
Résumé de Rapport de Synthèse

Autorisation d'accès compassionnel
[Vatiquinone, solution orale 100 mg/mL]

Rapport n°1: Période du 5 novembre 2024 au 4 novembre 2025

1- Introduction

L'Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé (ANSM) délivre des autorisations d'accès compassionnel (AAC) pour le médicament Vatiquinone 100 mg/ml, solution orale dans les situations suivantes : Patients atteints de maladies mitochondriales ayant participé à un essai clinique sponsorisé par PTC.

La mise à disposition du médicament dans le cadre des autorisations d'accès compassionnel a débuté le 5 novembre 2024.

Au début de la période couverte par ce rapport de synthèse, ce médicament n'a pas encore obtenu d'autorisation de mise en marché (AMM) en France.

2- Données collectées

a. Caractéristiques générales des patients / prescripteurs

Suivi patient

- Cinq patients ont été inclus dans ce programme d'accès compassionnel.
- Aucun arrêt, interruption ou changement de traitement n'a eu lieu sur la période couverte par ce rapport.

Caractéristiques générales des patients

- Les cinq patients inclus étaient âgés de 9 à 19 ans au moment de l'inclusion, trois étaient des patients pédiatriques.
- Quatre patients étaient de sexe masculin et un patient était de sexe féminin.
- Le poids des patients variait entre 20 et 61,6 kg.

Caractéristiques de la maladie

Les cinq patients inclus présentaient une maladie mitochondriale ou un syndrome de Leigh et tous ont présenté des convulsions (crises d'épilepsie). Quatre patients présentaient un retard de développement. Les paramètres de coagulation (temps de prothrombine et INR) ont été rapportés comme normaux chez trois patients. Les paramètres de coagulation n'ont pas été rapportés pour deux patients.

Caractéristiques du prescripteur

Les patients ont été inscrits dans quatre Centres Hospitaliers Universitaires (UHC) situés dans les régions d'Occitanie, Grand Est, Pays de la Loire et la région parisienne.

b. Conditions d'utilisation du produit médicamenteux

Tous les patients suivaient un traitement par vatiquinone de 200 mg trois fois par jour (dose totale quotidienne de 600 mg), le traitement ne devant être arrêté et/ou interrompu qu'en raison de l'apparition d'une toxicité ou d'effets indésirables intolérables.

c. Données d'efficacité

A la date d'arrêt des données (4 novembre 2025), les cinq patients inclus dans le programme d'AAC étaient toujours traités par vatiquinone.

Dans cette première année du programme d'AAC, le traitement par vatiquinone a été maintenu sans interruption chez tous les patients exposés, sans ajustement de dose jugé nécessaire et sans effet indésirable lié au traitement. Les adaptations thérapeutiques ont concerné uniquement les traitements concomitants, principalement les antiépileptiques. Selon l'évaluation clinique des médecins prescripteurs, l'ensemble des patients évalués ont présenté un bénéfice clinique à M6 et à M12. Malgré les limites liées au faible effectif et au recul disponible, ces résultats sont cohérents avec le profil d'efficacité et de sécurité observé dans les essais cliniques et soutiennent la poursuite de l'utilisation de la vatiquinone dans cette population sélectionnée.

d. Données nationales de pharmacovigilance

Durant la période couverte par ce rapport, trois nouveaux événements indésirables graves (voir le rapport de synthèse) ont été détectés, chez un patient, et rapportaient des symptômes de maladie sous-jacente. Aucun événement indésirable n'a été considéré lié au traitement, ni n'a été fatal.

De façon cumulative, trois événements indésirables graves ont été signalés chez un patient, impliquant des symptômes de la maladie sous-jacente. Aucun événement indésirable n'a été considéré lié au traitement, ni n'a été fatal. Aucun événement indésirable ayant entraîné des modifications de dose ou l'arrêt du traitement a été rapporté. Aucun problème de sécurité ni aucun signal n'a été identifié lors de la conduite de ce programme d'AAC. Aucune situation particulière (par exemple, cas d'erreur de traitement, d'abus, de surdose, d'abus, d'interactions médicamenteuses, d'exposition à une grossesse, etc.) n'a été rapportée à ce jour par des patients participant au programme d'AAC.

3- Conclusion

Ceci est le premier rapport de synthèse dans le cadre de ce programme d'accès compassionnel, couvrant la période du 5 novembre 2024 au 4 novembre 2025.

Aucun nouveau signal de sécurité nécessitant des modifications de protocoles d'essai clinique, de l'information de sécurité de référence ou des mesures des autorités pour des raisons de sécurité, n'a été identifié sur la période avec la vatiquinone.

D'après l'analyse des informations présentées dans ce rapport de synthèse d'AAC, le rapport bénéfice-risque reste inchangé dans le cadre du traitement de patients atteints de maladies mitochondriales ayant participé à un essai clinique sponsorisé par PTC par la vatiquinone.