

Liste de vérification de la politique de prise en charge des sarcomes

Février 2017



Paolo Casali, Istituto Nazionale Tumori, Italie
Nora Drove, Eli Lilly & company
Sarah Dumont, Institut Gustave Roussy, France
Mikael Eriksson, Université de Lund, Suède
Alessandro Gronchi, Istituto Nazionale dei Tumori, Italie et EORTC (Organisation européenne pour la recherche et le traitement du cancer) – Sarcomes des tissus mous et sarcomes osseux
Bernd Kasper, Université de Heidelberg, Allemagne

Estelle Lecointe, Info Sarcomes, France et SPAEN (Sarcoma Patients EuroNet)
Claudia Valverde, Hôpital universitaire Vall' Hebron, Espagne
Markus Wartenberg, SPAEN et das Lebenshaus e.V., das Wissenhaus GmbH, Allemagne
Roger Wilson, SPAEN
Shannon Boldon, The Health Policy Partnership
Suzanne Wait, The Health Policy Partnership



La liste de vérification de la politique de prise en charge des sarcomes a été rédigée par un groupe d'experts représentant le monde médical, les associations de patients, et l'industrie pharmaceutique. Ce projet fut initié et financé par Lilly.

Ce document a été rédigé par le Groupe d'experts sur la politique de prise en charge des sarcomes. La rédaction et la mise en forme du document, de même que la mise en œuvre au jour le jour du projet, ont été coordonnées par Health Policy Partnership Ltd. Eli Lilly and company (Lilly) a fourni une aide financière au titre des frais de réunion et des documents produits par le groupe.). Lilly n'a rémunéré aucun des membres du groupe pour sa participation à ce projet. Lilly a fait part de ses commentaires sur le document, mais le contenu du document final est le fruit d'un consensus entre les membres du groupe, lesquels détiennent le contrôle total du contenu éditorial.

Bibliographie pour le résumé ci-après.

1. Sarcoma UK. The National Sarcoma Survey, Transforming Patient Experience, 2015:35.
2. Fletcher C, Bridge JA, Hogendoorn P, *et al.* WHO Classification of Tumours of Soft Tissue and Bone. Fourth Edition. WHO Classification of Tumours, 2013:468.
3. Sharma S, Takyar S, Manson SC, *et al.* Efficacy and safety of pharmacological interventions in second- or later-line treatment of patients with advanced soft tissue sarcoma: a systematic review. BMC Cancer 2013;13(1):1-21.
4. Lurkin A, Ducimetière F, Vince DR, *et al.* Epidemiological evaluation of concordance between initial diagnosis and central pathology review in a comprehensive and prospective series of sarcoma patients in the Rhone-Alpes region. BMC Cancer 2010;10(1):1-12.
5. Ray-Coquard I, Montesco MC, Coindre JM, *et al.* Sarcoma: concordance between initial diagnosis and centralized expert review in a population-based study within three European regions. Ann Oncol 2012;23(9):2442-9.
6. National Institute for Health and Care Excellence (NICE). Improving Outcomes for People with Sarcoma: the Manual. NICE Guidance on Cancer Services: Developed by the National Collaborating Centre for Cancer, 2006:142.

Résumé

Le sarcome en Europe : renforcer la réponse politique

Les sarcomes : une famille de **cancers rares** qui se développent dans les tissus conjonctifs¹

Une hétérogénéité significative

Plus de  **70** types différents²

 Ils peuvent se produire n'importe où dans le corps²

En conséquence :


Professionnels de santé :
difficultés liées à l'acquisition d'une formation spécialisée


Patients :
diagnostic tardif ou erroné, accès limité à une prise en charge spécialisée


Recherche :
difficultés de mise au point de traitements spécifiques à chaque type de sarcome


Systèmes de santé :
coûts élevés dus à la variabilité de la qualité des soins

Les pires expériences de tous patients atteints d'un cancer¹

1 %
de tous les cancers,
2 %
de tous les décès
dus au cancer³

 Jusqu'à **40 %**
de faux diagnostics^{4,5}

 Jusqu'à
1 patient sur 4 traité
pour autre chose
qu'un sarcome⁶
 Seulement **22 %** des
patients participent à
des essais cliniques¹

 Importantes
inégalités
en Europe
concernant l'accès aux
traitements disponibles

Liste de vérification de la politique de prise en charge des sarcomes : de quoi avons-nous besoin pour améliorer la situation actuelle ?

-  1 Des **centres de référence désignés et accrédités** pour la prise en charge des sarcomes dans chaque pays
-  2 Une **formation professionnelle spécialisée** pour tous les professionnels de santé participant à la prise en charge thérapeutique des sarcomes
-  3 Une **approche pluridisciplinaire** des soins proposés à chaque patient atteint d'un sarcome.
-  4 Des **incitations plus importantes** à la recherche et à l'innovation
-  5 Un **accès plus rapide** à des traitements efficaces.

Table des matières

Résumé	3
Introduction	5

1ere partie :

Liste de vérification de la Politique de prise en charge des sarcomes : de quoi avons-nous besoin pour améliorer la prise en charge thérapeutique des patients atteints de sarcome ?	7
1. Des centres de référence nationaux sur les sarcomes	8
2. Une formation professionnelle renforcée	10
3. Une approche pluridisciplinaire pour la prise en charge de chaque patient	12
4. Des incitations à la recherche et à l'innovation	14
5. Un accès plus rapide à des traitements efficaces	16
Conclusions	18

2e partie :

Profils par pays	19
Les sarcomes en France	20
Les sarcomes en Allemagne	26
Les sarcomes en Italie	30
Les sarcomes en Espagne	34
Les sarcomes en Suède	40
Les sarcomes au Royaume-Uni	46
Références	52

Introduction

Les cancers rares représentent 22 % de tous les cancers diagnostiqués. Le pronostic de survie est généralement inférieur à celui des cancers les plus fréquents comme ceux du sein, du colon ou de la prostate.¹ Au cours des dix dernières années, un certain nombre de parties prenantes, comme l'association Rare Cancers Europe, ont alerté l'opinion quant à la nécessité de mettre en place des politiques visant à améliorer la mise à disposition d'informations appropriées, d'essais cliniques, de traitements et de soins efficaces pour tous les cancers rares, et l'accès des patients à ces ressources.² La récente initiative Joint Action for Rare Cancers (Action conjointe pour les cancers rares) peut elle aussi être considérée comme une avancée positive, car elle vise à mieux intégrer les besoins en lien avec les cancers rares dans les plans cancer nationaux.³

Malgré ces évolutions, la lutte contre les cancers rares reste confrontée à de nombreux problèmes, dont beaucoup sont amplifiés dans le cas des sarcomes.

Qu'est-ce qu'un sarcome ?

Les sarcomes sont une famille hétérogène de cancers rares qui se développent dans les tissus conjonctifs. Il existe environ 70 sous-types histologiques de sarcomes susceptibles de se développer dans toutes les parties du corps.⁴

Les deux principaux types de sarcomes sont :

1. **les sarcomes des tissus mous (STS, soft tissues sarcomas) – 84 % des sarcomes.** Ils se développent dans les tissus mous, ou tous les tissus de soutien dans le corps à l'exception des os (comme par exemple la graisse, les muscles, les vaisseaux sanguins, les nerfs ou les articulations).⁵ Ils comprennent les **tumeurs stromales gastro-intestinales (GIST, gastrointestinal stromal tumours)**, qui représentent environ 20 % des STS ;
2. **les sarcomes osseux – 14 % des sarcomes.**⁶

L'incidence des patients atteints de sarcomes est une estimation approximative, car l'enregistrement des patients n'est pas obligatoire dans la plupart des pays et les standards d'enregistrement sont différents.



L'hétérogénéité des sarcomes remet en question le savoir médical, la recherche clinique et l'élaboration des politiques

Le nombre de patients traités dans les cliniques est très réduit, et les sous-types impliquent des exigences très différentes en termes de pronostic, de particularités, de traitements et de parcours de soins.⁶

Sarcomes : principaux faits et chiffres

Les sarcomes représentent moins de **1 %** de tous les cancers, mais **2 %** de la mortalité totale liée au cancer.⁷

Ils représentent chaque année environ **6** cas pour 100 000 individus, soit **27 908** nouveaux cas par an (UE27).⁶

Le taux de survie relative sur 5 ans est de 56 % pour les sarcomes des tissus mous, de 70 % pour les GIST et de 61 % pour les sarcomes osseux.⁸

La survie dépend du stade de la maladie au moment du diagnostic : pour les sarcomes des tissus mous, le taux de survie globale à 5 ans va de **15 %** (pour les patients au stade métastatique) à **90 %** (stade précoce de la maladie) aux États-Unis et au sein de l'UE.^{8 9 10}



Quels types de difficultés caractérisent les sarcomes ?

- Les patients atteints de sarcomes estiment qu'ils vivent parmi **les pires expériences chez les patients souffrant du cancer**.¹¹
- **Souvent, les patients ne disposent pas d'informations appropriées** concernant leur état, les centres d'excellence, les traitements disponibles et les parcours de soins ainsi que les essais cliniques en cours. Ils ne sont donc pas en mesure d'effectuer des choix éclairés concernant leur prise en charge.¹¹
- **La plupart des médecins n'ont que peu ou pas d'expérience en matière de diagnostic ou de traitement des sarcomes, en raison de leur rareté.** Il arrive que les généralistes n'adressent pas des patients à un spécialiste,⁸ avec pour conséquence fréquente un diagnostic tardif ou inexact.
- **Un diagnostic inexact entraîne une prise en charge inappropriée dans 70 % des cas.**⁸ Un certain nombre de patients reçoivent ainsi un traitement destiné à une affection autre qu'un sarcome.^{11 12}
- **Un diagnostic tardif ou inexact et la qualité fluctuante des soins reçus** ont un impact considérable sur la qualité de vie des patients et de leurs familles.
- **Certains traitements ne sont pas remboursés** et il arrive que les patients doivent effectuer d'importants déplacements afin de recevoir des soins appropriés ou qu'ils doivent payer les traitements de leur poche.¹³
- **Dans certains types de sarcomes, par exemple pour le traitement de première intention de sarcomes des tissus mous à un stade avancé, aucun progrès thérapeutique significatif n'a été constaté depuis plus de 30 à 40 ans.** Les GIST sont une importante exception.

À propos de ce document

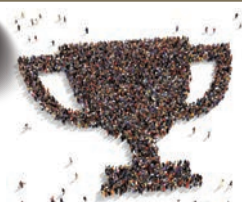
Ce document a été élaboré par le Groupe d'experts sur la politique de prise en charge des sarcomes, composé d'experts représentant le monde médical, les associations de patients et l'industrie pharmaceutique afin d'aider les décideurs à améliorer l'accès des patients atteints de sarcomes à des informations et des soins de qualité partout en Europe.

Ce document comprend deux parties :

1. la **Liste de vérification de la Politique de prise en charge des sarcomes** décrit **cinq domaines** clés dans lesquels les décideurs peuvent concentrer leurs efforts de façon à produire un impact optimal sur la prise en charge des patients atteints de sarcomes, et
2. **six profils par pays (France, Allemagne, Italie, Espagne, Suède et Royaume-Uni)**, qui sont ensuite présentés afin d'illustrer dans quelle mesure ces recommandations sont mises en œuvre dans ces différents pays.

Liste de vérification de la politique de prise en charge des sarcomes : de quoi avons-nous besoin pour améliorer la prise en charge thérapeutique des patients atteints de sarcome ?

1



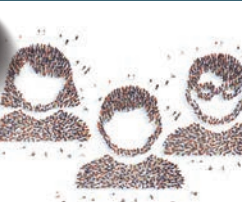
Des **centres de référence désignés et accrédités** pour la prise en charge des sarcomes dans chaque pays

2



Une **formation professionnelle spécialisée** pour tous les professionnels de santé participant à la prise en charge thérapeutique des sarcomes

3



Une **approche pluridisciplinaire** des soins proposés à chaque patient atteint d'un sarcome

4



Des **incitations plus importantes** à la recherche et à l'innovation

5



Un **accès plus rapide** à des traitements efficaces

1 Des centres de référence nationaux sur les sarcomes



Liste de vérification de la politique – Quels sont les besoins ?



Chaque pays comprend au moins un centre de référence national, ou au moins une relation claire établie avec un centre de référence dans un autre pays.



Un processus national d'accréditation a été mis en place afin de désigner des centres de référence sur la base de normes de qualité rigoureuses.



Les centres de référence sont régulièrement évalués en fonction de ces normes, afin d'assurer la qualité constante des soins.



Pourquoi cela est important ?

