

# INSTITUT DE LA LEUCÉMIE PARIS SAINT-LOUIS

GUÉRIR  
LES  
LEUCÉMIES  
À TOUS  
LES ÂGES  
DE LA VIE



**Contacts Presse**

**Agence PRPA :**

Ellia Foucard-Tiab:

[ellia.foucard@prpa.fr](mailto:ellia.foucard@prpa.fr) - 06 23 06 08 90

Chloé Pascal : [chloe.pascal@prpa.fr](mailto:chloe.pascal@prpa.fr) -

06 66 48 60 63

**Institut de la Leucémie :**

Charlotte Bouquerel :

[charlotte.bouquerel@u-paris.fr](mailto:charlotte.bouquerel@u-paris.fr)



## Une alliance forte entre recherche et soin

Créé en **2023** dans le cadre du **programme France 2030**, l'Institut de la Leucémie Paris Saint-Louis est un Institut Hospitalo-Universitaire qui **réunit les expertises de plusieurs sites hospitaliers et académiques** majeurs.

Il incarne une **dynamique collaborative forte**, où chercheurs, cliniciens et patients travaillent ensemble pour :



Accélérer le passage  
de la recherche  
fondamentale à  
l'application clinique



Développer des  
traitements plus  
ciblés, plus efficaces  
et mieux tolérés



Améliorer la  
qualité de vie  
des patients



Faire rayonner  
l'excellence française  
en hématologie à  
l'échelle internationale

### L'institut en quelques chiffres



+ de 80 essais  
cliniques en cours



+ de 300 médecins  
et chercheurs



14 services cliniques



9 sites partenaires



16 équipes de recherche



+ de 1 200 patients  
pris en charge

# Editorial du Pr Hugues de Thé

Directeur de l'Institut de la Leucémie  
Professeur au Collège de France

L'Institut de la Leucémie Paris Saint-Louis s'inscrit dans une longue tradition d'excellence médicale. Depuis 1607, l'hôpital Saint-Louis est un lieu emblématique de la médecine française, d'abord pionnier dans la prise en charge des maladies infectieuses, puis dermatologiques et hématologiques. C'est ici qu'ont émergé certaines des grandes avancées dans le traitement des leucémies, telles que la découverte du système HLA — un système clé de compatibilité entre donneurs et receveurs de greffe — par Jean Dausset, récompensée par le prix Nobel de médecine en 1980. Malgré les avancées, de grands défis subsistent : il est indispensable de mieux comprendre chaque type de leucémie afin de concevoir de nouveaux traitements et d'améliorer la qualité de vie des patients.

Les leucémies sont des maladies brutales, aux traitements lourds et complexes. C'est pourquoi pour progresser, il faut comprendre en profondeur la biologie propre à chaque type de leucémie. C'est cette connaissance fine des mécanismes moléculaires qui permet de concevoir des traitements plus ciblés, plus efficaces, et mieux tolérés.

Certaines formes, comme la leucémie aiguë promyélocytaire, illustrent la puissance de ces approches : l'anomalie peut être neutralisée, entraînant une guérison rapide. Ces succès montrent que les leucémies, qui ont souvent une biologie plus simple que les tumeurs solides, offrent un terrain privilégié pour l'innovation thérapeutique. Mais l'innovation ne suit pas toujours un plan. Elle naît souvent de croisements inattendus,

d'intuitions, de rencontres. C'est précisément ce que l'Institut veut favoriser :

**un écosystème où chercheurs et cliniciens travaillent ensemble**, dans un cadre propice à l'émergence de l'inattendu.

Le temps de la recherche n'est pas celui des malades. Entre une découverte fondamentale et son application clinique, il peut s'écouler des années. Ce décalage nous rappelle l'importance de soutenir une recherche libre, patiente, et visionnaire. C'est dans ce temps long que naissent les avancées décisives.

Créé dans le cadre de **France 2030** et du dernier appel à projets des **IHU**, l'Institut réunit les forces de plusieurs sites hospitaliers et académiques majeurs : Saint-Louis, Necker, Cochin, Robert-Debré, Avicenne, mais aussi l'École Polytechnique, le CEA et l'ESPCI. Ensemble, nous portons l'ambition de faire de cet institut un **pôle de**

**référence international** dans la lutte contre les leucémies. Notre mission repose sur **trois piliers indissociables** : **Soigner**, en proposant des traitements adaptés à chaque patient, en tenant compte de sa qualité de vie.

**Rechercher**, en reliant étroitement la science fondamentale à la pratique clinique.

**Enseigner**, en partageant les savoirs avec la communauté médicale et scientifique.

L'Institut de la Leucémie veut être **un moteur de transformation**, capable de porter des projets novateurs, de faire rayonner l'excellence française, et de sensibiliser le grand public aux enjeux des leucémies. Il s'agit de donner une visibilité nouvelle à une communauté engagée, qui œuvre chaque jour pour améliorer la vie des patients.



