



Tlač a informácie

Všeobecný súd Európskej únie  
**TLAČOVÉ KOMUNIKÉ č. 84/13**  
v Luxemburgu 4. júla 2013

Rozsudok vo veci T-301/12  
Laboratoires CTRS/Komisia

## **Všeobecný súd zrušil rozhodnutie Komisie o zamietnutí povolenia na uvedenie lieku Orphacol na trh**

*Povolenie na uvedenie na trh sa môže tomuto lieku určenému na ojedinelé ochorenie udeliť z dôvodu osvedčeného lekárskeho použitia dlhšieho ako desať rokov*

Právo Európskej únie<sup>1</sup> upravuje, že každá žiadosť o povolenie na uvedenie na trh (PUT) lieku na humánne použitie musí byť podložená výsledkami predklinických a klinických skúšok daného lieku. Výnimočne sa však môže uplatniť aj zjednodušený postup, najmä pokiaľ ide o lieky na ojedinelé ochorenia (t. j. určené na liečbu veľmi zriedkavých a závažných ochorení). Žiadateľ vtedy nie je povinný predložiť výsledky predklinických a klinických skúšok, ak môže preukázať, že účinné látky lieku sa osvedčili pri lekárskom použití v rámci Únie v priebehu minimálne desiatich rokov, ich účinnosť je uznaná a majú prijateľnú úroveň bezpečnosti. V takom prípade sa výsledky skúšok nahrádzajú príslušnou vedeckou literatúrou.

Spoločnosť Laboratoires CTRS (Cell Therapies Research & Services) vyvinula liek Orphacol, ktorý obsahuje účinnú látku kyselinu cholovú. Tento liek je určený na liečenie zriedkavých, ale veľmi závažných ochorení pečene. Ak sa tieto choroby neliečia vhodným spôsobom v prvých týždňoch alebo mesiacoch výskytu, môžu spôsobiť smrť.

Dňa 30. októbra 2009 CTRS podala na Európsku agentúru pre lieky (EAL) žiadosť o PUT pre tento liek.

Výbor pre lieky na humánne použitie EAL (VLHP) vydal v decembri 2010 kladné stanovisko, a neskôr v apríli 2011 rovnako kladné revidované stanovisko, v ktorých odporučil vydať PUT. Komisia však v júli 2011 predložila stálemu výboru pre lieky na humánne použitie (ďalej len „stály výbor“) návrh rozhodnutia zamietajúceho vydať CTRS PUT pre liek Orphacol. V októbri 2011 stály výbor vydal zamietavé stanovisko k návrhu rozhodnutia Komisie o zamietnutí vydania PUT. Ešte v ten istý mesiac Komisia predložila návrh rozhodnutia o zamietnutí vydania PUT odvolaciemu výboru. V novembri 2011 odvolací výbor vydal takisto zamietavé stanovisko k návrhu rozhodnutia Komisie o zamietnutí vydania PUT.

Dňa 12. decembra 2012 podala CTRS návrh na určenie nečinnosti Komisie spočívajúcej v tom, že protiprávne neprijala konečné rozhodnutie o žiadosti o PUT lieku Orphacol, a subsidiárne návrh na zrušenie rozhodnutia údajne obsiahnutého v liste Komisie z 5. decembra 2011 nevydať jej uvedené PUT.

<sup>1</sup> Nariadenie Európskeho parlamentu a Rady (ES) č. 726/2004 z 31. marca 2004, ktorým sa stanovujú postupy spoločenstva pri povoľovaní liekov na humánne použitie a na veterinárne použitie a pri vykonávaní dozoru nad týmito liekmi a ktorým sa zriaďuje Európska agentúra pre lieky (Ú. v. EÚ L 136, s. 1; Mim. vyd. 13/034, s. 229), zmenené a doplnené nariadením Európskeho parlamentu a Rady (ES) č. 1901/2006 z 12. decembra 2006 o liekoch na pediatrické použitie, ktorým sa mení a dopĺňa nariadenie (EHS) č. 1768/92, smernica 2001/20/ES, smernica 2001/83/ES a nariadenie (ES) č. 726/2004 (Ú. v. EÚ L 378, s. 1) a smernica Európskeho parlamentu a Rady 2001/83/ES zo 6. novembra 2001 o právnych predpisoch spoločenstva, týkajúcich sa liekov na humánne použitie (Ú. v. ES L 311, s. 67; Mim. vyd. 13/027, s. 69), zmenená a doplnená smernicou Európskeho parlamentu a Rady 2004/27/ES z 31. marca 2004 (Ú. v. EÚ L 136, s. 34; Mim. vyd. 13/034, s. 262).

Dňa 4. júla 2012<sup>2</sup> Všeobecný súd Európskej únie rozhodol, že návrh na určenie nečinnosti je neprípustný a že o návrhu na zrušenie už nie je potrebné rozhodnúť, keďže Komisia 25. mája 2012<sup>3</sup> prijala rozhodnutie o zamietnutí PUT, ktoré nahradilo rozhodnutie o zamietnutí PUT nachádzajúce sa údajne v liste z 5. decembra 2011.

CTRS podala 10. júla 2012 na Všeobecný súd novú žalobu, v ktorej sa domáha zrušenia rozhodnutia z 25. mája 2012. Všeobecný súd rozhodol o prednostnom prejednaní danej veci.