- **Parce que les sarcomes sont à la fois rares et hétérogènes (70 types histologiques)**, il est difficile, pour la plupart des professionnels de santé, d'acquérir une expérience suffisante sur tous les types de sarcome.
- **Il est donc recommandé de faire en sorte que les sarcomes soient traités dans des centres spécialisés désignés – ou centres de référence.**
- **Il apparaît que la centralisation des soins dans des centres de référence contribue à améliorer la qualité globale de la prise en charge des patients atteints de sarcome et le bénéfice clinique.**^{14 15}
Les centres de référence posent un diagnostic précoce, précis et de qualité,^{16 17} adressent en temps opportun les patients à des spécialistes pour un deuxième avis¹⁶ et permettent aux patients d'accéder aux informations nécessaires.¹⁵



Quelles sont nos performances en Europe ?

- **Il existe des centres de référence pour de nombreuses formes de sarcome dans les six pays considérés. Cependant, ils ne sont pas toujours formellement désignés en fonction de standards explicites de qualité**, et la qualité de la prise en charge n'est pas non plus contrôlée sur la durée.^{13 18}
- **Pour cette raison, il est difficile pour les patients et les médecins référents de savoir où trouver une prise en charge spécialisée.** Cette question s'avère particulièrement cruciale en ce qui concerne l'expertise chirurgicale relative aux sarcomes.
- **Des efforts de définition de standards de qualité de la prise en charge des sarcomes au niveau européen** ont récemment été élaborés par l'Association SPAEN (Sarcoma Patients EuroNet Association)¹⁹ et par ECCO (European CanCer Organisation).²⁰ Le **Royaume-Uni** a clairement défini, à l'échelle nationale, des normes relatives à la prise en charge des sarcomes, et la **Suède** dispose d'un système de contrôle de qualité particulièrement sophistiqué concernant la prise en charge des sarcomes, dont le Registre des sarcomes des extrémités et de la paroi du tronc est un exemple.
- **L'accès aux centres de référence pour les patients vivant en dehors des zones urbaines est souvent difficile.** En **Espagne par exemple**, il arrive que des patients obtiennent difficilement de leur région d'origine une autorisation de transfert dans une autre région en vue de traitement et qu'on ne leur rembourse pas les frais connexes de voyage ou d'hébergement.
- **Plusieurs centres nationaux de référence sur les sarcomes seront intégrés dans le nouveau Réseau européen de référence (European Reference Network, ERN) des tumeurs solides rares des adultes, y compris les sarcomes (European Network for Rare Adult Solid Cancer, EURACAN).** Cependant, les ERN se trouvent dans une phase précoce de mise en place et il faut encore mettre au point des processus clairs qui facilitent la collaboration, l'orientation transfrontalière des patients et des mécanismes appropriés de remboursement entre les centres participants.^{13 16 18 21}

Réseaux européens de référence –

Quels avantages pour la recherche sur le sarcome et sa prise en charge ?

- ✓ Davantage d'opportunités pour les patients de participer à des essais cliniques et de recevoir les meilleurs traitements et soins grâce à la collaboration transfrontalière^{14 16}
- ✓ Création de registres et collecte regroupée de données réelles,^{13 16 18 21} en vue de déterminer des normes communes
- ✓ Développement de mécanismes d'assurance qualité concernant les analyses de laboratoire²¹
- ✓ Des outils de formation et d'éducation à l'intention des professionnels de santé²¹
- ✓ Un échange accéléré^{13 18 22} d'informations, d'échantillons biologiques, d'images radiologiques, d'autres matériaux de diagnostic et d'outils électroniques permettant la pratique de la télémedecine entre les centres participants.^{15 16}

2 Une formation professionnelle renforcée



Liste de vérification de la politique – Quels sont les besoins ?



Un protocole national de référence indique aux non-spécialistes les symptômes des patients suspectés d'être atteints d'un sarcome, et permet de déterminer quand les orienter vers des centres de référence.



La formation concernant les cancers rares est comprise dans le programme général des études médicales.



Une formation sur les cancers rares est mise à la disposition de tous les oncologues.



Des programmes spécialisés de formation sur les sarcomes sont accessibles à tous les professionnels de santé faisant partie de l'équipe pluridisciplinaire de prise en charge thérapeutique des patients atteints de sarcome.



Pourquoi cela est important

- **Parce que les sarcomes peuvent survenir partout dans le corps, les patients porteurs de symptômes sont susceptibles de s'adresser à différents médecins** – médecins généralistes mais aussi gynécologues, dermatologues, chirurgiens etc.
- **La plupart de ces médecins n'ont jamais observé un cas de sarcome, et il est possible qu'ils ne sachent pas vers quel spécialiste orienter les patients.** Ceci peut entraîner des retards de diagnostic, des traitements inadéquats^{11 12} et, pour finir, une faible probabilité de réussite de ces traitements.⁸
- **Beaucoup de cancérologues n'ont pas été formés aux méthodes de diagnostic ou de traitement des sarcomes.**



Quelles sont nos performances en Europe ?

- **Dans les six pays étudiés, les médecins ne reçoivent aucune formation systématique sur les cancers rares (y compris les sarcomes) dans le cadre du programme général des études médicales.** Cependant, l'**Espagne** et le **Royaume-Uni** ont concentré leurs efforts sur l'amélioration du diagnostic précoce et la procédure d'orientation des sarcomes.
- **La formation concernant les cancers rares ne fait pas non plus partie du programme de formation des cancérologues de la plupart des pays,** bien que des efforts soient actuellement déployés afin de remédier à cette situation dans certains pays.
- **Il existe plusieurs programmes paneuropéens de formation spécialisée sur les sarcomes.** Par exemple, la Société européenne de chirurgie oncologique (ESSO) a mis en place une formation à la chirurgie des sarcomes, délivrée par la **European School of Soft Tissue Sarcoma Surgery (École européenne de chirurgie des sarcomes des tissus mous)**.¹⁵ En outre, des cours spécialisés sur la prise en charge des sarcomes sont mis à disposition dans plusieurs pays, souvent sous la forme de programmes de formation en ligne.
- Outre les formations systématiques, **disposer de simples lignes de conduite,** comme il en existe en **Suède**, est apparu comme un moyen de parvenir plus vite à un diagnostic précis et au traitement précoce des sarcomes.

3

Une approche pluridisciplinaire pour la prise en charge de chaque patient



Liste de vérification de la politique – Quels sont les besoins ?



Il existe des recommandations nationales sur la prise en charge de tous les sarcomes, chez les adultes et chez les enfants.



Tous les patients atteints d'un sarcome sont pris en charge par une équipe spécialisée pluridisciplinaire (dedicated multidisciplinary team, MDT), avec un parcours de soins clair et précis.



Les exigences minimales relatives à la composition des MDT sont clairement définies.



Les patients sont suivis par un professionnel de santé spécialisé. Ils sont guidés tout au long du parcours par un plan de soins personnalisé.



Pourquoi cela est important

- **La prise en charge d'un patient atteint d'un sarcome nécessite l'intervention de plusieurs professionnels de santé** (histopathologistes, radiologues, chirurgiens, oncologues médicaux, psycho-oncologues, spécialistes des soins palliatifs, spécialistes de la rééducation) et cette prise en charge pluridisciplinaire est essentielle pour répondre à tous leurs besoins au fil du temps.⁸



Quelles sont nos performances en Europe ?

- La plupart des recommandations nationales reconnaissent que **la prise en charge thérapeutique des patients atteints de sarcomes par des réunions MDT** est essentielle à la qualité des soins donnés aux patients.
- **L'approche des soins au sein d'une MDT** est également un critère pour déterminer l'intégration dans le nouveau Réseau européen de référence (ERN) pour les sarcomes.
- **Cependant, la mise en place des réunions MDT varie considérablement entre les centres de tous les pays.** Beaucoup de centres ne disposent pas de ressources suffisantes pour la mise en place systématique de réunions MDT dans la prise en charge des sarcomes.
- **L'une des difficultés consiste à intégrer dans les MDT des prestataires de soins primaires faisant partie de la communauté,** de façon à assurer la qualité constante du diagnostic et des soins tout au long du parcours.
- **En outre, la composition d'une MDT spécialisée dans les sarcomes n'est souvent pas clairement déterminée.** Il arrive aussi que tous les centres ne disposent pas d'un personnel suffisamment bien formé.

4 Des incitations à la recherche et à l'innovation



Liste de vérification de la politique – Quels sont les besoins ?



Un Registre national du sarcome est en place.



Des bases de données permettent la collecte et la comparaison de données réelles entre les centres de référence.



Il existe des collaborations de recherche sur les sarcomes.



Il existe des mécanismes d'incitation à la constitution de partenariats public-privé ciblés sur les cancers rares, notamment les sarcomes.



Pourquoi cela est important

- **Jusqu'à présent, la recherche fondamentale sur les sarcomes n'a pas bénéficié de fonds suffisants.** En conséquence, nous ne connaissons pas les causes de nombreux sarcomes⁶ et le socle de données probantes concernant les modèles d'incidence et de survie sur les sarcomes manque de solidité.⁸
- **Les découvertes de la recherche fondamentale déterminent l'orientation des efforts vers la mise au point de nouveaux traitements** susceptibles d'améliorer le bénéfice clinique des patients.
- **Le recrutement de cohortes suffisantes de patients dans le cadre d'essais cliniques sur les sarcomes représente actuellement un défi**, en raison du petit nombre de patients atteints de chaque type spécifique de sarcome.^{11 13 16}
- En conséquence, la **collecte de données réelles est indispensable** si l'on veut disposer de données suffisantes sur les patients, afin de faciliter de nouveaux efforts de recherche et d'améliorer la prise en charge thérapeutique des patients.



Quelles sont nos performances en Europe ?

- **Il existe un certain nombre d'initiatives de recherche importantes sur les sarcomes dans différents pays.** Par exemple, la **France** dispose d'une bonne base de données collectées au sein des réseaux cliniques et anatomo-pathologiques, qui peuvent ainsi mener de nombreux projets nationaux et internationaux de recherche sur les sarcomes. La **Suède** s'est dotée d'un Registre national de qualité concernant la recherche sur les sarcomes (Sarcome Quality Registry, INCA) qui regroupe les données de patients de toutes les régions, et offre des opportunités d'analyse de données réelles. Au **Royaume-Uni**, une étude exhaustive de patients atteints de sarcome a révélé d'importantes informations relatives à l'expérience de ces patients. L'**Italie** a déployé des efforts considérables dans le domaine des sarcomes pédiatriques. L'**Espagne** a monté un projet sur les sarcomes rares visant à déterminer leur incidence et à améliorer les traitements proposés aux patients.
- **Mais ces efforts restent insuffisants, et la nécessité d'une recherche plus fondamentale sur les sarcomes persiste** – de même que le besoin de financement correspondant.
- **Il est probable que le développement des ERN contribue de façon décisive à encourager la collecte de données réelles comparables dans les différents centres**, car la collecte de données hospitalières prospectives sera obligatoire en vue de l'accréditation des ERN.

5 Un accès plus rapide à des traitements efficaces



Liste de vérification de la politique – Quels sont les besoins ?



Les patients atteints d'un sarcome ou leurs représentants participent à des évaluations de technologie médicale (health technology assessments, HTA) et d'autres procédures d'accès.



Il existe des dispositifs réglementaires et d'accès spécifiques aux cancers rares.



Les exigences en matière de preuve de sarcome ou d'autres cancers rares des agences réglementaires et du remboursement coïncident.



Un portail national d'essais cliniques, sur lequel sont répertoriés tous les essais cliniques en cours sur les sarcomes, est accessible au public.



Pourquoi cela est important

- **Il n'est pas pertinent que les exigences concernant les données utilisées et évaluées en vue de l'enregistrement et du remboursement de la molécule soient les mêmes pour les cancers rares et les cancers les plus fréquents**, en raison de la difficulté d'obtention de données d'essais cliniques sur les cancers rares.
- **La participation des patients atteints d'un sarcome à des HTA et à d'autres procédures d'accès à la prise de décision** est la clé qui permettra que **l'évaluation de nouveaux traitements de cancers rares comme les sarcomes soit fondée sur ce qui compte le plus pour la majorité des patients**, et que la priorité soit donnée aux traitements susceptibles de faire la plus grande différence en termes de prise en charge thérapeutique des patients. Idéalement, les patients devraient participer aussi à la phase de conception des essais cliniques.
- **Souvent, les patients atteints d'un sarcome ignorent la possibilité de participer à des essais cliniques.** Par exemple, une étude nationale sur le sarcome réalisée au Royaume-Uni révèle que leur médecin n'a pas demandé à la majorité des patients (67 %) s'ils souhaitent participer à un essai clinique. Dans ces conditions, le pourcentage de volontaires reste faible (22 %).¹¹



Quelles sont nos performances en Europe ?