L'Institut de la Leucémie est un lieu de convergence, de dialogue et de rayonnement. Il doit faire entendre la voix des chercheurs et des cliniciens qui travaillent ensemble, dans une dynamique partagée.

## Professeur Hugues de Thé, un pionnier de la recherche contre les leucémies

Le Professeur Hugues de Thé est un médecin et chercheur de renommée internationale dans le domaine des leucémies. Titulaire depuis 2014 de la chaire d'oncologie cellulaire et moléculaire au Collège de France, il est également membre de l'Académie des sciences. Son travail a été salué par de nombreuses distinctions prestigieuses, dont le Sjöberg Prize décerné par l'Académie royale de Suède, le Beutler Award de l'American Society of Hematology, ainsi que plusieurs grants ERC. Auteur de plus de 400 publications scientifiques dans les plus grandes revues biomédicales, il incarne une recherche d'excellence au service des malades.

### De la recherche au soin : un exemple emblématique

Autrefois considérée comme l'une des formes les plus redoutables des leucémies, la leucémie aiguë promyélocytaire (LAP) est aujourd'hui un symbole d'espoir grâce aux travaux précurseurs des Professeurs Laurent Degos et Hugues de Thé. La LAP est devenue la première leucémie curable sans chimiothérapie, grâce à une approche thérapeutique ciblée sur le chef d'orchestre de la transformation leucémique, PML/RARA. L'expression spécifique de ce gène dans les cellules leucémiques, suite à une anomalie chromosomique acquise, est responsable d'une prolifération continue des cellules leucémiques et d'un blocage de leur maturation en cellules normales. En explorant les mécanismes moléculaires de ces dérégulations, les chercheurs ont pu comprendre les effets cliniques de l'acide rétinoïque et de l'arsenic, montrant que ces médicaments induisent la dégradation de cette protéine maîtresse de la leucémogénèse. Ceci les a conduit à proposer une combinaison de deux molécules qui élimine sélectivement les cellules leucémiques, sans recourir à la chimiothérapie. Cette découverte est à l'origine de la guérison de la quasi-totalité des plus de 200<sup>1</sup> patients français atteints de LAP<sup>2</sup>. Cet exemple historique illustre pleinement notre vision de l'Institut de la Leucémie : **transformer les découvertes scientifiques en solutions concrètes pour les malades.**

---

<sup>1</sup> [Survie des personnes atteintes de cancer en France métropolitaine 1989-2018 - Leucémie aiguë myéloïde promyélocytaire](#)

<sup>2</sup> [Retinoic acid and arsenic trioxide for acute promyelocytic leukemia - PubMed](#)

Parce que la recherche ne peut avancer sans le soutien et l'engagement de toutes et tous, l'Institut de la Leucémie organise un moment fort de partage et de mobilisation. Une soirée pour comprendre les enjeux, célébrer les avancées, et unir les voix autour d'un même espoir : vaincre les leucémies.

## INVITATION A UNE SOIREE EXCEPTIONNELLE AU COLLEGE DE FRANCE

### Apprendre, comprendre, guérir

**Jeudi 18 septembre 2025 à 20h – Collège de France**

L'Institut de la Leucémie organise une soirée inédite mêlant **science, musique et engagement** dans la lutte contre les leucémies. L'académicien **Erik Orsenna** et la pianiste **Claire-Marie Le Guay** proposeront un dialogue sensible entre musique et science, rythmé par les trois grandes étapes du parcours face à la maladie :

- **Apprendre**, avec **Stéphanie Fugain**
- **Comprendre**, avec le **Professeur Hugues de Thé**
- **Guérir**, avec le **Professeur André Baruchel**

À l'issue du concert, un cocktail apéritif **permettra d'échanger avec les médecins et chercheurs** porte-paroles de l'Institut.

L'intégralité des fonds récoltés sera dédiée à la **recherche** pour mieux comprendre les leucémies, surmonter l'échec thérapeutique et améliorer l'accompagnement des patients.



Lien d'inscription [ici](#).

### **Soutenir l'Institut de la Leucémie : un engagement concret**

Les dons permettent de financer des avancées médicales majeures.

Ils sont essentiels pour accélérer l'innovation et offrir de nouvelles perspectives thérapeutiques.

*« La maladie peut frapper chacun d'entre nous. Soutenir la recherche c'est donner les moyens de sauver des vies et donner de l'espoir pour l'avenir »,* souligne **Alice Gros**, patiente engagée.

Les dons ont un impact concret :

- 100 € → coût réel de 34 € après déduction fiscale.
- 1000 € → financement d'une analyse personnalisée de la réponse médicamenteuse pour un patient.

Contact mécénat : Stéphanie Chambaud, Secrétaire Générale

Des rendez-vous peuvent être organisés pour accompagner les projets de donation.

