



Prensa e Información

Tribunal General de la Unión Europea  
**COMUNICADO DE PRENSA nº 84/13**

Luxemburgo, 4 de julio de 2013

Sentencia en el asunto T-301/12  
Laboratoires CTRS / Comisión

---

**El Tribunal General anula la Decisión de la Comisión por la que se deniega la autorización de comercialización del Orphacol**

*La autorización de comercialización puede concederse a este medicamento huérfano por tener un uso médico bien establecido de más de diez años*

El Derecho de la Unión Europea<sup>1</sup> prevé que toda solicitud de autorización de comercialización (AC) de un medicamento para uso humano debe ir acompañada de ensayos preclínicos y clínicos. No obstante, como excepción, un procedimiento acelerado se aplica en particular a los medicamentos huérfanos (los destinados al tratamiento de enfermedades muy raras y graves). El solicitante no está obligado a facilitar los resultados de los ensayos preclínicos y clínicos si puede demostrar que las sustancias activas del medicamento han tenido un uso médico bien establecido al menos durante diez años en la Unión y presentan una eficacia reconocida, así como un nivel aceptable de seguridad. En tal caso, los resultados de estos ensayos se sustituyen por una documentación bibliográfico-científica adecuada.

La sociedad Laboratoires CTRS (Cell Therapies Research & Services) elaboró el medicamento Orphacol, cuya sustancia activa es el ácido cólico. Este medicamento huérfano está destinado al tratamiento de enfermedades hepáticas raras pero muy graves. Sin tratamiento apropiado durante las primeras semanas o los primeros meses de vida, estas enfermedades pueden provocar la muerte.

El 30 de octubre de 2009, CTRS presentó una solicitud de autorización de comercialización de este medicamento ante la Agencia Europea de Medicamentos (EMA).

El Comité de Medicamentos de Uso Humano (CMUH), dependiente de la EMA, emitió un dictamen favorable y posteriormente un dictamen revisado, igualmente favorable, recomendando la concesión de una AC, en diciembre de 2010 y en abril de 2011, respectivamente. No obstante, la Comisión remitió en julio de 2011 al Comité Permanente de Medicamentos de Uso Humano (en lo sucesivo, «Comité Permanente»), un proyecto de Decisión por la que se denegaba la concesión de una AC a la demandante para el medicamento Orphacol. En octubre de 2011, el Comité Permanente emitió un dictamen desfavorable con relación al proyecto de Decisión de la Comisión por la que se denegaba la AC. Ese mismo mes, la Comisión remitió al Comité de Apelación el proyecto de Decisión por la que se denegaba la AC. En noviembre de 2011, el Comité de Apelación emitió un dictamen desfavorable con relación al proyecto de Decisión de la Comisión por la que se denegaba la AC.

---

<sup>1</sup> Reglamento (CE) nº 726/2004 del Parlamento Europeo y del Consejo de 31 de marzo de 2004 por el que se establecen procedimientos comunitarios para la autorización y el control de los medicamentos de uso humano y veterinario y por el que se crea la Agencia Europea de Medicamentos (EMA) (DO L 136, p. 1), en su versión modificada por el Reglamento (CE) nº 1901/2006 del Parlamento Europeo y del Consejo, de 12 de diciembre de 2006, sobre medicamentos para uso pediátrico, y por el que se modifican el Reglamento (CEE) nº 1768/92, la Directiva 2001/20/CE, la Directiva 2001/83/CE y el Reglamento (CE) nº 726/2004 (DO L 378, p. 1) y Directiva 2001/83/CE del Parlamento Europeo y del Consejo, de 6 de noviembre de 2001, por la que se establece un código comunitario sobre medicamentos para uso humano (DO L 311, p. 67), en su versión modificada por la Directiva 2004/27/CE del Parlamento Europeo y del Consejo, de 31 de marzo de 2004 (DO L 136, p. 34).

El 12 de enero de 2012, CTRS interpuso un recurso ante el Tribunal General dirigido a que se declarase que la Comisión había incurrido en omisión al haberse abstenido ilegalmente de adoptar una decisión definitiva sobre la solicitud de AC del medicamento Orphacol y, con carácter subsidiario, un recurso de anulación de la decisión, presuntamente contenida en el escrito de la Comisión de 5 de diciembre de 2011, de no concederle dicha AC.

El 4 de julio de 2012,<sup>2</sup> el Tribunal General declaró que el recurso por omisión era inadmisibile y que, como mediante su Decisión denegatoria de la AC de 25 de mayo de 2012<sup>3</sup> la Comisión había sustituido la decisión contenida en el escrito de 5 de diciembre de 2011 por la que se denegaba la AC, ya no había lugar a pronunciarse sobre la pretensión de anulación de esta última decisión formulada por la demandante.

El 10 de julio de 2012, CTRS interpuso un nuevo recurso ante el Tribunal General para obtener la anulación de la Decisión de 25 de mayo de 2012. El Tribunal General decidió dar al asunto tratamiento prioritario.