- **L'Agence européenne des médicaments reconnaît la nécessité d'assouplir les voies d'accès réglementaires aux médicaments**, afin d'accélérer l'accès à des traitements innovants au profit des patients pour lesquels il existe peu d'alternatives thérapeutiques. Cette approche inclut la possibilité d'essais de moindre dimension et des conceptions adaptées aux cancers rares,²³ un processus d'évaluation accéléré, une autorisation conditionnelle et progressive de mise sur le marché, en fonction des besoins.^{13 18 24}
- **Malheureusement, cette flexibilité ne coïncide pas nécessairement avec l'attitude des organismes responsables des remboursements et des Évaluations de technologie médicale de la plupart des pays.** Il s'en suit souvent de longs retards, et l'accès demandé par les patients peut même leur être refusé dans de nombreux pays.^{8 13 14 18}
- Dans de nombreux pays, **des groupes de patients** s'emploient à obtenir la réduction des disparités existantes en matière d'accès aux traitements des cancers rares. Cependant, dans aucun pays en dehors du Royaume-Uni, les patients ne participent aux HTA ou aux décisions relatives à l'accès aux prises en charge.
- **Même s'il existe, dans beaucoup de pays, des programmes de prise en charge anticipée ou d'accès exceptionnel aux soins, ils ne sont pas nécessairement appliqués aux sarcomes.**
- **Des informations relatives aux essais cliniques sur les sarcomes sont à la disposition du public dans tous les pays**, mais l'accès aux essais cliniques est souvent limité pour les patients traités dans des centres de référence des sarcomes.

Conclusions

Malgré les récents progrès de la recherche, de la prise en charge des patients et des traitements, les patients atteints d'un sarcome déclarent qu'il s'agit de l'une des pires expériences de soins parmi les patients souffrant du cancer.¹¹

Ce rapport propose cinq domaines clés dans lesquels il convient de faire progresser la politique afin de remédier à cette situation. Tous les patients atteints d'un sarcome devraient avoir accès à des soins spécialisés délivrés par des centres de référence. Il convient de renforcer les liens entre centres de référence et prestataires de services communautaires, de sorte qu'un diagnostic et des soins de qualité soient accessibles aux patients tout au long du parcours de soins. Les critères d'évaluation réglementaire et de remboursement seront adaptés de façon à tenir compte de la spécificité des sarcomes, par exemple la difficulté d'obtention de données en relation avec des essais cliniques à grande échelle. Enfin, les nouveaux traitements prometteurs seront mis à la disposition des patients, aussi rapidement et équitablement que possible, dans tous les pays européens.

Ces recommandations sont, dans une large mesure, applicables aussi à d'autres cancers rares, et peuvent donc être élargies afin d'améliorer la situation des autres cancers rares. Du fait que les patients atteints de cancers rares représentent 22 % de tous les cas de cancer en Europe,¹ l'amélioration urgente des soins et de la qualité de vie de ces patients devrait être une priorité de premier rang pour tous les systèmes de santé européens.



2e partie : **profils par pays**



Cette partie comprend 6 profils par pays des sarcomes, développés pour la France, l'Allemagne, l'Italie, l'Espagne, la Suède et le Royaume-Uni.

Ces documents examinent les performances individuelles des pays au regard des cinq recommandations clés de la Liste de vérification de la Politique de prise en charge des sarcomes.

Les sarcomes en **France**



Chaque année, 3 526 patients se voient diagnostiquer un sarcome des tissus mous ou des viscères, et 521 patients un sarcome osseux (données de 2013).²⁵

Il devrait y avoir au moins un centre de référence sur les sarcomes dans chaque pays.



Il existe **28 centres de référence** pour les sarcomes.²⁶ Trois sont des centres nationaux de coordination, neuf des centres spécialisés et 16 des centres de référence à proprement parler.²⁷ Des centres de référence distincts de pathologie et de cancérologie sont organisés en réseaux. Les centres de référence de cancérologie sont intégrés au **Réseau de référence clinique des sarcomes des tissus mous et des viscères (NetSarc)** et au **Réseau de référence clinique des sarcomes osseux et des tumeurs osseuses rares (ResOs)**.^{25 28}

Le modèle **NetSarc** a fait la preuve de son efficacité. En effet, le bénéfice clinique obtenu chez les patients traités par des chirurgiens et des cancérologues spécialisés au sein du réseau NetSarc s'est avéré meilleur que pour les patients traités en dehors de ce réseau.²⁹ Des représentants des patients, présents au comité NetSarc, contribuent à l'amélioration des procédures de prise en charge.

Les centres de référence de pathologie sont intégrés au **Réseau de référence en pathologie des sarcomes (RRePS)**.²⁸ Le RRePS procède à un second examen anatomopathologique spécialisé afin de confirmer le diagnostic et le type histologique de sarcome des tissus mous.

Le RESOS est un réseau de prise en charge des aspects cliniques et anatomopathologiques des tumeurs osseuses.^{26 28} Plus de 90 % des patients ont bénéficié d'une seconde lecture anatomopathologique par les réseaux RRePS et RESOS.²⁶ Plus de 40 % des premiers diagnostics histologiques ont été modifiés après la seconde lecture, donnant lieu à un traitement plus adapté.^{17 30}

L'accréditation des centres de référence se fait au moyen d'une auto-évaluation doublée d'une évaluation externe indépendante.^{25 27} Il n'existe pas de système de contrôle, et les centres peuvent conserver leur accréditation, par exemple, si l'un de leurs principaux spécialistes des sarcomes décide de mettre un terme à sa collaboration. En outre, l'accréditation est fondée principalement sur l'expertise d'un centre en cancérologie, et non en chirurgie. Or, la qualité de la chirurgie des sarcomes est importante et varie considérablement entre les différents centres de référence.

Il existe peu de chirurgiens spécialisés dans les sarcomes en France, et beaucoup de patients atteints d'un sarcome sont pris en charge par des chirurgiens généralistes dont l'expérience sur les sarcomes est insuffisante. C'est la raison pour laquelle il est actuellement question de mettre en place un réseau national de chirurgie des sarcomes au sein duquel constituer une communauté chirurgicale autour du sarcome. Il est également question de faire en sorte que les patients atteints de sarcome ne soient opérés que par des chirurgiens spécialisés dans des centres de référence.³¹

Tous les spécialistes compétents devraient recevoir une formation sur les sarcomes, et une formation sur les cancers rares devrait être comprise dans le programme général des études médicales.



Il existe en France des **recommandations de prise en charge des patients atteints de sarcomes**. Mais la connaissance qu'en ont les milieux professionnels concernés reste insuffisante, particulièrement dans les zones rurales. Les recommandations sur la radiologie et l'anatomopathologie nécessitent que tous les patients suspectés d'être atteints d'un sarcome soient orientés vers un conseil de dépistage des tumeurs et pris en charge dans un centre de référence.³¹ Il n'existe pas de recommandations officielles sur la chirurgie des sarcomes.

Le **cursus général des études médicales** ne comprend pas de formation sur les cancers rares, mais il est actuellement question d'en mettre une en place. Des groupes de patients collaborent étroitement avec les institutions médicales afin de développer des opportunités de formation sur les sarcomes.

Un **programme** d'apprentissage électronique (**e-learning**) a été mis au point par l'Institut Gustave Roussy afin de mieux former radiologues, médecins généralistes, chirurgiens généralistes et non-spécialistes sur les sarcomes. Ce programme est constitué de modules concernant tous les types de sarcome, avec des vidéos en ligne de cours théoriques et techniques ainsi que des séances de questions/réponses spécialisées. En outre, l'École de formation en cancérologie (EFEC) propose un cours de développement des compétences professionnelles concernant les sarcomes à l'intention de tous les professionnels de santé.³²

Un cours de **formation chirurgicale spécialisée** sur les sarcomes, appelé « **e-surge** », est également disponible. Hébergé par différentes institutions, il propose des interventions chirurgicales en direct et des cours de formation sur les sarcomes et les GIST. Leur objectif est de former des chirurgiens spécialisés dans le cadre du réseau NetSarc.³³



3

La prise en charge des patients atteints de sarcomes devrait être assurée par une équipe pluridisciplinaire (MDT) dans le cadre d'un parcours de soins.



Les recommandations de la Société européenne de cancérologie médicale (ESMO) servent de base aux recommandations sur les sarcomes en France.²⁵ Le réseau NetSarc élabore et diffuse également des recommandations pluridisciplinaires.^{25 34}

Il n'existe pas de définition nationale pour composer une équipe MDT, c'est en fonction des centres de traitement que les patients sont officiellement suivis par un professionnel de santé spécialisé. Cependant, un plan de soins personnalisé est proposé aux patients, et les cas difficiles sont souvent discutés dans le cadre des comités pluridisciplinaires interrégionaux qui réunissent des spécialistes.³⁴

4

Les incitations et les investissements dans la recherche sur les sarcomes doivent être améliorés.



La **Base de données nationale des Sarcomes** collecte les données cliniques de patients discutées **au sein des comités pluridisciplinaires sur les sarcomes (RCP) des centres du réseau NetSarc**.^{25 28} Cette base de données est utilisée par le **Groupe Sarcome français – Groupe d'étude des sarcomes osseux (GSF-GETO)** dans le cadre de la recherche sur les sarcomes. De plus, les réseaux **RRePS** et **RESOS** disposent d'une banque de tissus qui permet des recherches translationnelles.²⁶

Les bases de données sur les sarcomes citées ci-dessus collectent des **données standardisées** sur les caractéristiques des patients et des tumeurs, les prises en charge et les suivis. Souvent, les données sur la survie ne sont pas saisies, à l'exception de la date du décès. Un programme d'assurance qualité a été mis en place et un audit externe est prévu.²⁵

Du fait de l'importance des données disponibles au sein de ces réseaux, la France mène actuellement des projets de recherche sur les sarcomes dans le cadre de projets internationaux sur le génome du cancer.³⁵ Par exemple, 142 études translationnelles portant sur des cancers rares ont été lancées ou sont en cours en France, dont 49 % au sein du réseau NetSarc (chiffre de 2013).²⁵

Par ailleurs, Info Sarcomes (association des patients atteints de sarcomes) subventionne la recherche sur les sarcomes à hauteur de 15 000 € par an.³¹

5

Il faut faire des efforts afin d'améliorer, à l'échelle nationale, l'accès aux soins des patients atteints d'un sarcome et de réduire les inégalités d'accès aux nouveaux traitements.



Des dispositifs spéciaux réglementaires et d'accès aux soins, ont été mis en place pour les cancers rares. Des programmes d'accès précoce, comme l'ATU (Autorisation temporaire d'utilisation) s'adressent aux patients dont le pronostic vital est engagé et/ou pour qui il n'existe pas d'alternative thérapeutique. Il est également possible de traiter en priorité des demandes d'accès à des médicaments qui (a) sont innovants, (b) répondent à des besoins non satisfaits, et qui (c) ont démontré leur efficacité et leur tolérabilité.³⁶ L'ATU peut être accordé par les autorités réglementaires (CA) à la demande d'un médecin pour un patient individuel (ATU nominative) ou pour un groupe défini de patients (ATU de cohorte).

Des données d'essais de phase deux ou ne portant que sur une seule cohorte ne sont pas reconnues comme une preuve suffisante autorisant un remboursement par les organismes nationaux et la Sécurité sociale.

Les patients ne participent pas aux évaluations des technologies de la santé ni aux décisions concernant l'ouverture de voies d'accès aux soins, mais les associations de patients (InfoSarcomes) déploient des efforts visant à modifier cette situation.

Il existe un registre des essais cliniques organisés par l'Institut national du cancer (INCA), connu sous l'appellation de réseau d'essais cliniques NETSARC.²⁵ Le réseau NetSarc-ResOs ouvre l'accès aux essais cliniques nationaux. Cependant, l'accès aux essais cliniques des patients qui ne sont pas pris en charge dans un centre de référence des sarcomes reste limité.

Principaux liens

Info Sarcomes: <http://www.infosarcomes.org/>

SOS Desmoide: <http://www.sos-desmoide.asso.fr/>



Les sarcomes en **Allemagne**



3 940 nouveaux cas de sarcomes des tissus mous (STS), 860 cas de sarcomes osseux et environ 1 200 cas de GIST ont été diagnostiqués en 2013. Cette même année, on a enregistré 385 décès liés à des sarcomes osseux et 1 575 à des STS.³⁷

1

Il devrait y avoir au moins un centre de référence sur les sarcomes dans chaque pays.



Il existe en Allemagne plusieurs centres de prise en charge des patients atteints d'un sarcome. Les centres de Mannheim et d'Essen ont déposé une demande d'adhésion au **Réseau européen de référence (ERN)** des tumeurs rares solides (dont les sarcomes).

Un système officiel d'accréditation des centres nationaux de référence des STS est en cours d'organisation, conformément aux processus de certification Deutsche Krebsgesellschaft e.V. (DKG) et OnkoZert. Les premières accréditations devraient être délivrées au printemps 2018. Cependant, il n'existe pas de processus officiel d'accréditation concernant la désignation des centres nationaux de référence des sarcomes osseux et des GIST. Ceci signifie que n'importe quel hôpital peut mettre en place un centre du sarcome et que les spécialistes du sarcome n'exercent pas nécessairement au sein d'un centre du sarcome, ce qui rend difficile l'accès des patients aux soins appropriés.