---

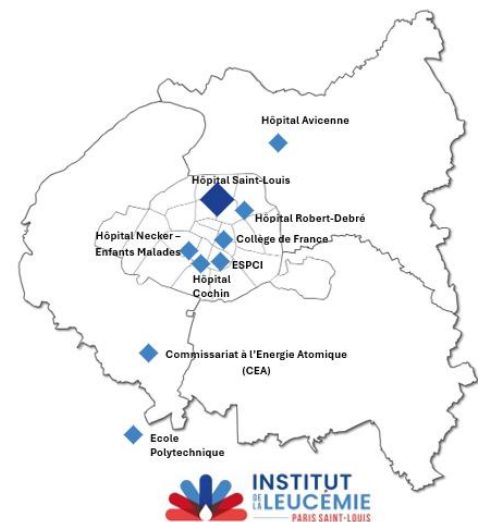
**Ensemble, guérissons les leucémies à tous les âges de la vie.**

## UN INSTITUT UNIQUE EN EUROPE

L'Institut de la Leucémie est une structure d'exception à l'échelle européenne, fondée en 2023 par l'Assistance Publique–Hôpitaux de Paris, l'INSERM, le Collège de France et l'Université Paris Cité. Il incarne une dynamique collaborative sans précédent, réunissant des expertises cliniques et scientifiques autour d'une ambition commune : transformer la prise en charge des patients atteints de leucémies à tous les âges de la vie. L'IHU a été structuré sous la forme d'une fondation abritée par la Fondation Université Paris Cité (FUPC).

### Une stratégie francilienne pour accélérer la recherche et les soins

L'Institut de la Leucémie déploie une stratégie francilienne fondée sur la synergie entre des pôles hospitaliers académiques et scientifiques d'excellence. Cette organisation repose sur des collaborations étroites entre plusieurs établissements majeurs tels que les hôpitaux Saint-Louis, Cochin, Necker, Avicenne et Robert-Debré, les institutions académiques comme le Collège de France, l'École Polytechnique et l'ESPCI, ainsi que des centres de recherche de pointe tels que le CEA. Cette centralisation des expertises permet une accélération du transfert entre recherche fondamentale et application clinique. Elle favorise une meilleure coordination des parcours de soins, une personnalisation accrue des traitements, et une capacité renforcée à répondre aux défis complexes posés par les leucémies.



### Missions de l'Institut

- **Recherche** : stimuler l'innovation scientifique et médicale.
- **Soin** : offrir des traitements personnalisés issus des dernières avancées et améliorer la qualité de vie des patients.
- **Formation** : transmettre les savoirs aux professionnels de santé, chercheurs et patients.
- **Valorisation industrielle** : transformer les découvertes en solutions concrètes.

### Objectifs stratégiques

- Comprendre l'hétérogénéité des leucémies et développer des traitements innovants.
- Explorer les mécanismes de résistance aux traitements.
- Identifier les facteurs prédisposant aux leucémies.
- Améliorer la prise en charge et la qualité de vie des patients.

L'Institut de la Leucémie s'appuie sur un **Scientific Advisory Board (SAB)** international, composé de chercheurs et cliniciens de renommée mondiale, issus des plus grandes institutions académiques et centres de recherche en hématologie.

Retrouvez la gouvernance de l'Institut de la Leucémie [ici](#)





## MIEUX COMPRENDRE POUR MIEUX SOIGNER

Les leucémies sont des cancers du sang caractérisés par une prolifération anormale de cellules immatures, appelées blastes, qui se développent dans la moelle osseuse et envahissent progressivement ce tissu, en plus du sang, et souvent d'autres organes. Les leucémies perturbent la production des cellules sanguines normales dans la moelle osseuse, entraînant des symptômes fréquents tels que fatigue (anémie), infections ou saignements.

Chaque année, entre 9 000 et 10 000<sup>3</sup> nouveaux cas de leucémies, mais aussi plus de 9000 cas de syndromes myéloprolifératifs et dysplasiques, prédisposants aux leucémies, sont diagnostiqués en France.

L'Institut de la Leucémie se concentre sur **les formes aiguës et les syndromes pré-leucémiques**, afin **de développer une expertise de haut niveau sur un ensemble restreint de pathologies à fort impact clinique**.

### **L'Institut structure ses activités autour de six pathologies :**

- Leucémie aiguë myéloblastique (LAM)
- Leucémie aiguë lymphoblastique (LAL)
- Syndromes myéloprolifératifs (SMP)
- Syndromes myélodysplasiques (SMD)
- Aplasies médullaires acquises et constitutionnelles
- Syndromes de prédisposition génétique aux leucémies

Ces pathologies couvrent un spectre allant de la phase pré-leucémique à la leucémie aiguë déclarée, et justifient une approche intégrée entre recherche, soin et innovation.

### **Surveillance des syndromes pré-leucémiques**

La surveillance des syndromes pré-leucémiques relève de la prévention secondaire, à savoir une surveillance clinique active de pathologies déjà présentes, contrairement à la prévention primaire, qui vise à éviter l'apparition d'une maladie chez une personne saine. Cette prévention secondaire permet d'anticiper leur aggravation vers des formes leucémiques aiguës.

