

**ENGAGÉE ENVERS**

# la communauté de gens touchés par la cystinose

Horizon Therapeutics Canada est fière d'être l'une des quelques entreprises à travailler activement pour rendre accessibles au Canada les médicaments contre les maladies rares. Notre objectif est de fournir des médicaments aux Canadiens aux prises avec certaines des maladies rares les plus difficiles et les plus dévastatrices au monde. Horizon Therapeutics Canada continue de croître, tout comme nos efforts dans le domaine de la cystinose et des maladies rares. Nous avons élaboré cette ressource pour faire preuve de transparence au sujet de nos activités passées, actuelles et futures et pour détailler le soutien offert par Horizon Therapeutics Canada et d'autres organisations.

Nous nous engageons à faire tout notre possible pour améliorer la vie des Canadiens atteints de cystinose. Nous sommes honorés de travailler avec une communauté aussi forte, et nous continuerons d'investir dans les soins offerts aux Canadiens atteints de cystinose, aujourd'hui et demain.



# Lien avec les services et le soutien relatifs aux maladies rares

Horizon fournit du soutien à de nombreuses autres organisations en proposant un large éventail de programmes et de services essentiels destinés aux personnes atteintes de maladies rares, notamment la cystinose.

## **NAPRTCS – North American Pediatric Renal Trials and Collaborative Studies (<https://secure.emmes.com/emmesweb/projects/120>)**

Horizon a fourni un soutien financier pour mettre en place un registre complet de patients afin d'aider à comprendre l'évolution naturelle de la cystinose et d'explorer de nouvelles approches susceptibles de faire progresser le traitement de la maladie.

## **Global Genes ([GlobalGenes.org](http://GlobalGenes.org))**

Met en œuvre des ressources éducatives, des programmes et des événements réunissant des patients, des défenseurs et des experts de l'industrie.

- **Sommet de Global Genes sur la défense des droits des patients atteints d'une maladie rare** : Le plus grand événement mondial de défense des droits des patients atteints d'une maladie rare
- **Bourse pour le sommet sur la défense des droits des patients atteints d'une maladie rare** : Grâce à de généreux commanditaires, des défenseurs du monde entier reçoivent des bourses de voyage et d'hébergement leur permettant de participer au sommet. Envoyez un courriel à [Events@globalgenes.org](mailto:Events@globalgenes.org) pour obtenir de l'information sur les bourses

## **Fondation Sing Me a Story ([SingMeAStory.org](http://SingMeAStory.org))**

Combine l'imagination des enfants avec le talent des auteurs-compositeurs pour créer des histoires et des chansons qui apportent de la joie à toutes les personnes touchées.

Les organisations suivantes fournissent de l'information et un soutien supplémentaires aux patients atteints d'une maladie rare telle que la cystinose :

- Canadian Organization for Rare Disorders ([raredisorders.ca](http://raredisorders.ca))
- National Organization for Rare Diseases ([rarediseases.org](http://rarediseases.org))
- Centre d'information et de ressources en maladies rares ([rqmo.org](http://rqmo.org))
- Peer 2 Peer Network de Rare Disease Foundation ([rarediseasefoundation.org](http://rarediseasefoundation.org))

# Soutien et assistance

À Horizon Therapeutics Canada, nous nous engageons à apporter un soutien à nos patients. Dans le cadre de notre engagement, nous proposons donc **TranscendRare<sup>MC</sup>**, un programme complet destiné aux patients traités par notre médicament contre la cystinose.



## Soutien financier aux patients admissibles

- Aide au remboursement
- Aide relative à la quote-part
- Programmes d'aide à titre humanitaire



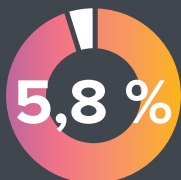
## Services de soins de santé

- Conseils en pharmacie et livraison gratuite à domicile
- Renouvellement de commande de médicaments
- Soutien infirmier par téléphone
- Formation à domicile par une infirmière si nécessaire
  - Tube de gastrostomie
  - Administration du médicament



## Éducation et prise en charge des patients

- Appels de rappel concernant les commandes, pour s'assurer que les patients prennent les médicaments tels que prescrits et pour répondre à leurs questions



Pourcentage prévu du total des dépenses canadiennes en médicament contre les **maladies rares** en 2018<sup>1</sup>

## Le prix n'a pas de répercussions sur nos patients

Le coût de nos médicaments est couvert par des assurances privées, des programmes gouvernementaux, des programmes de soutien aux patients et d'aide humanitaire de Horizon ou par notre programme d'aide relative à la quote-part

## Un milliard de dollars

de soutien aux patients à l'échelle mondiale fourni par Horizon chaque année depuis 2016

# Engagement communautaire



Plus de 50

partenariats de groupes de défense des droits des patients dans le monde, y compris d'importantes organisations de défense pour la **cystinose** et les **maladies rénales**

# Recherche et développement

Plus de 180 millions de dollars



investis de 2005 à 2017 dans la **recherche**, le **développement** et l'**approbation** de notre traitement contre la cystinose\*

Des investissements supplémentaires ont été réalisés pour la **fabrication** et l'**approvisionnement** de notre traitement contre la cystinose ainsi que pour fournir un **soutien et des ressources** à une population de **moins de 100 patients au Canada**

**9** essais cliniques  
MÉNÉS AUPRÈS DE :

**132** patients atteints de cystinose



des patients étaient canadiens

**142** autres volontaires d'étude  
(110 volontaires en bonne santé pour des études de pharmacocinétique et de bioéquivalence et 32 patients présentant une insuffisance rénale, mais pas de cystinose)

Horizon\* a financé

# 18 projets

de recherche menés par des établissements universitaires et d'autres organisations, DONT :



10

études sur la cystinose

8

études sur notre traitement contre la cystinose pour **d'autres types de maladies rares**

DÉVELOPPER DE NOUVELLES OPTIONS POUR LES MALADIES RARES

## 225 millions de dollars

en dépenses de recherche et développement engagées par Horizon en 2017 pour les maladies rares et rhumatismales

3

programmes de recherche clinique explorant de **nouveaux composés**

5

programmes de recherche clinique explorant de **nouvelles utilisations** de nos médicaments actuels

\* Cet investissement inclut les coûts de recherche et développement de Raptor intégrés au coût d'acquisition de Horizon Pharma.

Si vous souhaitez en apprendre davantage sur les services offerts par TranscendRare<sup>MC</sup>, communiquez avec nous :



Appelez-nous au  
1-844-380-7850  
Du lundi au vendredi, de 8 h à 20 h (HNE)



Écrivez-nous à  
[transcendrare@innomar-strategies.com](mailto:transcendrare@innomar-strategies.com)

**Référence :**

1. Divino V, et al. Pharmaceutical expenditure on drugs for rare diseases in Canada: a historical (2007–13) and prospective (2014–18) MIDAS sales data analysis. *Orphanet J Rare Dis.* 2016;11(1):68.

TranscendRare<sup>MC</sup> et le logo HORIZON sont des marques de commerce qui appartiennent à Horizon, ou sont utilisées sous licence par Horizon. Toutes les autres marques de commerce appartiennent à leurs propriétaires respectifs.

© 2020 Horizon Therapeutics plc DA-UNBR-01839F 06/20



Si vous souhaitez parler avec l'équipe de Horizon à propos de notre travail ou si vous désirez nous faire part de vos idées, veuillez envoyer un courriel à [connect@horizontherapeutics.com](mailto:connect@horizontherapeutics.com).