçu par le SIOP-RTSG chez les patients atteints de néphroblastome métastatique, afin de diminuer les séquelles à long terme tout en améliorant l'efficacité du traitement. Cet essai se déroulera sous l'égide de l'hôpital de la Timone (Assistance Publique-Hôpitaux de Marseille) avec le Dr. Arnauld VERSCHUUR comme Investigateur Principal et Coordonnateur international.

Cet essai comportera une relecture centralisée de l'imagerie radiologique (CRR) pour le diagnostic initial qui permettra de mieux diagnostiquer les patients. De plus, la CRR sera réalisée en temps réel pendant le traitement afin de déterminer le traitement le plus adapté.

Au total, 406 patients sont prévus pour l'ensemble de l'essai ( $\pm$  120 patients en France).

L'essai se déroule actuellement depuis 2023 en France (et dans 17 pays prévu au total) et mérite un complément de financement pour l'équipe coordinatrice de la Timone pour la gestion du protocole en France.

Les résultats de cet essai serviront aux futurs protocoles de traitement de tous les patients atteints de néphroblastome, car nous espérons que le traitement avec VCE induise moins de séquelles. Ainsi, cet essai pourrait établir un nouveau traitement de référence. Les résultats de cet essai seront cruciaux pour l'ensemble de la communauté internationale de l'oncologie pédiatrique internationale et les futurs patients atteints de néphroblastome métastatique et localisé.



**APHM Hôpital la Timone**  
**Cancerologie Pédiatrique**  
**265 rue Saint Pierre**  
**143005 MARSEILLE**