



Stampa e Informazione

Tribunale dell'Unione europea  
**COMUNICATO STAMPA n. 84/13**

Lussemburgo, 4 luglio 2013

Sentenza nella causa T-301/12  
Laboratoires CTRS / Commissione

## **Il Tribunale annulla la decisione con cui la Commissione ha negato l'autorizzazione all'immissione in commercio dell'Orphacol**

*L'autorizzazione all'immissione in commercio può essere rilasciata a tale medicinale orfano in considerazione di un impiego medico ben consolidato da oltre dieci anni*

Il diritto dell'Unione europea<sup>1</sup> prevede che ogni domanda di autorizzazione all'immissione in commercio (AIC) di un medicinale a uso umano dev'essere accompagnata da prove precliniche e cliniche dello stesso. Tuttavia, a titolo derogatorio, una procedura semplificata si applica ai medicinali orfani (vale a dire destinati al trattamento di malattie molto rare e gravi): il richiedente non è tenuto a fornire i risultati delle prove precliniche e cliniche, qualora possa dimostrare che le sostanze attive del medicinale sono di impiego medico ben consolidato da almeno dieci anni nell'Unione e presentano un'efficacia riconosciuta nonché un accettabile livello di sicurezza. In tal caso, i risultati di tali prove sono sostituiti da adeguata letteratura scientifica.

La società Laboratoires CTRS (Cell Therapies Research & Services) ha elaborato il medicinale Orphacol, la cui sostanza attiva è l'acido colico. Tale medicinale orfano è destinato a trattare patologie epatiche rare ma molto gravi. Tali malattie, in assenza di trattamento adeguato nelle prime settimane o nei primi mesi di vita, possono portare alla morte.

Il 30 ottobre 2009 la CTRS ha presentato richiesta di AIC per tale medicinale presso l'agenzia europea per i medicinali (EMA).

Il comitato dei medicinali per uso umano (CMUU), facente parte dell'EMA, ha emanato parere favorevole ed un parere rivisto, parimenti favorevole, che raccomandava la concessione di un'AIC, rispettivamente nel dicembre 2010 e nell'aprile 2011. Ciononostante, la Commissione ha sottoposto al comitato permanente per i medicinali per uso umano («comitato permanente»), nel luglio del 2011, un progetto di decisione recante diniego di rilascio di un'AIC alla CTRS per l'Orphacol. Nell'ottobre del 2011, il comitato permanente ha emanato un parere sfavorevole sul progetto di decisione della Commissione recante diniego dell'AIC. Nello stesso mese, la Commissione ha sottoposto il progetto di decisione che negava il rilascio dell'AIC al comitato d'appello. Nel novembre del 2011, il comitato d'appello ha parimenti emanato un parere sfavorevole.

In data 12 gennaio 2012, la CTRS ha chiesto al Tribunale di dichiarare la carenza della Commissione in quanto l'Istituzione si sarebbe illegittimamente astenuta dall'adozione di una decisione definitiva in merito alla richiesta di AIC per il medicinale Orphacol e, in subordine, di annullare la decisione di diniego di rilascio dell'AIC medesima, asseritamente contenuta in una lettera della Commissione del 5 dicembre 2011.

---

<sup>1</sup> Regolamento (CE) n. 726/2004 del Parlamento europeo e del Consiglio, del 31 marzo 2004, che istituisce procedure comunitarie per l'autorizzazione e la sorveglianza dei medicinali per uso umano e veterinario, e che istituisce l'agenzia europea per i medicinali (EMA) (GU L 136, pag. 1), come modificato dal regolamento (CE) n. 1901/2006 del Parlamento europeo e del Consiglio, del 12 dicembre 2006, relativo ai medicinali per uso pediatrico e che modifica parimenti il regolamento (CEE) n. 1768/92, le direttive 2001/20/CE e 2001/83/CE e il regolamento n. 726/2004 (GU L 378, pag. 1) nonché la direttiva 2001/83/CE del Parlamento europeo e del Consiglio, del 6 novembre 2001, recante un codice comunitario relativo ai medicinali per uso umano (GU L 311, pag. 67), come modificata dalla direttiva 2004/27/CE del Parlamento europeo e del Consiglio del 31 marzo 2004, (GU L 136, pag. 34).

In data 4 luglio 2012<sup>2</sup>, il Tribunale dell'Unione europea ha dichiarato che la domanda per carenza era irricevibile e che, considerato che la Commissione, con decisione di diniego di rilascio dell'AIC del 25 maggio 2012<sup>3</sup>, aveva proceduto alla sostituzione della decisione di diniego di rilascio dell'AIC, asseritamente contenuta nella menzionata lettera del 5 dicembre 2011, non occorreva più statuire sulla domanda di annullamento di quest'ultima decisione.

Il 10 luglio 2012, la CTRS ha adito nuovamente il Tribunale per l'annullamento della decisione del 25 maggio 2012. Il Tribunale ha trattato la presente causa in via prioritaria.