### **V dnes vyhlásenom rozsudku Všeobecný súd zrušil rozhodnutie Komisie z 25. mája 2012 o zamietnutí PUT pre liek Orphacol.**

V prvom rade Všeobecný súd uvádza, že kyselina cholová bola používaná vo Francúzsku na liečenie pacientov v období medzi rokom 1993 a októbrom 2007 ako nemocničný liečebný prípravok vydaný na základe lekárskeho predpisu a pripravovaný individuálne podľa pokynov liekopisu v súlade so správnym postupom uvedeným vo francúzskom právnom poriadku. Tieto prípravky tak boli predpisované za prísnej lekárskej kontroly v zdravotníckom alebo farmaceutickom zariadení. Od tohto dňa sú kapsule s kyselinou cholovou vo Francúzsku povolené pod názvom Orphacol. Ďalej Všeobecný súd konštatuje, že tieto nemocničné liečebné prípravky sa zameriavali na „osobitné požiadavky“ v zmysle práva Únie<sup>4</sup>, teda že zodpovedali individuálnej situácii opodstatnenej zdravotnými dôvodmi a že boli pre potreby pacienta nevyhnutné. CTRS tak pri žiadosti o PUT nebola povinná predložiť výsledky predklinických a klinických skúšok požadovaných právom Únie.<sup>5</sup>

**Všeobecný súd preto zamietol tvrdenie Komisie založené na neexistencii osvedčeného lekárskeho použitia a rozhodol, že CTRS preukázala osvedčené lekárske použitie kyseliny cholovej.**

**Okrem toho Všeobecný súd rozhodol, že CTRS preukázala, že nemohla predložiť úplnú dokumentáciu o účinnosti a bezpečnosti lieku pri jeho bežnom užívaní z dôvodu výnimočných okolností<sup>6</sup> v zmysle práva Únie.**

Všeobecný súd konštatoval, že žiadateľ o PUT musí v predklinických a klinických súhrnoch uviesť dôvody, pre ktoré nie je možné predložiť úplné informácie o účinnosti a bezpečnosti lieku, a zároveň musí poskytnúť preukázanie rovnováhy medzi výhodami a rizikom predmetného lieku na ojedinelé ochorenia, čo CTRS v danom prípade urobila. CTRS skutočne predložila zoznam odbornej literatúry týkajúcej sa štúdií o kyseline cholovej a preukázala, že nemohla predložiť kompletné údaje na jednej strane z objektívnych a preukázateľných dôvodov týkajúcich sa zriedkavosti daného ochorenia a na strane druhej z dôvodu lekárskej etiky. V prípade prvého tvrdenia sa konštatovalo, že v čase podania žiadosti o PUT (30. októbra 2009) bolo diagnostikovaných 90 prípadov, z toho 19 pacientov bolo liečených vo Francúzsku. V prípade druhého tvrdenia sa VLHP domnieval bez toho, aby Komisia toto posúdenie spochybnila, že v rozsahu, v akom účasť na klinických skúškach vystavuje pacientov riziku vážneho poškodenia pečene a až smrti, bolo by s rozpore s lekárskou etikou vykonať kontrolovanú štúdiu o účinnosti kyseliny cholovej.

Komisia sa vo svojom rozhodnutí nesprávne domnievala, že údaje predložené CTRS mali byť úplné a že CTRS sa v rámci žiadosti založenej na osvedčenom lekárskom použití nemohla odvolávať na výnimočné okolnosti.

Všeobecný súd z tohto dôvodu zrušil rozhodnutie Komisie.

<sup>2</sup> Rozsudok Všeobecného súdu zo 4. júla 2012, Laboratoires CTRS/Komisia ([T-12/12](#)).

<sup>3</sup> Vykonávacie rozhodnutie Komisie C(2012) 3306 final z 25. mája 2012, ktorým sa v zmysle nariadenia č. 726/2004 zamietá PUT lieku na humánne použitie „Orphacol – kyselina cholová“ určeného na ojedinelé ochorenia.

<sup>4</sup> Smernica 2001/83/CE, už citovaná (článok 5).

<sup>5</sup> Smernica 2001/83/CE, už citovaná (článok 8 ods. 3).

<sup>6</sup> Nariadenie (ES) č. 726/2004, už citované (článok 14 ods. 8).

---

**UPOZORNENIE:** Odvolanie proti rozhodnutiu Všeobecného súdu obmedzujúce sa len na právne otázky možno podať na Súdny dvor do dvoch mesiacov od jeho doručenia.

**UPOZORNENIE:** Žalobou o neplatnosť sa možno domáhať zrušenia aktov inštitúcie Únie, ktoré sú v rozpore s právom Únie. Za určitých podmienok môžu členské štáty, európske inštitúcie a jednotlivci podať žalobu o neplatnosť na Súdny dvor alebo na Všeobecný súd. Ak je žaloba dôvodná, akt sa zruší. Dotknutá inštitúcia je povinná vykonať nápravu, pokiaľ ide o prípadnú právnu medzeru, ktorá vznikla v dôsledku zrušeného aktu.

---

*Neoficiálny dokument pre potreby médií, ktorý nezaväzuje Všeobecný súd.*

*[Úplné znenie](#) rozsudku sa uverejňuje na internetovej stránke CURIA v deň vyhlásenia rozsudku.*

*Kontaktná osoba pre tlač: Balázs Lehóczki ☎ (+352) 4303 5499*

*Obrazový záznam z vyhlásenia rozsudku je k dispozícii na „[Europe by Satellite](#)“ ☎ (+32) 2 2964106*