Oikeustapauskokoelma

UNIONIN YLEISEN TUOMIOISTUIMEN TUOMIO (kymmenes jaosto)

23 päivänä syyskuuta 2020*

Ihmisille tarkoitetut lääkkeet – Harvinaislääkkeet – Lääkkeen trecondi-treosulfaani myyntilupahakemus – Päätös poistaa lääke harvinaislääkkeiden rekisteristä – Asetuksen (EY) N:o 141/2000 3 artiklan 1 kohdan b alakohta – Käsite ”tyydyttävä menetelmä” – Asetuksen N:o 141/2000 5 artiklan 12 kohdan b alakohta – Oikeudellinen virhe

Asiassa T-549/19,

Medac Gesellschaft für klinische Spezialpräparate mbH, kotipaikka Wedel (Saksa), edustajanaan asianajaja P. von Czettritz,

kantajana,

vastaan

Euroopan komissio, asiamiehinään B.-R. Killmann ja A. Sipos,

vastaajana,

jossa on kyse SEUT 263 artiklaan perustuvasta kanteesta, jossa vaaditaan ihmisille tarkoitetun lääkkeen trecondi-treosulfaani myyntiluvasta 20.6.2019 annetun komission täytäntöönpanopäätöksen C(2019) 4858 final kumoamista osittain,

UNIONIN YLEINEN TUOMIOISTUIN (kymmenes jaosto),

toimien kokoonpanossa: jaoston puheenjohtaja A. Kornezov (esittelevä tuomari) sekä tuomarit J. Passer ja G. Hesse,

kirjaaja: E. Coulon,

on antanut seuraavan

* Oikeudenkäyntikieli: saksa.

tuomion[1]

Asian tausta

1 Euroopan yhteisöjen komission 23.2.2004 tekemällä päätöksellä mahdollinen treosulfaanipohjainen lääke, jonka rahoittajana on kantajana oleva Medac Gesellschaft für klinische Spezialpräparate mbH, määriteltiin harvinaislääkkeeksi ja merkittiin Euroopan unionin harvinaislääkkeiden rekisteriin harvinaislääkkeistä 16.12.1999 annetun Euroopan parlamentin ja neuvoston asetuksen (EY) N:o 141/2000 (EYVL 2000, L 18, s. 1) mukaisesti (jäljempänä vuoden 2004 määrittelypäätös) seuraavaa terapeuttista käyttöaihetta varten: ”allogeenisen hematopoieettisen kantasolusiirron esihoito”.

2 Kantaja esitti 13.10.2017 Euroopan lääkevirastolle (EMA) ja tarkemmin sanottuna asetuksen N:o 141/2000 4 artiklassa tarkoitetulle harvinaislääkkeitä käsittelevälle komitealle (jäljempänä harvinaislääkkeitä käsittelevä komitea) kertomuksen treosulfaanin määrittelemisen harvinaislääkkeeksi voimassa pitämisestä myyntiluvan myöntämishetkellä.

[– –]

4 Kantajan 13.10.2017 päivätyllä kertomuksella aloitetussa menettelyssä treosulfaanin määrittelemisen harvinaislääkkeeksi voimassa pitämisestä myyntiluvan myöntämishetkellä harvinaislääkkeitä käsittelevä komitea antoi 8.11.2018 kantajalle väliaikaisen lausunnon kyseisen määrittelemisen voimassa pitämisestä (jäljempänä 8.11.2018 annettu väliaikainen lausunto). Tässä lausunnossa harvinaislääkkeitä käsittelevä komitea totesi, että asetuksen N:o 141/2000 3 artiklan 1 kohdan a alakohdassa mainittu ensisijaisuusperuste täyttyi eli se, että kyseinen lääke oli tarkoitettu sellaisen hengenvaarallisen sairaudentilan tai pysyvän invaliditeetin aiheuttavan sairaudentilan hoitoon, jota esiintyy enintään viidellä potilaalla kymmentä tuhatta henkilöä kohti Euroopan unionissa hakemuksen jättämisajankohtana. Asetuksen N:o 141/2000 3 artiklan 1 kohdan b alakohdassa tarkoitetun merkittävän edun olemassaolosta komitea katsoi, että kantajan on osoitettava tällaisen edun olemassaolo lääkkeisiin busulfaani (Busilvex) ja tiotepa (Tepadina) sekä kansallisella tasolla luvan saaneisiin melfalaani- ja syklofosfamidipohjaisiin lääkkeisiin verrattuna.

[– –]

7 Harvinaislääkkeitä käsittelevä komitea antoi myyntiluvan myöntämishetkellä 19.12.2018 lausunnon, joka koski trecondi-treosulfaanin harvinaislääkkeeksi määrittelemisen voimassa pitämistä ja jossa se katsoi, että kantaja oli osoittanut, että trecondi-treosulfaanista olisi merkittävää etua busulfaaniin (Busilvex) ja tiotepaan (Tepadina), mutta ei melfalaani- ja syklofosfamidipohjaisiin lääkkeisiin verrattuna.

