

## Le marché des médicaments orphelins

### Évolution des *pipelines*, offensive des *Big Pharma*, valorisation de l'innovation : perspectives pour le marché en France et dans le monde à l'horizon 2020

Le groupe **Xerfi** vient de publier une étude exclusive sur le marché des médicaments orphelins. Comme chaque titre de la collection **Xerfi Research**, elle décrypte les évolutions du marché en France et dans le monde et dresse un panorama complet des forces en présence à travers une analyse détaillée des déterminants du marché, des facteurs de mutation de l'offre et de la demande ainsi que des axes de développement des opérateurs. Une attention toute particulière a été accordée aux prévisions d'activité à court et moyen termes.

Grâce à cette analyse complète et opérationnelle, vous disposerez d'un véritable outil pour stimuler votre réflexion et préparer vos décisions. Nous sommes à votre disposition pour vous apporter des compléments d'information concernant cette étude de référence dont vous trouverez ci-joint la présentation. Pour la recevoir, il vous suffit de nous retourner le bon de commande au verso de la plaquette ou de vous rendre directement sur notre site internet pour la télécharger immédiatement.



Téléchargez immédiatement  
cette étude sur [Xerfi.com](http://Xerfi.com)

Avec le code étude **7CHE47**

**Rémi Vicente**  
Directeur d'études  
Xerfi France

# Le marché des médicaments orphelins

Évolution des *pipelines*, offensive des *Big Pharma*, valorisation de l'innovation : perspectives pour le marché en France et dans le monde à l'horizon 2020

Édition avril 2017  
80 pages

## Un nouveau terrain de jeu pour les *Big Pharma*

Simple niche réservée aux biotechs et laboratoires de taille moyenne il y a quelques années, les médicaments orphelins attisent aujourd'hui les convoitises des *Big Pharma*. Les réglementations très favorables en la matière (exclusivités commerciales de 10 ans, réductions de frais, etc.) et les prix élevés obtenus pour les traitements constituent en effet de réelles opportunités pour les grands laboratoires. Résultat, le marché est en effervescence avec des désignations orphelines en progression de plus de 30% par an. Mais face à cette vague de nouveaux produits innovants et coûteux, la question de leur financement par les organismes payeurs reste entière. Si le domaine des médicaments orphelins a jusque-là été sanctuarisé, des mesures spécifiques de maîtrise des dépenses et de nouveaux critères d'évaluation ne sont plus à exclure. Dès lors, **quelles sont les réelles perspectives du marché des médicaments orphelins en France et dans le monde d'ici 2020 ? Et quels sont les laboratoires les plus ambitieux ?**

## Les points clés de l'étude

- **L'analyse du marché et notre scénario prévisionnel exclusif à l'horizon 2020**  
Marché mondial des maladies rares, ventes de médicaments orphelins en France, évolution du taux de couverture du marché de prévalence, mises sur le marché en 2016, produits les plus prometteurs d'ici 2020.
- **Toutes les clés pour comprendre l'environnement du marché**  
Évolution de la population atteinte d'une affection rare, cadre réglementaire incitatif des médicaments orphelins, critères de tarification et dispositifs accélérés de mise sur le marché, etc.
- **Le décryptage du modèle d'affaires des médicaments orphelins**  
État des lieux du marché pharmaceutique actuel et des mutations du modèle d'affaires des laboratoires, principaux facteurs d'attractivité et de rentabilité des médicaments orphelins, etc.
- **Le panorama détaillé des forces en présence**  
Classement des principaux laboratoires intervenant dans le traitement des maladies rares à l'échelle mondiale et en Europe, structure des portefeuilles de produits, fiches d'identité détaillées de 8 acteurs clés (principaux médicaments orphelins en Europe et aux États-Unis, *pipelines*, etc.).

## « Décrypter le marché et la concurrence »

La collection Xerfi Research vous propose des études approfondies sur une sélection de secteurs et marchés clés de l'économie française. Chaque titre poursuit un double objectif : dresser un panorama complet du paysage concurrentiel et analyser la dynamique du marché et de l'activité des entreprises à court et moyen termes.

En plus d'une analyse complète du marché, Xerfi vous propose ses prévisions exclusives sur le marché français des médicaments orphelins à l'horizon 2020. Celles-ci reposent sur une méthodologie rigoureuse prenant en compte l'évolution de la population diagnostiquée d'une maladie rare, les mises sur le marché de nouveaux médicaments disposant du statut « orphelin », les pertes d'exclusivité commerciales de préparations sur le marché, l'impact des mesures de soutien au développement de la filière, etc.

