



Pr Emmanuel Raffoux,
président de la Société
française d'Hématologie.

L'INNOVATION, UN ENJEU D'ORGANISATION

En quelques années, grâce à l'accélération de l'innovation thérapeutique, des progrès majeurs ont été accomplis pour soigner les maladies du sang. Plusieurs types d'approches se combinent aujourd'hui pour améliorer le pronostic vital des patients, gagner en espérance de vie mais également en qualité de vie.

Les thérapies ciblées consacrent l'avènement d'une médecine de précision, permettant de s'attaquer aux anomalies moléculaires spécifiques à chaque patient.

L'immunothérapie active vise à provoquer ou amplifier la réponse immunitaire de l'organisme, dirigée contre les cellules cancéreuses. Les thérapies cellulaires ont pour objectif de prélever et de modifier génétiquement les cellules du patient, puis de les réinjecter pour qu'elles puissent combattre efficacement les cellules cancéreuses. Enfin, les anticorps bispécifiques sont capables de se lier simultanément aux cellules cancéreuses et aux lymphocytes T, afin de favoriser la destruction ciblée de la tumeur. Grâce à ces avancées, les hématologues disposent d'un arsenal thérapeutique qui révolutionne la prise en charge de maladies longtemps difficiles à traiter, comme les leucémies ou les myélomes. Cependant, comme c'est souvent le cas en médecine, ces thérapies posent de nouveaux défis, qu'il faut s'attacher à relever. Le premier enjeu consiste à innover dans l'organisation du parcours de soins des patients, afin qu'ils puissent être traités au bon moment, avec les bons médicaments et dans de bonnes proportions. Il faut encore progresser dans la biologie de précision, qui doit nous permettre de détecter en temps réel les mutations moléculaires des cellules cancéreuses. De même, nous devons favoriser l'appropriation et la diffusion des technologies numériques, comme l'intelligence artificielle et la télémédecine. C'est essentiel pour suivre à distance l'état de santé du patient et adapter sa prise en charge si nécessaire, mais également pour recueillir de précieuses données utilisables par la recherche. Derrière ces défis, c'est aussi une question éthique qui se profile : garantir un égal accès aux traitements à tous les patients qui en ont besoin. 📍

Grand Angle

www.grandanglesante.fr

Spécial Hématologie

DE NOUVELLES PERSPECTIVES POUR LES PATIENTS

Les maladies du sang bénéficient d'avancées constantes de la science et de la médecine, qui permettent d'améliorer la qualité de vie des patients.

Caractérisées par un développement anormal des cellules du sang ou de la moelle osseuse, les hémopathies malignes (ou cancers du sang) touchent en moyenne 35 000 personnes par an en France. Il existe différents cancers du sang, parmi lesquels le myélome, les lymphomes et les leucémies sont les plus fréquents. L'onco-hématologie vise à traiter plusieurs de ces maladies, dont certaines, comme le myélome, se développent dans la moelle osseuse, alors que les lymphomes sont localisés dans les ganglions et les leucémies dans la moelle osseuse et dans le sang.

Grâce aux progrès continus de la pharmacopée, de nouvelles solutions thérapeutiques se multiplient avec, à la clé, l'amélioration de l'espérance de vie, mais également de la qualité de vie pour un nombre croissant de patients. L'immunothérapie, les thérapies cellulaires, mais aussi les greffes de moelle osseuse, permettent de plus en plus souvent de réactiver le système immunitaire et de réarmer l'organisme pour qu'il puisse lutter contre les cellules cancéreuses. La radiothérapie et la chimiothérapie restent des traitements



Cellules de leucémie myéloïde aiguë sous vue microscopique.

de référence, souvent associées aux traitements pharmaceutiques.

