Zbiór Orzeczeń

WYROK SĄDU (dziesiąta izba)

z dnia 23 września 2020 r.*

Produkty lecznicze stosowane u ludzi – Sieroce produkty lecznicze – Wniosek o pozwolenie na dopuszczenie do obrotu produktu leczniczego Trecondi – treosulfan – Decyzja Komisji o wykreśleniu produktu leczniczego z rejestru sierocych produktów leczniczych – Artykuł 3 ust. 1 lit. b) rozporządzenia (WE) nr 141/2000 – Pojęcie „zadowalającej metody" – Artykuł 5 ust. 12 lit. b) rozporządzenia nr 141/2000 – Naruszenie prawa

W sprawie T-549/19

Medac Gesellschaft für klinische Spezialpräparate mbH, z siedzibą w Wedel (Niemcy), reprezentowana przez adwokata P. von Czettritza,

strona skarżąca,

przeciwko

Komisji Europejskiej, którą reprezentują B.-R. Killmann oraz A. Sipos, w charakterze pełnomocników,

strona pozwana,

mającej za przedmiot oparte na art. 263 TFUE żądanie stwierdzenia częściowej nieważności decyzji wykonawczej Komisji C(2019) 4858 final z dnia 20 czerwca 2019 r. przyznającej pozwolenie na dopuszczenie do obrotu produktu leczniczego stosowanego u ludzi Trecondi - treosulfan,

SĄD (dziesiąta izba),

w składzie: A. Kornezov (sprawozdawca), prezes, J. Passer i G. Hesse, sędziowie,

sekretarz: E. Coulon,

wydaje następujący

Wyrok [1]

Okoliczności powstania sporu

1 Decyzją Komisji Wspólnot Europejskich z dnia 23 lutego 2004 r. potencjalny produkt leczniczy na bazie treosulfanu, którego sponsorem jest skarżąca – Medac Gesellschaft für klinische Spezialpräparate mbH, został oznaczony jako sierocy produkt leczniczy i wpisany do rejestru sierocych produktów

* Język postępowania: niemiecki.

1 Poniżej zostały odtworzone jedynie te punkty wyroku, których publikację Sąd uznał za wskazaną.

leczniczych Unii Europejskiej zgodnie z rozporządzeniem (WE) nr 141/2000 Parlamentu Europejskiego i Rady z dnia 16 grudnia 1999 r. w sprawie sierocych produktów leczniczych (Dz.U. 2000, L 18, s. 1) (zwaną dalej „decyzją o oznaczeniu z 2004 r.") dla następującego wskazania: „leczenie kondycjonujące allogeniczne przeszczepienie krwiotwórczych komórek macierzystych".

2 W dniu 13 października 2017 r. skarżąca przedstawiła Europejskiej Agencji Leków (EMA), a dokładniej Komitetowi ds. Sierocych Produktów Leczniczych, o którym mowa w art. 4 rozporządzenia nr 141/2000 (zwanemu dalej „COMP"), sprawozdanie w przedmiocie utrzymania oznaczenia treosulfanu jako sierocego produktu leczniczego w chwili wydania pozwolenia na dopuszczenie do obrotu.

[…]

4 W dniu 8 listopada 2018 r., w ramach postępowania wszczętego sprawozdaniem skarżącej z dnia 13 października 2017 r. w sprawie utrzymania oznaczenia treosulfanu jako sierocego produktu leczniczego na dzień udzielenia pozwolenia na dopuszczenie do obrotu, COMP przekazał skarżącej wstępną opinię dotyczącą utrzymania tego oznaczenia (zwaną dalej „wstępną opinią z dnia 8 listopada 2018 r."). W opinii tej COMP stwierdził, że kryterium częstotliwości, o którym mowa w art. 3 ust. 1 lit. a) rozporządzenia nr 141/2000, zostało spełnione – mianowicie że w chwili złożenia wniosku wspomniany produkt leczniczy był przeznaczony do leczenia stanów chorobowych zagrażających życiu lub powodujących chroniczny ubytek zdrowia, występującej u nie więcej niż pięciu na 10 tysięcy osób w Unii Europejskiej. Co się tyczy istnienia znaczącej korzyści w rozumieniu art. 3 ust. 1 lit. b) rozporządzenia nr 141/2000, komitet ten uznał, że skarżąca powinna była wykazać istnienie takiej korzyści w stosunku do produktów leczniczych takich jak busulfan (Busilvex) i tiotepa (Tepadina) oraz produktów leczniczych na bazie melfalanu i cyklofosfamidu dopuszczonych do obrotu na poziomie krajowym.