---

<sup>3</sup> [Leucémies : comprendre pour innover | FRM | Fondation pour la Recherche Médicale \(FRM\)](#)



## COMBINER DES TECHNOLOGIES INNOVANTES

À l'Institut de la Leucémie, la recherche s'appuie sur une combinaison d'approches de pointe pour décrypter la complexité des leucémies et proposer des traitements plus ciblés. Ces travaux s'inscrivent dans une stratégie de recherche structurée autour de différents axes complémentaires, allant de l'étude des mécanismes cellulaires à la mise en place d'essais cliniques innovants.

### Une approche multi-omique intégrée

Les chercheurs mobilisent des technologies dites multi-omiques, qui permettent d'analyser simultanément plusieurs couches d'information biologique :

- **Génomique** : pour identifier les mutations génétiques à l'origine de la maladie,
- **Transcriptomique** : pour comprendre quels gènes sont activés ou désactivés dans les cellules leucémiques,
- **Épigénomique** : pour étudier les mécanismes de régulation de l'expression des gènes,
- **Protéomique** : pour analyser les protéines produites par les cellules malades.

Ces données permettent d'identifier des signatures biologiques propres à chaque patient, et de mieux comprendre la réponse aux traitements.

### Des essais cliniques innovants

L'Institut de la Leucémie s'engage dans le développement d'essais cliniques, avec ambition de :

- Exploiter les données multi-omiques pour guider les décisions thérapeutiques,
- Concevoir des essais cliniques précoces (phases I/II) intégrant les avancées fondamentales en biologie des leucémies,
- Accélérer le transfert des découvertes du laboratoire au lit du patient.

Ces essais précoces (phases I/II) croisent les données multi-omiques avec les réponses cliniques des patients. Les chercheurs peuvent ainsi affiner les stratégies thérapeutiques et accélérer le transfert des découvertes du laboratoire au malade.

### eTHEMA : une base unique pour comprendre et anticiper

Cette cohorte intègre des données cliniques et biologiques issues de tous les patients atteints de leucémies, offrant un socle précieux pour la recherche, le suivi thérapeutique et l'innovation médicale.

La cohorte eThema vise à recueillir des **données de vraie vie** sur tous les patients nouvellement diagnostiqués, et pas seulement ceux inclus dans les essais cliniques, quel que soit leur âge ou leur traitement, afin de :

- Décrire les caractéristiques cliniques et biologiques initiales
- Suivre les parcours thérapeutiques et les réponses aux traitements



- Évaluer la survie globale (OS), la survie sans événement (EFS) et la rémission sans rechute (RFS)
- Identifier des biomarqueurs, des mécanismes de résistance et des profils de tolérance
- Développer des essais cliniques innovants et des programmes de recherche translationnelle

#### eTHEMA en quelques chiffres

- **3 centres AP-HP** impliqués : Saint-Louis, Robert Debré, Avicenne
- **Population cible** : environ 600 patients par an
- **290 patients** atteints de LAM ou SMD déjà analysés en détail

Grâce à sa richesse et à sa structuration, eTHEMA permet une meilleure compréhension des leucémies dans leur diversité, une optimisation des stratégies thérapeutiques, une contribution majeure à la médecine de précision en hématologie.

#### Des approches innovantes depuis près de 80 ans qui ont abouti en 2023 à la création de l'Institut de la Leucémie





## RECHERCHE ET INNOVATION : LES NOUVEAUX DEFIS EN HEMATOLOGIE

Face à la diversité et à la complexité des leucémies, l'Institut de la Leucémie développe une approche intégrée, allant de la biologie fondamentale à la recherche clinique. Cette stratégie repose sur une collaboration étroite entre chercheurs et cliniciens. Ces axes sont soutenus par des **plateformes technologiques avancées**, une **biobanque** riche en données cliniques et biologiques, et une forte dynamique de **recherche translationnelle**, qui permet de faire le lien entre les découvertes en laboratoire et leur application concrète au lit du patient.

### Axes de recherche de l'Institut de la Leucémie

FONDAMENTALE

#### Axe 1 : MÉCANISMES

##### **Biologie fondamentale**

- Décrypter l'hétérogénéité des leucémies avec une approche multi omique
- Cribler les vulnérabilités intrinsèques des leucémies
- Explorer les conséquences cellulaires des stress thérapeutiques

#### Axe 2 : MICRO-ENVIRONNEMENT

##### **Cellules souches et microenvironnement**

- Etudier les interactions cellulaires et moléculaires entre les blastes leucémiques et le microenvironnement de la moelle osseuse (stroma, effecteurs immunitaires)
- Explorer l'impact des stress thérapeutiques sur les interactions cellulaires

TRANSLATIONNELLE

#### PLATEFORMES

Plateforme technologique et Animalerie

#### DONNÉES ET BIOBANQUE

Cohortes pour la recherche et échantillons humains annotés

#### Axe 3 : PRÉCISION

##### **Agents thérapeutiques et combinaisons**

- Tester des traitements innovants sur des cellules primaires ou sur des modèles pré-cliniques
- Identifier des combinaisons de traitements prometteuses et valider des biomarqueurs

