
Résumé de rapport de synthèse

Autorisation d'Accès Compassionnel **PETINIMID - Ethosuximide**

PETINIMID 250 mg, capsule molle

Rapport n°2 – Période du 20/12/2023 au 19/12/2025

1- Introduction

L'ANSM (Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé) délivre des autorisations d'accès compassionnel (AAC) pour le médicament PETINIMID 250 mg, capsule molle dans le traitement de l'épilepsie chez l'adulte et l'enfant de plus de 6 ans, ou en cas de problème d'observance du traitement avec le sirop d'éthosuximide, dans les situations suivantes :

- Epilepsie généralisée : crises myocloniques et atoniques
- Traitement des absences, en monothérapie ou en association

La mise à disposition du médicament dans le cadre des autorisations d'accès compassionnel a démarré le 20/12/2021, à la suite de l'ATU de cohorte encadrée par un protocole d'utilisation thérapeutique et de recueil d'informations (PUT-RD) du 01/07/2017 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 ».

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

2- Données recueillies

a. Données d'exposition

Sur la base des données recueillies pendant l'ATU de cohorte, en moyenne 175 patients inclus dans la cohorte étaient identifiés chaque mois par les bons de commandes reçus. En sachant que certains patients non inclus dans la cohorte bénéficiaient d'AAC pour des indications autres que l'épilepsie absence, et pour lesquels il n'y avait pas de suivi de données cliniques.

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 différant peu (respectivement 4893 et 5385 boîtes), le nombre de patients exposés semble stable.

Durant la période de ce rapport allant du 20/12/2023 au 19/12/2025, 12 361 boîtes de cette spécialité ont été distribuées par INRESA, ce qui traduit une légère augmentation du nombre de boîtes distribuées annuellement.

D'après les données extraites de la plateforme e-saturne, 677 patients ont initié un traitement par PETINIMID durant la période étudiée, âgés de 2 ans à 70 ans. L'âge moyen (13,5 ans) à l'initiation est proche de l'âge médian (12 ans).

Les indications d'initiation de traitement par PETINIMID sont présentées dans le tableau ci-dessous :

Indication	Nombre de patients	Pourcentage (%)
Epilepsies généralisées : crises myocloniques et atoniques + Traitement des absences en monothérapie ou en association	308	45,5
Epilepsies généralisées : crises myocloniques et atoniques	264	39,0
Traitement des absences en monothérapie ou en association	105	15,5
Total	677	100

Les patients inclus durant cette période présentent majoritairement une épilepsie généralisée associée à une épilepsie absences (45,5%).

Durant la période, 1503 renouvellements d'AAC ont été accordés, pour des patients âgés de 3 ans à 80 ans (âge moyen de 16 ans et âge médian de 14 ans).

Les indications de poursuite de traitement par PETINIMID sont présentées dans le tableau ci-dessous :

Indication	Nombre de patients	Pourcentage (%)
Epilepsies généralisées : crises myocloniques et atoniques	800	53,2
Epilepsies généralisées : crises myocloniques et atoniques + Traitement des absences en monothérapie ou en association	635	42,3
Traitement des absences en monothérapie ou en association	68	4,5
Total	1503	100

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, ni de lier les renouvellements d'AAC octroyés aux demandes initiales.

b. Données nationales de pharmacovigilance sur la période

Sur la période étudiée, 5 cas de pharmacovigilance liés au PETINIMID, ont été signalés en France. Il s'agit de 4 cas valides et 1 cas rapportant une situation particulière :

- 2 cas graves associés à 4 effets indésirables :
 - o El attendus : ataxie, douleurs abdominales
 - o El inattendus : déficit moteur, anorexie

- 2 cas non graves associés à 7 effets indésirables :
 - o El attendus : diarrhées, vomissements, douleurs abdominales, perte de poids, éruption cutanée, troubles du sommeil
 - o El inattendu : modification de la température corporelle

Un cas rapportant une situation particulière d'une exposition durant la grossesse a été rapporté. Le nouveau-né est en bonne santé, se développe bien et ne présente pas de séquelles.

Aucun décès lié au traitement n'a été signalé.

c. Données nationales de pharmacovigilance de l'accès dérogatoire :
du 01/07/2017 au 19/12/2025

Depuis la mise à disposition en France de PETINIMID via un accès dérogatoire (en ATUc puis en AAC), 25 cas de pharmacovigilance liés au PETINIMID, ont été signalés en France.

Il s'agit de 22 cas valides et 3 cas rapportant une situation particulière.

- 5 cas graves associés à 15 effets indésirables :
 - o El attendus : douleurs abdominales x4, céphalées x2, nausées x2, brûlures gastriques, éruption cutanée, troubles de l'humeur, ataxie
 - o El inattendus : déficit moteur, anorexie, asthénie
- 17 cas non graves associés à 34 effets indésirables :
 - o El attendus : céphalées x5, sensation vertigineuse x4, vomissements x4, perte d'appétit x3, douleurs abdominales x3, nausées x3, métrorragie, leucopénie, tremblements, diarrhées, perte de poids, éruption cutanée, troubles du sommeil
 - o El inattendus : asthénie x2, pelade, sensation de modification de la température corporelle

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

Deux cas d'effet thérapeutique non satisfaisant (sans effets indésirables associés) ont été rapporté.

Un cas rapportant une situation particulière d'une exposition durant la grossesse a été rapporté. Le nouveau-né est en bonne santé, se développe bien et ne présente pas de séquelles.

Aucun décès lié au traitement n'a été signalé.

3- Conclusion

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