8 Kantaja pyysi 19.3.2019 harvinaislääkkeitä käsittelevää komiteaa asetuksen N:o 141/2000 5 artiklan 7 kohdan nojalla tarkistamaan 19.12.2018 antamaansa lausuntoa. Se esitti tätä varten uusia analyysejä trecondi-treosulfaanin vertailusta melfalaani- ja syklofosfamidipohjaisiin hoitoihin.

[1] Tästä tuomiosta on otettu tähän vain kohdat, joiden julkaisemista unionin yleinen tuomioistuin pitää aiheellisena.

9 Harvinaislääkkeitä käsittelevä komitea antoi 8.5.2019 trecondi-treosulfaanin määrittelyn harvinaislääkkeeksi voimassa pitämistä myyntiluvan myöntämishetkellä koskevan lopullisen lausuntonsa (jäljempänä harvinaislääkkeitä käsittelevän komitean lopullinen lausunto), jossa se vahvisti 19.12.2018 antamassaan lausunnossa todetun. Se katsoi erityisesti, että kantajan 19.3.2019 päivätyssä uudelleentarkastelua koskevassa pyynnössä esitetyt analyysit eivät olleet riittävän luotettavia, ja pitäytyi näin ollen kannassaan, jonka mukaan kantaja ei ollut näyttänyt toteen, että trecondi-treosulfaanista olisi merkittävää etua melfalaani- ja syklofosfamidipohjaisiin lääkkeisiin verrattuna. Harvinaislääkkeitä käsittelevän komitean lopullisen lausunnon mukaan asetuksen N:o 141/2000 3 artiklan 1 kohdan b alakohdassa säädetyt edellytykset eivät näin ollen täyttyneet myyntiluvan myöntämishetkellä, minkä vuoksi mainittu komitea suositteli komissiolle, ettei trecondi-treosulfaanin määritelmää harvinaislääkkeeksi pidettäisi voimassa myyntiluvan myöntämishetkellä.

10 Komissio teki 20.6.2019 ihmisille tarkoitetun lääkkeen trecondi-treosulfaani myyntiluvan myöntämisestä asetuksen N:o 726/2004 mukaan päätöksen C(2019) 4858 final (jäljempänä riidanalainen päätös). Kyseisen päätöksen 1 artiklassa todetaan, että ”asetuksen – – N:o 726/2004 3 artiklassa säädetty myyntilupa myönnetään trecondi-treosulfaani-nimiselle lääkkeelle, jonka ominaisuuksien yhteenveto on [tämän] päätöksen liitteessä I”, ja että kyseinen lääke ”merkitään unionin lääkerekisteriin – – viitenumerolla EU/1/18/1351”.

11 Harvinaislääkkeitä käsittelevän komitean lopullisen lausunnon perusteella komissio päätti kuitenkin, että trecondi-treosulfaani ei enää täyttänyt asetuksen N:o 141/2000 3 artiklassa säädettyjä harvinaislääkkeeksi määrittelemisen edellytyksiä ja että näin ollen sitä ei voitu määritellä harvinaislääkkeeksi (riidanalaisen päätöksen johdanto-osan neljäs perustelukappale). Näin ollen riidanalaisen päätöksen 5 artiklassa todetaan, että ”lääkettä ’trecondi-treosulfaani’ ei pidä luokitella harvinaislääkkeeksi” ja että ”[unionin] harvinaislääkkeiden rekisteri on saatettava ajan tasalle”.

Oikeudenkäynti ja asianosaisten vaatimukset

12 Kantaja nosti nyt käsiteltävän kanteen unionin yleisen tuomioistuimen kirjaamoon 8.8.2019 toimittamallaan kannekirjelmällä.

13 Kantaja teki samana päivänä välitoimihakemuksen, joka hylättiin 26.9.2019 annetulla määräyksellä Medac Gesellschaft für klinische Spezialpräparate v. komissio (T-549/19 R, ei julkaistu, EU:T:2019:695), joka vahvistettiin 26.2.2020 annetulla määräyksellä Medac Gesellschaft für klinische Spezialpräparate v. komissio (C-832/19 P(R), ei julkaistu, EU:C:2020:112).

14 Komissio jätti 18.10.2019 vastineensa.

15 Unionin yleinen tuomioistuin kehotti 23.4.2020 työjärjestyksensä 89 artiklan mukaisena prosessinjohtotoimena asianosaisia vastaamaan tiettyihin kysymyksiin (jäljempänä ensimmäinen prosessinjohtotoimi).

16 Kantaja ilmoitti unionin yleiselle tuomioistuimelle 12.5.2020, ettei se halunnut enää tulla kuulluksi suullisessa käsittelyssä, ja pyysi unionin yleistä tuomioistuinta antamaan sille tilaisuuden esittää kirjallisia huomautuksia.

17 Asianosaiset toimittivat 8.6.2020 vastauksensa ensimmäisen prosessinjohtotoimen yhteydessä esitettyihin kysymyksiin (jäljempänä ensimmäiseen prosessinjohtotoimeen annetut vastaukset).