### **En su sentencia de hoy, el Tribunal General anula la Decisión de la Comisión de 25 de mayo de 2012 por la que deniega una AC al medicamento Orphacol.**

El Tribunal General señala, en primer lugar, que el ácido cólico ha sido utilizado en Francia para tratar pacientes, entre 1993 y octubre de 1997, en forma de medicamento hospitalario administrado con receta médica y preparado de manera individual según las indicaciones de la farmacopea y de conformidad con las buenas prácticas mencionadas en la legislación francesa. Este tipo de medicamentos se expide bajo estricto control médico en una farmacia de uso interno en un establecimiento sanitario. Desde esa fecha, las cápsulas de ácido cólico están autorizadas en Francia bajo el nombre de Orphacol. El Tribunal General constata asimismo que estos medicamentos hospitalarios están destinados a responder a «necesidades específicas», en el sentido del Derecho de la Unión,<sup>4</sup> es decir, a situaciones individuales justificadas por consideraciones médicas y necesarias para atender las necesidades de los pacientes. Por lo tanto, CTRS no estaba obligada, al presentar su solicitud de AC, a facilitar los resultados de los ensayos preclínicos y clínicos exigidos por el Derecho de la Unión.<sup>5</sup>

**Por consiguiente, el Tribunal General desestima las alegaciones de la Comisión basadas en la ausencia de un uso médico bien establecido y declara que CTRS ha demostrado el uso médico bien establecido del ácido cólico.**

**Asimismo, el Tribunal General considera que CTRS ha demostrado que no puede aportar datos completos sobre la eficacia y la seguridad del medicamento en condiciones normales de uso por determinadas circunstancias excepcionales<sup>6</sup> en el sentido del Derecho de la Unión.**

El Tribunal General señala que el solicitante de la AC debe justificar en los resúmenes no clínicos y clínicos las razones que impiden facilitar la información completa, así como aportar el balance riesgo/beneficios del medicamento huérfano de que se trate, lo que CTRS ha hecho en el presente asunto. CTRS presentó una lista de referencias bibliográficas relativas a estudios sobre el ácido cólico y demostró que no podía aportar datos completos por razones objetivas y verificables, debido al carácter de enfermedad rara y a consideraciones deontológicas. Por lo que se refiere al primer motivo, ha quedado demostrado que, en la fecha en la que se presentó la solicitud (el 30 de octubre de 2009), sólo estaban afectados 90 pacientes, de los cuales 19 habían recibido tratamiento en Francia. En cuanto al segundo motivo, el CMUH consideró, sin que la Comisión rebatiera esta apreciación, que en la medida en que la participación en un ensayo clínico expondría a los pacientes a un riesgo de padecer una enfermedad hepática grave, incluido

<sup>2</sup> Sentencia del Tribunal, de 4 de julio de 2012, Laboratoires CTRS/Comisión ([T-12/12](#)).

<sup>3</sup> Decisión de Ejecución C(2012) 3306 final, por la que se deniega una AC, conforme al Reglamento (CE) nº 726/2004 del Parlamento Europeo y del Consejo, al medicamento huérfano para uso humano «Orphacol-ácido cólico».

<sup>4</sup> Directiva [2001/83/CE](#) antes citada (artículo 5).

<sup>5</sup> Directiva 2001/83/CE antes citada (artículo 8, apartado 3).

<sup>6</sup> Reglamento (CE) nº 726/2004, antes citado, artículo 14, apartado 8.

el riesgo de muerte, sería contrario a los principios de deontología médica efectuar un estudio controlado sobre la eficacia del ácido cólico en los casos para los que está indicado.

---

**NOTA:** Contra las resoluciones del Tribunal General puede interponerse recurso de casación ante el Tribunal de Justicia, limitado a las cuestiones de Derecho, en un plazo de dos meses a partir de la notificación de la resolución.

**NOTA:** El recurso de anulación sirve para solicitar la anulación de los actos de las instituciones de la Unión contrarios al Derecho de la Unión. Bajo ciertos requisitos, los Estados miembros, las instituciones europeas y los particulares pueden interponer recurso de anulación ante el Tribunal de Justicia o ante el Tribunal General. Si el recurso se declara fundado, el acto queda anulado y la institución de que se trate debe colmar el eventual vacío jurídico creado por la anulación de dicho acto.

---

*Documento no oficial, destinado a los medios de comunicación y que no vincula al Tribunal General.*

*El [texto íntegro](#) de la sentencia se publica en el sitio CURIA el día de su pronunciamiento*

*Contactos con la prensa: Amaranta Amador Bernal ☎ (+352) 4303 3667*

*Las imágenes del pronunciamiento de la sentencia se encuentran disponibles en  
«[Europe by Satellite](#)» ☎ (+32) 2 2964106*