



Υπηρεσία Τύπου και
Πληροφόρησης

Γενικό Δικαστήριο της Ευρωπαϊκής Ένωσης
ΑΝΑΚΟΙΝΩΘΕΝ ΤΥΠΟΥ αριθ. 84/13
Λουξεμβούργο, 4 Ιουλίου 2013

Απόφαση στην υπόθεση T-301/12
Laboratoires CTRS κατά Επιτροπής

Το Γενικό Δικαστήριο ακυρώνει την απόφαση της Επιτροπής περί απορρίψεως της αιτήσεως για τη χορήγηση αδείας κυκλοφορίας του Orphacol

Η άδεια κυκλοφορίας μπορεί να χορηγηθεί για το ορφανό φάρμακο αυτό, λόγω καθιερωμένης ιατρικής χρήσεως από δεκαετίας και πλέον

Το δίκαιο της Ευρωπαϊκής Ένωσης¹ προβλέπει ότι κάθε αίτηση για τη χορήγηση αδείας κυκλοφορίας (ΑΚ) ενός φαρμάκου για χρήση από τον άνθρωπο πρέπει να συνοδεύεται από τις προκλινικές και τις κλινικές δοκιμές του φαρμάκου. Εντούτοις, κατά παρέκκλιση, εφαρμόζεται απλοποιημένη διαδικασία ιδίως ως προς τα ορφανά φάρμακα (δηλαδή τα προοριζόμενα για τη θεραπεία πολύ σπανίων και πολύ σοβαρών ασθενειών). Ως εκ τούτου, ο αιτών δεν υποχρεούται να προσκομίσει τα αποτελέσματα των προκλινικών και κλινικών δοκιμών αν είναι σε θέση να αποδείξει ότι οι δραστικές ουσίες του φαρμάκου τυγχάνουν καθιερωμένης ιατρικής χρήσεως από δεκαετίας τουλάχιστον εντός της Ένωσης και παρουσιάζουν αναγνωρισμένη αποτελεσματικότητα καθώς και αποδεκτό επίπεδο ασφαλείας. Στην περίπτωση αυτή, αντί των αποτελεσμάτων των δοκιμών αυτών μπορεί να υπάρχει τεκμηρίωση στηριζόμενη στη σχετική επιστημονική βιβλιογραφία.

Η εταιρία Laboratoires CTRS (Cell Therapies Research & Services) παρασκεύασε το φάρμακο Orphacol, η δραστική ουσία του οποίου είναι το χολικό οξύ. Το ορφανό αυτό φάρμακο προορίζεται για τη θεραπεία δύο σπανίων μεν, αλλά πολύ σοβαρών ηπατικών παθήσεων. Αυτές οι ασθένειες, χωρίς κατάλληλη θεραπευτική αγωγή τις πρώτες εβδομάδες ή τους πρώτους μήνες της ζωής, μπορούν να επιφέρουν τον θάνατο.

Στις 30 Οκτωβρίου 2009, η CTRS κατέθεσε αίτηση για τη χορήγηση ΑΚ του φαρμάκου αυτού ενώπιον του Ευρωπαϊκού Οργανισμού Φαρμάκων (EMA).

Η επιτροπή φαρμάκων για ανθρώπινη χρήση (ΕΦΑΧ), η οποία υπάγεται στον EMA, διατύπωσε θετική γνωμοδότηση και στη συνέχεια αναθεωρημένη γνωμοδότηση, επίσης θετική, με τις οποίες συνέστησε τη χορήγηση ΑΚ; αντιστοίχως, τον Δεκέμβριο του 2010 και τον Απρίλιο του 2011. Εντούτοις, η Επιτροπή υπέβαλε στη μόνιμη επιτροπή φαρμάκων για ανθρώπινη χρήση (στο εξής: μόνιμη επιτροπή), τον Ιούλιο του 2011, σχέδιο αποφάσεως περί απορρίψεως της αιτήσεως της CTRS για τη χορήγηση ΑΚ για το Orphacol. Τον Οκτώβριο του 2011, η μόνιμη επιτροπή διατύπωσε αρνητική γνωμοδότηση για το σχέδιο αποφάσεως της Επιτροπής περί απορρίψεως της αιτήσεως για τη χορήγηση ΑΚ. Τον ίδιο μήνα, η Επιτροπή υπέβαλε στην επιτροπή προσφυγών το σχέδιο αποφάσεως περί απορρίψεως της αιτήσεως για τη χορήγηση ΑΚ. Τον Νοέμβριο 2011, η επιτροπή προσφυγών επίσης διατύπωσε αρνητική γνωμοδότηση για το σχέδιο αποφάσεως της Επιτροπής περί απορρίψεως της αιτήσεως για τη χορήγηση ΑΚ.