## Table des matières et contenu de l'étude

### 0. LA SYNTHÈSE & LES CONCLUSIONS STRATÉGIQUES

*Cette synthèse attire l'attention du lecteur sur les conséquences de la modification de l'environnement économique, les tendances majeures de la vie du secteur, les évolutions prévisibles, en tirant parti de l'ensemble des analyses sur les perspectives du marché et des stratégies des opérateurs.*

#### 1. COMPRENDRE LE MARCHÉ ET SES DÉTERMINANTS

##### 1. LES FONDAMENTAUX

- Maladie rare et médicament orphelin : définitions
- Les médicaments orphelins disponibles en Europe
- La structure de la distribution de médicaments orphelins en France
- Les principales incitations des autorités au développement de médicaments orphelins

##### 2. LE MODÈLE D'AFFAIRES DES MÉDICAMENTS ORPHELINS

- Les bouleversements de la chaîne de valeur des laboratoires pharmaceutiques
- Les axes de transformation des modèles
- Un modèle économique viable

##### 3. L'ENVIRONNEMENT DU MARCHÉ DES MÉDICAMENTS ORPHELINS

- Les ventes de médicaments dans le monde (2010-2016)
- Le chiffre d'affaires des médicaments en France (2010-2016)
- Le chiffre d'affaires du médicament en officine et sur le segment hospitalier en France (2010-2016)
- Les facteurs d'évolution de la population atteinte de maladies rares
- Les plans de soutien contre les maladies rares
- Les mesures d'économies sur les dépenses de médicaments
- Les récentes évolutions réglementaires des médicaments orphelins

#### 2. L'ANALYSE ET LES PERSPECTIVES DU MARCHÉ À L'HORIZON 2020

##### 1. LE MARCHÉ MONDIAL JUSQU'EN 2020

- Les ventes de médicaments contre les maladies rares dans le monde (2010-2020p)

##### 2. LE MARCHÉ FRANÇAIS JUSQU'EN 2020

- Les ventes de médicaments orphelins en France (2010-2020p)

##### 3. LES LANCEMENTS DE MÉDICAMENTS ORPHELINS A L'HORIZON 2020

- Les mises sur le marché de médicaments orphelins en Europe en 2016
- Les principaux médicaments orphelins en développement

#### 3. LES FORCES EN PRÉSENCE

##### 1. LES FORCES EN PRÉSENCE DANS LE MONDE

- Les leaders mondiaux des médicaments orphelins en 2016
- Le classement de laboratoires les plus actifs depuis 2013 (désignations orphelines)
- Les opérations de fusion-acquisition dans le domaine des maladies rares (2013-2016)

##### 2. LES FORCES EN PRÉSENCE EN EUROPE

- Le profil des principaux intervenants en Europe
- Les principaux acteurs du marché européen des médicaments orphelins en 2015
- La structure du portefeuille de médicaments des principaux laboratoires
- Le portefeuille de médicaments orphelins des principaux laboratoires
- Les principaux laboratoires français dans le domaine des maladies rares en 2016

#### 4. LES FICHES D'IDENTITÉ DES PRINCIPAUX ACTEURS

*Cette partie vous propose les fiches d'identité détaillées de 8 laboratoires présents sur le marché des médicaments orphelins. Celles-ci présentent les principaux chiffres clés, les médicaments proposés en Europe et aux États-Unis ainsi que les pipelines des différents acteurs.*

- |            |                     |
|------------|---------------------|
| • CELGENE  | • JOHNSON & JOHNSON |
| • SHIRE    | • PFIZER            |
| • ALEXION  | • RECORDATI         |
| • NOVARTIS | • SANOFI            |

Dans cette étude, vous trouverez une analyse détaillée du paysage concurrentiel actuel en Europe et dans le monde. Si le marché est aujourd'hui dominé par des laboratoires détenant des préparations avec des indications dans le domaine de l'oncologie (Celgene et Novartis en tête), Johnson & Johnson et Sanofi ont démontré leurs ambitions ces derniers mois avec l'obtention de plusieurs désignations orphelines. Les *pipelines* de molécules avec des désignations orphelines de chacun des leaders du marché européen sont présentés.

Pour compléter l'analyse, les experts de Xerfi ont décrypté les principales tendances du marché et axes de développement suivis par les acteurs des médicaments orphelins. L'étude présente ainsi : les principaux médicaments orphelins en préparation, ceux ayant obtenu une autorisation de mise sur le marché en Europe, les produits les plus prometteurs à l'horizon 2020 ainsi que les principales opérations de fusions-acquisitions qui ont émaillé le champ concurrentiel des maladies rares depuis 2013.