Pour cette raison, les organisations de patients ont endossé un rôle actif afin d'aider les patients à prendre contact avec des centres nationaux et des spécialistes du traitement des sarcomes. En particulier, **Das Lebenshaus** recommande une liste de centres et de spécialistes qui ont adopté une approche pluridisciplinaire de la prise en charge.³⁸

2

Tous les spécialistes compétents devraient recevoir une formation sur les sarcomes, et une formation sur les cancers rares devrait être comprise dans le programme général des études médicales.



Il n'existe pas de protocole national de référence sur les sarcomes indiquant aux professionnels de santé les signes avant-coureurs ou les étapes à suivre pour confirmer le diagnostic initial et la nécessité d'une orientation vers un spécialiste.

Les cancers rares ne font pas partie du programme général des études médicales, et les professionnels de santé connaissent mal les sarcomes et la façon de les diagnostiquer correctement. Dans une étude allemande sur la précision du diagnostic du sarcome, il est indiqué que le taux d'erreur de diagnostic initial est supérieur à 60 % dans les services de pathologie non spécialisés.³⁹ Malheureusement, la sensibilisation aux sarcomes et autres cancers rares dans le cadre de la formation des professionnels de santé n'est pas une priorité nationale à l'heure actuelle.

Par ailleurs, les opportunités de formation spécialisée concernant les sarcomes à l'intention des oncologues et autres spécialistes sont rares.

La **Conférence annuelle du sarcome** (www.sarkomkonferenz.de) a été instituée en 2011 en Allemagne afin de renforcer la communauté existante autour du sarcome, en mettant à la disposition des médecins spécialistes, du secteur médical et des représentants des patients de la communauté germanophone du sarcome (Autriche, Allemagne et Suisse) une plateforme de partage de connaissances et d'expertise, en mettant l'accent sur l'éducation et sur un effort de changement des priorités politiques au niveau national.⁴⁰

3

La prise en charge des patients atteints de sarcomes devrait être assurée par une équipe pluridisciplinaire (MDT) dans le cadre d'un parcours de soins.



Il existe des **Directives nationales concernant les traitements** des sarcomes pédiatriques des tissus mous (STS)⁴¹ et des sarcomes utérins,⁴² et des directives nationales concernant le traitement des STS des adultes sont en cours d'élaboration et devraient être publiées dès 2019.

Actuellement, les critères obligatoires de composition d'une MDT concernant les sarcomes n'ont pas encore été précisés, et l'organisation de la prise en charge par des MDT varie entre les centres. Cependant, à l'avenir, la prise en charge par une MDT spécialisée dans les sarcomes sera un critère clé d'accréditation des centres nationaux de référence pour les sarcomes.

4

Les incitations et les investissements dans la recherche sur les sarcomes doivent être améliorés.



Il n'existe pas de registre national couvrant la totalité des sarcomes. Cependant, des efforts sont actuellement déployés afin de modifier cette situation. Il existe un registre national couvrant les types histologiques les plus répandus de tumeur, mais avec peu d'informations sur les caractéristiques des patients atteints de sarcome.

Il existe plusieurs groupes nationaux de recherche et d'étude des sarcomes. Le **Groupe interdisciplinaire de travail sur les sarcomes des tissus mous (IAWS)** de la **Société allemande du cancer** participe à l'élaboration de recommandations cliniques, à la conduite des recherches, à l'encouragement à contribuer à différents registres, à la mise à disposition de formations et à la collaboration avec des groupes internationaux de recherche sur les sarcomes (en particulier **Cancers rares Europe**).⁴³ Le **Groupe allemand Interdisciplinaire du sarcome (GISG)** participe également à ces initiatives, mais il se penche plus précisément sur la mise en œuvre d'essais cliniques nationaux en même temps qu'il participe à des essais cliniques internationaux.⁴⁴ Le **Groupe de travail des sarcomes de l'Arbeitsgemeinschaft Internistische Onkologie (AIO)**, constitué de médecins cancérologues, participe également à la conduite et au développement d'essais cliniques.

Malgré ces efforts de recherche, dans l'ensemble, davantage de financements sont nécessaires à la recherche allemande fondamentale sur les sarcomes, afin de mieux comprendre l'histoire naturelle des sarcomes et d'orienter le développement de traitements efficaces.

5

Il faut faire des efforts afin d'améliorer, à l'échelle nationale, l'accès aux soins des patients atteints d'un sarcome et de réduire les inégalités d'accès aux nouveaux traitements.



Les représentants des patients ne participent pas aux procédures d'évaluation des technologies médicales (HTA). Il n'existe pas de voie d'accès particulière aux médicaments des maladies orphelines. Néanmoins, ces procédures ne nécessitent pas la constitution et le dépôt d'un dossier et les médicaments orphelins sont légalement accordés avec un degré supplémentaire de priorité.

Le **Groupe allemand interdisciplinaire des sarcomes (GISG)** publie en ligne les résultats d'essais, en cours et achevés, sur les sarcomes, et ces informations sont immédiatement accessibles aux patients.⁴⁵ Par ailleurs, le groupe de soutien des patients **Das Lebenshaus** et **SOS Desmoid** communiquent en ligne des informations sur les essais cliniques.⁴⁶ 47 Cependant, les patients doivent être pris en charge dans un centre de référence des sarcomes pour être recrutés dans le cadre d'essais cliniques. Dans ces conditions, l'accès aux soins peut donc être difficile.⁴⁸

Principaux liens

Das Lebenshaus e.V. : www.daslebenshaus.org

SOS Desmoid e.V. : www.sos-desmoid.de

Groupe allemand interdisciplinaire des sarcomes (GISG) : www.gisg.de

AIO Arbeitsgemeinschaft Internistische Onkologie / STS :
www.aio-portal.de/index.php/ueber-uns-294.html

Deutsche Krebsgesellschaft – IAWS Working Group :
www.krebsgesellschaft.de/deutsche-krebsgesellschaft-wtrl/deutsche-krebsgesellschaft/ueber-uns/organisation/sektion-b-arbeitsgemeinschaften/iaws.html

Conférence allemande du sarcome – Sarkomkonferenz : www.sarkomkonferenz.de



Les sarcomes en Italie



Pour tous les types de sarcome, le taux d'incidence annuelle est de 6 cas pour 100 000 individus, et l'on estime les nouveaux cas à 5 883 par an (2015). Sur ce chiffre, 4 072 sont des sarcomes des tissus mous, 499 des sarcomes osseux, 386 des tumeurs gastro-intestinales stromales (GIST) et 927 des sarcomes de Kaposi.⁴⁹

1

Il devrait y avoir au moins un centre de référence sur les sarcomes dans chaque pays.



Une dizaine de centres italiens de référence des sarcomes ont été sélectionnés afin de rejoindre le **Réseau européen de référence (ERN) des tumeurs solides rares (y compris les sarcomes) chez les adultes**.⁵⁰

Le **Réseau italien des cancers rares** est un réseau clinique professionnel qui relie entre eux des centres de référence sur les sarcomes. Fondé sur la collaboration volontaire des centres participants, il prend en charge une moyenne de 1 000 patients par an.⁵¹ Ce Réseau manque encore d'un cadre officiel d'accréditation, bien que des efforts soient actuellement consacrés à sa mise en oeuvre.^{49 51} **Par exemple, la Société italienne de cancérologie chirurgicale (SICO)** collabore avec différentes sociétés cancérologiques à la définition de critères applicables aux centres de référence du Réseau italien des cancers rares, ainsi qu'à la création d'un ensemble d'**indicateurs de qualité**. Cependant, le choix des instances responsables de l'accréditation et de l'évaluation à venir des centres de référence reste une question ouverte.⁵²

Un **groupe de travail**, auquel participent le **Ministère italien de la Santé** et des représentants de 20 régions, a été constitué en 2016 afin de déterminer les meilleures modalités officielles d'intégration du Réseau italien des cancers rares dans le Système national de santé.⁵¹ Des discussions sont toujours en cours, alors que l'objectif consiste à obtenir la reconnaissance officielle du Réseau italien des cancers rares, entre autres objectifs nationaux, dans le domaine de la santé.⁵⁰

2

Tous les spécialistes compétents devraient recevoir une formation sur les sarcomes, et une formation sur les cancers rares devrait être comprise dans le programme général des études médicales.



Dans l'ensemble, les **recommandations cliniques** concernant différents types de sarcome (sarcome d'Ewing,⁵³ sarcome osseux,⁵⁴ STS et GIST⁵⁵) préconisent l'orientation vers des centres spécialisés pour des diagnostics histologiques et des traitements appropriés.

Il n'existe pas de formation officielle concernant les cancers rares (y compris les sarcomes) dans le cadre du **programme général des études médicales**. Il n'existe pas davantage de **formation en cancérologie**, bien que des efforts soient actuellement déployés afin de créer des programmes de formation davantage institutionnalisés.^{50 52}

Un programme de **formation chirurgicale spécialisée** concernant les sarcomes est proposé **en Italie par l'École européenne des sarcomes des tissus mous**.⁵⁶ Ce point est important, car en Italie c'est souvent aux chirurgiens que les patients atteints d'un sarcome s'adressent en premier lieu. Il existe aussi un certain nombre d'autres programmes d'échange.^{50 57} Par exemple, l'Istituto Ortopedico Rizzoli (Bologne) propose un cours de pathologie musculosquelettique.⁵⁸

3

La prise en charge des patients atteints de sarcomes devrait être assurée par une équipe pluridisciplinaire (MDT) dans le cadre d'un parcours de soins.



Actuellement en Italie, les prises en charge pluridisciplinaires ne sont ni obligatoires ni encadrées, et la composition des MDT Sarcome n'est pas clairement définie. Cependant, des normes de prise en charge et des recommandations pluridisciplinaires sont en cours d'élaboration dans le cadre des critères d'accréditation de centres de référence au sein du **Réseau italien des cancers rares**.⁵² L'organisation de la prise en charge au sein des MDT est également une condition préalable de l'admission des centres dans le **Réseau européen de référence (ERN)** des tumeurs rares solides chez les adultes (y compris les sarcomes), qui devrait être opérationnel courant 2017.⁵⁰

En fonction des ressources des hôpitaux, un plan personnalisé de soins peut être communiqué aux patients suivis par un professionnel de santé spécialisé. Mais ce processus n'a pas été rendu obligatoire au niveau national.

4

Les incitations et les investissements dans la recherche sur les sarcomes doivent être améliorés.



L'**Association nationale italienne des Registres des cancers (AIRTUM)** rassemble des données sur les sarcomes (incidence, prévalence et survie) communiquées par 40 registres des cancers concernant la population générale, et par 5 registres spécialisés.⁴⁹ Avec une couverture de 50 % de la population italienne en 2013, elle permet la réalisation d'études épidémiologiques des cancers en Italie.⁴⁹ Cependant, la base de données de l'AIRTUM ne fournit pas toujours des informations détaillées sur la pathologie et la qualité de vie des patients. Le **Réseau italien des cancers rares** dispose de sa propre base de données concernant la totalité des cas cliniques qu'il est possible de consulter à distance, mais qui n'est toutefois pas représentative de tous les cas de sarcome.⁵⁰

Il est donc nécessaire de collecter des **données hospitalières prospectives** concernant le diagnostic, la prise en charge et la qualité de vie des patients atteints d'un sarcome. Actuellement, seulement deux centres (Milan et Bologne) communiquent ce genre de données. La collecte obligatoire de données prospectives doit être intégrée dans les données d'accréditation des ERN.⁵²

Le **Groupe Sarcome italien** mène des activités de recherche et déploie des efforts de collecte des données sur les sarcomes en Italie. Des efforts significatifs de recherche sont déployés aussi dans le domaine des sarcomes pédiatriques.^{59 60}

5

Il faut faire des efforts afin d'améliorer, à l'échelle nationale, l'accès aux soins des patients atteints d'un sarcome et de réduire les inégalités d'accès aux nouveaux traitements.



Il n'existe pas en Italie de mécanismes prioritaires d'accès à des médicaments orphelins des cancers rares. L'accès à des traitements innovants dans les cas pour lesquels il n'existe pas de traitement alternatif est stipulé dans un décret (N° 648/96).^{61 62} En théorie, une limite de 100 jours est appliquée aux négociations portant sur la tarification et le remboursement prioritaires. Celle-ci n'est cependant pas toujours respectée. Ce décret n'a pas encore été appliqué aux médicaments des cancers rares.

En Italie, les patients ne participent pas aux activités de HTA et n'ont pas accès aux processus décisionnels.

