



Contribution aux Etats Généraux du Rein

En préalable nous saluons cette initiative dont l'objectif est d'aboutir à une meilleure prise en charge des patients grâce à un travail collaboratif entre toutes les parties prenantes.

La participation d'Amgen aux Etats Généraux du Rein répond à plusieurs objectifs :

- Nous encourageons la pérennité de l'accès aux soins et aux traitements pour les patients présentant une maladie rénale. La prise en charge thérapeutique actuelle des patients est basée sur l'équité, un principe que nous jugeons essentiel. Le système Français de prise en charge des insuffisants rénaux demeure un modèle européen.
- Nous considérons les Etats Généraux du Rein comme une tribune d'échanges pour partager notre vision et réfléchir avec les autres acteurs à améliorer la prise en charge des maladies rénales.
- Nous confirmons notre engagement dans la néphrologie en tant que partenaire important, inscrit dans la durée.

Dans notre contribution, nous rappellerons l'engagement d'Amgen dans la néphrologie depuis plus de 20 ans, nous ferons un rapide état des lieux de la prise en charge des maladies rénales, avec un focus sur le médicament, notre cœur de métier, et en conclusion nous formulerons trois axes de réflexion auxquels nous souhaiterions être associés lors des tables-rondes.

I. Amgen : notre engagement en néphrologie

Amgen s'est engagé en néphrologie dès le début de son histoire en 1983 quand le Docteur Fu Kuen Lin a isolé le gène de l'érythropoïétine humaine. Amgen a alors produit la première EPO recombinante, l'epoetin alfa qui a révolutionné la prise en charge des patients souffrant d'anémie, conséquence de la maladie rénale.

L'anémie des patients a pu être corrigée en évitant le recours aux transfusions sanguines avec tous les inconvénients qu'elles généraient. La morbidité cardio-vasculaire a été réduite ainsi que la mortalité. La qualité de vie, l'espérance de vie, la vie professionnelle et sociale des patients ont été grandement améliorées.

Au début des années 2000, Amgen va poursuivre ses travaux sur l'érythropoïétine pour encore améliorer la prise en charge des patients. De ce travail naîtra une nouvelle forme de protéine recombinante à plus longue durée d'action, la darbepoetin alfa dite EPO de 2^e génération, aujourd'hui traitement de référence de l'anémie de l'insuffisance rénale chronique terminale (IRCT).

L'ingénierie biotechnologique d'Amgen a permis de développer des molécules efficaces, bien tolérées et qui répondent au profil du patient.

8 patients sur 10 sont aujourd'hui maintenus dans les objectifs cibles de taux d'hémoglobine recommandé en pratique clinique, soit plus de 5 millions de patients traités par la darbepoetin alfa dans le monde.

II. Nos médicaments font la différence

Aujourd'hui les patients bénéficient grâce à Amgen de la première EPO à longue durée d'action avec une fréquence d'administration espacée à toutes les 2 semaines et une fois par mois chez les patients insuffisants rénaux chroniques non dialysés. Leur taux d'hémoglobine est stabilisé.

L'arrivée d'**Aranesp**® il y a plus de 10 ans a fait évoluer la prise en charge des patients atteints d'IRCT : aujourd'hui 80% des patients sont traités par la voie IV.

Depuis 2005, le traitement par calcimimétique **Mimpara**® a significativement amélioré la prise en charge de l'hyperparathyroïdie secondaire (HPTS) chez les patients IRCT dialysés.

Amgen continue d'investir et de développer des programmes de recherche pour améliorer la prise en charge de l'anémie et des troubles du métabolisme minéral et osseux des patients IRCT.

Un savoir-faire industriel reconnu

Fabriquer des biothérapies exige un réel savoir-faire. Amgen dispose d'une connaissance approfondie et d'un recul de plusieurs décennies dans la mise au point des procédés de fabrication.

Notre entreprise a été l'une des premières à maîtriser les techniques de production des protéines recombinantes : des molécules très sophistiquées conçues à partir de cellules vivantes dans des conditions de fabrication très strictes de lumière, de température...

Une maîtrise parfaite du processus de fabrication est donc nécessaire pour obtenir des résultats reproductibles, fiables pour les patients.

Amgen dispose aujourd'hui de l'une des plateformes de production de biomédicaments les plus importantes et technologiquement les plus avancées au monde, utilisant des procédés de fabrication à la pointe de la technologie. La sécurité d'approvisionnement est notre priorité numéro un, afin d'éviter toute rupture de production. Nous travaillons avec une approche multiple basée sur la prévention, la technologie, la gestion du stock et la diversification géographique de nos sites de production et ceux de nos fournisseurs.

Nous maîtrisons et améliorons sans cesse les processus de fabrication de nombreux types de biothérapies existantes : protéines recombinantes, anticorps monoclonaux, peptides...

Un important investissement dans la recherche clinique en néphrologie :

Nos recherches portent sur tous les aspects des maladies rénales et sur les thérapies à même d'améliorer la qualité de vie des patients.

Amgen est le promoteur de nombreuses études en néphrologie dont certaines ont changé les pratiques médicales

- **Etude TREAT** : portant sur 4 000 patients, l'étude de morbi-mortalité TREAT est à ce jour la plus large étude clinique jamais conduite dans le domaine de l'anémie chez les patients insuffisants rénaux. Les résultats de cet essai international multicentrique, randomisé, en double-aveugle contre placebo ont été présentés à l'*American Society of Nephrology* et publiés dans *The New England Journal of Medicine*¹

- **Etude EVOLVE** : étude ayant inclus près de 4 000 patients évaluant l'efficacité du cinacalcet sur la morbi-mortalité de l'hyperparathyroïdie secondaire.