[…]

7 W dniu 19 grudnia 2018 r. COMP wydał opinię w przedmiocie utrzymania oznaczenia Trecondi - treosulfan jako sierocego produktu leczniczego w chwili wydania pozwolenia na dopuszczenie do obrotu, w której stwierdził, że skarżąca wykazała, iż Trecondi - treosulfan przynosił znaczącą korzyść w porównaniu z busulfanem (Busilvex) i tiotepą (Tepadina), ale nie w stosunku do produktów leczniczych na bazie melfalanu i cyklofosfamidu.

8 W dniu 19 marca 2019 r. skarżąca zwróciła się do COMP, na podstawie art. 5 ust. 7 rozporządzenia nr 141/2000, o ponowne rozpatrzenie jego opinii z dnia 19 grudnia 2018 r. W tym celu przedstawiła ona nowe analizy porównawcze Trecondi - treosulfanu z leczeniem na bazie melfalanu i cyklofosfamidu.

9 W dniu 8 maja 2019 r. COMP wydał opinię końcową w sprawie utrzymania oznaczenia Trecondi - treosulfan jako sierocego produktu leczniczego w chwili wydania pozwolenia na dopuszczenie do obrotu (zwaną dalej „końcową opinią COMP"), w której komitet ten potwierdził wnioski, do jakich doszedł w opinii z dnia 19 grudnia 2018 r. W szczególności uznał on, że analizy przedstawione przez skarżącą we wniosku z dnia 19 marca 2019 r. o ponowne rozpatrzenie sprawy nie były wystarczająco wiarygodne, i w konsekwencji komitet ten podtrzymał swoje stanowisko, zgodnie z którym skarżąca nie wykazała istnienia znaczącej korzyści wynikającej ze stosowania Trecondi - treosulfanu w porównaniu z produktami leczniczymi na bazie melfalanu i cyklofosfamidu. W związku z tym, zgodnie z końcową opinią COMP, przesłanki art. 3 ust. 1 lit. b) rozporządzenia nr 141/2000 nie zostały spełnione w chwili wydania pozwolenia na dopuszczenie do obrotu, w związku z czym komitet ten zalecił Komisji, aby w chwili wydania pozwolenia na dopuszczenie do obrotu nie utrzymywała w stosunku do Trecondi - treosulfanu oznaczenia sierocego produktu leczniczego.

10 W dniu 20 czerwca 2019 r. Komisja przyjęła decyzję C(2019) 4858 final przyznającą na podstawie rozporządzenia nr 726/2004 pozwolenie na dopuszczenie do obrotu produktu leczniczego stosowanego u ludzi o nazwie Trecondi - treosulfan (zwaną dalej „zaskarżoną decyzją"). Artykuł 1 tej decyzji stanowi, że „[p]rzyznaje się pozwolenie na dopuszczenie do obrotu, o którym mowa w art. 3 rozporządzenia […] nr 726/2004, dla produktu leczniczego typu »Trecondi - treosulfan«, którego charakterystyka znajduje się w załączniku I do [tej] decyzji", oraz że ten produkt leczniczy „wprowadza się do unijnego rejestru produktów leczniczych pod numerem EU/1/18/1351".