18 Unionin yleinen tuomioistuin kehotti 18.6.2020 työjärjestyksen 89 artiklan mukaisena prosessinjohtotoimena asianosaisia esittämään huomautuksensa myös ensimmäiseen prosessinjohtotoimeen annetuista vastauksista. Kantaja noudatti tätä pyyntöä 2.7.2020 ja komissio 15.7.2020.

19 Kantaja vaatii, että unionin yleinen tuomioistuin

– kumoaa riidanalaisen päätöksen 5 artiklan ja

– velvoittaa komission korvaamaan oikeudenkäyntikulut.

20 Komissio vaatii, että unionin yleinen tuomioistuin

– hylkää kanteen perusteettomana ja

– velvoittaa kantajan korvaamaan oikeudenkäyntikulut.

21 Kun asianosaiset eivät esittäneet istunnon järjestämistä koskevaa pyyntöä kolmen viikon kuluessa siitä, kun ilmoitus asian käsittelyn kirjallisen vaiheen päättämisestä annettiin tiedoksi, unionin yleinen tuomioistuin katsoi, että sillä on asian asiakirja-aineiston perusteella riittävät tiedot, ja päätti työjärjestyksen 106 artiklan 3 kohdan nojalla ratkaista kanteen ilman asian käsittelyn suullista vaihetta.

22 Kantaja esitti unionin yleisen tuomioistuimen kirjaamoon 18.8.2020 saapuneella asiakirjalla uusia todisteita kannekirjelmän kolmannen ja viidennen kanneperusteen tueksi työjärjestyksen 85 artiklan nojalla, ja toissijaisesti uuden kanneperusteen työjärjestyksen 84 artiklan nojalla. Se myös vaati menettelyn suullisen vaiheen aloittamista uudelleen työjärjestyksen 113 artiklan 2 kohdan nojalla. Unionin yleinen tuomioistuin päätti olla aloittamatta suullista vaihetta, koska yksikään työjärjestyksen 113 artiklan 2 kohdassa säädetyistä edellytyksistä ei täyttynyt käsiteltävässä asiassa. Erityisesti unionin yleinen tuomioistuin katsoi, etteivät kantajan esittämät uudet todisteet ja perustelut voi vaikuttaa ratkaisevasti sen ratkaisuun jäljempänä esitetyistä syistä.

Oikeudellinen arviointi

23 Kantaja vetoaa kanteensa tueksi viiteen kanneperusteeseen, joista ensimmäinen koskee asetuksen N:o 141/2000 3 artiklan 1 kohdan b alakohdassa tarkoitetun ”tyydyttävän menetelmän” käsitteen tulkinnassa tapahtunutta ilmeistä oikeudellista virhettä, toinen harkintavallan väärinkäyttöä ja komission asetuksen N:o 141/2000 3, 5 ja 7 artiklan soveltamisesta antaman lausunnon (EUVL 2016, C 424, s. 3; jäljempänä vuoden 2016 komission lausunto) rikkomista, kolmas yhdenvertaisen kohtelun periaatteen ja luottamuksensuojan periaatteen loukkaamista sikäli kuin komissio on nojautunut laajempaan lääkkeen trecondi-treosulfaani harvinaislääkkeen määritelmään kuin aikaisemmin esitetty määritelmä, neljäs toimivallan ilmeistä väärinkäyttöä, joka johtuu kantajan toimittamien vertailutietojen hyväksymättä jättämisestä ja hylkäämisestä, ja viides toimivallan väärinkäyttöä yhdenvertaisen kohtelun periaatteen loukkaamisen vuoksi, koska epäsuorat vertailutiedot on hylätty.

[– –]

Ensimmäinen ja toinen kanneperuste

[– –]

Asiakysymys

49 Asetuksen N:o 141/2000 3 artiklan 1 kohdan b alakohdassa säädetään vaihtoehtoisista kriteereistä lääkkeen määrittelemiseksi harvinaislääkkeeksi, eli tyydyttävän unionissa luvan saaneen diagnoosi-, ehkäisy- tai hoitomenetelmän puuttuminen (ensimmäinen olettama), tai jos sellainen menetelmä on olemassa, merkittävä etu kyseisestä lääkkeestä tällaisesta sairaudentilasta kärsiville verrattuna olemassa oleviin tyydyttäviin menetelmiin (toinen olettama).

50 Asetuksen N:o 141/2000 3 artiklan 1 kohdan b alakohdassa tarkoitettu sairaudentilan käsite määritellään kyseisen asetuksen 3 artiklan 1 kohdan a alakohdassa siten, että se on hengenvaarallisen sairaudentilan tai pysyvän invaliditeetin aiheuttava sairaudentila, jota esiintyy enintään viidellä potilaalla kymmentä tuhatta henkilöä kohti unionissa hakemuksen jättämisajankohtana.

