



Objective

The emergence of a growing number of expensive drugs for rare diseases (EDRDs) presents new treatment possibilities while raising concerns around affordability and access. This study analyzes EDRDs launched in Canada over the past two decades, using quantitative data to evaluate EDRD trends in drug approvals, drug prices and sales revenues in Canada.

Objectif

L'arrivée d'un nombre croissant de médicaments onéreux pour le traitement de maladies rares (MOMR) offre de nouvelles possibilités de traitement, tout en suscitant des préoccupations quant à leur coût et à leur accessibilité. Dans le cadre de la présente étude, les MOMR mis sur le marché au Canada au cours des deux dernières décennies sont analysés au moyen de données quantitatives permettant d'évaluer les tendances des MOMR en ce qui concerne leur approbation, leur prix et leurs revenus de vente au Canada.

Approach

Drawing on sales and price information from IQVIA MIDAS® and treatment cost information from Canada's Drug Agency, this study examines 159 EDRDs approved in Canada between 2005 and 2024. The analysis explores approval trends and market growth over past decades, compares treatment costs between cancer and non-cancer EDRDs, and compares 2024 Canadian list prices with those in PMPRB11 countries: Australia, Belgium, France, Germany, Italy, Japan, the Netherlands, Norway, Spain, Sweden, and the UK.

Démarche

S'appuyant sur les informations relatives aux ventes et aux prix fournies par la base de données MIDAS® de IQVIA et sur les informations relatives aux coûts de traitement fournies par l'Agence des médicaments du Canada (AMC), on examine, dans le cadre de l'étude, 159 MOMR approuvés au Canada entre 2005 et 2024. Dans le cadre de l'étude, on explore les tendances d'approbation et la croissance du marché au cours des dernières décennies, on compare les coûts des traitements dans le cadre desquels les MOMR oncologiques sont utilisés avec les coûts des traitements dans le cadre desquels les MOMR non oncologiques sont utilisés, et on compare les prix courants au Canada en 2024 avec ceux des 11 pays de comparaison du Conseil d'examen du prix des médicaments brevetés (CEPMB11). Ces pays sont l'Australie, la Belgique, la France, l'Allemagne, l'Italie, le Japon, les Pays-Bas, la Norvège, l'Espagne, la Suède et le Royaume Uni.

Definition of EDRDs: For the study, these are drugs with at least one orphan (rare disease) designation by the US Food and Drug Administration or the Europe Medicines Agency, and an estimated cost over CA \$100,000 per year for non-cancer drugs, or over CA \$7,500 per 28 days for cancer/oncology drugs.

Définition des MOMR : Pour l'étude, il s'agit de médicaments ayant obtenu au moins une désignation de médicament orphelin (maladie rare) de la Food and Drug Administration américaine ou de l'Agence européenne des médicaments, et dont le coût est estimé à plus de 100 000 dollars canadiens par année pour les médicaments qui ne sont pas anticancéreux, ou à plus de 7 500 dollars canadiens par période de 28 jours pour les médicaments anticancéreux/oncologiques.

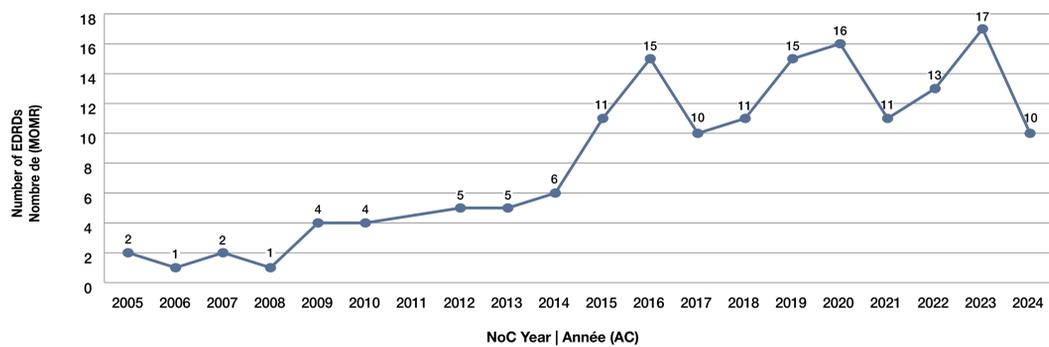
01 How has the number of approved EDRDs changed over time in Canada?

