
Résumé de rapport de synthèse

Autorisation d'accès compassionnel

ZTALMY 50 mg/mL suspension buvable –
ganaxolone

Du 7 juin 2023 au 24 janvier 2024

1. Introduction

L'ANSM (Agence Nationale de Sécurité du Médicament) délivre des autorisations d'accès compassionnel (AAC) pour le médicament ZTALMY 50 mg/mL suspension (ganaxolone) dans l'indication suivante : traitement adjuvant des crises d'épilepsie associées au trouble du déficit en kinases dépendantes des cyclines 5 (CDKL5) chez les patients âgés de 2 ans et plus. L'ajout de ce médicament aux médicaments antiépileptiques existants est appropriée chez les individus non répondeurs, inéligibles ou intolérants aux traitements actuellement disponibles.

ZTALMY a été autorisé en juin 2022 aux États-Unis et en juillet 2023 dans l'Union européenne. ZTALMY devrait être commercialisé en Allemagne au premier trimestre 2024 et en France au premier trimestre 2025.

Ce rapport couvre la totalité de la période de mise à disposition de ZTALMY 50 mg/mL suspension (ganaxolone) dans le cadre de l'AAC, du 7 juin 2023 au 24 janvier 2024.

2. Données cliniques et démographiques nationales

a. Caractéristiques des patients

Trois patients ont été inclus dans l'AAC ganaxolone au cours de la période couverte par ce rapport (du 7 juin 2023 au 24 janvier 2024). Les données cliniques et démographiques ont été reçues pour 2 patientes ayant chacune reçu au moins une dose de ganaxolone. Pour le 1^{er} patient, 5 fiches de suivi ont été reçues et 3 fiches pour le second patient.

Le traitement par ganaxolone a été initié à une posologie de 63 mg/kg/jour pour les 2 patientes puis a été augmenté à 1260 mg/j au 6^{ème} mois pour la 2^{ème} patiente.

Les données ne sont pas disponibles pour le 3^{ème} patient.

b. Caractéristiques de la maladie

Les deux patientes répondaient aux critères de traitement par ZTALMY : patient âgé de 2 ans ou plus, analyses génétiques, crises d'épilepsie non contrôlées malgré la prise de 2 médicaments antiépileptiques ou plus.

c. Caractéristiques des prescripteurs

Au cours de la période couverte par ce rapport, les 2 patients ont reçu une prescription de ZTALMY par des neuro-pédiatres des CHU de Rennes et CHU de Rouen.

d. Données de pharmacovigilance

Aucun effet indésirable n'a été rapporté au cours de la période couverte par ce rapport.

Aucun nouveau signal de sécurité n'a été identifié dans le cadre de la mise à disposition de ZTALMY par le dispositif des AAC.

3. Conclusion

Selon les données recueillies dans le cadre de l'AAC sur la période du 7 juin 2023 au 24 janvier 2024, ZTALMY 50 mg/mL suspension buvable (ganaxolone), 3 patients ont reçu le traitement. Les fiches d'initiation et de suivi ont été reçues pour 2 patients. Ces 2 patients respectaient les critères d'éligibilité. Les données d'efficacité ont montré une réduction du nombre moyen de crises d'épilepsie par jour. Aucun effet indésirable n'a été rapporté chez ces 2 patients et aucun signal de sécurité n'a été identifié. Aucune mise à jour du PUT-SP n'est recommandée.

Le rapport bénéfice-risque de ZTALMY 50 mg/mL suspension buvable (ganaxolone) reste inchangé dans le traitement adjuvant des crises d'épilepsie associées au trouble du déficit en kinases dépendantes des cyclines 5 (CDKL5) chez les patients âgés de 2 ans et plus.