51 Kuten edellä 9 kohdassa on todettu, käsiteltävänä olevassa asiassa harvinaislääkkeitä käsittelevä komitea on todennut, että kantaja oli osoittanut, että trecondi-treosulfaani tuottaa merkittävää etua busulfaani- (Busilvex) ja tiotepapohjaisiin (Tepadina) mutta ei melfalaani- ja syklofosfamidipohjaisiin lääkkeisiin verrattuna. Tässä yhteydessä kantaja katsoo lähinnä, että melfalaani- ja syklopfosfamidipohjaiset lääkkeet eivät ole, kun otetaan huomioon niiden ominaisuuksien yhteenvedot, ”tyydyttäviä menetelmiä” trecondi-treosulfaanilla hoidettavan harvinaissairauden hoidossa ja että näin ollen harvinaislääkkeitä käsittelevä komitea hylkäsi virheellisesti asetuksen N:o 141/2000 3 artiklan 1 kohdan b alakohdan ensimmäisessä olettamassa säädetyn harvinaislääkkeeksi määrittelemisen kriteerin.

52 Tältä osin on korostettava, että jotta lääke voidaan luokitella asetuksen N:o 141/2000 3 artiklan 1 kohdan b alakohdassa tarkoitetuksi ”tyydyttäväksi menetelmäksi”, sillä on oltava unionissa tai unionin jäsenvaltiossa ”lupa” samaan harvinaiseen ”sairaudentilaan” kuin lääkkeellä, jolle myyntilupaa harvinaislääkkeenä haetaan.

53 Asetuksen N:o 847/2000 2 artiklan 3 kohdan toisen alakohdan a alakohdan mukaan nimittäin ”[tyydyttävät menetelmät voivat koostua] [unionissa] käytettävistä, luvan saaneista lääkkeistä, lääkinnällisistä laitteista tai muista diagnoosi-, ehkäisy- tai hoitomenetelmistä”, ja mainitun menetelmän on lisäksi koskettava ”kyseistä sairaudentilaa” tai ”tällaista sairaudentilaa”.

54 Jotta voidaan määrittää lääkkeen myyntiluvan soveltamisala unionissa, on muistutettava aluksi, että ihmisille tarkoitettuja lääkkeitä koskevista yhteisön säännöistä 6.11.2001 annetun Euroopan parlamentin ja neuvoston direktiivin 2001/83/EY (EYVL 2001, L 311, s. 67) 6 artiklan 1 kohdan ensimmäisen alakohdan mukaan ”lääkettä ei saa saattaa jäsenvaltion markkinoille, ellei sillä ole kyseisen jäsenvaltion toimivaltaisen viranomaisen tämän direktiivin mukaisesti antamaa myyntilupaa tai lupaa, joka on annettu noudattaen asetusta [N:o 726/2004]”. Saman direktiivin 6 artiklan 1 kohdan toisessa alakohdassa säädetään, että kun lääkkeelle on myönnetty ensimmäinen myyntilupa ensimmäisen alakohdan mukaisesti, ”kaikille myöhemmille vahvuuksille, lääkemuodoille, antoreiteille, pakkaustyypeille sekä kaikille muutoksille ja

laajennuksille on myös myönnettävä lupa ensimmäisen alakohdan mukaisesti tai ne on sisällytettävä samaan myyntilupaan. Kaikkien kyseisten myyntilupien katsotaan kuuluvan samaan yleiseen myyntilupaan erityisesti 10 artiklan 1 kohtaa sovellettaessa".

55 Tämän jälkeen on todettava, että kansallisen myyntiluvan myöntämiseksi on tehtävä hakemus kyseisen jäsenvaltion toimivaltaiselle viranomaiselle. Tähän hakemukseen sisältyy direktiivin 2001/83 8 artiklan 3 kohdan j alakohdan nojalla yhteenveto valmisteen ominaisuuksista. Kyseisen direktiivin 11 artiklan mukaan yhteenvedossa valmisteen ominaisuuksista on kyseisessä säännöksessä täsmennetyssä järjestyksessä joukko tietoja kyseessä olevasta lääkkeestä, kuten terapeuttiset käyttöaiheet (4.1 kohta), annostus ja antotapa aikuisille ja tarvittaessa lapsille (4.2 kohta) ja yhteenvedon valmisteen ominaisuuksista sisältämien koodien tekstin muuttamispäivämäärä (10 kohta). Direktiivin 2001/83 21 artiklan 1 kohdassa säädetään, että kun markkinoille saattamista koskeva lupa on annettu, asianomaisen jäsenvaltion toimivaltaisen viranomaisen on ilmoitettava haltijalle hyväksyvänsä yhteenvedon valmisteen ominaisuuksista.

56 Direktiivin 2001/83 23 artiklan 3 kohdassa velvoitetaan myyntiluvan haltija varmistamaan myyntiluvan myöntämisen jälkeen, että lääkkeen tuotetiedot pidetään nykyisen tietämyksen tasalla, mihin sisältyvät myös asetuksen N:o 726/2004 26 artiklan mukaisesti perustetun Euroopan lääkealan www-portaalin kautta julkaistut arviointipäätelmät ja suositukset.

