

COMMUNIQUÉ DE PRESSE

Villejuif, le 24 avril 2026

NATURE MEDICINE

UN VASTE ESSAI CLINIQUE INTERNATIONAL APPORTE UN ÉCLAIRAGE INÉDIT SUR UN CANCER PÉDIATRIQUE CÉRÉBRAL

BIOMEDE 1.0, promu et coordonné par Gustave Roussy, est le plus important essai clinique jamais mené dans les gliomes infiltrants du tronc cérébral, un cancer pédiatrique agressif dont la survie n'excède pas un an. Les résultats, publiés dans la revue [Nature Medicine](#), dessinent une nouvelle carte biologique de la maladie, identifient des biomarqueurs de réponse des patients et, documentent la survie prolongée de quatre enfants, ouvrant des pistes concrètes pour les thérapies de demain. Cette étude a été principalement menée par une équipe de chercheurs et chercheuses de l'Inserm, de l'Université Evry Paris-Saclay, de l'Université Paris-Saclay et de Gustave Roussy.

Le gliome infiltrant du tronc cérébral (GITC, ou DIPG en anglais) demeure une tumeur pédiatrique au pronostic sombre. La localisation profonde dans le cerveau de la maladie et son caractère hautement infiltrant, au contact d'aires impliquant des fonctions vitales, excluent la chirurgie des options thérapeutiques.

La radiothérapie reste aujourd'hui le seul traitement ayant démontré un bénéfice transitoire, sans permettre la guérison. La survie médiane des patients est de moins d'un an, un pronostic qui n'a pas évolué depuis 50 ans. Le développement de nouvelles thérapies demeure donc un enjeu majeur, alors qu'environ 40 à 50 enfants et jeunes adultes sont diagnostiqués chaque année en France d'un GITC.

Les avancées de la médecine de précision

Les connaissances disponibles sur cette tumeur demeuraient limitées, les dernières avancées datent d'il y a une quinzaine d'années. Aucun outil biologique ne permettait de caractériser la maladie, et la recherche se heurtait à la fragmentation des essais cliniques, souvent de petite taille et ne permettant pas de tirer de véritables enseignements scientifiques.

Les progrès de la médecine de précision ont changé la donne. D'abord en permettant d'identifier la mutation H3K27M, présente dans la grande majorité des GITC. Découverte en 2012, cette anomalie génétique a fourni pour la première fois un marqueur diagnostique propre à ces tumeurs. Ensuite, en mettant en évidence plusieurs mécanismes que la tumeur utilise pour croître et survivre. Dans les GITC, certaines cellules cancéreuses exploitent des

récepteurs présents à leur surface — comme PDGFRA ou EGFR — pour recevoir des signaux de croissance. D'autres cellules s'appuient sur une voie de communication interne, la voie PI3K/AKT/mTOR, pour résister aux traitements comme la radiothérapie.

Des médicaments capables de bloquer chacun de ces mécanismes avaient été développés et évalués en essais cliniques, le plus souvent en association avec la radiothérapie : le dasatinib pour cibler PDGFRA, l'erlotinib pour bloquer EGFR, et l'évérolimus pour inhiber la voie PI3K/AKT/mTOR.

Une étude à trois bras

En s'appuyant sur ces nouvelles connaissances, Gustave Roussy a initié en 2014 l'étude de phase II BIOMEDE 1.0, premier essai clinique international randomisé dédié aux enfants, adolescents et jeunes adultes atteints de GITC. Cet essai innovant reposait sur une analyse génétique complète de la tumeur de chaque patient, réalisée sur une biopsie permettant notamment de confirmer le diagnostic (présence de la mutation H3K27M) puis de les orienter vers des traitements ciblés. Les patients étaient ensuite répartis entre les trois bras de l'étude en fonction du profil moléculaire de leur tumeur, pour recevoir soit l'erlotinib, l'évérolimus ou le dasatinib. Ainsi, la répartition entre les trois traitements était guidée par des biomarqueurs tumoraux, faisant de BIOMEDE, promu par Gustave Roussy, le premier essai de médecine de précision de cette ampleur dans le GITC.

Ces trois traitements étaient administrés en complément de la radiothérapie, puis poursuivis tant que la maladie ne progressait pas, avec pour objectif principal d'améliorer la survie. En parallèle, les équipes de Gustave Roussy ont mené un vaste programme de recherche en analysant en détail au niveau moléculaire les tumeurs des patients de l'étude. Ces travaux ont permis de mieux comprendre la maladie et d'identifier de potentielles pistes pour adapter les traitements à chaque patient.

L'essai, qui a randomisé 233 patients entre 2014 et 2019, a mobilisé des équipes en France, au Royaume-Uni, au Danemark, en Suède, en Australie, en Espagne et aux Pays-Bas. La France, coordinatrice de l'essai, a inclus dans l'étude la majorité des patients (72 %). Chaque tumeur a fait l'objet d'une analyse moléculaire approfondie, ce qui a permis de constituer la plus grande base de données biologiques jamais assemblée sur cette maladie.

Des découvertes biologiques majeures

Les résultats de BIOMEDE 1.0, publiés dans *Nature Medicine*, apportent un éclairage biologique inédit sur les GITC, puisqu'ils ont permis d'identifier le principal facteur déterminant la durée de survie des patients : la mutation du gène *TP53* qui est de mauvais pronostic. Les patients dont la tumeur en était porteuse ont malheureusement vécu moins longtemps que les autres. Cette donnée est désormais intégrée pour mieux stratifier les patients dans les futurs essais et adapter la prise en charge dès le diagnostic.