Des efforts sont actuellement déployés à l'échelle nationale afin d'améliorer l'accès aux traitements des cancers rares. L'**Association des médecins oncologues italiens (AIOM)** a publié des recommandations visant à améliorer l'accès aux soins des patients atteints d'un sarcome. Elle collabore actuellement avec l'**Agence italienne des médicaments (AIFA)** afin de réduire la complexité et la durée d'introduction de nouveaux médicaments.⁴⁹

Pour ce qui concerne l'accès aux essais cliniques, le **Groupe Sarcome italien** met à disposition une liste de tous les essais cliniques en cours sur les sarcomes en Italie, et une liste exhaustive de tous les essais cliniques est accessible sur le site web de l'Association des médecins oncologues italiens (AIOM).^{63 64}

Principaux liens

Groupe Sarcome italien : <http://www.italiansarcomagroup.org/>



Les sarcomes en **Espagne**



En Espagne, l'incidence des sarcomes des tissus mous (STS) est estimée à 3,1 cas pour 100 000 individus (2015).⁶⁵

1

Il devrait y avoir au moins un centre de référence sur les sarcomes dans chaque pays.



Cinq centres de référence des sarcomes (CSUR) ont été approuvés par le Ministère espagnol de la Santé dans la perspective de leur intégration au Réseau européen de référence (ERN) des tumeurs solides rares chez les adultes (y compris les sarcomes). Deux de ces centres se situent en Catalogne, deux à Madrid et un à Séville.^{66 67 68}

Ces centres ont été sélectionnés en fonction des critères suivants : ils doivent accueillir un **nombre minimum de patients** chaque année (80 cas pour les sarcomes des tissus mous, 10 pour les sarcomes rétropéritonéaux et 10-12 pour les sarcomes osseux) ;⁶⁷ ils doivent disposer de **structures pluridisciplinaires** appropriées (chirurgiens, radiologues, pathologistes et cancérologues qui contribuent tous à la prise en charge des patients)), ainsi que d'un **service d'anatomopathologie** pour les diagnostics.⁶⁶

Il n'existe pas de **système de contrôle** à l'heure actuelle. Des discussions ont eu lieu à propos de plans de développement d'un nouveau système d'accréditation, mais aucune décision définitive n'a encore été prise concernant les instances responsables de l'exécution de ces évaluations.⁶⁷ En outre, des difficultés financières en ralentissent la mise en œuvre (voir étude de cas).



ÉTUDE DE CAS :

le manque de financement des centres de référence en Espagne

Malgré l'officialisation en Espagne des centres de référence nationaux sur les sarcomes, les difficultés de financement persistent, et aucun budget supplémentaire n'a été alloué à la création et au fonctionnement d'équipes pluridisciplinaires et de services appropriés dans ces centres.⁶⁶

Souvent, les patients doivent se déplacer dans une autre région (Comunidad Autonoma) pour y recevoir le traitement approprié. Les coûts associés, par exemple pour le voyage, ne sont souvent pas remboursés et les patients doivent les payer de leur poche. Les cancérologues peuvent soumettre des demandes de remboursement pour leurs patients, mais les procédures sont lentes et il n'est pas garanti qu'elles aboutissent.⁶⁷

Tous les spécialistes compétents devraient recevoir une formation sur les sarcomes, et une formation sur les cancers rares devrait être comprise dans le programme général des études médicales.



Il existe des recommandations de prise en charge des patients au niveau national indiquant des **critères cliniques qui justifient une orientation** vers des centres de référence sur les sarcomes, et recommandant des parcours de soins en fonction desquels les patients sont orientés par des centres de santé primaire à des centres spécialisés dans les sarcomes.⁶⁹ Cependant, cette procédure de référence n'est pas obligatoire, et les patients sont donc fréquemment traités en dehors de ces centres.

En Espagne, le **programme général des études médicales** varie en fonction des universités, et tous les diplômés des facultés de médecine ne reçoivent donc pas une formation sur les cancers rares (y compris les sarcomes), sans parler de la cancérologie générale.⁶⁷ Il existe en Espagne, pour les cancérologues et les chirurgiens, des possibilités de suivre des formations sur les sarcomes, et des associations de patients atteints de sarcomes travaillent à améliorer la connaissance de ces pathologies par les professionnels de santé (voir étude de cas).^{70 71}



ÉTUDE DE CAS :

les efforts de formation à la connaissance des sarcomes

L'**Association espagnole des patients atteints d'un sarcome (AEAS)** et la **Fundación Mari Paz Jiménez Casado (FMPJC)** encouragent à l'échelle nationale la diffusion des connaissances et les efforts de formation sur les sarcomes. Elles ont lancé l'initiative d'un programme de diagnostic précoce des sarcomes, spécialement à l'intention des médecins généralistes. L'**AEAS** et la **FMPJC** contribuent à adresser les patients à des spécialistes experts dans la prise en charge des sarcomes afin de confirmer leur diagnostic⁷² et mettre en place un traitement adéquat. La **FMPJC** attribue chaque année des bourses et des subventions afin d'encourager la formation des médecins et des chercheurs sur les sarcomes.^{73 74}



3

La prise en charge des patients atteints de sarcomes devrait être assurée par une équipe pluridisciplinaire (MDT) dans le cadre d'un parcours de soins.



Il existe des recommandations pluridisciplinaires concernant la prise en charge de tous les types de sarcome. La dernière mise à jour des recommandations pluridisciplinaires de pratique clinique concernant les sarcomes des tissus mous ont été publiées en 2016 par le **Groupe espagnol de recherche sur les sarcomes (GEIS)** et par le **Groupe espagnol de cancérologie (SEOM)**.⁷⁵ Conformément à ces directives, les **MDT** comprendront au minimum des pathologistes, des radiologues, des chirurgiens, des cancérologues et des cancérologues spécialisés en radiologie.⁶⁹ Les recommandations concernant les GIST et les sarcomes osseux sont en cours de mise à jour.

L'**encadrement des patients atteints d'un sarcome par un professionnel de santé spécialisé et la mise en œuvre d'un plan de soins personnalisé** ne sont pas une priorité à l'heure actuelle en raison du faible niveau des ressources et des différences de pratique d'un hôpital à un autre. Les plans de soins personnalisés tendent à être informels et ils dépendent entièrement du professionnel de santé compétent.⁶⁷

4

Les incitations et les investissements dans la recherche sur les sarcomes doivent être améliorés.



Il **n'existe pas en Espagne de registre national des sarcomes** et il est peu probable que cela devienne une priorité pour le gouvernement en raison des contraintes financières en vigueur. Le regroupement des données des centres de référence des sarcomes n'est pas obligatoire.

Il existe cependant des réseaux nationaux et internationaux de recherche sur les sarcomes, dans le cadre du **Groupe espagnol de recherche sur les sarcomes (GEIS)**.^{73 76 77} Ils facilitent la collaboration à l'échelle nationale entre personnels médicaux et de recherche en Espagne et au niveau international. 70 centres participants sont répartis dans toute l'Espagne et plus de 20 essais cliniques en collaboration sont en cours. Le GEIS contribue également à promouvoir la recherche fondamentale et translationnelle sur les sarcomes.^{73 76 77}

En outre, le **Projet Sarcomes rares** a été mis au point afin de déterminer la charge que représentent les sarcomes rares en Espagne. Les données collectées comprennent des rapports sur l'épidémiologie, les types de traitement, l'échantillonnage des tissus, l'anatomopathologie et les biopsies. Ces données seront utilisées afin d'améliorer le parcours de soins des patients.⁶⁷

Il faut faire des efforts afin d'améliorer, à l'échelle nationale, l'accès aux soins des patients atteints d'un sarcome et de réduire les inégalités d'accès aux nouveaux traitements.



Il n'existe pas de critère spécifique d'évaluation des technologies médicales concernant les médicaments orphelins. Cependant, il existe, dans certains hôpitaux, une procédure de **demande d'usage compassionnel** pour des médicaments qui n'ont pas encore été approuvés.⁶⁷ En règle générale, l'accès aux médicaments orphelins est limité : une étude portant sur 60 médicaments orphelins a révélé que seulement un tiers de ceux-ci étaient disponibles en Espagne - contre 90 % en France, aux Pays-Bas et au Danemark.⁷⁸

En Espagne, les patients ne participent généralement pas aux évaluations des technologies médicales (HTA) et des mécanismes d'accès aux traitements, bien que cela ait été le cas pour un certain nombre de médicaments orphelins. Les associations de patients ont aussi créé une plateforme commune et initié des efforts visant à faciliter l'accès aux médicaments utilisés dans le traitement des sarcomes. Par exemple, la **Fundación Mari Paz Jiménez Casado** propose aux patients les services d'une équipe juridique qui donne des avis sur les difficultés d'accès auxquelles ils sont confrontés.⁶⁷

Quand les prix et les modalités de remboursement ont été approuvés au niveau national, les nouveaux traitements doivent encore être enregistrés dans chacun des 17 formulaires régionaux, et alors les hôpitaux individuels peuvent ou non procéder eux aussi à leurs propres évaluations. Ce système d'approbation des médicaments peut entraîner, pour les patients, d'importants retards et des inégalités régionales d'accès aux nouveaux traitements.

Les informations sur les essais cliniques sont accessibles aux patients sur le **site web du GEIS** et sur celui de l'**Association espagnole des patients atteints d'un sarcome (AEAS)** pour ce qui concerne les sarcomes et les GIST.⁷⁹

Principaux liens

Association espagnole des patients atteints d'un sarcome (AEAS) : <http://www.aeasarcomes.org/>

Fundación Mari Paz Jiménez Casado (FMPJC) : <http://www.fundacionmaripazjimenez.org/>

Groupe espagnol de recherche sur les sarcomes (GEIS) : <http://www.grupogeis.org/>



Les sarcomes en Suède



On estime à environ 300 par an le nombre de patients atteints de sarcome. Ce chiffre est toutefois probablement supérieur (400-500 cas) en raison du nombre de cas non enregistrés de tumeur gastro-intestinale stromale (GIST).⁸⁰ On dénombre 70 à 100 cas de sarcome osseux, 50 cas de sarcome des viscères et de sarcome rétropéritonéal, et environ 180 à 250 cas d'autres sarcomes des tissus mous (STS) par an. Les GIST sont sans doute comprises dans les sarcomes des viscères, mais étant donné que l'incidence des GIST a été estimée à environ 12 pour un million d'individus par an, la Suède compte environ 120 nouveaux cas de ce type. En outre, les sarcomes représentent approximativement 10 % de tous les cancers pédiatriques et des jeunes adultes.^{80 81}

1

Il devrait y avoir au moins un centre de référence sur les sarcomes dans chaque pays.



La Suède a centralisé la prise en charge des sarcomes dans cinq de ses six régions sanitaires. Il existe des **centres de référence des sarcomes** à Göteborg, Linköping, Lund, Stockholm et Umeå.⁸² La région sanitaire d'Uppsala est la seule qui n'ait pas réussi à centraliser la prise en charge des sarcomes dans un centre de référence, en raison de l'absence de groupe pluridisciplinaire sur les tumeurs et de chirurgiens orthopédiques. En conséquence, à Uppsala, les patients dont le cas relève de la chirurgie sont adressés à Stockholm, et les autres formes de traitement sont décentralisées.

Bien qu'il n'existe pas de système officiel d'**accréditation et de contrôle** des centres de référence, en réalité les patients atteints d'un sarcome sont traditionnellement orientés vers ces centres.

Le contrôle de la qualité de la prise en charge des sarcomes des extrémités et de la paroi du tronc est réalisé en fonction de données communiquées en ligne. Les statistiques relatives au délai écoulé entre l'orientation et le diagnostic, et entre le diagnostic et le traitement, sont collectées à l'échelle nationale, tout comme les informations concernant les décisions de prise en charge formulées par les MDT et les marges chirurgicales de résection R0.⁸³ De plus, un contrôle suivi est également assuré dans chaque centre individuel de référence des sarcomes. Par exemple, à Lund, un groupe pluridisciplinaire de pilotage se réunit au moins trois fois par an pour discuter de la qualité de la prise en charge et des solutions potentielles à mettre à la disposition de tous les patients atteints d'un sarcome (par ex. nombre de spécialistes, formation, ressources, etc.).



Tous les spécialistes compétents devraient recevoir une formation sur les sarcomes, et une formation sur les cancers rares devrait être comprise dans le programme général des études médicales.



La **formation sur les cancers rares** n'est pas une partie obligatoire du cursus médical des oncologues, bien qu'il y ait dans le cursus des internes en orthopédie un cours obligatoire sur les tumeurs des tissus mous et osseuses, centré sur les symptômes des sarcomes et la procédure initiale de diagnostic.

La Suède a été pionnière en Scandinavie en proposant des **recommandations simples concernant l'orientation des patients atteints de STS**.⁸⁴ Il s'agit d'indiquer aux professionnels de santé les symptômes des sarcomes et de faire clairement ressortir les **étapes de l'orientation** vers des centres de référence sur les sarcomes. Si un sarcome est suspecté, il est recommandé aux professionnels de santé d'orienter les patients directement vers un centre de référence, avant la pratique d'une biopsie et/ou une intervention chirurgicale.