11 Jednakże opierając się na końcowej opinii COMP, Komisja uznała, że Trecondi - treosulfan nie spełnia już kryteriów oznaczenia określonych w art. 3 rozporządzenia nr 141/2000 i że w związku z tym nie może być oznaczony jako sierocy produkt leczniczy (motyw 4 zaskarżonej decyzji). W konsekwencji art. 5 zaskarżonej decyzji stanowi, że „produktu leczniczego »Trecondi - treosulfan« nie klasyfikuje się jako sierocego produktu leczniczego" i że „[n]ależy odpowiednio uaktualnić rejestr sierocych produktów leczniczych [Unii]".

Postępowanie i żądania stron

12 Pismem złożonym w sekretariacie Sądu w dniu 8 sierpnia 2019 r. skarżąca wniosła skargę w niniejszej sprawie.

13 W tym samym dniu skarżąca złożyła wniosek o zastosowanie środków tymczasowych, który został odrzucony postanowieniem z dnia 26 września 2019 r., Medac Gesellschaft für klinische Spezialpräparate/Komisja (T-549/19 R, niepublikowanym, EU:T:2019:695), utrzymanym w mocy postanowieniem z dnia 26 lutego 2020 r., Medac Gesellschaft für klinische Spezialpräparate/Komisja [C-832/19 P(R), niepublikowanym, EU:C:2020:112].

14 W dniu 18 października 2019 r. Komisja przedłożyła odpowiedź na skargę.

15 W dniu 23 kwietnia 2020 r. Sąd wezwał strony, w ramach środków organizacji postępowania przewidzianych w art. 89 regulaminu postępowania przed Sądem, do udzielenia odpowiedzi na pewne pytania (zwane dalej „pierwszym środkiem organizacji postępowania").

16 W dniu 12 maja 2020 r. skarżąca poinformowała Sąd, że nie chce już zostać wysłuchana na rozprawie, i zwróciła się do Sądu o umożliwienie jej przedstawienia uwag na piśmie.

17 W dniu 8 czerwca 2020 r. strony złożyły odpowiedzi na pytania zadane w ramach pierwszego środka organizacji postępowania (zwane dalej „odpowiedziami na pierwszy środek organizacji postępowania").

18 W dniu 18 czerwca 2020 r. Sąd wezwał strony, w ramach środków organizacji postępowania przewidzianych w art. 89 regulaminu postępowania, do przedstawienia uwag, w tym w odniesieniu do odpowiedzi na pierwszy środek organizacji postępowania. Skarżąca zastosowała się do tego wezwania w dniu 2 lipca 2020 r., a Komisja – w dniu 15 lipca 2020 r.

19 Skarżąca wnosi do Sądu o:

– stwierdzenie nieważności art. 5 zaskarżonej decyzji;

– obciążenie Komisji kosztami postępowania.

20 Komisja wnosi do Sądu o:

– oddalenie skargi jako bezzasadnej;

– obciążenie skarżącej kosztami postępowania.

21 Uwzględniając, że w terminie trzech tygodni od dnia powiadomienia stron o zakończeniu pisemnego etapu postępowania nie wpłynął żaden wniosek o przeprowadzenie rozprawy, 17 lipca 2020 r. Sąd, uznając, że akta sprawy wystarczająco wyjaśniają okoliczności zawisłego przed nim sporu, postanowił na podstawie art. 106 § 3 regulaminu postępowania wydać rozstrzygnięcie w przedmiocie skargi z pominięciem ustnego etapu postępowania.