#### Axe 4 : PRÉDISPOSITION

##### **Prévention et médecine de précision**

- Identifier les patients présentant des conditions prédisposantes germinales
- Réaliser des études somatiques longitudinales

CLINIQUE

#### Axe 5 : ESSAI

##### **Essais cliniques précoces**

- Élaborer des essais innovants pour la médecine de précision
- Intégrer les données biologiques dans les essais cliniques

#### Axe 6 : SOIN

##### **Amélioration des parcours de soin**

- Mettre en place un programme de suivi post-traitement
- Explorer les mesures de qualité de vie, en collaboration avec les associations de patients

## Quelques projets de l'Institut de la Leucémie

L'Institut de la Leucémie place l'innovation technologique au cœur de sa stratégie pour transformer la recherche et la prise en charge des patients grâce à l'intégration d'outils numériques avancés sur des données à grande échelle. Ces outils permettent de faire le lien entre données complexes et décisions médicales, tout en ouvrant la voie à une médecine plus efficace. Les projets cliniques et biologiques menés au sein de l'Institut s'appuient également sur une forte synergie entre recherche fondamentale et pratique médicale. Ils visent à mieux comprendre les mécanismes des leucémies, à identifier de nouvelles cibles thérapeutiques et à affiner les stratégies de traitement. En mobilisant des ressources biologiques de qualité, des essais cliniques innovants et des approches multidisciplinaires, ces projets contribuent à faire progresser la médecine de précision au bénéfice direct des patients.

### Plongeon au cœur de l'activité de la cellule leucémique

Le projet DYNHAEMICS, financé par la Fondation ARC, explore les toutes premières heures de réponse des cellules leucémiques à la chimiothérapie. Ce travail de recherche, encore non publié, repose sur des technologies de pointe telles que :

- Le séquençage d'ARN en cellule unique (scRNA-Seq),
- La cytométrie multiparamétrique.



Ces approches permettent aux chercheurs d'analyser en temps réel les réponses moléculaires et cellulaires des cellules tumorales. L'objectif est d'identifier des mécanismes précoces de résistance, de mieux prédire l'efficacité des traitements et d'ouvrir la voie à de nouvelles stratégies thérapeutiques personnalisées. Ce projet se distingue par son caractère hautement innovant.

*« Les premières heures de chimiothérapie sont décisives », souligne le Dr Matthieu Duchmann, hématologue.*

*« Grâce à DYNHAEMICS, nous avons enfin les outils pour observer, cellule par cellule, comment les cellules tumorales réagissent au traitement. C'est une opportunité unique de définir des stratégies plus personnalisées, pour chaque patient. », rappelle le Pr Hugues de Thé.*

### Des organoïdes de moelle osseuse pour recréer le micro-environnement tumoral du patient

L'équipe de recherche du Dr Karl Balabanian a développé des modèles tridimensionnels (organoïdes) à partir de cellules de patients, permettant de reproduire le micro-environnement tumoral. Cette technologie offre une précision inédite pour étudier les interactions cellulaires impliquées dans la progression de la leucémie.

Elle permet notamment d'analyser le rôle spécifique des cellules NK, des cellules immunitaires clés dans la reconnaissance et l'élimination des cellules tumorales.



*« Grâce aux organoïdes, nous pouvons observer comment les cellules leucémiques interagissent avec leur environnement et réagissent aux traitements. C'est une avancée majeure pour concevoir des thérapies plus précises et plus efficaces », expliquent les Dr Nicolas Dulphy, MCU-PH et Dr Valéria Bisio, chargée de recherche INSERM.*

### **Le rôle de la moelle osseuse dans la transformation en leucémie**

Le Dr Lina Benajiba s'intéresse au rôle, souvent méconnu, de la niche ostéo-médullaire, cet environnement cellulaire situé dans la moelle osseuse où se produisent les cellules sanguines. Son équipe étudie les interactions entre les cellules hématopoïétiques et leur niche, afin de comprendre comment ce dialogue est perturbé à différents stades de la maladie : au cours de la transformation de pathologies pré-leucémiques telles que les néoplasies myéloprolifératives (NMP) en leucémie aiguë myéloïde (LAM), au moment du diagnostic de la LAM et de sa rechute. Elle travaille notamment sur l'inhibition pharmacologique de nouvelles cibles thérapeutiques impliquées dans ce dialogue afin de prévenir et guérir la LAM.

*« En étudiant la niche ostéo-médullaire, nous cherchons à comprendre comment l'environnement cellulaire peut influencer l'apparition et la progression de la leucémie. C'est une piste prometteuse pour éradiquer la maladie en agissant avant son installation d'une part, et en prévenant les rechutes une fois la maladie installée d'autre part »,* indique le Dr Lina Benajiba hématologue, pharmacologue et responsable d'une équipe au sein de l'IRSL-Institut de la Leucémie.