- ▶ The number of EDRDs approved annually in Canada has increased significantly since 2005 (Figure 1).
- ▶ 2005–2008: Approvals were low and relatively flat (1–2 approvals/year).
- ▶ 2009–2014: Moderate but steady growth, reaching 6 approvals in 2014.
- ▶ 2015–2023: Marked acceleration in approvals, with consistently 10+ EDRDs per year and a peak of 17 in 2023, while 2024 approvals fell to 10, possibly reflecting a temporary dip.
- ▶ Overall, the trend demonstrates a significant rise in regulatory approvals for EDRDs in the past decade.

Comment le nombre de MOMR approuvés a-t-il évolué au fil du temps au Canada?

- ▶ Le nombre de MOMR approuvés chaque année au Canada a augmenté de manière importante depuis 2005 (Figure 1).
- ▶ 2005 à 2008 : Les approbations ont été faibles et relativement stables (1 à 2 approbations par année).
- ▶ 2009 à 2014 : Croissance modérée, mais régulière, atteignant 6 approbations en 2014.
- ▶ 2015 à 2023 : Accélération marquée des approbations, avec régulièrement plus de 10 MOMR par année et un sommet de 17 en 2023, tandis que les approbations en 2024 sont tombées à 10, ce qui pourrait indiquer une baisse temporaire.
- ▶ Dans l'ensemble, la tendance montre une augmentation significative des approbations réglementaires pour les MOMR au cours de la dernière décennie.

Figure 1. Number of expensive drugs for rare diseases (EDRDs) approved in Canada by Notice of Compliance (NOC) year, 2005–2024
Nombre de médicaments onéreux pour les maladies rares (MOMR) approuvés au Canada par année d'avis de conformité (AC), de 2005 à 2024



Source: Health Canada Notice of Compliance, Health Canada Drug Product Database and Canada's Drug Agency. Source: Base de données des avis de conformité (AC) de Santé Canada; Base de données sur les produits pharmaceutiques de Santé Canada; Agence des médicaments du Canada.

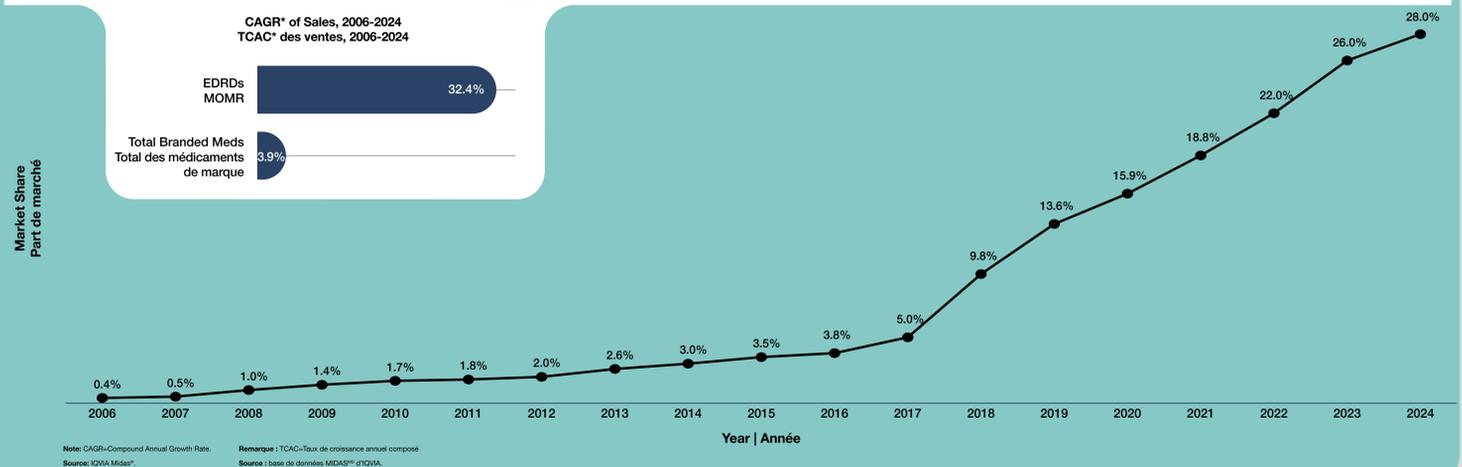
02 How has the market share of EDRDs changed in the Canadian branded pharmaceutical market over time?