¹ Κανονισμός (ΕΚ) 726/2004 του Ευρωπαϊκού Κοινοβουλίου και του Συμβουλίου, της 31ης Μαρτίου 2004, για τη θέσπιση κοινοτικών διαδικασιών χορηγήσεως άδειας και εποπτείας όσον αφορά τα φάρμακα που προορίζονται για ανθρώπινη και για κτηνιατρική χρήση και για τη σύσταση Ευρωπαϊκού Οργανισμού Φαρμάκων (EMA) (ΕΕ L 136, σ. 1), όπως τροποποιήθηκε με τον κανονισμό (ΕΚ) 1901/2006 του Ευρωπαϊκού Κοινοβουλίου και του Συμβουλίου, της 12ης Δεκεμβρίου 2006, για τα παιδιατρικά φάρμακα και για την τροποποίηση του κανονισμού (ΕΟΚ) 1768/92, της οδηγίας 2001/20/ΕΚ, της οδηγίας 2001/83/ΕΚ και του κανονισμού (ΕΚ) 726/2004 (ΕΕ L 378, σ. 1), και οδηγία 2001/83/ΕΚ του Ευρωπαϊκού Κοινοβουλίου και του Συμβουλίου, της 6ης Νοεμβρίου 2001, περί κοινοτικού κώδικος για τα φάρμακα που προορίζονται για ανθρώπινη χρήση (ΕΕ L 311, σ. 67), όπως τροποποιήθηκε με την οδηγία 2004/27/ΕΚ του Ευρωπαϊκού Κοινοβουλίου και του Συμβουλίου, της 31ης Μαρτίου 2004 (ΕΕ L 136, σ. 34).

Στις 12 Ιανουαρίου 2012, η CTRS άσκησε ενώπιον του Γενικού Δικαστηρίου προσφυγή με αίτημα να διαπιστωθεί παράλειψη της Επιτροπής, συνιστάμενη στο ότι αυτή παρανόμως δεν εξέδωσε τελική απόφαση επί της αιτήσεως για τη χορήγηση ΑΚ του φαρμάκου Orphacol και, επικουρικώς, με αίτημα την ακύρωση της αποφάσεως περί απορρίψεως της αιτήσεως για τη χορήγηση της εν λόγω ΑΚ, η οποία περιεχόταν, όπως ισχυρίστηκε η CTRS, σε έγγραφο της Επιτροπής της 5ης Δεκεμβρίου 2011.

Στις 4 Ιουλίου 2012², το Γενικό Δικαστήριο της Ευρωπαϊκής Ένωσης έκρινε ότι αυτή η προσφυγή κατά παραλείψεως ήταν απαράδεκτη και ότι, αφού η Επιτροπή αντικατέστησε, με απόφαση της 25ης Μαΐου 2012 περί απορρίψεως της αιτήσεως χορηγήσεως ΑΚ³, την απόφαση περί απορρίψεως της αιτήσεως χορηγήσεως ΑΚ η οποία περιεχόταν, όπως ισχυρίστηκε η CTRS, στο εν λόγω έγγραφο της 5ης Δεκεμβρίου 2011, παρείλκε η έκδοση αποφάσεως επί του αιτήματος ακυρώσεως της τελευταίας αυτής αποφάσεως.

Στις 10 Ιουλίου 2012, η CTRS άσκησε ενώπιον του Γενικού Δικαστηρίου νέα προσφυγή με αίτημα την ακύρωση της αποφάσεως της 25ης Μαΐου 2012. Το Γενικό Δικαστήριο αποφάσισε την κατά προτεραιότητα εκδίκαση της υποθέσεως αυτής.