### **Mieux détecter la maladie résiduelle pour prévenir les rechutes.**

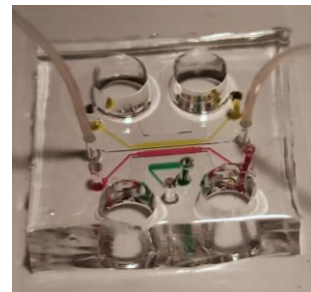
Même après une réponse apparente au traitement, des cellules leucémiques peuvent persister sans être détectées par les examens classiques. L'équipe du Professeur Emmanuelle Clappier développe des outils plus sensibles basés sur des marqueurs moléculaires, permettant de suivre précisément la réponse au traitement. Cette approche permet d'intensifier les traitements pour les patients à plus haut risque de rechute et d'alléger les protocoles pour les bons répondeurs.



*« Grâce à cette approche, nous pouvons mieux identifier les patients qui bénéficieront d'une greffe, et éviter des traitements lourds à ceux qui n'en ont pas besoin »,* indique la chercheuse, professeure d'hématologie à l'hôpital Saint Louis.

### **Leucémie : quand les cellules perdent leur polarité dans la moelle osseuse**

Dans la leucémie aiguë myéloïde (LAM), les cellules malades ne se contentent pas de proliférer de manière anarchique : elles perdent aussi leur capacité à s'orienter correctement dans leur environnement naturel, la moelle osseuse. Ce phénomène, appelé défaut de polarisation, empêche les cellules leucémiques de se positionner face aux cellules de soutien (stromales) qui régulent normalement leur comportement. Grâce à un modèle innovant de "moelle osseuse sur puce", les chercheurs ont pu observer que ces cellules malades, contrairement aux cellules saines, ne parviennent plus à établir les bons contacts. De plus, les cellules stromales issues d'un environnement leucémique peuvent à leur tour désorganiser les cellules saines. Ces découvertes ouvrent la voie à de nouvelles approches thérapeutiques ciblant non seulement les cellules cancéreuses, mais aussi leur écosystème.



*« Nous avons observé que les cellules leucémiques ne savent plus où se placer dans leur environnement. Cette perte de repères pourrait être une clé de leur dérive pathologique »,* souligne le Dr Manuel Théry, responsable d'une équipe au CEA-Institut de la Leucémie.

### **Désarmer les leucémies aiguës myéloïdes (LAM)**

L'équipe d'Alexandre Puissant se consacre à l'étude de la biologie des leucémies aiguës myéloïdes (LAM), une forme particulièrement agressive et résistante aux traitements. Grâce à une approche de criblage génétique, son équipe a identifié des gènes clés impliqués dans la prolifération des cellules leucémiques. Cette stratégie permet de restaurer la sensibilité des cellules leucémiques aux traitements conventionnels. Les résultats précliniques, publiés dans *Nature Cancer*, montrent un ralentissement significatif de la progression de la LAM. Un brevet international a été déposé en mai 2025.

*« Notre objectif est de comprendre pourquoi certaines leucémies aiguës myéloïdes résistent aux traitements. Nous avons identifié une protéine clé pour la transformation tumorale, PIK3CG, et nous avons développé un inhibiteur, qui dégrade spécifiquement cette protéine. Les résultats sont très prometteurs. C'est une avancée concrète vers des traitements plus ciblés, plus efficaces, et mieux tolérés pour les patients »,* explique le Dr Alexandre Puissant, responsable d'une équipe de recherche à l'IRSL-Institut de la Leucémie

### **Mieux prédire les rechutes dans les leucémies T grâce à la génétique de précision**

Les travaux du Pr Vahid Asnafi, menés à l'Institut Necker-Enfants Malades (INEM), marquent une avancée majeure dans la compréhension des leucémies aiguës lymphoblastiques T (T-ALL). Grâce au séquençage génétique de nouvelle génération (NGS), son équipe a mis au point un outil de stratification du risque qui permet d'identifier les patients les plus susceptibles de rechuter, dès le diagnostic. Ce modèle, validé chez l'adulte et l'enfant, combine des données génétiques avec des marqueurs cliniques pour affiner les décisions thérapeutiques. Une étape clé vers une médecine de précision plus efficace.

*« Grâce à cette approche, nous pourrions repérer très tôt les patients à haut risque et envisager pour eux des traitements innovants, mieux ciblés et potentiellement plus efficaces. »* indique le Pr Vahid Asnafi, professeur d'hématologie et responsable d'une équipe de recherche à l'INEM - Institut de la leucémie

### **Des traitements innovants pour les syndromes pré-leucémiques**

L'Institut de la Leucémie s'engage aussi sur le front des syndromes pré-leucémiques, comme l'aplasie médullaire ou l'hémoglobininurie paroxystique nocturne (HPN). Le Pr Régis Peffault de La Tour, figure de référence dans ce domaine, pilote des recherches cliniques majeures sur des traitements innovants. Parmi eux, l'iptacopan, une thérapie orale ciblée, ouvre de nouvelles perspectives pour les patients en réduisant les besoins en transfusion et en améliorant significativement la qualité de vie. Ces avancées seront prochainement mises en lumière dans les formats vidéo de l'Institut, pour mieux faire connaître ces pathologies rares et les espoirs qu'elles suscitent.