**Con la sentenza odierna, il Tribunale annulla la decisione della Commissione del 25 maggio 2012, recante diniego di rilascio dell'AIC per il medicinale Orphacol.**

Il Tribunale rileva, anzitutto, che l'acido colico è stato utilizzato per trattare pazienti in Francia, nel periodo compreso fra il 1993 e l'ottobre del 2007, quale preparato ospedaliero rilasciato su prescrizione medica, preparato individualmente secondo le indicazioni della farmacopea e conformemente alle corrette prassi della normativa francese. Tali preparati ospedalieri vengono prescritti sotto stretto controllo medico nell'ambito di un nosocomio o istituto farmaceutico. Successivamente a tale data, capsule di acido colico sono state utilizzate in Francia, con il nome di Orphacol. Il Tribunale afferma che tali preparati ospedalieri sono volti a rispondere a «esigenze speciali» ai sensi del diritto dell'Unione<sup>4</sup>, vale a dire a situazioni individuali giustificate da considerazioni mediche e sono necessari per rispondere ai bisogni del paziente. La CTRS non era quindi tenuta, all'atto della richiesta di AIC, a fornire i risultati delle prove precliniche e cliniche richieste dal diritto dell'Unione<sup>5</sup>.

**Il Tribunale respinge pertanto gli argomenti della Commissione relativi all'assenza di un impiego medico ben consolidato e dichiara che l'utilizzazione dell'acido colico, in quanto impiego medico ben consolidato, risulta dimostrato dalla CTRS.**

**Inoltre, il Tribunale ritiene che la CTRS abbia dimostrato di non essere in grado di fornire informazioni complete sull'efficacia e l'innocuità del medicinale in condizioni normali di uso, in considerazione di determinate circostanze eccezionali<sup>6</sup> ai sensi del diritto dell'Unione.**

Il Tribunale ricorda che il richiedente dell'AIC deve fornire nei riassunti non clinici e clinici le ragioni per le quali non è possibile fornire informazioni complete quanto all'efficacia e alla sicurezza del medicinale e che deve fornire una giustificazione del profilo rischio/beneficio per il medicinale orfano di cui trattasi, cosa che la CTRS ha fatto nella specie. Essa ha effettivamente fornito una lista di riferimenti di letteratura scientifica relativa a studi attinenti all'acido colico e ha dimostrato di non essere in grado di fornire dati completi, da un lato, per ragioni obiettive e verificabili attinenti alla rarità della malattia e, dall'altro, per considerazioni deontologiche. Quanto alla prima ragione, risulta che, alla data di deposito della richiesta (30 ottobre 2009), solamente 90 pazienti risultavano affetti dalla malattia; fra questi, 19 erano trattati in Francia. Quando alla seconda ragione, il CMUU ha ritenuto, senza che tale valutazione venisse rimessa in discussione dalla Commissione, che, considerato che la partecipazione ad una prova clinica esporrebbe i pazienti al rischio di lesioni epatiche gravi, se non al rischio di decesso, sarebbe contrario ai principi di deontologia medica effettuare uno studio controllato sull'efficacia dell'acido colico.

Erroneamente quindi la Commissione ha ritenuto, nella propria decisione, che i dati presentati dalla CTRS dovessero essere completi e che detta società non potesse invocare l'esistenza di circostanze eccezionali nell'ambito della propria richiesta fondata su un impiego medico ben consolidato.

---

<sup>2</sup> Sentenza del Tribunale del 4 luglio 2012, Laboratoires CTRS/Commissione ([T-12/12](#)).

<sup>3</sup> Decisione di esecuzione della Commissione C (2012) 3306 def., recante diniego di rilascio di AIC ai sensi del regolamento n. 726/2004 per il medicinale a uso umano «Orphacol – Acido colico».

<sup>4</sup> Direttiva 2001/83/CE citata (articolo 5).

<sup>5</sup> Direttiva 2001/83/CE citata (articolo 8, paragrafo 3).

<sup>6</sup> Regolamento (CE) n. 726/2004, citato, articolo 14, paragrafo 8.

Conseguentemente, il Tribunale annulla la decisione della Commissione.

---

**IMPORTANTE:** Contro la decisione del Tribunale, entro due mesi a decorrere dalla data della sua notifica, può essere proposta un'impugnazione, limitata alle questioni di diritto, dinanzi alla Corte.

**IMPORTANTE:** Il ricorso di annullamento mira a far annullare atti delle istituzioni dell'Unione contrari al diritto dell'Unione. A determinate condizioni, gli Stati membri, le istituzioni europee e i privati possono investire la Corte di giustizia o il Tribunale di un ricorso di annullamento. Se il ricorso è fondato, l'atto viene annullato. L'istituzione interessata deve rimediare all'eventuale lacuna giuridica creata dall'annullamento dell'atto.

---

*Documento non ufficiale ad uso degli organi d'informazione che non impegna il Tribunale.*

*Il [testo integrale](#) della sentenza è pubblicato sul sito CURIA il giorno della pronuncia*

*Contatto stampa: Estella Cigna Angelidis ☎ (+352) 4303 2582*

*Immagini della pronuncia della sentenza sono disponibili su «[Europe by Satellite](#)» ☐ ☎ (+32) 2 2964106*