## 5. LES INDICATEURS ÉCONOMIQUES ET FINANCIERS DES ENTREPRISES

Cette partie vous propose de mesurer, situer et comparer les performances de 82 sociétés du secteur à travers les fiches synthétiques de chacune d'elles (informations générales, données de gestion et performances financières sous forme de graphiques et tableaux, positionnement sectoriel de la société) et des tableaux comparatifs selon 5 indicateurs clés. Les données présentées portent sur la période 2012-2015, selon la disponibilité des comptes. 92% des comptes non consolidés 2015 des sociétés étaient disponibles au moment de la publication de l'étude.

### LES PRINCIPALES DONNÉES STATISTIQUES ET MATRICES PRÉSENTES DANS L'ÉTUDE

- T1 La structure des médicaments orphelins par classe en Europe (2016)
- T2 La structure des médicaments non-orphelins utilisés pour le traitement de maladies rares par classe en Europe (2016)
- T3 La structure des ventes de médicaments orphelins selon le lieu de dispensation (2015)
- T4 Le marché mondial du traitement des maladies rares (2010-2020p)
- T5 Le poids des traitements des maladies rares sur le marché mondial du médicament prescrit (2010-2020p)
- T6 Le marché français des médicaments orphelins (2010-2020p)
- T7 Le poids des médicaments orphelins sur le marché pharmaceutique en France (2010-2020p)
- T8 Le taux de couverture du marché de prévalence en Europe
- T9 La part de marché mondial des médicaments orphelins en 2016
- T10 Les principaux médicaments mondiaux indiqués dans le traitement de maladies rares en 2016
- T11 Le nombre de désignations orphelines obtenues et d'indications approuvées auprès de la FDA depuis 2013 des principaux laboratoires
- T12 La typologie des laboratoires ayant obtenu une désignation orpheline en Europe depuis 2008
- T13 Les principaux laboratoires spécialisés dans les maladies rares en Europe en 2016
- T14 Le nombre d'AMM européennes obtenues depuis 2013
- T15 Les principaux laboratoires et structures françaises disposant de désignations orphelines en 2016

### LES PRINCIPAUX GROUPES CITÉS DANS L'ÉTUDE

- ABBVIE
- CELGENE
- NOVARTIS
- ACTELION
- CHIESI
- PFIZER
- ALEXION
- EISAI
- RECORDATI
- AMGEN
- GILEAD
- ROCHE
- BAYER
- HORIZON
- SANOFI
- BIOMARIN
- JOHNSON&JOHNSON
- SHIRE
- BMS
- MEDAC
- TAKEDA
- BOEHRINGER  
INGELHEIM
- MERCK&CO
- VERTEX

### LES PRINCIPALES SOCIÉTÉS DONT LES COMPTES SONT TRAITÉS DANS L'ÉTUDE (\*)

- ABBVIE
- FRESENIUS KABI  
FRANCE
- NORDIC PHARMA
- ACCORD HEALTHCARE  
FRANCE
- FRESENIUS KABI  
GROUPE FRANCE
- NOVARTIS PHARMA
- ACTELION  
PHARMACEUTICALS  
FRANCE
- GENZYME
- NOVO NORDISK
- ADDMEDICA
- GENZYME  
POLYCLONALS
- ORPHAN EUROPE
- AGERION  
PHARMACEUTICALS
- GILEAD SCIENCES
- OTSUKA  
PHARMACEUTICAL  
FRANCE
- ALEXION PHARMA  
FRANCE
- GLAXOSMITHKLINE  
BIOLOGICALS
- PFIZER
- ALFASIGMA FRANCE
- HRA PHARMA FRANCE
- PFIZER HOLDING  
FRANCE
- ALLERGAN FRANCE
- INCYTE BIOSCIENCES  
FRANCE
- PFIZER PFE FRANCE
- ALLERGAN INDUSTRIE
- IPSEN
- PHARMA MAR
- AMGEN
- IPSEN INNOVATION
- PIERRE FABRE  
MEDICAMENT
- APTALIS PHARMA
- IPSEN PHARMA
- PTC THERAPEUTICS  
FRANCE
- ASTELLAS PHARMA
- IPSEN PHARMA  
BIOTECH
- RECORDATI ORPHAN  
DRUGS
- ASTRAZENACA
- JANSSEN-CILAG
- ROCHE
- BASILEA PHARMA
- JAZZ  
PHARMACEUTICALS  
FRANCE
- SANDOZ
- BAXALTA FRANCE
- LABORATOIRE  
GLAXOSMITHKLINE
- SANOFI
- BAXTER
- LABORATOIRE HRA-  
PHARMA
- SANOFI-AVENTIS  
FRANCE
- BAYER
- LABORATOIRES CTRS
- SHIRE FRANCE
- BAYER HEALTHCARE
- LABORATOIRES MERCK  
SHARP & DOHME-  
CHIBRET
- SUN  
PHARMACEUTICALS  
FRANCE
- BIOCODOX
- LILLY FRANCE
- SWEDISH ORPHAN  
BIOVITRUM
- BIOGEN FRANCE
- LINDE FRANCE
- SYNAGEVA  
BIOPHARMA
- BIOPROJET BIOTECH
- LUCANE PHARMA
- TAKEDA FRANCE
- BIOPROJET PHARMA
- MEDA PHARMA
- TEVA SANTE
- BIOTEST FRANCE
- MEDAC
- UCB PHARMA
- BOEHRINGER  
INGELHEIM FRANCE
- MERCK SANTE
- VALNEVA
- BRISTOL MYERS  
SQUIBB EMEA
- MERCK SERONO
- VERTEX  
PHARMACEUTICALS  
FRANCE
- BRISTOL-MYERS  
SQUIBB