Outre les cancers du sang, d'autres formes d'hémopathies bénéficient du progrès thérapeutique. C'est le cas, par exemple, pour l'hémophilie, dont les dernières générations de traitement transforment la vie des patients. L'administration

de facteurs de coagulation de vie longue permettent d'espacer les injections et de soulager le quotidien des patients. Et la thérapie génique, fondée sur l'introduction dans l'organisme d'un virus muté qui aide le foie à produire les facteurs coagulants manquants, constitue un réel espoir pour l'avenir. 📍 Antoine Largier

Recherche → INNOVATIONS MAJEURES ET ENJEUX DE LEUR ACCÈS EN FRANCE



Directrice de l'aire thérapeutique hématologie d'AstraZeneca en France, Axelle Dautresire détaille l'engagement et les ambitions du groupe pharmaceutique dans la lutte contre les cancers du sang.

Quelle est la place de l'hématologie au sein d'AstraZeneca ?

Fort d'une expertise historique en tumeurs solides, AstraZeneca a étendu sa stratégie à l'hématologie. Notre pipeline couvre désormais six cancers du sang. Nous disposons déjà d'un traitement contre la leucémie lymphoïde chronique (LLC) et le lymphome à cellules du manteau (LCM), et avançons sur de nouvelles options thérapeutiques contre le lym-

phome diffus à grandes cellules B, le lymphome folliculaire, la leucémie lymphoblastique aiguë ou encore le myélome multiple. Cette progression s'inscrit dans notre objectif de développer de nouveaux médicaments pour des cancers du sang à forts besoins médicaux non satisfaits, afin d'avoir un impact significatif sur les patients et les aidants, et de transformer la prise en charge. Notre ambition est claire : d'ici à 2030, devenir l'un des trois principaux acteurs mondiaux de l'hématologie, grâce au développement de cinq nouveaux médicaments couvrant ces six types de cancers du sang. À long terme, notre engagement est simple et déterminé : contribuer à éliminer, un jour, les cancers du sang comme cause de décès.

Quelles sont les voies de recherche et d'innovation que vous explorez aujourd'hui ?

Notre recherche s'appuie sur une idée simple : mieux comprendre les mécanismes d'une maladie permet d'améliorer les façons de la soigner. Pour cela, nous nous appuyons aujourd'hui sur cinq plateformes scientifiques de recherche capables de tester des mécanismes d'action différents et complémentaires : les thérapies ciblées pour attaquer spécifiquement les cellules tumorales, les *T-cells engagers* pour mobiliser le système immunitaire contre les cellules cancéreuses, les anticorps-médicaments conjugués permettant de combiner des solutions thérapeutiques, ainsi que des agents ciblant les mécanismes épigénétiques impliqués dans la progression de certains cancers du sang. À nos déve-

loppements internes s'ajoutent trois avancées majeures : l'acquisition de Gracell Biotechnologies spécialisée dans les thérapies CAR-T plus rapides, celle d'EsoBiotec pour des thérapies cellulaires *in vivo* administrables en quelques minutes, et un investissement ainsi qu'un accord de collaboration avec Collectis, pour développer de nouvelles thérapies cellulaires et géniques. Cette dynamique se traduit en cette fin d'année par la présentation de près de 60 *abstracts*, lors du congrès de l'American Society of Hematology (ASH).

Comment se traduit aujourd'hui cet engagement en France auprès des acteurs en hématologie ?

En 2025, nous avons obtenu deux nouvelles autorisations de mise sur le marché majeures : une extension d'indication en première ligne pour la LLC et une autre en première ligne pour le LCM chez les patients non éligibles à une autogreffe de cellules souches. Nous conduisons actuellement en France quatre études de phase III et deux de phase II, en partenariat avec des centres de recherche majeurs. Nous collaborons également avec le monde académique pour mieux comprendre et mieux caractériser les cancers du sang. Avec le LYSA/LYSARC (réseau indépendant de recherche clinique sur les lymphomes et la LLC/MW), nous soutenons l'étude REALYSA, et avons également réutilisé les données de vie réelle générées par cette étude pour mener l'étude MCL Tour, visant à mieux comprendre la prise en charge du LCM et à en identifier les leviers d'amélioration. Nous accompagnons également le FILO

(groupe coopérateur de recherche dans les leucémies) dans le cadre de l'étude académique STAIR consacrée à la LLC. Les premiers résultats, qui seront présentés à l'ASH, illustrent la capacité de la recherche française à produire des données de haute valeur scientifique.