57 Olemassa olevan lääkkeen luvan laajuus määritellään myyntilupapäätöksessä, jonka osa kyseisen lääkkeen ominaisuuksien yhteenveto on, sellaisena kuin se on mahdollisesti ajan tasalle saatettuna harvinaislääkkeen myyntiluvan hakemishetkellä.

58 Tästä seuraa ensinnäkin, että lääkkeen käyttöä sen ominaisuuksien yhteenvedon ulkopuolella ei voida pitää "luvallisena" ja että näin ollen ominaisuuksien yhteenvedon ulkopuolella käytetty lääke ei voi olla asetuksen N:o 141/2000 3 artiklan 1 kohdan b alakohdassa tarkoitettu "tyydyttävä [unionissa] luvan saanut menetelmä".

59 Tätä päätelmää tukee komission vuonna 2016 antama lausunto, jonka B.4 kohdan, jonka otsikko on "Unionissa luvan saanut tyydyttävä menetelmä", kolmannessa ja neljännessä alakohdassa todetaan seuraavaa:

"Huomioon otettavilla lääkkeillä on oltava lupa sairauden hoitoon sellaisenaan tai niillä on vähintäänkin hoidettava täsmälleen samaa oireiden kokonaisuutta.

Viittaukset lääkkeeseen, jolle on jo myönnetty lupa, on rajoitettava myyntiluvan ehtoihin. Käyttöä tai käsittelyä, joka ei noudata hyväksyttyä valmisteen ominaisuuksien yhteenvetoa ('valmisteen ominaisuuksien yhteenvedon ulkopuolinen käyttö'), ei siis voida pitää 3 artiklan 1 kohdan b alakohdassa tarkoitettuna tyydyttävänä menetelmänä."

60 Asianosaiset eivät lisäksi ole kiistäneet tätä päätelmää. Komissio myöntää vastineessaan erityisesti, ettei valmisteen ominaisuuksien yhteenvedon ulkopuolista käyttöä voida pitää tyydyttävänä menetelmänä.

61 Toiseksi sen tarkistamiseksi, koskeeko kyseinen olemassa oleva menetelmä samaa "sairaudentilaa" kuin haettu harvinaislääke, on otettava huomioon kaikki olennaiset seikat, jotka liittyvät olemassa olevan menetelmän sallittuun käyttöön ja erityisesti sen terapeuttiseen käyttöaiheeseen ja sen kohdepopulaatioon, sellaisina kuin ne on määritelty valmisteen ominaisuuksien yhteenvedossa.

62 Tältä osin on korostettava, että lääkkeen ominaisuuksien yhteenvetoa voidaan tulkita vain suppeasti. Toimivaltaisen viranomaisen on ennen myyntiluvan myöntämistä, myös voimassa olevan myyntiluvan muuttamisen tai laajennuksen yhteydessä, varmistettava rahoittajan toimittamien asiakirjojen ja tietojen perusteella, että tehoon liittyvä lääkkeen hyöty on suurempi kuin mahdolliset riskit (ks. direktiivin 2001/83 johdanto-osan 7 perustelukappale ja 26 artikla). Vastaavasti asetuksen N:o 726/2004 johdanto-osan 14 perustelukappaleessa todetaan, että ”direktiiveissä 2001/83/EY ja 2001/82/EY säädettyjen laatu-, turvallisuus- ja tehokkuuskriteerien – – olisi mahdollistettava se, että kaikkien lääkkeiden etuja ja riskejä voidaan arvioida sekä markkinoille saattamisen yhteydessä että luvan uusimishetkellä ja milloin tahansa toimivaltaisen viranomaisen asianmukaiseksi katsomana ajankohtana”.

63 Kuten edellä 54 kohdassa on muistutettu, direktiivin 2001/83 6 artiklan 1 kohdan toisessa alakohdassa säädetään, että kaikille voimassa olevan myyntiluvan muutoksille ja laajennuksille on myös myönnettävä lupa tämän säännöksen ensimmäisen alakohdan mukaisesti tai ne on sisällytettävä samaan myyntilupaan, kun taas direktiivin 2001/8 23 artiklan 3 kohdassa velvoitetaan myyntiluvan jo saaneen lääkkeen haltija varmistamaan, että kyseisen lääkkeen tuotetiedot pidetään nykyisen tieteellisen tietämyksen tasalla.

64 Tästä seuraa, että valmisteen ominaisuuksien yhteenvedon muuttaminen, joka ei ole pelkkä muodollisuus, edellyttää lääkkeen etujen ja riskien suhteen sekä sen laadun, turvallisuuden ja tehon tutkimusta ehdotetun uuden käyttöaiheen osalta, ja tarvittaessa kliinisiä testejä.

65 Näin ollen lääkkeen myyntilupa ei ulotu sellaisten sairaudentilojen diagnosointiin, ehkäisemiseen tai hoitoon tai sellaisiin potilasryhmiin, joita ei mainita sen ominaisuuksien yhteenvedossa.

