



Kontakty z Mediami  
i Informacja

Sąd Unii Europejskiej  
**KOMUNIKAT PRASOWY nr 84/13**

Luksemburg, 4 lipca 2013 r.

Wyrok w sprawie T-301/12  
Laboratoires CTRS / Komisja

---

**Sąd stwierdził nieważność decyzji Komisji odmawiającej pozwolenia na dopuszczenie do obrotu Orphacolu**

*Pozwolenie na dopuszczenie do obrotu może zostać udzielone dla tego sierocego produktu leczniczego ze względu na jego ugruntowane zastosowanie medyczne od ponad dziesięciu lat*

Prawo Unii Europejskiej<sup>1</sup> stanowi, że do każdego wniosku o udzielenie pozwolenia na dopuszczenie do obrotu (zwanego dalej „pozwoleniem”) produktu leczniczego stosowanego u ludzi, należy dołączyć wyniki badań przedklinicznych i klinicznych tego produktu leczniczego. Niemniej jednak, w drodze odstępstwa, w szczególności do sierocych produktów leczniczych (to znaczy do produktów, które przeznaczone są do leczenia szczególnie rzadkich i poważnych chorób), ma zastosowanie procedura uproszczona. W ten sposób wnioskodawca nie ma obowiązku dostarczenia wyników badań przedklinicznych i klinicznych, jeżeli może wykazać, że substancje czynne produktu leczniczego posiadają ugruntowane zastosowanie lecznicze we Wspólnocie od co najmniej dziesięciu lat z potwierdzoną skutecznością oraz akceptowalnym poziomem bezpieczeństwa. W takim przypadku wyniki badań zastępuje się odpowiednią literaturą naukową.

Spółka Laboratoires CTRS (Cell Therapies Research & Services) opracowała produkt leczniczy Orphacol, której substancją czynną jest kwas cholowy. Ów sierocy produkt leczniczy przeznaczony jest do leczenia rzadkich, lecz bardzo poważnych schorzeń wątroby. Choroby te, w braku odpowiedniego leczenia w pierwszych tygodniach lub miesiącach życia, mogą prowadzić do śmierci.

Dnia 30 października 2009 r. CTRS złożyła wniosek o pozwolenie na dopuszczenie do obrotu do Europejskiej Agencji Leków (EMA).

Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (CHMP), należący do EMA wydał pozytywną opinię, a następnie również pozytywną zmodyfikowaną opinię, zalecając wydanie pozwolenia na wspomniany produkt, odpowiednio w grudniu 2010 r. oraz w kwietniu 2011 r. Niemniej jednak Komisja przedstawiła w lipcu 2011 r. stałemu komitetowi ds. produktów leczniczych do użytku ludzkiego (zwanego dalej „stałym komitetem”) projekt decyzji odmawiającej CTRS udzielenia pozwolenia na Orphacol. W październiku 2011 r. stały komitet wydał opinię negatywną odnośnie do projektu decyzji Komisji odmawiającej pozwolenia. W tym samym miesiącu Komisja przedstawiła komitetowi odwoławczemu projekt decyzji odmawiającej pozwolenia. W listopadzie 2011 r. komitet odwoławczy również wydał opinię negatywną w odniesieniu do projektu decyzji Komisji odmawiającej pozwolenia.

---

<sup>1</sup> Rozporządzenie (WE) nr 726/2004 Parlamentu Europejskiego i Rady z dnia 31 marca 2004 r. ustanawiające wspólnotowe procedury wydawania pozwoleń dla produktów leczniczych stosowanych u ludzi i do celów weterynaryjnych i nadzoru nad nimi oraz ustanawiające Europejską Agencję Leków (EMA) (Dz.U. L 136, s. 1), zmienione rozporządzeniem (WE) nr 1901/2006 Parlamentu Europejskiego i Rady z dnia 12 grudnia 2006 r. w sprawie produktów leczniczych stosowanych w pediatrii oraz zmieniającym rozporządzenie (EWG) nr 1768/92, dyrektywę 2001/20/WE, dyrektywę 2001/83/WE i rozporządzenie nr 726/2004 (Dz.U. L 378, s. 1), oraz dyrektywa 2001/83/WE Parlamentu Europejskiego i Rady z dnia 6 listopada 2001 r. w sprawie wspólnotowego kodeksu odnoszącego się do produktów leczniczych stosowanych u ludzi (Dz.U. L 311, s. 67), zmieniona przez dyrektywę 2004/27/WE Parlamentu Europejskiego i Rady z dnia 31 marca 2004 r. (Dz.U. L 136, s. 34).