22 Pismem złożonym w sekretariacie Sądu w dniu 18 sierpnia 2020 r. skarżąca przedłożyła – na podstawie art. 85 regulaminu postępowania – nowe wnioski dowodowe na poparcie trzeciego i piątego zarzutu skargi oraz – na podstawie art. 84 regulaminu postępowania – nowy zarzut, tytułem żądania ewentualnego. Zwróciła się ona również o ponowne otwarcie części ustnej postępowania na podstawie art. 113 § 2 regulaminu postępowania. Sąd postanowił nie otwierać ponownie ustnej części postępowania, jako że żadna z przesłanek z art. 113 ust. 2 regulaminu postępowania nie została spełniona. W szczególności nowe dowody i nowe argumenty przedstawione przez skarżącą nie mogą mieć decydującego wpływu na rozstrzygnięcie Sądu z powodów przedstawionych poniżej.

Co do prawa

23 Na poparcie skargi skarżąca podnosi pięć zarzutów, dotyczących, po pierwsze, oczywistego naruszenia prawa przy interpretacji pojęcia „zadowalającej metody" w rozumieniu art. 3 ust. 1 lit. b) rozporządzenia nr 141/2000, po drugie, nadużycia władzy i nieuwzględnienia opinii Komisji z dnia 18 listopada 2016 r. dotyczącej stosowania art. 3, 5 i 7 rozporządzenia nr 141/2000 (Dz.U. 2016, C 424, s. 3, zwanej dalej „opinią Komisji z 2016 r."), po trzecie, naruszenia zasad równego traktowania i ochrony uzasadnionych oczekiwań, ponieważ Komisja oparła się na szerszej niż pierwotnie przyjęta definicji sierocego stanu chorobowego, który ma być leczony produktem leczniczym Trecondi - treosulfan, po czwarte, oczywistego nadużycia władzy wynikającego z braku przyjęcia i odrzucenia przedstawionych przez nią danych porównawczych, a po piąte, nadużycia władzy wynikającego z naruszenia zasady równego traktowania poprzez odrzucenie pośrednich danych porównawczych.

[…]

W przedmiocie zarzutów pierwszego i drugiego

[…]

Co do istoty

49 Artykuł 3 ust. 1 lit. b) rozporządzenia nr 141/2000 przewiduje alternatywne kryteria dla oznaczenia produktu leczniczego jako sierocego produktu leczniczego, mianowicie że nie istnieje zadowalająca metoda diagnozowania, zapobiegania lub leczenia tego stanu chorobowego dopuszczona w Unii (pierwsza przesłanka) lub, jeśli metoda taka istnieje, że dany produkt leczniczy przyniesie, w porównaniu z istniejącymi zadowalającymi metodami, znaczące korzyści pacjentom cierpiącym na ten stan chorobowy (druga przesłanka).

50 Pojęcie „stanu chorobowego", do którego odwołuje się art. 3 ust. 1 lit. b) rozporządzenia nr 141/2000, jest pojęciem zdefiniowanym w art. 3 ust. 1 lit. a) tego rozporządzenia jako stan zagrażający życiu lub powodujący chroniczny ubytek zdrowia, występujący u nie więcej niż pięciu na 10 tysięcy osób w Unii, w chwili gdy przedkładany jest wniosek.

51 W niniejszej sprawie, jak wskazano w pkt 9 powyżej, COMP stwierdził, że wnioskodawca wykazał, że Trecondi - treosulfan przyniósłby znaczące korzyści w stosunku do leków na bazie busulfanu (Busilvex) i tiotepy (Tepadina), ale nie w stosunku do leków na bazie melfalanu i cyklofosfamidu. W tym kontekście skarżąca uważa zasadniczo, że produkty lecznicze na bazie melfalanu i cyklofosfamidu nie stanowią – biorąc pod uwagę dotyczące ich charakterystyki produktu – „zadowalającej metody" leczenia stanu chorobowego, w którym miałby mieć zastosowanie Trecondi - treosulfan, i że w konsekwencji COMP niesłusznie odrzucił kryterium oznaczenia przewidziane w przesłance pierwszej z art. 3 ust. 1 lit. b) rozporządzenia nr 141/2000.