66 Kolmanneksi on korostettava, että kun lääke, jolle on haettu myyntilupaa harvinaislääkkeenä, on tarkoitettu sellaisten sairaudentilojen diagnosointiin, ehkäisyyn tai hoitoon tai sellaisille potilasryhmille, joiden osalta vertailulääkkeillä ei niiden ominaisuuksien yhteenvedon mukaan ole edes osittaista lupaa, viimeksi mainittuja lääkkeitä ei voida pitää ”tyydyttävinä menetelminä” näiden sairaudentilojen tai potilasryhmien osalta.

67 Kun nimittäin otetaan huomioon se, että tietyt sairaudentilat ovat niin harvinaisia, ettei lääketeollisuus ole halukas kehittämään lääkettä niiden diagnosoimiseen, ehkäisemiseen tai hoitamiseen tavanomaisessa markkinatilanteessa (asetuksen N:o 141/2000 johdanto-osan ensimmäinen perustelukappale), ja että asetuksen N:o 141/2000 tavoitteena on nimenomaan ottaa käyttöön kannustimia, joilla pyritään edistämään tällaisten sairaudentilojen hoitoon tarkoitettujen lääkkeiden tutkimista, kehittämistä ja markkinoille saattamista, mahdollisen lääkkeen jättäminen asetuksessa N:o 141/2000 tarkoitettujen etujen ulkopuolelle siitä syystä, että on olemassa ”tyydyttäviä menettelyjä” ainoastaan osalle sen kohteena olevista harvinaissairauksista, on tavoitellun päämäärän vastaista.

68 Lisäksi on korostettava, että asetuksen N:o 141/2000 7 artiklan 3 kohdassa sallitaan se, että nimenomaan harvinaislääkkeen myyntiluvan myöntämisvaiheessa otetaan huomioon olettamat muiden lääkkeiden myyntilupien osittaisesta päällekkäisyydestä, kun siinä säädetään, että ”harvinaislääkkeelle myönnetty myyntilupa on voimassa ainoastaan 3 artiklassa säädetyt edellytykset täyttävien terapeuttisten käyttöaiheiden osalta” ja että ”tässä säännöksessä ei suljeta pois mahdollisuutta hakea erillistä myyntilupaa tämän asetuksen soveltamisalan ulkopuolelle jäävien muiden käyttöaiheiden osalta”. Siltä osin kuin lääkkeen tietyt terapeuttiset käyttöaiheet täyttävät asetuksen N:o 141/2000 3 artiklassa säädetyt määrittelykriteerit, tämä lääke voidaan

lähtökohtaisesti määritellä harvinaislääkkeeksi näitä käyttöaiheita varten, kun taas käyttöaiheille joiden osalta se ei täytä tämän asetuksen 3 artiklassa säädettyjä kriteereitä, voidaan myöntää erillinen myyntilupa asetuksen N:o 141/2000 soveltamisalan ulkopuolella.

69 Edellä esitetyn valossa on siis tutkittava, kattavatko nyt käsiteltävässä asiassa melfalaani- ja syklofosfamidipohjaisten lääkkeiden ominaisuuksien yhteenvedot myös trecondi-treosulfaanin kohteena olevan harvinaissairauden hoidon ja potilasryhmät.

70 Tältä osin on todettava, että riidanalaisen päätöksen liitteenä olevan trecondi-treosulfaanin ominaisuuksien yhteenvedon 4.1 kohdan mukaan ”treosulfaani yhdistettynä fludarabiiniin mainitaan osana allogeenisen kantasolusiirron esihoitoa aikuispotilailla, joilla on pahan- ja hyvänlaatuisia solumuutoksia, ja yli kuukauden ikäisillä lapsipotilailla, joilla on pahanlaatuisia solumuutoksia”.

71 Kantajan kannekirjelmän 6–9 kohdassa esittämien selvitysten mukaan, joita komissio ei ole kiistänyt, termillä ”kantasolusiirto” tarkoitetaan veren kantasolujen siirtämistä luovuttajalta vastaanottajalle, mikä tapahtuu potilaan hematopoieettista järjestelmää koskevien pahanlaatuisten hematologisten solumuutosten tapauksessa ja tiettyjen hyvänlaatuisten sairaudentilojen tapauksessa. Veren kantasoluja otetaan luovuttajalta kolmella tavalla eli veren kantasolujen ottaminen luuytimestä, perifeerisestä verestä tai istukan verestä. Ilmaisulla ”esihoito” tarkoitetaan siis veren kantasolujen esihoitoa. Kantasolusiirron esihoidon tarkoituksena on ensinnäkin potilaan immuunijärjestelmän tukahduttaminen, jotta varmistetaan allogeenista siirtoa seuraava hematopoieesin regeneraatiovaihe ja estettäisiin ensisijaisen siirron hylkiminen, toiseksi antileukeminen teho, jotta mahdollisimman paljon pahanlaatuisia soluja eliminoitaisiin, ja kolmanneksi myelosuppression indusointi (luuytimen depressio) ”tilan tekemiseksi” luovuttajan kantasoluille, jotka on tarkoitus siirtää. Lisäksi on erotettava toisistaan autologinen kantasolusiirto, jonka yhteydessä luovuttaja ja vastaanottaja ovat yksi ja sama henkilö, ja allogeeninen kantasolusiirto, jonka yhteydessä vastaanottaja saa soluja toiselta, terveeltä henkilöltä.