Dnia 12 stycznia 2012 r. CTRS wniosła skargę zmierzającą do stwierdzenia beczynności Komisji, w zakresie w jakim bezprawnie powstrzymała się ona od wydania ostatecznej decyzji co do wniosku o pozwolenie dla produktu leczniczego Orphacol i, pomocniczo, skargę zmierzającą do stwierdzenia nieważności decyzji rzekomo zawartej w piśmie Komisji z dnia 5 grudnia 2011 r. o odmowie wydania wspomnianego pozwolenia.

Dnia 4 lipca 2012 r.<sup>2</sup>. Sąd Unii Europejskiej orzekł o niedopuszczalności owej skargi na beczynność oraz o tym, że z uwagi na fakt, iż Komisja w drodze decyzji odmawiającej pozwolenia z dnia 25 maja 2012 r.<sup>3</sup> dokonała zastąpienia decyzji odmownej rzekomo zawartej we wspomnianym piśmie z dnia 5 grudnia 2011 r., nie było konieczności orzekania w sprawie skargi o stwierdzenie nieważności ostatniej z wymienionych decyzji.

Dnia 10 lipca 2012 r. CTRS ponownie wniosła do Sądu o stwierdzenie nieważności decyzji z dnia 25 maja 2012 r. Sąd postanowił o rozpatrzeniu tej sprawy w trybie priorytetowym.

### **Wydanym w dniu dzisiejszym wyrokiem Sąd stwierdził nieważność decyzji Komisji z dnia 25 maja 2012 r. odmawiającej pozwolenia na produkt leczniczy Orphacol.**

Sąd stwierdził w pierwszej kolejności, że kwas cholowy był używany do leczenia pacjentów we Francji pomiędzy 1993 r. i październikiem 2007 r. jako środek szpitalny wydawany na receptę lekarską, przygotowywany indywidualnie zgodnie ze wskazówkami farmakopei oraz zgodnie z dobrymi praktykami prawa francuskiego. Środki te są zatem przepisywane pod ścisłą kontrolą medyczną w ramach placówki zdrowia lub placówki farmaceutycznej. Od tego czasu kapsułki z kwasem cholowym zostały dopuszczone we Francji pod nazwą Orphacol<sup>4</sup>. Sąd stwierdził następnie, że owe środki szpitalne stanowią odpowiedź na „szczególne potrzeby” w rozumieniu prawa Unii<sup>5</sup>, to znaczy, że odpowiadają one indywidualnym sytuacjom uzasadnionym względami medycznymi oraz że są one konieczne dla zaspokojenia potrzeb pacjentów. W związku z tym CTRS nie miała obowiązku dołączenia do wniosku o pozwolenie wyników badań przedklinicznych i klinicznych wymaganych prawem Unii<sup>6</sup>.

**W związku z tym Sąd oddalił argumenty Komisji dotyczące braku ugruntowanego zastosowania medycznego i orzekł, że CTRS wykazała, iż zastosowanie kwasu cholowego jest ugruntowanym zastosowaniem medycznym.**

**Ponadto Sąd orzekł, że CTRS wykazała, iż nie jest w stanie przedstawić kompletnych danych dotyczących skuteczności i nieszkodliwości produktu leczniczego w normalnych warunkach jego zastosowania z powodu określonych wyjątkowych okoliczności<sup>7</sup> w rozumieniu prawa Unii.**

