Cadre de prescription compassionnelle
UVESTEROL VITAMINE A.D.E.C.
Résumé du rapport de synthèse n°35
Période du 1er septembre 2025 au 31 août 2026.

1 Introduction

L'Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé (ANSM) a établi un cadre de prescription compassionnelle (CPC) pour UVESTEROL VITAMINE A.D.E.C., solution buvable, dans l'indication suivante : déficit en vitamines A, D, E et C chez les patients présentant un syndrome de malabsorption en lien notamment avec une cholestase, une insuffisance intestinale ou une insuffisance pancréatique incluant la mucoviscidose : patients ambulatoires à partir de l'âge d'un mois et patients hospitalisés de plus de 2 ans.

La recommandation temporaire d'utilisation (RTU) d'UVESTEROL VITAMINE A.D.E.C., solution buvable, a été mise en place en 2017. Elle est devenue un cadre de prescription compassionnelle (CPC) à la suite de la réforme de l'accès dérogatoire aux médicaments, puis a été renouvelée le 16 février 2023. Le PUT-SP a été modifié le 25 septembre 2025 afin d'actualiser notamment les modalités d'administration et de prévoir la transmission annuelle d'un rapport de synthèse à l'ANSM. Le CPC a ensuite été renouvelé pour une durée de trois ans à compter du 17 février 2026.

Le suivi des patients dans le cadre du dispositif a débuté le 3 février 2017, date de la première inclusion. Le présent résumé expose les données recueillies au cours de la période du 1er septembre 2025 au 31 août 2026 ainsi que, de manière cumulative, les données recueillies depuis la première inclusion dans le dispositif jusqu'au 31 août 2026, date d'extraction des données.

2 Données recueillies

Les résultats sont présentés pour la période du rapport (1er septembre 2025 au 31 août 2026) et en cumul depuis la première inclusion (3 février 2017 au 31 août 2026). Les enregistrements signalés comme non valides dans la base ont été exclus.

2.1 Caractéristiques générales des patients et des prescripteurs

2.1.1 Suivi des patients

Au 31 août 2026, 2 452 patients ont été inclus dans le dispositif. Parmi eux, 99 nouvelles inclusions ont été enregistrées pendant la période du rapport. La date de visite a été manquante pour 71 enregistrements cumulés. Le PUT-SP ne prévoit qu'une fiche d'initiation ; toutefois, 123 patients ont eu deux ou trois visites enregistrées, ce qui limite l'interprétation d'une durée de suivi individuelle.

Indicateur	Période du rapport	Période cumulée
Patients nouvellement inclus	99	2 452
Date de visite manquante	1	71
Patients avec plusieurs visites	0	123

2.1.2 Caractéristiques démographiques

Les caractéristiques démographiques cumulées ont été analysables pour 2 362 patients. Parmi les données démographiques recueillies, douze dates de naissance et treize valeurs de sexe étaient manquantes. Les écarts avec l'effectif total inclus s'expliquent par la disponibilité variable des champs et l'exclusion des enregistrements signalés comme non valides. La population était majoritairement pédiatrique ; 21 adultes ont été recensés.

Classe d'âge	Période du rapport	Période cumulée
Nouveau-nés	38	447
Nourrissons	53	1 119
Enfants	2	597
Adolescents	2	178
Adultes	1	21
Total analysable	96	2 362

Dans la population cumulée analysable, 1 077 patients ont été de sexe féminin et 1 285 de sexe masculin. L'âge moyen a été de 2 ans et 10 mois, l'âge médian de 3 mois, l'âge minimal de 0 jour et l'âge maximal de 82 ans et 10 mois.

2.1.3 Caractéristiques de la maladie

La pathologie a été renseignée pour 2 415 patients cumulés ; 24 données ont été manquantes. La mucoviscidose et la cholestase ont constitué les indications les plus fréquemment rapportées. La catégorie « autre » a regroupé des situations hétérogènes, notamment la prématurité, les antécédents maternels de chirurgie bariatrique et diverses carences vitaminiques.

Pathologie	Période du rapport	Période cumulée
Mucoviscidose	8	869
Cholestase	14	723
Insuffisance pancréatique	3	48
Insuffisance intestinale	1	71
Autre pathologie	72	670
Association de pathologies	0	47

Un sous-ensemble de 277 patients prématurés a été identifié parmi les patients âgés de moins d'un an classés dans la catégorie « autre ». Le formulaire ne permettant pas de distinguer les patients ambulatoires des patients hospitalisés, ces données ne permettent pas de conclure à une utilisation non conforme au CPC.

2.1.4 Caractéristiques des prescripteurs

Les données disponibles identifient principalement des prescripteurs hospitaliers exerçant en pédiatrie, néonatologie, pneumologie pédiatrique, gastro-entérologie, hépatologie et nutrition. Les informations collectées ne permettent pas d'identifier le nombre de prescripteurs uniques.

2.2 Conditions d'utilisation du médicament

Conformément au PUT-SP, la posologie doit être adaptée aux besoins du patient et, le cas échéant, aux résultats des dosages plasmatiques en vitamines. Dans les données recueillies, la dose quotidienne de 0,3 mL a été la modalité la plus fréquemment renseignée, suivie de 0,6 mL par jour. La base comportait 83 posologies manquantes ou incohérentes et 91 informations manquantes ou illisibles concernant le début du traitement.

Les administrations par sonde entérale ont concerné six patients cumulés. Elles n'ont pas été considérées comme des situations particulières chez les prématurés dont l'oralité était immature. La fiche d'initiation ne recueille pas les co-prescriptions, les modifications de posologie, la durée de traitement ni les motifs d'arrêt ; ces éléments ne peuvent donc pas être décrits à partir des données collectées.

2.3 Données d'efficacité

Aucune donnée spécifique d'efficacité n'est recueillie dans la fiche d'initiation prévue par le PUT-SP. Cette rubrique est donc non applicable. Les dosages plasmatiques vitaminiques sont recommandés pour adapter la posologie, mais leurs résultats ne sont pas collectés dans la base transmise au laboratoire.

2.4 Données nationales de pharmacovigilance

Aucun nouveau cas de pharmacovigilance n'a été notifié au laboratoire au cours de la période du 1er septembre 2025 au 31 août 2026. Depuis le 3 février 2017, onze cas ou situations particulières ont été notifiés, dont deux cas non graves considérés comme relevant ou pouvant relever du dispositif.

Indicateur de pharmacovigilance	Période du rapport	Période cumulée
Cas ou situations particulières notifiés	0	11
Cas graves	0	3 (Hospitalisation)
Décès ou mise en jeu du pronostic vital	0	0
Nouveau signal de sécurité	0	0
Cas relevant ou pouvant relever du CPC	**0**	**2 non graves**

Le premier cas non grave a concerné un enfant de 4 ans atteint de mucoviscidose ayant ingéré accidentellement trois flacons et présenté des diarrhées. Le second a concerné une enfant de 7 ans traitée au long cours pour une cholangite sclérosante néonatale, ayant présenté des caries dentaires ; son inclusion dans le dispositif n'a pas pu être confirmée.

Aucune mesure supplémentaire de réduction du risque n'a été mise en œuvre au cours de la période.

3 Conclusion

Sur la période considérée, les données de sécurité issues du suivi des patients inclus dans le CPC ne remettent pas en cause le rapport bénéfice/risque présumé favorable d'UVESTEROL VITAMINE A.D.E.C. dans ce cadre. En l'absence de données spécifiques d'efficacité recueillies dans la fiche d'initiation, cette conclusion repose sur les seules données de sécurité disponibles et aucune conclusion distincte ne peut être formulée sur l'efficacité.