Comment favoriser un meilleur accès des patients à l'innovation en hématologie en France ?

Un progrès médical n'a d'impact que s'il est disponible au bon moment. En France, le dispositif d'accès précoce est essentiel pour assurer un accès rapide aux innovations thérapeutiques pour les patients. Depuis 2021, plus de 100 000 patients ont reçu des traitements innovants avant leur commercialisation, et le renoncement récent à sa réforme maintient ce dispositif clé en France. Sans ce cadre d'accès anticipé, le délai moyen entre l'autorisation européenne et l'accès en France est de 527 jours, plus long que chez certains de nos voisins européens. L'accès précoce a aussi permis aux médecins français d'utiliser plus tôt ces traitements et de publier des données sur leur utilisation en « vraie vie » à l'international. Cependant, des défis subsistent pour l'accès à ces innovations. AstraZeneca reste mobilisé aux côtés des autorités, de la communauté médicale et d'autres parties prenantes pour garantir un accès le plus large, le plus équitable et le plus rapide possible aux innovations thérapeutiques. 📍 A. L.

FR-24644 12/2025
Propriété d'AstraZeneca

Leadership scientifique → 95 COMMUNICATIONS AU CONGRÈS DE L’ASH SIGNENT LE DYNAMISME DE LA RECHERCHE DE BRISTOL MYERS SQUIBB EN ONCO-HÉMATOLOGIE

La recherche du laboratoire américain s’appuie sur la complémentarité de ses plateformes de recherche scientifiques, notamment les thérapies cellulaires, pour accélérer l’innovation et répondre aux besoins dans la lutte contre les maladies graves comme les cancers du sang. Entretien avec le Dr Jehan-Michel Béhier, directeur médical.

Quel est l’enjeu de la présence de Bristol Myers Squibb au congrès de l’American Society of Hematology (ASH) cette année ?

L’ASH s’impose comme le rendez-vous annuel majeur de la communauté hématologique internationale, véritable baromètre des innovations en onco-hématologie. Avec, cette année encore, plus de 90 communications présentées, portant sur ses molécules en développement, Bristol Myers Squibb figure parmi les entreprises pharmaceutiques mondiales les plus innovantes.

Le congrès de l’ASH permet de mettre en lumière à la fois la robustesse et la pluralité de notre pipeline : les combinaisons thérapeutiques (tri- et quadrithérapies), les thérapies cellulaires, dont les thérapies CAR-T à double cible ou allogéniques, mais aussi le rôle croissant des données de vie réelle, essentielles pour confirmer la valeur ajoutée des innovations en pratique clinique. Cette forte dynamique répond à un objectif : proposer des solutions qui vont réellement transformer la vie de patients, notamment dans les cancers du sang comme le myélome, ou les lymphomes, ou encore les syndromes myélodysplasiques.

Parlez-nous des plateformes de recherche de Bristol Myers Squibb ; en quoi constituent-elles



Dr Jehan-Michel Béhier

un levier majeur d’innovation en hématologie et au-delà ?

Une plateforme de recherche rassemble, autour d’une approche ciblée de la cellule cancéreuse, expertises et équipements scientifiques destinés à la conduite de recherche de haut niveau. Le portefeuille de Bristol Myers Squibb repose sur la diversité et la complémentarité de ses plateformes qui offrent ainsi une approche globale et innovante pour développer des thérapies de rupture. Concrètement, nous travaillons sur la dégradation des protéines au sein de la cellule cancéreuse, dont les résultats sont particulièrement prometteurs en hématologie. Cette nouvelle approche thérapeutique permet d’atteindre des protéines essentielles à la survie des cellules cancéreuses qui étaient jusqu’ici