Concernant les trois différentes thérapies ciblées évaluées, aucune n'a permis d'améliorer significativement la survie globale des patients. Mais sur le plan de la tolérance, l'évérolimus s'est distingué des deux autres par un profil plus favorable, avec notamment moins d'effets

indésirables et un taux d'arrêt de traitement lié à la toxicité inférieur (3 % contre 14 % pour le dasatinib et 20 % pour l'erlotinib). Ce résultat en fait le traitement de référence retenu pour la prochaine génération d'essais.

Quatre patients survivants à long terme

BIOMEDE 1.0 a permis de documenter quatre cas de patients dits « longs répondeurs », diagnostiqués d'un GITC il y a plus de six ans et aujourd'hui toujours en vie. Dans une maladie où la survie médiane n'excède pas onze mois, ces cas représentent bien plus que des exceptions : ils constituent une fenêtre scientifique inédite sur les mécanismes qui peuvent, dans de rares circonstances, permettre à l'organisme de contrôler durablement la tumeur.

L'analyse approfondie de la tumeur de ces quatre survivants et d'une dizaine d'autres patients ayant survécu plus de deux ans apporte un début de réponse. S'ils ne partagent aucun profil génétique commun, écartant l'hypothèse d'une simple anomalie biologique favorable préexistante, leurs tumeurs présentent en revanche un microenvironnement immunitaire différent de celui des autres patients, suggérant une réponse immunitaire locale plus active. Ces observations font de l'immunothérapie ciblant le microenvironnement tumoral une priorité pour le développement de la prochaine génération d'essais.

« BIOMEDE 1.0 est l'aboutissement de dix ans d'efforts collectifs pour enfin apporter une réponse rigoureuse. Les résultats nous ont fourni des éléments solides pour construire les prochaines étapes. Nous continuons à chercher pourquoi ces quatre enfants sont en rémission longue. », déclare le Dr Jacques Grill, oncopédiatre, co-directeur de l'unité de recherche Inserm U1360, et membre de l'équipe Génomique et Oncogenèse des Tumeurs Cérébrales Pédiatriques à Gustave Roussy.

« Imposer la biopsie comme condition d'entrée dans l'essai était un pari audacieux en 2014. Mais c'est grâce à cette démarche que nous disposons de la plus grande base de données biologiques jamais constituée sur cette maladie. La mutation TP53, la voie mTOR ou encore le microenvironnement des longs survivants sont autant de clés que BIOMEDE a permis d'identifier », ajoute la Pr Marie-Anne Debily, professeure à l'Université Evry Paris-Saclay, chercheuse dans l'unité Inserm U1360 (Université Paris-Saclay) à Gustave Roussy.

Deux nouveaux essais cliniques déjà ouverts

Forts de ces nouvelles connaissances biologiques, les équipes de Gustave Roussy ont d'ores et déjà initié BIOMEDE 2.0, seul essai clinique comparatif international dédié aux gliomes malins de la ligne médiane et du tronc cérébral, une famille de tumeurs cérébrales malignes qui inclut les GITC mais s'étend au-delà, touchant d'autres structures profondes du cerveau et de la moelle épinière, chez l'enfant comme chez l'adulte. Ouvert dans dix pays européens, il recrute 368 patients sur quatre ans et compare l'évérolimus, désormais établi comme nouveau standard thérapeutique grâce à BIOMEDE 1.0, à l'ONC201, premier représentant d'une nouvelle classe d'anticancéreux.

En parallèle, Gustave Roussy pilote BIOMEDE IA, un programme de recherche inédit qui s'appuie sur l'intelligence artificielle pour analyser les données biologiques, génomiques et

d'imagerie accumulées au fil de l'essai, afin d'identifier des informations inaccessibles à l'analyse humaine. « *BIOMEDE 2.0 et BIOMEDE IA incarnent la promesse que les données de BIOMEDE 1.0 sont au service des enfants qui seront diagnostiqués demain* », conclut le Dr Grill.

Les travaux ont bénéficié du soutien d'un Programme Hospitalier de Recherche Clinique de l'INCa et des associations Imagine For Margo, l'Etoile de Martin, les Amis d'Antoine, La Ligue contre le cancer du 74 et du 94, La marche de l'écureuil, l'association Lisa For ever, et de tous les donateurs de la campagne « Guérir le cancer de l'enfant au 21^e siècle » de la Fondation Gustave Roussy. BIOMEDE 1.0, BIOMEDE 2.0 et BIOMEDE IA ont tous été rendus possibles grâce au soutien de l'association Imagine for Margo.

Source

Targeted therapies plus radiotherapy for diffuse intrinsic pontine glioma: the randomized phase 2 BIOMEDE trial

Nature Medicine, 24 avril 2026

DOI : [10.1038/s41591-026-04354-1](https://doi.org/10.1038/s41591-026-04354-1)

Marie-Anne Debily, Gwenaél Le Teuff, Thomas Kergrohen, Pascale Varlet, David Castel, Pierre Leblond, Darren Hargrave, Karsten Nysom, Klas Blomgren, Geoffrey Brian McCowage, Francisco Bautista, Dannis van Vuurden, Chris Jones, Alan Mackay, Elisa Izquierdo, David S. Ziegler, Angokai Moussa, Emilie Barret, Stephanie Puget, Kevin Beccaria, Kristian Aquilina, Laurent Riffaud, Stephanie Bolle, Samuel Abbou, Anne-Isabelle Bertozzi, Emilie De Carli, Nathalie Boddaert, Volodia Dangouloff-Ros, Raphael Calmon, Patricia Blanc, Gilles Vassal, Marie-Cécile Le Deley, Jacques Grill.

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 plus de 54 000 patients dont 2 760 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 4 000 salariés répartis sur deux sites, Villejuif et Chevilly-Larue, Gustave Roussy réunit les expertises indispensables à une recherche de haut niveau en cancérologie ; 40,5 % 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](#).

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