*« L'innovation thérapeutique, c'est offrir aux patients des solutions plus simples, plus efficaces, et mieux adaptées à leur quotidien »,* souligne le Pr Régis Peffault de La Tour, chef de service à l'Hôpital Saint-Louis.

## Un programme structuré pour soutenir l'innovation

L'Institut de la Leucémie propose un programme d'appels à projets structuré en différentes catégories, conçu pour répondre aux projets de recherche exploratoires, translationnels et cliniques.

Parmi elles, la catégorie « Levée de Verrou » vise à soutenir des projets à fort potentiel, mais encore à un stade précoce. Elle permet de financer des travaux exploratoires nécessitant un appui initial pour produire des données de preuve de concept, souvent indispensables pour accéder à des financements plus classiques. Ce dispositif offre une souplesse maximale, avec des dépôts de projets au fil de l'eau, et un budget pouvant aller jusqu'à 30 000 € par projet.

Deux fois par an, l'Institut publiera un appel d'offres en proposant 2 autres catégories :

- L'appel à projets « **Synergie** » encourage la collaboration entre plusieurs équipes, notamment entre recherche fondamentale et clinique, afin de favoriser les approches intégrées.
- L'appel à projets « **Essais Cliniques Précoces** » soutient les études précoces, comme les essais de phase I ou les repositionnements de médicaments, en ciblant notamment les besoins non couverts par d'autres financements.

**La première audition des dossiers a eu lieu en avril 2025 avec 3 projets sélectionnés.**

## Former les experts de demain face à des maladies encore méconnues

Les leucémies, bien que graves et complexes, restent encore mal connues, même parmi les professionnels de santé. Face à l'évolution rapide des connaissances scientifiques et des traitements, l'Institut de la Leucémie Paris Saint-Louis développe une **offre de formation innovante** à destination des patients, médecins, chercheurs, soignants et scientifiques d'autres disciplines.

En partenariat avec l'Université Paris Cité, l'AP-HP, l'INSERM et le Collège de France, l'Institut met en place :

- Une **plateforme d'enseignement en ligne**,
- Des **réseaux de formation et de collaboration scientifique** en France et à l'international,
- Des **programmes d'attractivité pour les jeunes talents**.

Parmi les outils concrets proposés, les fiches patients comme celle dédiée aux traitements innovants et aux soins de supports, et les vidéos pédagogiques sur la leucémie aiguë myéloïde, permettent de transmettre les savoirs de manière claire, accessible et actualisée. Ces supports sont conçus pour faciliter la compréhension des innovations thérapeutiques et renforcer les liens entre recherche et pratique clinique.





## UNE MEDECINE PARTICIPATIVE, AVEC LES PATIENTS

À l'Institut de la Leucémie, les patients ne sont pas seulement bénéficiaires des soins : ils sont pleinement associés à l'évolution des pratiques médicales et scientifiques. Leur vécu, leurs questionnements et leur expertise d'usage nourrissent une démarche collective, où chercheurs, soignants et malades avancent ensemble. Cette approche participative se traduit par des actions concrètes : pair-aidance, ressources pédagogiques co-construites, parcours de soins personnalisés pour les personnes à risque génétique... autant d'initiatives qui placent l'écoute, la compréhension et la qualité de vie au cœur du soin de tous les patients.

Parmi ces initiatives, la **pair-aidance** occupe une place centrale. Née de pratiques spontanées entre anciens et nouveaux malades, elle est aujourd'hui encadrée et reconnue dans le cadre du programme PAROLE-Onco. Alice Gros, patiente guérie, a été formée par le récent programme de Science Po Executive conçu en collaboration avec l'association Aïda et qui permet aux patients guéris de transformer l'expérience de la maladie en expertise. Alice accompagne ainsi de jeunes adultes lors de l'annonce du diagnostic ou pendant les traitements, en lien étroit avec les équipes médicales.

*« Être écouté, compris, et pouvoir transmettre ce qu'on a vécu, c'est une manière de redonner du sens à l'épreuve », souligne Alice Gros, patiente partenaire.*

### **Des parcours personnalisés pour les patients à susceptibilités génétiques**

Certaines leucémies et maladies apparentées sont liées à des prédispositions génétiques héréditaires, qui concernent aujourd'hui 5 à 10 % des patients. L'Institut de la Leucémie, sous l'impulsion du Pr Marie Sébert et en collaboration avec les Prs Jeunemaitre et Soulier, a mis en place un **parcours de soins innovant**. Il repose sur un diagnostic moléculaire de précision, un suivi clinique personnalisé, et l'intégration des données dans des programmes de recherche translationnelle et fondamentale.