Cette **pratique de l'orientation** permet aux patients de bénéficier d'une prise en charge rapide spécialisée dans un centre de référence. Il est également apparu qu'elle améliore la fréquence de l'orientation, qu'elle permet de réduire les coûts associés aux récidives locales et que les performances chirurgicales et l'état de santé des patients sont améliorés.^{84 85} En fonction du type de sarcome, entre 80 et 100 % des cas sont orientés vers des centres de référence avant de décider d'une intervention chirurgicale.^{86 87}

Malheureusement, les modèles d'orientation ont été moins performants pour les **sarcomes viscéraux**. Cependant, des améliorations sont en cours, par exemple l'orientation systématique de tous les patients atteints d'un sarcome rétropéritonéal vers l'un de trois hôpitaux suédois spécialisés dans les interventions chirurgicales correspondantes. De la même façon, les patients atteints de GIST sont souvent pris en charge, sur le plan chirurgical ou médicamenteux, en dehors d'un centre de référence sur les sarcomes.

Le Groupe scandinave Sarcome (SSG) a pour finalité de mettre en relation des spécialistes scandinaves des sarcomes pour qu'ils élaborent collectivement des protocoles, des directives et des recommandations fondés sur une approche pluridisciplinaire.^{88 89} Les centres suédois de référence sont en relation avec des centres norvégiens (Oslo, Bergen, Trondheim et Tromsø), et dans une moindre mesure avec des centres finlandais et danois.

3

La prise en charge des patients atteints de sarcomes devrait être assurée par une équipe pluridisciplinaire (MDT) dans le cadre d'un parcours de soins.



On estime que 90 % des patients atteints d'un sarcome sont pris en charge par une MDT.

À l'échelle nationale, des parcours standardisés de prise en charge des sarcomes sont actuellement développés par les conseils inter-régionaux des **Centres régionaux du cancer (RCC)**, en collaboration avec les **Communautés et Comtés suédois (SKL)**. Cependant, cette mise en œuvre ne comporte pas d'augmentation du nombre des professionnels de santé, pourtant nécessaire si l'on veut atteindre l'objectif visé.

Le **Registre suédois du cancer** rassemble des données relatives à tous les patients atteints d'un sarcome en Suède. Il indique si des plans de traitement ont été ou non décidés par un comité pluridisciplinaire, si le patient a été ou non pris en charge par un(e) **infirmier/infirmière référent(e)** et le moment auquel il a été informé du **plan initial de traitement**.⁸¹ Ce Registre rassemble aussi des informations concernant les modèles d'orientation des patients, les délais de réalisation et les caractéristiques des tumeurs.

4

Les incitations et les investissements dans la recherche sur les sarcomes doivent être améliorés.



Les données des patients de tous les centres de référence sur les sarcomes sont collectées à l'échelle nationale et rassemblées dans un registre de qualité de l'INCA (Institut national du cancer), qui fait partie du **Registre suédois du cancer**. La plateforme de l'INCA permet une couverture nationale de toutes les régions. Des discussions sont en cours en vue de relier entre elles les données des patients atteints d'un sarcome et celles des patients d'autres pays nordiques, car elles rassemblent toutes des informations identiques qu'il est donc facile de fusionner. À compter de 2017, un rapport scandinave conjoint sur les sarcomes sera publié tous les ans.

Le SSG dirige des projets nationaux et internationaux de recherche sur les sarcomes en Scandinavie.⁹⁰ Il a joué un rôle important dans l'amélioration de la qualité du diagnostic des patients atteints de sarcome, dans son analyse histologique,⁸¹ dans la prise en charge et les soins et participé à la mise en place d'une plateforme de coordination de la recherche fondamentale et des essais cliniques dans tous les pays participants.⁸⁸

Il faut faire des efforts afin d'améliorer, à l'échelle nationale, l'accès aux soins des patients atteints d'un sarcome et de réduire les inégalités d'accès aux nouveaux traitements.



Il n'existe pas de critères spécifiques d'évaluation des technologies médicales concernant les médicaments orphelins, et les patients ne participent pas à ce processus. Cependant, des discussions sont en cours quant à l'opportunité d'accepter un rapport supérieur coût/QALY (années de vie pondérées par la qualité), de même qu'un plus grand degré d'incertitude des données cliniques en relation avec les médicaments orphelins résultant de la gravité de la maladie et de l'importance des besoins non satisfaits.

La plupart des médicaments hospitaliers (par ex. des médicaments anti-cancéreux administrés sous forme de perfusion) ne sont pas remboursés par la sécurité sociale – Agence suédoise de prise en charge pharmaceutique (TLV). À la place, ceux-ci sont évalués au moyen d'un **nouveau système d'accès à la prise en charge**, qui vise à réduire les inégalités d'accès qui sont fonction des 21 conseils de comté indépendants.

Ce nouveau système de prise en charge fait actuellement l'objet d'une enquête de l'Agence suédoise d'analyse des services de santé (Vårdanalys). Il s'agit d'évaluer le processus dans son ensemble du point de vue du patient (en fonction de sa transparence, de sa prévisibilité et de son efficacité). Les conclusions du rapport de cette autorité seront intégrées dans l'enquête gouvernementale récemment annoncée sur la tarification des produits pharmaceutiques et sur leur financement. Un projet de rapport sera présenté en novembre 2017, et finalisé fin 2018.

En règle générale, l'accès aux essais cliniques est correct, hormis quelques exceptions concernant la région d'Uppsala dues à l'absence de centres de référence. Tous les centres de référence sont informés de la totalité des essais cliniques entrepris par le SSG.

Principaux liens

Groupe Sarcome scandinave : <http://www.ssg-org.net/>

Groupe Sarcome scandinave des personnels infirmiers et des kinésithérapeutes :
<http://www.ssg-nurses-physiotherapists.org/>



Les sarcomes au **Royaume-Uni**



Chaque année, **3 800 cas de sarcome sont diagnostiqués au Royaume-Uni**, soit 1 % de tous les cancers.¹¹

Il devrait y avoir au moins un centre de référence sur les sarcomes dans chaque pays.



Il existe au Royaume-Uni des centres de référence pour tous les types de sarcome. Il y a en Angleterre une quinzaine de centres spécialisés dans la prise en charge des sarcomes. Dans le sud du Pays de Galles, il existe un centre spécialisé dans les sarcomes des tissus mous ; tous les autres patients gallois atteints d'un sarcome sont envoyés en Angleterre où ils sont pris en charge. Trois hôpitaux d'Irlande du Nord prennent en charge les patients atteints d'un sarcome ; ils sont au nombre de cinq en Écosse. Tous ces établissements sont regroupés au sein d'un même réseau.^{91 92}

Il n'existe pas de **système national officiel d'accréditation** des centres de référence des sarcomes, et actuellement l'accréditation est fondée sur le détachement de spécialistes. Des normes sont fixées par les principales publications de l'Institut national pour l'excellence des soins de santé (National Institute for Health and Care Excellence, NICE). Elles sont regroupées dans le rapport intitulé « **Amélioration du résultat de la prise en charge des patients atteints d'un sarcome : Manuel (2006), et Normes de qualité concernant les sarcomes** » (2014) (voir encadré).^{8 12 93} Chaque groupe de détachement clinique (clinical commissioning group, CCG) a pour responsabilité de faire en sorte que les centres de référence soient accessibles à tous les Britanniques, et qu'ils respectent ces normes nationales.⁹⁴

Il n'existe **pas de système officiel de contrôle** permettant l'évaluation continue de la qualité des soins délivrés dans les centres de référence des sarcomes. Cependant, un Programme de surveillance de la qualité, fondé sur les **Mesures pour le sarcome de l'Équipe nationale d'examen du cancer par des pairs – Équipe nationale d'action contre le cancer** est en cours d'élaboration.⁹³

NICE – Les normes de qualité sur les sarcomes dictent les attentes de qualité des services fournis par les centres de prise en charge des sarcomes.⁹³

Principe n° 1. Les groupes consultatifs et les équipes pluridisciplinaires Sarcome (MDT) disposent de procédures d'orientation et de diagnostic applicables aux patients suspectés d'être atteints d'un sarcome.

Principe n° 2. Les adultes, enfants et jeunes gens atteints d'un sarcome osseux et les adultes atteints d'un sarcome des tissus mous sont pris en charge dans le cadre d'une décision prise par une MDT Sarcome. Leur traitement leur est administré par les services désignés par le groupe consultatif Sarcome.

Principe n° 3. Les MDT Sarcome publient des informations concernant leurs recommandations de prise en charge, leurs activités et les résultats obtenus pour les patients, y compris des informations sur des sarcomes localisés.

Principe n° 4. Les patients atteints d'un sarcome rétropéritonéal sont orientés, avant qu'un quelconque traitement soit entrepris, vers un centre de référence des sarcomes spécialisé dans la prise en charge de ce type de tumeur.

Principe n° 5. Les chirurgiens qui opèrent les patients atteints de sarcomes dirigent une MDT, ou en sont des membres associés.

Principe n° 6. Les patients atteints d'un sarcome sont suivis par un professionnel de santé spécialiste des sarcomes (et de leur traitement).

Tous les spécialistes compétents devraient recevoir une formation sur les sarcomes, et une formation sur les cancers rares devrait être comprise dans le programme général des études médicales.



Des **critères d'évaluation** ont été déterminés pour tous les types de sarcomes indiquant aux professionnels de santé les **symptômes** nécessitant une orientation vers un centre de référence.^{91 95 96} En outre, l'importance du diagnostic précoce de cancer est mise en relief dans plusieurs publications nationales importantes du NICE.^{8 12 97}

Le **programme général des études médicales** ne comprend pas de modules sur les sarcomes ou les cancers rares, et ces formations dépendent essentiellement des facultés de médecine respectives. Cependant, des formations spécialisées concernant les sarcomes sont largement disponibles au Royaume-Uni et il existe aussi de nombreuses opportunités à l'étranger.

Une formation plus développée serait bénéfique pour les patients atteints d'un sarcome, car au Royaume-Uni les délais précédant la formulation d'un diagnostic – juste ou faux – ne changent pas. D'après l'Étude sur les patients atteints d'un sarcome, seulement 20 % sont informés par leur médecin généraliste (GP) ou par un médecin consulté en urgence qu'ils sont susceptibles d'être atteints d'un sarcome, et 27 % des patients ayant consulté leur généraliste ont d'abord été traités pour une autre affection ou se sont entendus dire que leurs symptômes n'étaient pas graves.¹¹

Deux initiatives ont été mises en place afin de sensibiliser les médecins généralistes aux symptômes des sarcomes et de les encourager à orienter leurs patients sans délai. Il s'agit de la campagne « On the ball » (voir étude de cas) et du programme « Sensibilisation et vigilance concernant les sarcomes », accrédité par le British Medical Journal et qui forme les médecins à diagnostiquer correctement les sarcomes.



ÉTUDE DE CAS :

sensibiliser aux sarcomes dans le cadre de la campagne « On the ball » de Sarcome UK

La campagne de sensibilisation publique « On the ball » de Sarcome UK a pour objectif de former les médecins à identifier précocement les sarcomes.⁹⁸

Les packs « On the ball » contiennent une balle de golf porte-clefs sur laquelle est inscrit le message « Est-ce un sarcome? », qui doit agir sur les médecins comme un rappel visuel concernant les signes cliniques de sarcome, et aussi comme une trousse à outils de diagnostic contenant une fiche d'informations cliniques sur les sarcomes, une liste des signes avant-coureurs de sarcome, et un rappel de la nécessité d'orienter les patients atteints d'un sarcome directement vers des centres spécialisés afin qu'un diagnostic soit posé et un traitement entrepris.^{92 99}

Plus de 1 600 packs « On the Ball » ont été distribués jusqu'ici.⁹⁹



3

La prise en charge des patients atteints de sarcomes devrait être assurée par une équipe pluridisciplinaire (MDT) dans le cadre d'un parcours de soins.



Il existe au Royaume-Uni des directives pour le traitement de tous les types de sarcome.^{91 95 96} Elles précisent la nécessité d'équipes pluridisciplinaires, de professionnels de santé référents qui suivent les patients, de traitements approuvés dans des centres de référence des sarcomes et de plans de soins personnalisés des patients.^{91 95} L'importance des MDT est largement reconnue, et il semble que les patients atteints d'un sarcome soient le plus souvent pris en charge par celles-ci.⁸ En 2015, au Royaume-Uni, 90 % des patients atteints de sarcome étaient pris en charge par une MDT.

Cependant, de nouvelles améliorations sont nécessaires afin que tous les patients bénéficient de plans de soins personnalisés. D'après l'Étude sur les patients atteints de sarcome, la communication d'un plan détaillé sur les étapes de traitement a été réalisée chez 48 % des patients seulement et 40 % d'entre eux ont déclaré qu'on ne leur avait rien communiqué du tout.¹¹

4

Les incitations et les investissements dans la recherche sur les sarcomes doivent être améliorés.