impossibles à cibler. Nous avançons aussi sur le futur des thérapies cellulaires individualisées, les CAR-T (déjà commercialisées en France dans le lymphome et le myélome) qui, à partir des globules blancs défaillants d’un patient, seront modifiés génétiquement pour les rendre à nouveau capables de détruire les cellules cancéreuses de ce même patient. De nouvelles voies s’ouvrent à partir de ces thérapies révolutionnaires : par exemple, des CAR-T à double cible ainsi que des projets de CAR-T allogéniques (issues d’un donneur non malade) et également des CAR-T *in vivo* (qui seront reprogrammées dans le propre organisme du patient). D’autres champs d’investigation sont les anticorps bispécifiques, molécules d’immunothérapie innovantes qui

se lient à deux cibles différentes, les conjugués anticorps-médicaments (ADC) qui utilisent des anticorps pour transporter le traitement directement au cœur des cellules cancéreuses ou encore les plateformes radiopharmaceutiques (radiothérapie délivrée directement dans les cellules cancéreuses). Vous le voyez, beaucoup d’espoir pour l’avenir, car chacune de ces plateformes vise un mécanisme distinct du cancer, offrant une grande complémentarité et permettant d’adapter les stratégies thérapeutiques, de contourner les résistances et de proposer des réponses plus précoces et plus efficaces aux patients.

Quelle est la place de Bristol Myers Squibb dans la recherche clinique en France, aux côtés des patients et de la communauté médicale ?

Première filiale en nombre de patients inclus dans des essais cliniques, BMS France occupe une position majeure dans la stratégie de recherche de Bristol Myers Squibb. Nous investissons environ 100 millions d’euros chaque année dans cette activité en France. En 2024, 24 000 patients ont ainsi bénéficié de nos médicaments innovants dans le cadre d’essais cliniques. Notre pays bénéficie d’une communauté médicale très engagée dans le cancer, d’une expertise mondialement reconnue et d’un tissu robuste de centres investigateurs,

avec qui nous nouons des collaborations fortes. Dans le lymphome et le myélome, Bristol Myers Squibb collabore notamment avec des groupes coopérateurs essentiels comme le Lysa* ou l’IFM**.

Quels sont les enjeux et les ambitions de Bristol Myers Squibb d’ici à cinq ans ?

Nous avons l’ambition de lancer 10 molécules et plus de 30 indications dans des pathologies graves comme les cancers d’ici à 2030 et de tout mettre en œuvre pour donner aux patients un accès le plus précocement possible à ces traitements innovants. C’est le cas parfois bien avant leur commercialisation, grâce aux essais cliniques mais aussi au dispositif d’accès précoce aux traitements, spécifique à la France. Depuis 2022, Bristol Myers Squibb a mis à disposition 19 nouvelles molécules, dont 1 sur 2 a pu bénéficier aux patients français grâce au dispositif d’accès précoce. Ce dispositif joue un rôle central pour les patients, et la récente baisse du nombre d’autorisations d’accès précoce ainsi que les discussions autour d’une potentielle évolution de ce système suscitent aujourd’hui notre inquiétude.

© Sandrine Mosetti

* Lymphoma Study Association.

** Intergroupe francophone du myélome.

HE-FR-2500302 – Novembre 2025.

QUESTIONS À ...

Pr Chloé James, présidente de la Société française de Thrombose et d’Hémostase (SFTH)

FAIRE PROGRESSER CETTE DISCIPLINE

Vous présidez la SFTH. Quelles sont les missions de cette société savante ?

Elle a été créée il y a deux ans par la fusion du Groupe français d’études sur l’Hémostase et la Thrombose (GFHT) et de la Coordination médicale pour l’étude et le traitement des maladies hémorragiques constitutionnelles (CoMETH). C’est un groupe coopérateur de la Société française d’Hématologie (SFH) qui a pour mission de faire progresser la compréhension, la prévention, le diagnostic et le traitement des affections liées à l’hémostase. L’hémostase désigne l’ensemble des phénomènes naturels permettant l’arrêt du saignement en cas de blessure, de choc ou d’intervention chirurgicale. Les pathologies de l’hémostase sont liées à un dérèglement de ces fonctions naturelles, qui se traduit soit par des saignements incontrôlés (hémorragies), soit par la constitution inappropriée de caillots dans la circulation sanguine (thromboses).

