

## AUTORISATION D'ACCES COMPASSIONNEL (AAC)

### Résumé du rapport de synthèse périodique n°1

PETINIMID 250 mg, capsule molle (éthosuximide)

Rapport n°1 couvrant la période du 20/12/2021 au 19/12/2023

#### I. Introduction

PETINIMID (éthosuximide) 250 mg, capsule molle a bénéficié d'une autorisation temporaire d'utilisation (ATU) de cohorte encadrée par un protocole d'utilisation thérapeutique et de recueil de données (PUT-RD) du 01/01/2017 au 19/12/2021 dans l'indication suivante : "traitement des absences, en monothérapie ou en association, chez l'adulte et l'enfant de plus de 6 ans, en cas de mauvaise observance du traitement avec la solution buvable actuellement disponible".

L'ATUc a pris fin au profit d'autorisations d'accès compassionnel (AAC) depuis le 20 décembre 2021 encadrées par un protocole d'utilisation thérapeutique (PUT) dans l'indication suivante : "épilepsie généralisée (crises myocloniques et atoniques), traitement des absences, en monothérapie ou en association".

PETINIMID est soumis à une prescription hospitalière réservée aux spécialistes en pédiatrie ou en neurologie.

#### II. Données recueillies dans le cadre de l'AAC avec PUT

##### II.a. *Données d'exposition*

Sur la base des données recueillies pendant l'ATU de cohorte, 175 patients ont été inclus chaque mois en moyenne dans la cohorte, identifiés par les bons de commandes reçus.

Le nombre de patients exposés semble stable, basé sur le nombre de boîtes de PETINIMID 250 mg, capsule molle distribuées par INRESA durant la dernière année de la cohorte et la première année de l'AAC avec PUT (respectivement 4893 et 5385 boîtes).

Cependant, le nombre de patients exposés chaque mois ne peut pas être établi avec précision, car l'AAC avec PUT ne permet pas un suivi précis des patients actuellement traités ou en arrêt de traitement.

##### II.b. *Données nationales de pharmacovigilance*

#### Sur la période étudiée :

Aucun cas de pharmacovigilance lié à PETINIMID n'a été signalé en France.

Aucune exposition à PETINIMID au cours d'une grossesse ou au cours d'un allaitement n'a été rapportée.

Aucun décès lié au traitement n'a été signalé.

### Sur la période cumulée :

Ces données sont issues du dernier rapport périodique pour la spécialité PETINIMID, lorsqu'elle bénéficiait du statut d'ATUc.

Un total de 19 cas associés à des effets indésirables a été rapporté :

- 3 cas graves
  - o 9 effets indésirables attendus : céphalées (x2), douleurs abdominales (x3), éruption cutanée, nausées (x2), brûlure gastrique ;
  - o 2 effets indésirables inattendus : troubles de l'humeur, asthénie ;
- 16 cas non graves
  - o 24 effets indésirables attendus : nausées (x4), céphalées (x5), vertiges (x4) vomissements (x4), perte d'appétit (x3), tremblements, douleurs abdominales (x2), leucopénie ;
  - o 5 effets indésirables inattendus : métrorragie, troubles de l'humeur, pelade, asthénie (x2).

Un cas non grave associant des effets indésirables (céphalées et tremblements) et rapportant également un effet thérapeutique non satisfaisant a été réceptionné.

Deux cas comprenant uniquement un effet thérapeutique non satisfaisant ont été réceptionnés.

Aucune exposition à PETINIMID au cours d'une grossesse ou au cours d'un allaitement n'a été rapportée.

Aucun décès lié au traitement n'a été signalé.

### III. Conclusion

Sur la période du 20/12/2021 au 19/12/2023, le nombre de patients exposés chaque mois dans le cadre de l'AAC avec PUT était comparable à celui estimé dans le cadre de l'ATU de cohorte.

Aucun cas de pharmacovigilance concernant des patients français n'a été rapporté. Aucun nouveau signal de sécurité n'a été identifié dans le cadre de l'AAC.

Les données de sécurité et d'efficacité issues du suivi des patients inclus dans l'AAC avec PUT PETINIMID ne remettent pas en cause le rapport bénéfice/risque de l'éthosuximide dans l'indication de l'AAC.