72 Tämän täsmennyksen jälkeen on todettava, että vertailtujen lääkkeiden ominaisuuksien yhteenvedoissa on ilmeisiä eroja, joista tiettyjä asianosaiset eivät ole kiistäneet.

73 Ensinnäkin trecondi-treosulfaanilla ja melfalaanipohjaisilla lääkkeillä hoidettavista sairauksista on nimittäin aluksi todettava, että trecondi-treosulfaanin ominaisuuksien yhteenvedon 4.1 kohdan sanamuodon mukaan tällä lääkkeellä on lupa kantasolusiirron esihoitoon ilman rajoituksia niiden sairauksien osalta, joita tällä hoidolla pyritään parantamaan. Sitä vastoin Saksassa luvan saaneen melfalaanipohjaisen lääkkeen ominaisuuksien yhteenvedossa, jonka kantaja on liittänyt asiakirja-aineistoon, todetaan, että kyseinen lääke koskee kantasolujen hoitoa ”siirrolla tai ilman” potilailla, jotka kärsivät vain tietyistä sairauksista, jotka on lueteltu tyhjentävästi valmisteen ominaisuuksien yhteenvedossa. Myös kyseisen lääkkeen ominaisuuksien yhteenveto, sellaisena kuin se on saanut luvan Ranskassa, sisältää tyhjentävän luettelon sairauksista ja siinä täsmennetään, että tietyn annoksen ylittyessä ”oman veren kantasolusiirto on välttämätöntä”.

74 Tästä seuraa, että melfalaanipohjaiset lääkkeet ovat sallittuja vain sellaisten potilaiden hoitamisessa, jotka kärsivät valmisteen ominaisuuksien yhteenvedossa tyhjentävästi luetelluista sairauksista, kun taas trecondi-treosulfaani on sallittu paitsi näistä sairauksista, esimerkiksi lapsen multippeli myeloomasta tai neuroblastoomasta, kärsiville potilaille, myös muista sairauksista, joita melfalaani-pohjaisten lääkkeiden ominaisuuksien yhteenveto ei kata, kärsiville potilaille. Komissio ei ole kiistänyt tätä lausuntoa. Ensimmäiseen prosessinjohtotoimeen

antamassaan vastauksessa komissio nimittäin vahvisti, että trecondi-treosulfaanin myyntilupa kattoi paitsi melfalaani- ja syklofosfamidipohjaisten lääkkeiden ominaisuuksien yhteenvedossa tarkoitetut sairaudet myös siinä mainitsemattomia sairauksia kuten myelodysplasia, joka kuuluu sairaudentiloihin, jotka ovat viitettä MC-FludT.14/L, johon kantaja perusti myyntilupahakemuksensa, koskevien kliinisten kokeiden kohteena.

75 Toiseksi komissio ei myöskään kiistä sitä, että kyseiset lääkkeet eroavat toisistaan niiden kohdepopulaatioiden osalta. Kuten kantaja väittää, trecondi-treosulfaania käytetään sen ominaisuuksien yhteenvedon mukaan allogeenisen kantasolusiirron esihoitoon yli kuukauden ikäisillä lapsipotilailla, joilla on pahanlaatuisia solumuutoksia. Melfalaanipohjaisten lääkkeiden ominaisuuksien yhteenvedossa sitä vastoin ilmoitetaan lasten osalta vain yksi sairaus eli neuroblastomia.

76 Tässä yhteydessä on korostettava, että unionin lainsäätäjä antaa erityisen merkityksen lastenlääkkeiden saatavuudelle unionissa. Tätä varten se antoi lastenlääkkeistä sekä asetuksen (ETY) N:o 1768/92, direktiivien 2001/20/EY ja 2001/83 sekä asetuksen N:o 726/2004 muuttamisesta 12.12.2006 annetun Euroopan parlamentin ja neuvoston asetuksen (EY) N:o 1901/2006 (EUVL 2006, L 378, s. 1), jonka tavoitteena on, kuten sen johdanto-osan neljännessä perustelukappaleessa todetaan, ensinnäkin helpottaa lapsille tarkoitettujen lääkkeiden kehittämistä ja saatavuutta, toiseksi varmistaa, että lasten hoitamiseen tarkoitettuja lääkkeitä koskeva eettinen tutkimustoiminta on korkealaatuista ja että ne hyväksytään asianmukaisesti käytettäväksi lasten hoitoon, sekä kolmanneksi parantaa käytettävissä olevia tietoja lääkkeiden käytöstä lapsiväestön eri ryhmissä. Näiden tavoitteiden toteuttamiseksi asetuksessa N:o 1901/2006 säädetään järjestelmästä, jonka tarkoituksena on velvoittaa lääkeyritykset tarkastelemaan järjestelmällisesti mahdollisuutta käyttää niiden kehittämiä lääkkeitä lasten hoitoon (tuomio 14.12.2011, Nycomed Danmark v. EMA, T-52/09, EU:T:2011:738, 43 kohta). Tästä seuraa, että vertailtujen lääkkeiden ominaisuuksien yhteenvetoihin sisältyvillä lapsipopulaatioita koskevilla tiedoilla on erityinen merkitys myös arvioitaessa sitä, onko kyse asetuksen N:o 141/2000 3 artiklan 1 kohdan b alakohdassa tarkoitetusta ”tyydyttävästä menetelmästä”.