- ▶ From 2006 to 2016, Market share of EDRDs in the Canadian branded pharmaceutical sector remained low and grew slowly, from 0.4% in 2006 to 3.8% in 2016 (Figure 2).
- ▶ Rapid growth: The market share of EDRDs in the Canadian branded pharmaceutical sector has increased steadily, with an especially sharp growth since 2017.
- ▶ Sustained acceleration (2018–2024): From 2018 onward, EDRDs' market share climbed steeply each year, reaching 28.0% by 2024 up from just 0.4% less than two decades ago.
- ▶ From 2006 to 2024, sales of EDRDs grew at a compound annual growth rate (CAGR) of 32.4%, far outpacing the 3.9% growth for the total branded medicines.

Comment la part des MOMR a-t-elle évolué au fil du temps sur le marché canadien des produits pharmaceutiques de marque?

- ▶ De 2006 à 2016, la part de marché des MOMR dans le secteur canadien des produits pharmaceutiques de marque est demeurée faible. Elle a augmenté lentement, passant de 0,4 % en 2006 à 3,8 % en 2016 (Figure 2).
- ▶ Croissance rapide : La part de marché des MOMR dans le secteur canadien des produits pharmaceutiques de marque a augmenté régulièrement. Cette part connaît une croissance particulièrement forte depuis 2017.
- ▶ Accélération soutenue (2018–2024) : À partir de 2018, la part de marché des MOMR a augmenté fortement chaque année pour atteindre 28 % en 2024, alors qu'elle n'était que de 0,4 % moins de deux décennies auparavant.
- ▶ De 2006 à 2024, les ventes de MOMR ont augmenté à un taux de croissance annuel composé (TCAC) de 32,4 %, dépassant de loin la croissance de 3,9 % pour l'ensemble des médicaments de marque.

Figure 2. Market share of expensive drugs for rare diseases (EDRDs) in the Canadian branded pharmaceutical market, 2006–2024
Part de marché des médicaments onéreux pour les maladies rares (MOMR) sur le marché canadien des produits pharmaceutiques de marque, 2006–2024

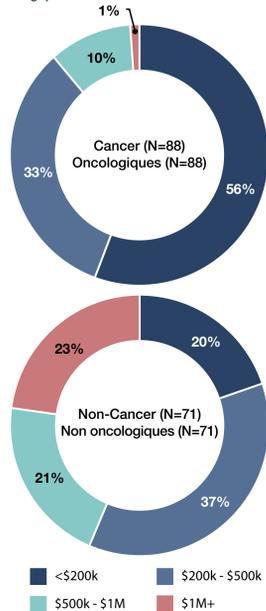


Note: CAGR=Compound Annual Growth Rate. Source: IQVIA MIDAS®. Remarque: TCAC=taux de croissance annuel composé. Source: base de données MIDAS® d'IQVIA.