L'objectif est clair : proposer une médecine préventive de la leucémie, en anticipant les complications et en adaptant les stratégies thérapeutiques. Ce modèle incarne une vision plus proactive, plus personnalisée, et centrée sur le patient et sa famille.

*« Ce parcours de soins marque une avancée majeure pour les patients porteurs de prédispositions génétiques aux leucémies. Il s'agit d'une approche intégrée, à la fois clinique, génétique et scientifique », détaille le Pr Marie Sébert, Hôpital Saint-Louis.*

### Des outils concrets pour mieux comprendre et mieux s'engager

À chaque étape du parcours, l'Institut de la Leucémie met à disposition des **fiches d'information claires et accessibles**, élaborées avec des professionnels de santé et des associations de patients partenaires. Ces supports visent à expliquer les étapes du parcours de soins, les traitements et leurs effets, à faciliter la compréhension et l'adhésion thérapeutique, et à encourager l'autonomie et la prise de décision éclairée. Au-delà des contenus médicaux, l'Institut valorise également les **témoignages de patients** à travers des publications, des événements et des formats numériques. Ces récits, porteurs d'expérience et d'espoir, créent du lien, rassurent, et inspirent d'autres patients à s'engager activement dans leur propre parcours.

### Un institut engagé, à l'écoute des patients et connecté à son environnement

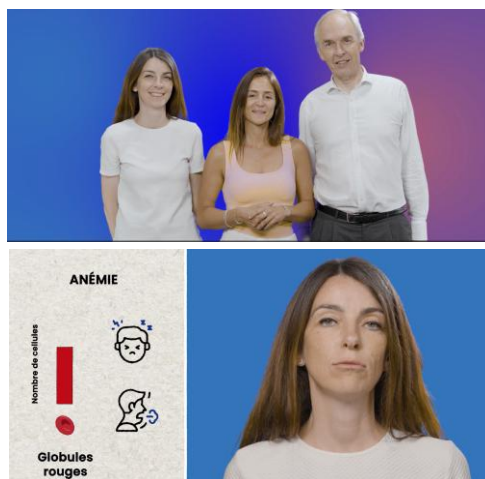
L'Institut de la Leucémie s'inscrit dans une démarche profondément collaborative. Il tisse des liens étroits avec les institutions publiques, les partenaires privés, les sociétés savantes et surtout les associations de patients, qui occupent une place centrale dans sa vision du soin.

Cette approche vise à replacer la qualité de vie, l'écoute et la compréhension des patients au cœur des pratiques médicales. Il ne s'agit plus seulement de traiter la maladie, mais de prendre en compte l'expérience vécue par les patients, pendant et après les soins. Cela implique aussi de s'interroger sur des enjeux éthiques, comme la compréhension fine du consentement dans les essais cliniques.

Les associations de patients sont pleinement intégrées à cette réflexion. Leur rôle est essentiel pour faire évoluer les pratiques, enrichir les projets de recherche, et renforcer la transparence et la confiance entre soignants, chercheurs et malades. À travers cette dynamique, l'Institut affirme une conviction forte : les patients ne sont pas uniquement bénéficiaires des soins, ils en sont aussi des acteurs.

### Une parole partagée pour mieux comprendre et mieux relier

L'Institut de la Leucémie fait le choix d'une **communication vivante**, tournée vers l'échange et la transmission. En créant des ponts entre les savoirs scientifiques, les pratiques cliniques et les vécus de patients, il affirme une volonté forte : rendre la maladie plus compréhensible, et le parcours de soin plus humain. Dans cette dynamique, l'Institut lance en **septembre 2025 une chaîne de vidéos témoignages à plusieurs voix**, où patients, médecins et chercheurs dialoguent autour de grandes thématiques liées aux leucémies. Chaque épisode abordera un sujet clé, avec des formats courts, pédagogiques et sensibles, pensés pour éclairer sans simplifier, et pour donner à voir la richesse des points de vue. La première vidéo réunira le **Professeur Hugues de Thé**, **Marion Strullu** (clinicienne à l'Hôpital Robert Debré) et **Alice Gros** (patiente partenaire à l'Hôpital Saint-Louis) autour d'une question essentielle : « **Qu'est-ce que la leucémie ?** ». Un échange à trois voix pour poser les bases, déconstruire les idées reçues, et ouvrir un dialogue accessible à tous.



####

**Pour en savoir plus et suivre les développements et découvertes de l’Institut de la Leucémie :**  
**<https://www.institut-leucemie.fr/>**



<https://www.linkedin.com/company/institut-leucemie/>



[Institut de la Leucémie - Leukemia Institute Paris Saint-Louis \(@institut-leucemie.bsky.social\) — Bluesky](#)



[https://www.instagram.com/institut\\_leucemie?igsh=Z3BsADByaWt3cTBo](https://www.instagram.com/institut_leucemie?igsh=Z3BsADByaWt3cTBo)