77 Toiseksi trecondi-treosulfaanin ja syklofosfamidipohjaisten lääkkeiden vertailusta on todettava ensinnäkin, että näiden lääkkeiden ominaisuuksien yhteenvetojen, sellaisina kuin ne ovat saaneet luvan Saksassa ja jotka kantaja on liittänyt asiakirja-aineistoon, mukaan ne on tarkoitettu tiettyjen sairaudentilojen kemoterapiahoidon lisäksi ”luuydinsiirron esihoitoon”, kun on kyse tietyistä tyhjentävästi luetelluista sairauksista (vakava aplastinen anemia; akuutti myelooinen leukemia ja akuutti lymfoidinen leukemia; krooninen myelooinen leukemia), kun taas trecondi-treosulfaanin ominaisuuksien yhteenvedossa mainitaan kantasolusiirron esihoito kaiken tyyppisissä aikuisten pahanlaatuisissa ja hyvänlaatuisissa solumuutoksissa. Näin ollen esimerkiksi syklofosfamidipohjaisten lääkkeiden ominaisuuksien yhteenvedot eivät koske myelodisplastista oireyhtymää tai aikuisten hyvänlaatuisia solumuutoksia toisin kuin trecondi-treosulfaani. Komissio ei kiistä näitä eroja.

78 Toiseksi komissio ei kiistä myöskään sitä, että kyseiset lääkkeet eroavat toisistaan niiden kohdepopulaatioiden osalta. Kun nimittäin syklofosfamidipohjaisten lääkkeiden ominaisuuksien yhteenvedoissa mainitaan ainoastaan lapsen rabdomyosarkooman hoito, trecondi-treosulfaanin ominaisuuksien yhteenvedossa mainitaan kaikki yli kuukauden ikäisen lapsen pahanlaatuiset solumuutokset.

79 Edellä 69–78 kohdasta ilmenee, että trecondi-treosulfaanin ominaisuuksien yhteenveto kattaa solumuutoksia ja populaatioita, joita melfalaani- ja syklofosfamidipohjaisten lääkkeiden ominaisuuksien yhteenvedot eivät kata.

80 Tästä seuraa, että näiden solumuutosten ja populaatioiden osalta melfalaani- ja syklofosfamidipohjaisia lääkkeitä ei voida pitää asetuksen N:o 141/2000 3 artiklan 1 kohdan b alakohdan ensimmäisessä vaihtoehdossa tarkoitettuina tyydyttävinä menetelminä.

81 On totta, kuten komissio korostaa, että vertailtujen lääkkeiden kohteena olevat sairaudentilat ja populaatiot ovat osittain päällekkäisiä. On kuitenkin niin, että trecondi-treosulfaani on tarkoitettu allogeenisen kantasolusiirron esihoitoa varten tiettyjen solumuutosten ja potilasryhmien osalta, joiden hoitoon melfalaani- ja syklofosfamidipohjaisia lääkkeitä ei käytetä. Näillä lääkkeillä ei ole lupaa kyseisten solumuutosten ja potilaiden hoitoon, joten niitä ei voida edellä 69–78 kohdassa esitetyn mukaisesti pitää ”tyydyttävinä menetelminä”.

[– –]

90 Kaiken edellä esitetyn perusteella ensimmäinen ja toinen kanneperuste on hyväksyttävä ja riidanalaisen päätöksen 5 artikla on kumottava ilman, että on tarpeen tutkia neljättä ja viidettä kanneperustetta tai kantajan 18.8.2020 toissijaisesti esittämän mahdollisen uuden perusteen, mukaan lukien tuona päivänä esitetyt uudet todisteet (ks. edellä 22 kohta), tutkittavaksi ottamista tai perusteltavuutta.

[– –]

Näillä perusteilla

UNIONIN YLEINEN TUOMIOISTUIN (kymmenes jaosto)

on ratkaissut asian seuraavasti:

1) Ihmisille tarkoitetun lääkkeen trecondi-treosulfaani myyntiluvasta 20.6.2019 annetun komission täytäntöönpanopäätöksen C(2019) 4858 (final) 5 artikla kumotaan.

2) Komissio velvoitetaan korvaamaan oikeudenkäyntikulut, välitoimimenettelystä aiheutuneet kulut mukaan lukien.

Kornezov Passer Hesse

Julistettiin Luxemburgissa 23 päivänä syyskuuta 2020.

Allekirjoitukset