



## Déclaration d'Horizon Therapeutics Canada concernant l'avis d'audience du CEPMB

Horizon Therapeutics Canada est profondément engagée dans la communauté des personnes atteintes de cystinose néphropathique et de maladies rares au Canada. Nous collaborons avec les défenseurs des personnes atteintes de cystinose néphropathique, les professionnels de la santé et les organismes canadiens responsables de la réglementation et des remboursements. Nous avons également investi des ressources considérables pour que les capsules de PROCYSBI® (bitartrate de cystéamine) à libération retardée soient accessibles au Canada. PROCYSBI, qui a été approuvé après un examen prioritaire effectué par Santé Canada en 2017, constitue une avancée importante pour la centaine de personnes au Canada atteintes de cystinose néphropathique, une maladie génétique évolutive extrêmement grave caractérisée par une atteinte ou une insuffisance rénale et d'autres organes vitaux, ainsi que par une mort prématurée.

Compte tenu de la gravité de la maladie et de l'avancée que représente PROCYSBI, Horizon a veillé à ce que tous les patients auxquels PROCYSBI est prescrit puissent recevoir le médicament, quelle que soit leur couverture d'assurance ou leur capacité de payer. Au Canada, aucun patient ne doit payer de sa poche afin d'obtenir PROCYSBI. Horizon s'est assuré que les patients canadiens soient entièrement couverts par une assurance privée ou un régime d'assurance médicaments provincial ou fédéral, et à ce que ces régimes soient complétés par le programme d'aide aux patients d'Horizon, qui couvre la quote-part des patients et fournit gratuitement PROCYSBI aux patients ne bénéficiant d'aucun régime d'assurance médicaments. De plus, Horizon a signé des ententes concernant PROCYSBI avec les autorités provinciales et fédérales afin de garantir la valeur et l'attestation des coûts pour les régimes publics d'assurance médicaments partout au Canada.

Le 16 janvier 2019, le Conseil d'examen du prix des médicaments brevetés (CEPMB) a émis un avis d'audience destiné à Horizon Therapeutics Canada portant sur le prix de PROCYSBI au Canada. Cet avis d'audience a été émis malgré les ententes de prix avec les provinces et le gouvernement fédéral et l'engagement d'Horizon à maintenir son programme de soutien aux patients, ce qui permet aux patients canadiens d'avoir accès à PROCYSBI, quelle que soit leur couverture d'assurance ou leur capacité de payer. Le CEPMB a rejeté le prix courant proposé par Horizon, ignorant ses propres lignes directrices et exigeant une réduction de prix qui porterait le prix de PROCYSBI au Canada à une fraction minime du prix le plus bas au monde, menaçant ainsi la disponibilité continue de PROCYSBI au Canada. Horizon a investi des sommes importantes afin de développer PROCYSBI, d'obtenir l'approbation de Santé Canada, de maintenir la qualité, l'innocuité et la disponibilité du produit, et de soutenir tous les patients canadiens. Nous avons toujours soutenu que les patients doivent avoir le choix, et nous encourageons le distributeur de la cystéamine à libération immédiate à s'engager auprès de la communauté des personnes atteintes de cystinose néphropathique au Canada et à investir dans les processus établis en matière d'innocuité, d'efficacité, de qualité, de réglementation et de remboursement.

Les modifications proposées récemment aux lignes directrices du CEPMB visent les médicaments novateurs qui traitent certaines des populations de patients les plus vulnérables et les plus restreintes du pays, bien que le coût de ces médicaments représente un très faible pourcentage du budget canadien global alloué aux médicaments. Il y aura de lourdes conséquences sur le plan de la disponibilité future de traitements novateurs pour les personnes atteintes de maladies rares au Canada si le CEPMB force les compagnies biopharmaceutiques à réduire leurs prix à un niveau tel que les investissements ne seront jamais récupérés.

Horizon reste fidèle à son engagement envers la communauté des personnes atteintes de cystinose néphropathique, à son investissement dans la mise en marché de PROCYSBI et à l'avancée novatrice que représente ce médicament pour les patients. Nous continuerons d'assurer l'accessibilité à PROCYSBI tout au long de ce processus, au profit des personnes atteintes de cystinose néphropathique et de leurs familles, partout au Canada.