(\*) Liste non exhaustive

Pour recevoir votre étude **IMMÉDIATEMENT**,  
**COMMANDEZ** directement sur : **XERFI.COM**

- ❶ Rentrez le code **7CHE47** dans la barre de recherche pour la retrouver
- ❷ Achetez l'étude directement par carte bancaire
- ❸ Recevez votre étude en format pdf sur votre compte client xerfi.com

Pour toutes **PRESTATIONS PERSONNALISÉES** (présentation, étude sur mesure, etc.), contactez Laurent Marty, Directeur Associé, [lmarty@xerfi.fr](mailto:lmarty@xerfi.fr)

Ces études pourraient également vous intéresser

- **Les biotechnologies médicales à l'horizon 2020**  
6CHE42 – Mars 2016
- **Les laboratoires pharmaceutiques**  
7CHE45 – Avril 2017

Retrouvez sur le site [xerfi.com](http://xerfi.com) le plus vaste catalogue d'études sur les secteurs et les entreprises



**BON** DE  
**COMMANDE**

À retourner à :

Groupe Xerfi 13-15 rue de Calais 75009 Paris

Téléphone : 01 53 21 81 51

Email : [commande@xerfi.fr](mailto:commande@xerfi.fr)

Réf : 7CHE47 / XR-

#### INFORMATIONS CLIENT

Nom : \_\_\_\_\_  
 Prénom : \_\_\_\_\_  
 Fonction : \_\_\_\_\_  
 Société : \_\_\_\_\_  
 Adresse : \_\_\_\_\_  
 Code postal : \_\_\_\_\_  
 Ville : \_\_\_\_\_  
 Adresse email : \_\_\_\_\_  
 Téléphone : \_\_\_\_\_  
 TVA Intra : \_\_\_\_\_  
 N° SIRET : \_\_\_\_\_

Facture avec la livraison. Le taux de TVA applicable est celui en vigueur à la date d'émission de la facture. En cas de litige, il est fait attribution exclusive au Tribunal de Commerce de Paris.  
 Tarifs valables jusqu'au 30/04/2018 (TVA 5,5%).

## Le marché des médicaments orphelins

Évolution des *pipelines*, offensive des *Big Pharma*, valorisation de l'innovation : perspectives pour le marché en France et dans le monde à l'horizon 2020

#### MODE DE RÉCEPTION DE L'ÉTUDE COMMANDÉE

Version papier (classeur)	Version électronique (fichier pdf)	Version électronique + version papier
<b>1 200,00 € HT</b>	<b>1 200,00 € HT</b>	<b>1 600,00 € HT</b>
1 266,00 € TTC	1 266,00 € TTC	1 688,00 € TTC
<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>

#### MODE DE RÈGLEMENT CHOISI

- dès réception de l'étude et de la facture
- par carte bancaire sur [www.xerfi.com](http://www.xerfi.com)
- par chèque joint à l'ordre de XERFI-DGT

Date, signature et cachet :

XERFI-DGT SAS au capital de 5 786 051 euros - 13-15 rue de Calais 75009 Paris  
 RCS Paris B 523 352 607 - TVA intracommunautaire : FR22523352607