Με σημερινή απόφαση, το Γενικό Δικαστήριο ακυρώνει την απόφαση της Επιτροπής της 25ης Μαΐου 2012 περί απορρίψεως της αιτήσεως χορηγήσεως ΑΚ για το φάρμακο Orphacol.

Το Γενικό Δικαστήριο επισημαίνει, κατ' αρχάς, ότι το χολικό οξύ χρησιμοποιήθηκε για τη θεραπεία ασθενών στη Γαλλία, μεταξύ του 1993 και του Οκτωβρίου του 2007, ως νοσοκομειακά σκευάσματα χορηγούμενα κατόπιν ιατρικής συνταγής, παρασκευαζόμενα σύμφωνα με τις οδηγίες που προβλέπονται στη φαρμακοποία και σε συμφωνία με τις ορθές πρακτικές που παρατίθενται στη γαλλική νομοθεσία. Επομένως, συνταγογραφούνται υπό αυστηρή ιατρική παρακολούθηση σε νοσηλευτικό ίδρυμα ή φαρμακείο. Από την ημερομηνία εκείνη, επιτρέπεται στη Γαλλία η κυκλοφορία καψακίων χολικού οξέος υπό την ονομασία Orphacol. Το Γενικό Δικαστήριο διαπιστώνει στη συνέχεια ότι τα εν λόγω νοσοκομειακά σκευάσματα σκοπούσαν στην εξυπηρέτηση «ειδικών αναγκών», υπό την έννοια του δικαίου της Ένωσης⁴, ήτοι ότι ανταποκρίνονταν σε ατομικές καταστάσεις τις οποίες δικαιολογούσαν ιατρικές εκτιμήσεις και ότι ήταν απαραίτητα για τις ανάγκες των ασθενών. Συνεπώς η CTRS δεν ήταν υποχρεωμένη να προσκομίσει, κατά την υποβολή της αιτήσεως για τη χορήγηση ΑΚ, τα αποτελέσματα των προκλινικών ή κλινικών δοκιμών που απαιτεί το δίκαιο της Ένωσης⁵.

Κατά συνέπεια, το Γενικό Δικαστήριο απορρίπτει τα επιχειρήματα της Επιτροπής του αφορούν την μη ύπαρξη καθιερωμένης ιατρικής χρήσεως και κρίνει ότι η CTRS πράγματι απέδειξε ότι η χρήση του χολικού οξέος αποτελεί καθιερωμένη ιατρική χρήση.

Επιπλέον, το Γενικό Δικαστήριο κρίνει ότι η CTRS απέδειξε ότι δεν ήταν σε θέση να παράσχει πλήρη στοιχεία ως προς την αποτελεσματικότητα και την ασφάλεια του φαρμάκου υπό κανονικές συνθήκες χρήσεως, λόγω ορισμένων εξαιρετικών περιστάσεων⁶, υπό την έννοια του δικαίου της Ένωσης.

Το Γενικό Δικαστήριο διαπιστώνει ότι ο αιτών ΑΚ πρέπει να παραθέσει, στις μη κλινικές και κλινικές συνόψεις, τους λόγους για τους οποίους δεν είναι δυνατή η παροχή των πλήρων στοιχείων ως προς την αποτελεσματικότητα και την ασφάλεια του φαρμάκου και πρέπει δικαιολογήσει τη σχέση κινδύνου/οφέλους για το οικείο ορφανό φάρμακο, πράγμα το οποίο η CTRS έπραξε εν προκειμένω. Πράγματι, η CTRS προσκόμισε κατάλογο βιβλιογραφικών παραπομπών σχετικών με μελέτες αφορώσες το χολικό οξύ και απέδειξε ότι δεν ήταν σε θέση να παράσχει πλήρη στοιχεία, αφενός, για αντικειμενικούς και εξακριβώσιμους λόγους αφορώντες τη σπανιότητα της ασθένειας

² Απόφαση του Γενικού Δικαστηρίου της 4ης Ιουλίου 2012, [T-12/12](#), *Laboratoires CTRS κατά Επιτροπής*.