03 How are EDRDs distributed by annual treatment cost, and how does this vary between cancer and non-cancer drugs?

- ▶ Of the 159 EDRDs approved in Canada over the past two decades, 88 (55%) are cancer drugs and 71 (45%) are non-cancer drugs (Figure 3).
- ▶ Cancer EDRDs skew toward lower-cost categories — 56% have annual treatment costs below \$200K, compared to only 20% for non-cancer EDRDs.
- ▶ Non-cancer EDRDs are more likely to be in the highest-cost category — 23% exceed \$1M annually, versus just 1% of cancer EDRDs.
- ▶ Mid-range costs (\$200K–\$1M) account for a large share in both groups — 43% of cancer EDRDs and 58% of non-cancer EDRDs fall in this range.

Figure 3. Share of expensive drugs for rare diseases (EDRDs) by annual treatment cost: cancer vs. non-cancer
Part des médicaments onéreux pour le traitement de maladies rares (MOMR) par coût de traitement annuel : comparaison entre les MOMR oncologiques et les MOMR non oncologiques

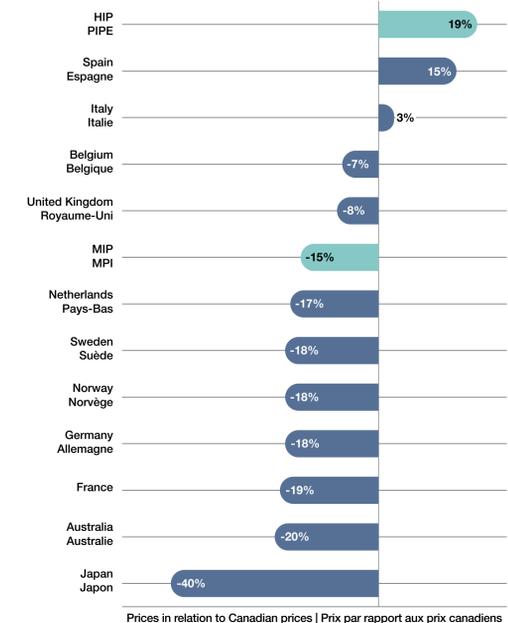


Source: Health Canada Notice of Compliance, Health Canada Drug Product Database and Canada's Drug Agency. Source: Base de données des avis de conformité de Santé Canada; Base de données sur les produits pharmaceutiques de Santé Canada; Agence des médicaments du Canada.

04 How did list prices for EDRDs in Canada compare with those in the 11 comparator countries used by the Patented Medicine Prices Review Board (PMPRB11) in 2024?

- ▶ In 2024, Canadian prices for EDRDs were the third highest compared to the PMPRB11 countries, with Spanish and Italian prices above Canadian prices by 15% and 3%, respectively (Figure 4).
- ▶ Highest international prices (HIP) were 19% above Canadian prices while median international prices (MIP) were 15% lower than the Canadian prices for EDRDs.
- ▶ Most countries had lower prices than Canada, with Japan (-40%), Australia (-20%), and France (-19%) showing the largest gaps, while Germany, Norway, Sweden, and the Netherlands were all about 17–18% lower.

Figure 4. Foreign-to-Canadian bilateral list price comparisons in 2024, expensive drugs for rare diseases, PMPRB11 countries
Comparaisons bilatérales des prix courants entre les pays étrangers et le Canada en 2024, médicaments coûteux pour les maladies rares, pays du CEPMB11



Note: MIP = median international price; HIP = Highest international price. Source: Health Canada Notice of Compliance, Health Canada Drug Product Database and Canada's Drug Agency. Remarque: MIP = Médiane des prix internationaux; PIPE = Prix international le plus élevé. Source: Sources : MIDASMD d'IQVIA.

Comment les MOMR sont-ils répartis en fonction du coût annuel du traitement, et comment cela varie-t-il entre les médicaments oncologiques et les médicaments non oncologiques?