- **Etude EXTEND** : Etude observationnelle portant sur plus de 5 800 patients destinée à évaluer l'efficacité de la darbepoétin alfa, administrée en doses espacées chez les patients insuffisants rénaux chroniques non dialysés.

- Amgen a apporté son soutien au suivi de la cohorte DOPPS comprenant près de 40 000 patients dans le monde.

Fidèle à son rôle de partenaire au long cours, Amgen s'est engagé avec l'INSERM pour soutenir le registre **CKD-Rein** qui permettra de suivre 3 600 patients pendant au moins cinq ans pour comprendre comment le mode de vie, l'environnement, la génétique et les pratiques médicales interagissent sur la progression de leur maladie.

III. Un fort soutien à l'éducation médicale et aux initiatives pour les patients

Amgen est partenaire de nombreuses initiatives en faveur de la formation des médecins néphrologues : la création des journées de recherche translationnelle, les enseignements pour les internes en néphrologie, organisés par le CUEN, le club des jeunes néphrologues, les entretiens en Néphrologie clinique...

Afin de les aider dans leur pratique quotidienne, Amgen propose également aux médecins des formations sur les aspects juridiques et sociaux de la maladie.

Des formations certifiantes à l'éducation thérapeutique, dont la mise en place est une obligation réglementaire pour les centres de dialyse, sont soutenues par Amgen, qui aide également à la réalisation et la diffusion des boîtes à outils **Althyse**.

Amgen soutient également les différentes associations de patients et leurs initiatives pour informer et aider les patients.

IV. Etat des lieux

La prise en charge des patients présentant des maladies rénales est bien organisée sur notre territoire. La France est un modèle européen avec l'une des meilleures prises en charge concernant les séances de dialyse, les médicaments et le transport, des patients insuffisants rénaux chroniques - contrairement à des pays comme l'Allemagne et l'Italie - franchises exceptées.

- Le circuit de ville est encadré
- Le contrat de bon usage régit les établissements de soins
- Les recommandations sont maîtrisées
- L'anémie des patients est corrigée
- La qualité des soins est reconnue
- L'éducation thérapeutique se développe (avec le soutien d'Amgen)

V. Les médicaments dans la prise en charge de l'insuffisance rénale chronique terminale (IRCT)

Aujourd'hui en France, les patients atteints d'insuffisance rénale chronique ont tous accès aux érythropoïétines dans des conditions médicales optimales.

Les pouvoirs publics ont souhaité préserver cette qualité de la prise en charge. Depuis 2005 et l'instauration de la T2A, la prescription d'érythropoïétine pour les patients pris en charge dans les

établissements de santé ne répond qu'à un seul critère : le besoin des malades. L'optimisation de leur prise en charge est encadrée par le « contrat de bon usage ».

Sur le plan économique, en se référant à la note de cadrage de la HAS (septembre 2010), le poste Transport représente 2% des dépenses totales par patient, le poste Pharmacie 6,5%, le poste Hospitalisation 74,5%, celui des Auxiliaires médicaux 13,4%. Des marges d'optimisation des coûts demeurent.

Tableau 5 : Dépenses moyennes d'assurance maladie par patient ventilées par poste selon la modalité de traitement - coûts totaux tous régimes (année 2007):

Postes de dépenses	Dialyse péritonéale	Hémodialyse	Greffe l'année	dans Suivi de greffe
Hospitalisation*	48 016	66 425	66 075	9 789
Honoraires médicaux	742	3 317	1 245	480
Auxiliaires médicaux	8 670	1 229	439	323
Biologie	689	1 668	1 220	411
Pharmacie	4 237	4 037	11 340	7 717
Dispositifs médicaux	736	584	444	309
Transport	1 313	11 147	5 586	1 066
Autres soins de ville	48	200	122	52
Total	64 450	88 608	86 471	20 147

Source : SNIIR-AM / PMSI, Régime Général hors SLM, 2007, France entière

En conclusion

La France est un modèle européen avec l'une des meilleures prises en charge des patients atteints de maladies rénales. La préservation de la qualité de notre système est l'une des conditions essentielles pour qu'Amgen puisse continuer à s'investir dans la néphrologie en développant de nouvelles molécules, en menant des études qui changent les pratiques médicales et en soutenant l'éducation thérapeutique auprès des professionnels de santé et des patients.

Nous soumettons aux Etats Généraux du Rein **trois axes de réflexion** pour faire avancer la prise en charge des patients atteints de maladies rénales, auxquels Amgen souhaiterait être associé lors des tables-rondes :

- **Préserver la bonne prise en charge globale des patients** et garantir l'accès à des soins et des médicaments de qualité.

- **Développer l'information et l'éducation thérapeutique du patient** et de son entourage pour le rendre acteur de sa maladie (choix du traitement, programmes et initiatives pour le médecin, pour l'équipe de soin, le patient...)
- **Accroître la sensibilisation des patients par un dépistage précoce** de la maladie rénale, spécialement auprès des patients à risque, hypertendus et diabétiques.

¹Marc A. Pfeffer et al., "A Trial of Darbepoetin Alfa in Type 2 Diabetes and Chronic Kidney Disease". *N Engl Med.* 2009;361:2019-2032.