Il n'existe pas au **de registre national du sarcome au Royaume-Uni**. Cependant, le Service national d'enregistrement et d'analyse des cancers (National Cancer Registration and Analysis Service, NCRAS) coordonne 8 registres régionaux, et l'enregistrement est obligatoire pour tous les hôpitaux du NHS, mais pas pour les traitements entrepris à titre privé. Il existe un ensemble de données sur les sarcomes à l'échelle nationale. Les données collectées concernent les traitements, comme les chimiothérapies et les radiothérapies. Toutes les données s'inscrivent dans le cadre des statistiques nationales concernant les décès, de sorte que l'on obtient un tableau complet des événements concernant un patient : date du diagnostic, modalités de traitement et date du décès.

Il n'existe pas d'incitations de l'État à la recherche concernant les maladies rares.⁹⁴ Cependant, Sarcome UK finance différents projets de recherche, et depuis 2009 plus d'un million de £ ont été distribuées sous forme de subventions à la recherche médicale en vue de mieux comprendre les sarcomes.¹⁰⁰

Le secteur de l'investissement volontaire dans la recherche sur le sarcome, qui continue de se développer, représente plus de 4 millions de £ par an. Il existe un certain nombre de **collaborations à la recherche** entre des organisations caritatives, des universités, des entités cliniques, des ONG (Cancer Research UK, Sarcome UK, Bone Cancer Research Trust) et l'État – financées par l'intermédiaire du National Institute for Health Research (NIHR) et du Medical Research Council (MRC).⁹⁴

Il faut faire des efforts afin d'améliorer, à l'échelle nationale, l'accès aux soins des patients atteints d'un sarcome et de réduire les inégalités d'accès aux nouveaux traitements.



Des dispositifs spéciaux, réglementaires et d'accès aux soins, ont été mis en place afin de prendre en charge les cancers rares. Le processus NICE ultra-orphelin a été développé sur la base de l'évaluation d'un médicament contre les sarcomes, même si de récents traitements contre les sarcomes ont été approuvés par le Fonds pour les médicaments contre le cancer (Cancer Drugs Fund).^{94 101 102} Les patients atteints d'un sarcome peuvent participer, et l'ont déjà fait, au processus NICE d'évaluation des médicaments et de conseil.⁹⁴

Les essais cliniques concernant les sarcomes, et ceux ouverts aux patients atteints de sarcome sont accessibles en ligne sur le Portail des essais cliniques du Royaume-Uni.¹⁰³ Cependant, les patients atteints d'un sarcome peuvent être **mal informés des options d'essais cliniques** – 67 % des patients de l'Enquête sur les patients atteints d'un sarcome déclarent qu'on ne leur a pas demandé s'ils souhaiteraient participer à des essais cliniques, et seulement 22 % ont effectivement participé à un essai.¹¹

Principaux liens

Sarcoma UK: <https://sarcoma.org.uk/>



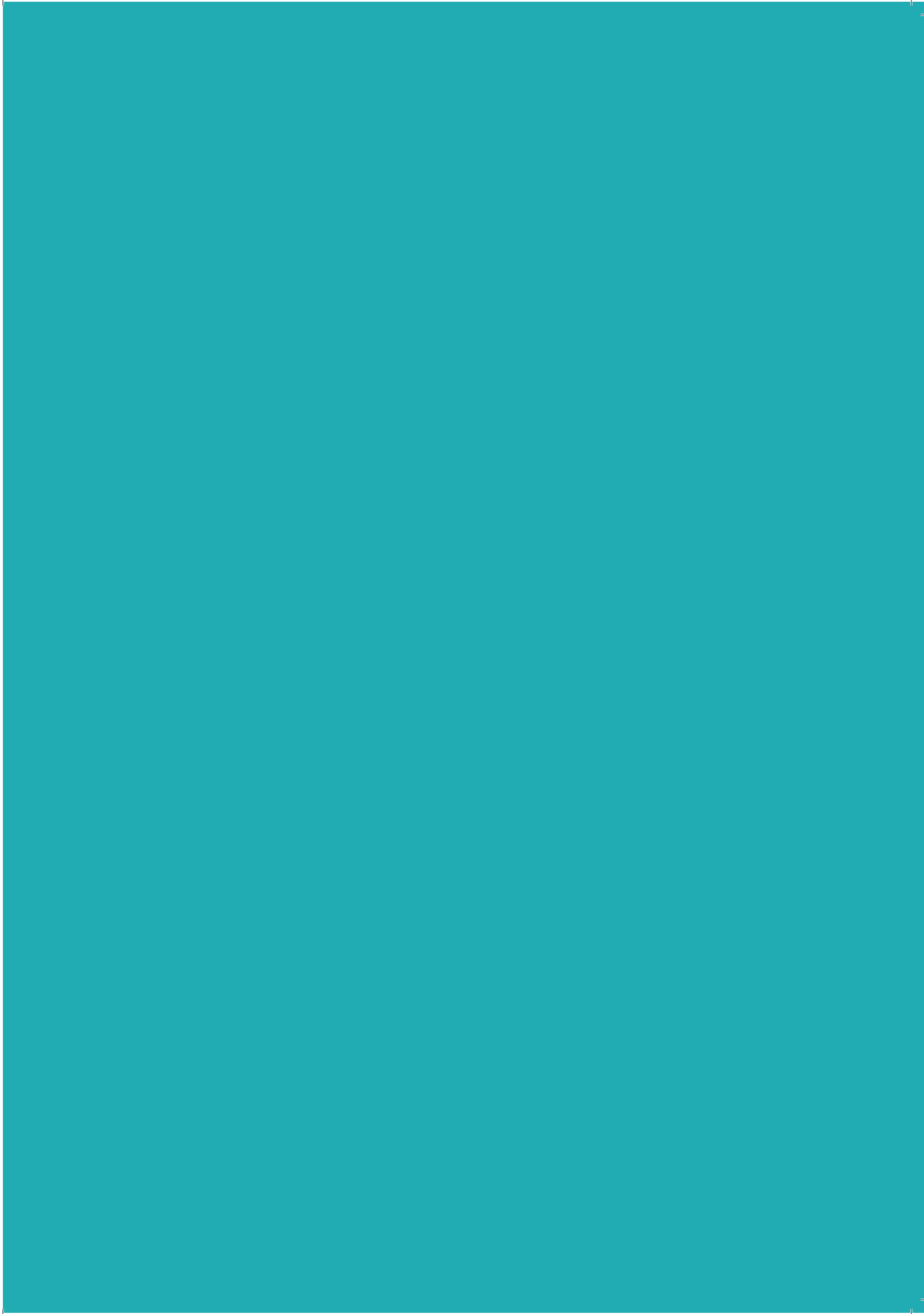


Références :

1. Gatta G, Van der Zwan JM, Casali PG, *et al.* Rare cancers are not so rare: The rare cancer burden in Europe. *European Journal of Cancer* 2011;47(17):2493-511.
2. Rare Cancers Europe (RCE). About rare cancers 2016. Available from: <http://www.rarecancerseurope.org/About-Rare-Cancers>
3. Rare Cancers Europe (RCE). Joint Action on Rare Cancers Kick Off Meeting 2016. Available from: <http://rarecancerseurope.org/Events/Joint-Action-on-Rare-Cancers-Kick-Off-Meeting>
4. Fletcher C, Bridge JA, Hogendoorn P, *et al.* WHO Classification of Tumours of Soft Tissue and Bone. Fourth Edition. WHO Classification of Tumours, 2013:468.
5. Cancer Research UK. About Sarcomas 2016. Available from: <http://www.cancerresearchuk.org/about-cancer/type/sarcoma/about/about-sarcomas#YxpbR62XBff7D1h4.97>
6. Stiller CA, Trama A, Serraino D, *et al.* Descriptive epidemiology of sarcomas in Europe: report from the RARECARE project. *European Journal of Cancer* 2013;49(3):684-95.
7. Sharma S, Takyar S, Manson SC, *et al.* Efficacy and safety of pharmacological interventions in second- or later-line treatment of patients with advanced soft tissue sarcoma: a systematic review. *BMC Cancer* 2013;13(1):1-21.
8. National Institute for Health and Care Excellence (NICE). Improving Outcomes for People with Sarcoma: the Manual. NICE Guidance on Cancer Services: Developed by the National Collaborating Centre for Cancer, 2006:142.
9. Zagars GK, Ballo MT, Pisters PWT, *et al.* Prognostic factors for patients with localized soft-tissue sarcoma treated with conservation surgery and radiation therapy. *Cancer* 2003;97(10):2530-43.
10. Cancer Research UK. Survival statistics for soft tissue sarcomas 2016. Available from: <http://www.cancerresearchuk.org/about-cancer/type/sarcoma/treatment/statistics-and-outlook-for-soft-tissue-sarcoma>
11. Sarcoma UK. The National Sarcoma Survey, Transforming Patient Experience, 2015:35.
12. National Institute for Health and Care Excellence (NICE). Sarcoma Quality Standards. 2015:38.
13. European Society for Medical Oncology (ESMO). Improving Rare Cancer Care in Europe: Recommendations on Stakeholder Actions and Public Policies. 2010:10.
14. RARECARENet. Country Report Bulgaria 2016. Available from: http://www.rarecarenet.eu/rarecarenet/images/Resources/National_Conferences/RARECARENet_country_report_-_BULGARIA_-_TRANSLATED.pdf
15. European Union Committee of Experts on Rare Diseases (EUCERD). Recommendations on Quality Criteria for Centres of Expertise for Rare Diseases in Member States 2011:13.
16. Rare Cancers Europe (RCE). Rare Cancer Patient Toolkit: Speak up for rare cancer. 2016:19.
17. Ray-Coquard I, Montesco MC, Coindre JM, *et al.* Sarcoma: concordance between initial diagnosis and centralized expert review in a population-based study within three European regions. *Annals of Oncology* 2012;23:2442-49.
18. European Society for Medical Oncology (ESMO). Statement on the council recommendation on rare diseases: ESMO, 2008.
19. Sarcoma Patients EuroNet (SPAEN). Sarcoma Patient Pathway Analysis and Recommendations for Service Development. 2016. Available from: www.sarcoma-patients.eu
20. Andritsch E, Beishonb M, Bielack S, *et al.* ESMO Essential Requirements for Quality Cancer Care: Soft Tissue Sarcoma in Adults and Bone Sarcoma. A critical review. *Critical Reviews in Oncology/Hematology* 2017:94-105.
21. European Union Committee of Experts on Rare Diseases (EUCERD). Recommendations on Rare Disease European Reference Networks (RD ERNS). 2013:18.
22. The Council of the European Union. Council Recommendation of June 8 2009 on an action in the field of rare diseases: Official Journal of the European Union, 2009:7-10.
23. Ashley D, Thomas D, Gore L, *et al.* Accepting risk in the acceleration of drug development for rare cancers. *Lancet Oncology* 2015;16:4.
24. Casali PG, Bruzzi P, Bogaerts J, *et al.* Rare Cancers Europe (RCE) methodological recommendations for clinical studies in rare cancers: a European consensus position paper. *Annals of Oncology* 2015;26(2):300-6.
25. Institut National Du Cancer. French national networks for rare cancers in adults: review and outlook 2014. 2015.
26. Coindre JM, Ducimetiere F, Mathoulin-Pélissier S, *et al.* Management of soft tissue sarcoma in France - a retrospective analysis of the french clinical biological sarcoma database (GSF-GETO) [abstract]. 2015.
27. Dumont S. Epidémiologie des Sarcomes Réseaux de Référence, unpublished data on file. 2016
28. NetSarc-ResOs. Réseaux de référence Cliniques 2016. Available from: <https://netsarc.sarcomabcb.org/>
29. Blay JY, Le Cesne A, Penel N, *et al.* Improved Sarcoma Management in a National Network of Reference Centers: Analysis of the NetSarc Network on 13,454 Patients Treated Between 2010 and 2014. *Journal of Clinical Oncology* 2016;34.
30. Lurkin A, Ducimetiere F, Vince DR, *et al.* Epidemiological evaluation of concordance between initial diagnosis and central pathology review in a comprehensive and prospective series of sarcoma patients in the Rhone-Alpes region. *BMC Cancer* 2010;10(1):1-12.