Les médicaments récents permettent-ils de progresser dans le traitement de ces pathologies ?

En quelques années, la prise en charge de ces maladies a été en effet révolutionnée par de nouveaux médicaments, à la fois plus efficaces et mieux tolérés au quotidien. La nouvelle génération d’anticoagulants allège, par

exemple, la nécessité d’une surveillance biologique systématique du traitement. Et, dans l’hémophilie, l’arsenal thérapeutique ne cesse de s’enrichir, avec des traitements plus ciblés, plus efficaces, plus simples à administrer et des injections de plus en plus espacées pour les patients.

La SFTH se mobilise pour améliorer les parcours de soins de patients. Comment agissez-vous ?

La SFTH contribue à soutenir la recherche par le financement de projets et l’attribution de bourses aux jeunes chercheurs, permettant de présenter leurs

travaux dans des congrès nationaux et internationaux, car il y a encore des progrès à réaliser pour mieux comprendre les mécanismes de ces maladies, notamment pour la thrombose. Nous œuvrons également pour une juste prescription des actes de biologie médicale pour les examens spécialisés coûteux, à la fois pour que les examens utiles continuent à être remboursés et aussi pour laisser la place à l’innovation. Nous soutenons aussi le travail de la filière de soins MHEMO pour que les nouveaux traitements soient administrés au bon moment et aux bons patients. Enfin, nous agissons pour permettre un accès équitable sur tout le territoire aux consultations spécialisées, et mieux faire connaître notre discipline, qui se situe à l’interface de nombreuses spécialités. © A. L.



© SFTH / DR

LA PAROLE À ...

Pr Pierre Fenaux, hématologue à l’hôpital Saint-Louis (Paris).

QU’EN EST-IL DES SYNDROMES MYÉLODYSPLASIQUES (SMD) ?

Les SMD sont des maladies cancéreuses des progéniteurs de la moelle osseuse des cellules sanguines (leucocytes, hématies, plaquettes) entraînant une baisse de leur production, d’où une leucopénie avec un risque infectieux accru, une anémie avec retentissement souvent très important chez ces sujets âgés (fatigue, accidents vasculaires), une thrombopénie et son risque hémorragique. On en diagnostique environ 4000 nouveaux cas par an en France, surtout chez les sujets âgés. Ils évoluent dans un tiers des cas en leucémie aiguë.

Beaucoup de progrès ont été faits dans le diagnostic et l’évaluation du pronostic des SMD, grâce à l’analyse des cellules du sang et de la moelle, principalement leurs anomalies des chromosomes et des gènes (on analyse ces dernières en routine par méthode « *Next Generation Sequencing* (NGS) ». Ces examens permettent d’évaluer le pronostic et schématiquement de séparer les SMD à « haut risque » d’évolution en leucémie aiguë et les SMD où ce risque est faible, où domine généralement l’anémie. Les avancées thérapeutiques, bien qu’indiscutables, restent cependant plus modestes dans les SMD que dans beaucoup d’autres hémopathies.



© DR

Dans les SMD de haut risque, seule la greffe de moelle allogénique (à partir d’un donneur compatible) permet une guérison éventuelle en éliminant la maladie. Mais elle reste généralement limitée aux patients de moins de

75 ans. Les autres traitements sont principalement basés sur les agents hypométhylants, avec une amélioration cependant généralement modeste de la survie. Dans de rares cas où existent des mutations « ciblables » (IDH1, IDH2, FLT3), des médicaments spécifiques peuvent améliorer le pronostic. Dans les SMD de faible risque, la correction de l’anémie est généralement

obtenue par des médicaments comme les érythropoïétines, les inhibiteurs de TGF bêta ou récemment de télomérase. La majorité des réponses sont cependant transitoires et, à long terme, des transfusions itératives de globules rouges se révèlent très souvent nécessaires pour corriger, mais généralement de façon insuffisante, l’anémie.

On espère qu’à terme plus de traitements ciblés et des immunothérapies, notamment du type cellules CAR-T, amélioreront le pronostic des SMD, surtout ceux de haut risque.

© Propos recueillis par Antoine Largier