³ Εκτελεστική απόφαση της Επιτροπής C(2012) 3306 τελικό, για την άρνηση χορήγησης άδειας κυκλοφορίας δυνάμει του κανονισμού 726/2004 για το φάρμακο για ανθρώπινη χρήση «Orphacol – χολικό οξύ».

⁴ Προπαρατεθείσα οδηγία 2001/83/ΕΚ (άρθρο 5).

⁵ Προπαρατεθείσα οδηγία 2001/83/ΕΚ (άρθρο 8, παράγραφος 3).

⁶ Προπαρατεθείς κανονισμός (ΕΚ) 726/2004 (άρθρο 14, παράγραφος 8).

και, αφετέρου, για δεοντολογικούς λόγους. Όσον αφορά τον πρώτο λόγο, διαπιστώνεται ότι, κατά την ημερομηνία καταθέσεως της αιτήσεως (στις 30 Οκτωβρίου 2009), μόνον 90 ασθενείς έπασχαν από τη νόσο αυτή, 19 εκ των οποίων υποβάλλονταν σε θεραπεία στη Γαλλία. Όσον αφορά τον δεύτερο λόγο, η ΕΦΑΧ έκρινε, χωρίς η εκτίμηση αυτή να αμφισβητηθεί από την Επιτροπή, ότι, στο μέτρο που η συμμετοχή σε μια κλινική δοκιμή θα εξέθετε τους ασθενείς στον κίνδυνο σοβαρών ηπατικών βλαβών, ακόμη και θανάτου, θα ήταν αντίθετο στις αρχές της ιατρικής δεοντολογίας να διεξαχθεί ελεγχόμενη μελέτη της αποτελεσματικότητας του χολικού οξέως.

Επομένως κακώς η Επιτροπή έκρινε στην απόφασή της ότι τα στοιχεία που υπέβαλε η CTRS έπρεπε να είναι πλήρη και ότι αυτή δεν μπορούσε να επικαλεσθεί την ύπαρξη εξαιρετικών περιστάσεων στο πλαίσιο της στηριζόμενης σε καθιερωμένη ιατρική χρήση αιτήσεώς της.

Κατά συνέπεια, το Γενικό Δικαστήριο ακυρώνει την απόφαση της Επιτροπής.

ΥΠΟΜΝΗΣΗ: Κατά της αποφάσεως του Γενικού Δικαστηρίου μπορεί να ασκηθεί αναίρεση, περιοριζόμενη σε νομικά ζητήματα, ενώπιον του Δικαστηρίου, εντός δύο μηνών από της κοινοποίησώς της.

ΥΠΟΜΝΗΣΗ: Η προσφυγή ακυρώσεως αποσκοπεί στην ακύρωση πράξεων των οργάνων της Ένωσης που αντιβαίνουν στο δίκαιο της Ένωσης. Υπό ορισμένες προϋποθέσεις, τα κράτη μέλη, τα όργανα της Ένωσης και οι ιδιώτες μπορούν να ασκήσουν προσφυγή ακυρώσεως ενώπιον του Δικαστηρίου ή του Γενικού Δικαστηρίου. Αν η προσφυγή είναι βάσιμη, η πράξη ακυρώνεται. Το καθού όργανο της Ένωσης οφείλει να καλύψει το ενδεχόμενο κενό δικαίου που δημιουργεί η ακύρωση της πράξεως.

Ανεπίσημο έγγραφο προοριζόμενο για τα μέσα μαζικής ενημερώσεως, το οποίο δεν δεσμεύει το Γενικό Δικαστήριο

Το [πλήρες κείμενο](#) της αποφάσεως είναι διαθέσιμο στην ιστοσελίδα CURIA από την ημερομηνία δημοσίευσής της

Επικοινωνία: Estella Cigna-Αγγελίδα ☎ (+352) 4303 2582

Στιγμιότυπα από τη δημοσίευση της αποφάσεως διατίθενται από το "[Europe by Satellite](#)" ☎ (+32) 2 2964106