31. Dumont S. Stakeholder interview with Boldon S, 2016.
32. Ecole de Formation En Cancérologie. Liste offre formations cancerologie 2017. Available from: http://www.efec.eu/wp-content/uploads/2016/10/EFEC-2017-LISTE-OFFRE-FORMATIONS-CANCEROLOGIE-DPC_Web.pdf
33. Connective Tissue Oncology Society (CTOS). Programme e-surge 2016. Available from: <https://www.ctos.org/Portals/0/PDF/Programme%20e-surge%20-%202016%20Final.pdf>
34. Ligier K, Maynou C, Leroy X, *et al.* Improvement of the initial management of sarcomas after the dissemination of evidence-based guidelines depends on the primary sarcoma location: a population-based study. *BMC Cancer* 2015;15:218.
35. International cancer genome consortium. Cancer genome projects - France 2016. Available from: <https://icgc.org/icgc/cgp/60/355/1002113>
36. Tordrup D. Autorisations temporaires d'utilisation (ATU). *RARE Journal* 2014;1(3):83-97.
37. Center for Cancer Registry Data - Federal Statistical Office. Report on Cancer in Germany 2016: Number of Cancer Neoplasms and Deaths in Germany 2013.P21.
38. Das Lebenshaus. Interdisziplinäre Sarkom-Zentren: Denn Sarkome gehören in Experten-Hände! Wissenswert, 2010:19-23.
39. Lehnhardt M, Daigeler A, Homann HH, *et al.* Importance of specialized centers in diagnosis and treatment of extremity-soft tissue sarcomas. Review of 603 cases. *Chirurg* 2009;80(4):341-7.
40. Sarkom Konferenz. Sarkomkonferenz 2016. Available from: <http://www.sarkomkonferenz.de/index.php/sarkomkonferenz-2017/zertifizierung>
41. Gesellschaft für Pädiatrische Onkologie und Hämatologie. Weichteilsarkome. Leitlinie der Gesellschaft für Pädiatrische Onkologie und Hämatologie, 2011.
42. Deutsche Gesellschaft für Gynäkologie und Geburtshilfe. Leitlinienprogramm- Uterine Sarkome, 2015.
43. Deutsche Krebsgesellschaft. Interdisziplinäre AG Weichteilsarkome 2016. Available from: <https://www.krebsgesellschaft.de/deutsche-krebsgesellschaft-wtrl/deutsche-krebsgesellschaft/ueber-uns/organisation/sekction-b-arbeitsgemeinschaften/iaws.html>
44. German Interdisciplinary Sarcoma Group (GISG). German Interdisciplinary Sarcoma Group. 2016.
45. German Interdisciplinary Sarcoma Group (GISG). Studien unter GISG. 2016.
46. Das Lebenshaus. Krebserkrankungen erforschen 2015. Available from: <http://www.daslebenshaus.org/studienallgemein>
47. SOS desmoid. 2016. Available from: <http://www.sos-desmoid.de/>
48. Rüsseler A, Brors B, Fischer T, *et al.* Molekularpathologie von Sarkomen- Erste Ergebnisse des Sarkomforschungsverbundes KoSar. *Der Pathologe* 2010;Suppl 2(31):211-14.
49. Busco S, Buzzoni C, Mallone S, *et al.* Italian cancer figures report 2015: The burden of rare cancers in Italy. *Epidemiologia & Prevenzione* 2016;40(1 Suppl 2):1-120.
50. Casali P. Stakeholder interview with Boldon S, 2016.
51. Trama A, Mallone S, Ferretti S, *et al.* The burden of rare cancers in Italy: the surveillance of rare cancers in Italy (RITA) project. *Tumori* 2012;98(5):550-8.
52. Gronchi A. Stakeholder interview with Wait S, 2016.
53. Italian sarcoma group and alleanza contro il cancro. Linea Guida per il Trattamento del Sarcoma di Ewing 2010. Available from: http://lnx.samosoftware.com/clienti/isg/wp-content/uploads/2014/03/linee.guida_ewing_.pdf
54. Italian sarcoma group and alleanza contro il cancro. Linea Guida per il Trattamento dell'Osteosarcoma 2009. Available from: http://lnx.samosoftware.com/clienti/isg/wp-content/uploads/2014/03/linee.guida_osteosarcoma.pdf
55. Associazione Italiana di Oncologia Medica (AIOM). Linee Guida per il trattamento di sarcomi dei tessuti molli e GIST, 2015.
56. European Society of Surgical Oncology (ESSO). European School of Soft Tissue Sarcoma 2016. Available from: <http://www.essoweb.org/european-school-of-sts/>
57. Fondazione IRCCS Istituto Nazionale dei Tumori. Struttura Semplice Chirurgia dei Sarcomi, Attività Didattica 2016. Available from: <http://www.istitutotumori.mi.it/modules.php?name=Content&pa=showpage&pid=792>
58. Istituto Ortopedico Rizzoli B, Italy. Course on Musculoskeletal Pathology 2016. Available from: <http://www.italiansarcomagroup.org/wp-content/uploads/2015/12/Preliminary-Program-XXIX-COURSE-2016.pdf>
59. Associazione Italiana Ematologia Oncologia Pediatrica. Gruppi di lavoro - sarcomi delle parti molli 2016. Available from: <http://www.aieop.org/web/index.php?q=node/385>
60. Associazione Italiana Ematologia Oncologia Pediatrica. Gruppi di lavoro, sarcomi ossei 2016. Available from: <http://www.aieop.org/web/index.php?q=node/386>
61. The Italian Medicines Agency (AIFA). Pricing and reimbursement 2016. Available from: <http://www.agenziafarmaco.gov.it/en/content/pricing-and-reimbursement>
62. The Italian Medicines Agency (AIFA). Legge 648/96 2016. Available from: <http://www.agenziafarmaco.gov.it/it/content/legge-64896>
63. Italian sarcoma group. Studi clinici 2016. Available from: <http://www.italiansarcomagroup.org/studi-clinici/>
64. The Associazione Italiana di Oncologia Medica (AIOM). studi clinici 2016. Available from: <http://www.aiom.it/studi-clinici/1,108,1>,
65. Nersesyan K, Robinson D, Pomerantz D. Epidemiology and treatment of soft tissue sarcoma in the EU5. ISPOR 18th Annual European Congress 7-11 November 2015. Milan, 2015.
66. Valverde C. "Surgery remains the key in addressing sarcomas" *Gaceta Medica*; 2016. Available from: <http://www.gacetamedica.com/portada/la-cirugia-sigue-siendo-la-clave-en-el-abordaje-de-los-sarcomas-HD489889#printAcUrlSection>

67. Valverde C. Stakeholder interview with Boldon S, 2016.
68. The Spanish Group for Research on Sarcomas (GEIS). Centres, Services and Units Reference (CSUR), 2016.
Available from: <http://www.grupogeis.org/index.php/quienes-somos/centros-de-referencia>
69. Garcia del Muro X, de Alava E, Artigas V, *et al.* Clinical practice guidelines for the diagnosis and treatment of patients with soft tissue sarcoma by the Spanish group for research in sarcomas (GEIS). *Cancer chemotherapy and pharmacology* 2016;77(1):133-46.
70. The Spanish Group for Research on Sarcomas (GEIS). Advanced Course Sarcomas. 2016
71. The Spanish Group for Research on Sarcomas (GEIS). Master's Degree in Musculoskeletal Tumors 2016.
Available from: <http://www.grupogeis.org/index.php/actividad-cientifica/formacion/master-de-sarcomas>
72. Sarcoma Patients Euronet (SPAEN). 20th of September - Sarcoma National Day in Spain SPAEN; 2014.
Available from: <http://www.sarcoma-patients.eu/index.php/28-spaen/home/259-20th-of-september-sarcoma-national-day-in-spain>
73. The Spanish Group for Research on Sarcomas (GEIS). Mission, vision and values 2016.
Available from: <http://www.grupogeis.org/index.php/quienes-somos/mision-vision-y-valores>
74. Angeles Diaz M. Together we stand, we learn, strengthen us. LillyPad; 2016.
Available from: <https://lilypad.es/entry.php?e=162&n=entre-todos-nos-apoyamos-nos-informamos-nos-fortalecemos#>
75. López-Pousa A, Martin Broto J, Martinez Trufero J, *et al.* SEOM Clinical Guideline of management of soft-tissue sarcoma (2016). *Clinical and translational oncology* 2016;18:1213–20.
76. The Spanish Group for Research on Sarcomas (GEIS). GEIS structure 2016.
Available from: http://www.ctu.mrc.ac.uk/euramos/main_site_content_pages/images_and_documents/Bone%20Planning%20Meeting%20ESF/Presentations/Day2_b_GroupStructures/GEIS_Structure_MartinBroto.pdf
77. The Spanish Group for Research on Sarcomas (GEIS). Spanish Sarcoma Research Group Portal 2016.
Available from: <http://www.geisgroup.org/>
78. Tordrup D, Tzouma V, Kanavos P. Orphan drug considerations in Health Technology Assessment in eight European countries. *International Journal of Public Health* 2014;1(3):15.
79. The Sarcoma Patients Spanish Association (AEAS). Clinical Trials 2016. Available from: <http://www.aeasarcomas.org/es/ensayos-clinicos>
80. Styring E. Sarcoma Cancercentrum; 2016. Available from: <http://www.cancercentrum.se/samverkan/cancerdiagnoser/sarkom/>
81. Styring E. Manual. The national quality register for Sarcomas of the extremities and trunk wall.: Regional Cancercentrum I Samverkan, 2015.
82. Bauer HCF, Alvegard TA, Berlin O, *et al.* The Scandinavian Sarcoma Group Register 1986-2001,. *Acta Orthopaedica Scandinavica* 2009
83. OCSYD. Kvalitetsuppföljning, RCC Syd, senast uppdaterad 2016-12-07 ocsyd; 2016.
Available from: <http://www.ocsyd.se/kvalitetsdata/webrapport/>
84. Styring E, Billing V, Hartman L, *et al.* Simple guidelines for efficient referral of soft-tissue sarcomas: a population-based evaluation of adherence to guidelines and referral patterns. *The Journal of Bone & Joint Surgery* 2012;94(14):1291-6.
85. Trovik CS. Local recurrence of soft tissue sarcoma. A Scandinavian Sarcoma Group Project. *Acta Orthopaedica Scandinavica* 2001;72(300):1-31.
86. Alvegård TA, Bauer H, Blomqvist C, *et al.* The Scandinavian Sarcoma Group—background, organization and the SSG Register—the first 25 years. *Acta Orthopaedica Scandinavica* 2004;75(sup311):1-7.
87. Rydholm A. Centralization of soft tissue sarcoma. The southern Sweden experience. *Acta Orthopaedica Scandinavica* 1997;273:4-8.
88. Alvegard T, Sundby Hall K, Bauer H, *et al.* The Scandinavian Sarcoma Group: 30 years' experience. *Acta Orthopaedica Scandinavica* 2009;80(334):1-104.
89. Scandinavian Sarcoma Group (SSG). Treatment protocols and recommendations - sarcoma 2016.
Available from: <http://www.ssg-org.net/treatment-protocols-and-recommendations/ongoing>
90. Scandinavian Sarcoma Group (SSG). BYLAWS 2016. Available from: <http://www.ssg-org.net/om>
91. Grimer R, Athanasou N, Gerrand C, *et al.* UK Guidelines for the Management of Bone Sarcomas 2010.
Available from: https://sarcoma.org.uk/sites/default/files/bsg_bone_guideline_in_sarcoma.pdf
92. Sarcoma UK. Sarcoma Specialist Centres 2016. Available from: <https://sarcoma.org.uk/health-professionals/sarcoma-specialist-centres>
93. National Cancer Peer Review-National Cancer Action Team. Sarcoma Measures. In: Health, ed., 2011.
94. Wilson R. Stakeholder interview with Wait S, 2016.
95. Grimer R, Judson I, Peake D, *et al.* Guidelines for the management of soft tissue sarcomas 2010. Available from: http://www.swscn.org.uk/wp/wp-content/uploads/2014/11/UK_Guidelines_For_The_Management_of_Soft_Tissue_Sarcomas.pdf
96. Reid R, Bulusu R, Carroll N, *et al.* Guidelines for the Management of Gastrointestinal Stromal Tumours (GIST) 2009.
Available from: http://www.augis.org/wp-content/uploads/2014/05/GIST_Management_Guidelines_180809.pdf
97. National Institute for Health and Care Excellence (NICE). Suspected cancer: recognition and referral [Guidelines]. 2015.
Available from: <https://www.nice.org.uk/guidance/ng12/resources/suspected-cancer-recognition-and-referral-1837268071621>
98. Sarcoma UK. About 'On The Ball' 2016.
Available from: <https://sarcoma.org.uk/get-involved/other-ways-get-involved/order-ball-pack/about-ball>
99. Sarcoma UK. Order your 'On the Ball' pack 2016.
Available from: <https://sarcoma.org.uk/get-involved/other-ways-get-involved/about-ball/order-your-ball-pack>
100. Sarcoma UK. Research 2016. Available from: <https://sarcoma.org.uk/research>
101. Tordrup D. NICE highly specialised technologies guidance. *RARE Journal* 2014;1(3):83-97.
102. NHS Commissioning Board. Interim Commissioning Policy: Individual funding requests, 2016.
103. National Institute for Health Research. UK Clinical Trials Gateway 2016. Available from: <https://www.ukctg.nihr.ac.uk>





Ce document a été élaboré par le Groupe d'experts sur la politique de prise en charge des sarcomes, composé d'experts représentant le monde médical, les associations de patients et l'industrie pharmaceutique. Ce projet a été initié et financé par Lilly.

Pour obtenir une copie du rapport, se rendre sur : www.sarcoma-patients.eu/