Sąd stwierdził, że wnioskujący o pozwolenie powinien podać w protokole z badań przedklinicznych i klinicznych powody, dla których nie było możliwe przedstawienie kompletnych informacji w przedmiocie skuteczności i bezpieczeństwa produktu leczniczego, oraz że powinien on przedstawić uzasadnienie bilansu zagrożenia/korzyści dla odnośnego sierocego produktu leczniczego, co też CTRS uczyniła w niniejszej sprawie. Przedstawiła ona listę odniesień bibliograficznych dotyczącą badań nad kwasem cholowym i wykazała, że nie jest w stanie przedstawić kompletnych danych, z obiektywnych i możliwych do sprawdzenia powodów dotyczących rzadkości odnośnej choroby, z jednej strony, a także ze względów deontologicznych, z drugiej. Jeżeli chodzi o pierwszy powód, to stwierdzono, że w dacie złożenia wniosku (tj. w dniu 30 października 2009 r.), chorych było tylko 90 pacjentów, z czego 19 było leczonych we Francji. Odnośnie do drugiego powodu CHMP stwierdził, czego nie podważyła Komisja, że ponieważ

<sup>2</sup> Wyrok Sądu z dnia 4 lipca 2012 r. w sprawie [T-12/12](#) CTRS przeciwko Komisji.

<sup>3</sup> Decyzja wykonawcza Komisji C(2012) 3306 wersja ostateczna z dnia 25 maja 2012 r. odmawiająca wydania pozwolenia zgodnie z rozporządzeniem (WE) nr 726/2004 Parlamentu Europejskiego i Rady dla sierocego produktu leczniczego stosowanego u ludzi „Orphacol – Kwas cholowy”.

<sup>4</sup> Na podstawie art. L. 5121–12 kodeksu zdrowia publicznego (podawanie „indywidualnie wskazanym pacjentom w wyjątkowych wypadkach przed ich zarejestrowaniem”).

<sup>5</sup> Wyżej wymieniona dyrektywa 2001/83/WE (art. 5).

<sup>6</sup> Wyżej wymieniona dyrektywa 2001/83/WE (art. 8 ust. 3).

<sup>7</sup> Wyżej wymienione rozporządzenie (WE) nr 726/2004 – art. 14 ust. 8.

uczestnictwo w próbach klinicznych wiązałoby się z narażeniem pacjentów na niebezpieczeństwo poważnego uszkodzenia wątroby, a nawet śmierci, sprzeczne z zasadami deontologii medycznej byłoby przeprowadzanie kontrolowanych badań nad skutecznością kwasu cholowego.

Tym samym Komisja błędnie stwierdziła w decyzji, że dane dostarczone przez CTRS powinny zostać uzupełnione, oraz że nie może ona powoływać się na nadzwyczajne okoliczności w ramach wniosku opartego ugruntowanym zastosowaniu medycznym.

W związku z powyższym Sąd stwierdził nieważność decyzji Komisji.

---

**UWAGA:** Odwołanie od orzeczenia Sądu, ograniczone do kwestii prawnych, może zostać wniesione do Trybunału w terminie dwóch miesięcy od dnia zawiadomienia o tym orzeczeniu.

**UWAGA:** Celem skargi o stwierdzenie nieważności jest doprowadzenie do uznania za nieważne aktów instytucji Unii, które są sprzeczne z prawem Unii. Państwa członkowskie, instytucje wspólnotowe oraz jednostki mogą, pod pewnymi warunkami, wnieść skargę o stwierdzenie nieważności do Trybunału Sprawiedliwości lub Sądu. Jeżeli skarga jest zasadna, stwierdza się nieważność aktu. Instytucja, której to dotyczy, powinna zarządzić ewentualnej próżni prawnej spowodowanej nieważnością tego aktu.

---

*Dokument nieoficjalny, sporządzony na użytek mediów, który nie wiąże Sądu.*

*[Pełny tekst](#) wyroku jest publikowany na stronie internetowej CURIA w dniu ogłoszenia*

*Osoba odpowiedzialna za kontakty z mediami: Ireneusz Kolowca ☎ (+352) 4303 2793*

*Nagranie wideo z ogłoszenia wyroku jest dostępne przez „[Europe by Satellite](#)” ☎ (+32) 22964106*