- ▶ Des 159 MOMR approuvés au Canada au cours des deux dernières décennies, 88 (55 %) sont des médicaments oncologiques et 71 (45 %) sont des médicaments non oncologiques (Figure 3).
- ▶ Les MOMR oncologiques se situent dans les catégories les moins coûteuses. En effet, 56 % ont des coûts de traitement annuels inférieurs à 200 000 \$, alors que seulement 20 % des MOMR non oncologiques ont des coûts de traitement annuels inférieurs à 200 000 \$.
- ▶ Les MOMR non oncologiques sont plus susceptibles d'appartenir à la catégorie dont les coûts sont les plus élevés. En effet, 23 % dépassent 1 M\$ annuellement, alors que c'est le cas pour seulement 1 % des MOMR oncologiques.
- ▶ Les coûts moyens (de 200 000 \$ à 1 M\$) représentent une part importante dans les deux groupes. En effet, 43 % des MOMR oncologiques et 58 % MOMR non oncologiques se situent dans cette fourchette.

Comment les prix courants des MOMR au Canada se comparent-ils à ceux des 11 pays de comparaison utilisés par le Conseil d'examen du prix des médicaments brevetés (CEPMB11) en 2024?

- ▶ En 2024, les prix canadiens des MOMR étaient les troisièmes plus élevés par rapport aux pays du CEPMB11. En effet, les prix en Espagne et en Italie sont supérieurs de 15 % et de 3 %, respectivement, aux prix canadiens (Figure 4).
- ▶ Les prix internationaux les plus élevés (PIPE) étaient supérieurs de 19 % aux prix canadiens, tandis que la médiane des prix internationaux (MPI) était inférieure de 15 % aux prix canadiens pour les MOMR.
- ▶ La plupart des pays affichaient des prix inférieurs à ceux du Canada, le Japon (-40 %), l'Australie (-20 %) et la France (-19 %) présentant les écarts les plus importants. L'Allemagne, la Norvège, la Suède et les Pays-Bas affichaient tous des prix inférieurs d'environ 17 ou 18 %.

Limitations

The basket of drugs used for foreign-to-Canadian bilateral price comparisons differed by country. Nominal dollars were used to identify EDRDs approved in all years.

Quelques réserves

La gamme de médicaments utilisés pour les comparaisons bilatérales entre les prix à l'étranger et les prix au Canada a été différente selon le pays. Des dollars non indexés ont été utilisés pour identifier les MOMR approuvés toutes les années.

Disclaimer

Although based in part on data obtained under license from the MIDAS® database proprietary to IQVIA Solutions Canada Inc. and/or its affiliates ("IQVIA"), the statements, findings, conclusions, views, and opinions expressed in this presentation are exclusively those of the PMPRB and are not attributable to IQVIA.

Avis de non-responsabilité

Bien que ces informations soient en partie fondées sur des données obtenues sous licence venant de la base de données MIDASMD appartenant à IQVIA Solutions Canada Inc. et/ou à ses sociétés affiliées (« IQVIA »), les déclarations, les résultats, les conclusions, les points de vue et les opinions présentés dans le présent rapport sont exclusivement ceux du CEPMB et ne peuvent être attribués à IQVIA.

Conclusion

The study highlights the economic reality of the growing number and rising costs of expensive drugs for rare diseases (EDRDs) in Canada. The increase in approvals, expanding market presence, and relatively higher prices compared to other countries underscore the need for effective policies that support individuals with rare diseases while ensuring the sustainability of the health care system.

Conclusion

L'étude met en évidence la réalité économique du nombre croissant de médicaments onéreux pour les maladies rares (MOMR) au Canada et de leurs coûts en hausse. L'augmentation du nombre d'autorisations des MOMR, la présence croissante des MOMR sur le marché et leurs prix relativement plus élevés que dans d'autres pays soulignent la nécessité de mettre en place des politiques efficaces qui soutiennent les personnes atteintes de maladies rares, tout en garantissant la viabilité du système de soins de santé.