52 W tym względzie należy podkreślić, że aby produkt leczniczy mógł zostać uznany za „zadowalającą metodę" w rozumieniu art. 3 ust. 1 lit. b) rozporządzenia nr 141/2000, musi on być „dopuszczony" do obrotu w Unii lub w państwie członkowskim Unii w odniesieniu do tego samego „stanu chorobowego" co produkt leczniczy, dla którego wniesiono o pozwolenie na dopuszczenie do obrotu jako sierocego produktu leczniczego.

53 Zgodnie bowiem z art. 2 ust. 3 akapit drugi lit. a) rozporządzenia nr 847/2000 „[zadowalające metody mogą] zawierać dopuszczone produkty lecznicze, wyroby medyczne lub inne metody diagnozowania, zapobiegania lub leczenia, które stosuje się w [Unii]", przy czym metoda taka powinna ponadto dotyczyć „danego stanu chorobowego" lub „tego stanu chorobowego".

54 W celu ustalenia zakresu stosowania pozwolenia na dopuszczenie do obrotu produktu leczniczego w Unii należy przede wszystkim przypomnieć, że zgodnie z art. 6 ust. 1 akapit pierwszy dyrektywy Parlamentu Europejskiego i Rady 2001/83/WE z dnia 6 listopada 2001 r. w sprawie wspólnotowego kodeksu odnoszącego się do produktów leczniczych stosowanych u ludzi (Dz.U. 2001, L 311, s. 67) „[ż]aden produkt leczniczy nie może być wprowadzony do obrotu w państwie członkowskim bez pozwolenia na wprowadzenie do obrotu wydanego przez właściwe organy tego państwa członkowskiego zgodnie z niniejszą dyrektywą lub pozwolenia udzielonego zgodnie z rozporządzeniem [nr 726/2004]". Artykuł 6 ust. 1 akapit drugi tej dyrektywy przewiduje – w przypadku gdy w odniesieniu do produktu leczniczego zostało wydane pierwsze pozwolenie na dopuszczenie do obrotu zgodnie z akapitem pierwszym – co następuje:

„[…] wszelkim dodatkowym mocom produktu leczniczego, postaciom farmaceutycznym, drogom podawania, prezentacjom, jak również wszelkim zmianom oraz przedłużeniom linii produktu przyznaje się pozwolenia zgodnie z akapitem pierwszym albo włącza się do pierwotnego pozwolenia na dopuszczenie do obrotu. Wszelkie takie pozwolenia na dopuszczenie do obrotu uznaje się za należące do tego samego ogólnego pozwolenia na dopuszczenie do obrotu, w szczególności do celów stosowania art. 10 ust. 1".

55 Następnie, w celu uzyskania pozwolenia na dopuszczenie do obrotu na szczeblu krajowym, należy złożyć wniosek do właściwego organu państwa członkowskiego. Wniosek ten zawiera, zgodnie z art. 8 ust. 3 lit. j) dyrektywy 2001/83, charakterystykę produktu leczniczego. Zgodnie z art. 11 tej dyrektywy charakterystyka produktu leczniczego zawiera szereg informacji na temat danego produktu leczniczego w kolejności określonej w tym przepisie, takich jak wskazania terapeutyczne (pkt 4.1), dawkowanie i sposób podawania dorosłym oraz, w miarę potrzeb, dzieciom (pkt 4.2), a także „dat[ę] przeglądu tekstu" charakterystyki produktu leczniczego (pkt 10). Zgodnie z art. 21 ust. 1 dyrektywy 2001/83 z chwilą wydania pozwolenia właściwy organ danego państwa informuje posiadacza takiego pozwolenia, że streszczenie cech charakterystycznych produktu leczniczego zostało zatwierdzone.

56 Wreszcie po wydaniu pozwolenia na dopuszczenie do obrotu art. 23 ust. 3 dyrektywy 2001/83 wymaga od posiadacza pozwolenia zapewnienia, by informacje o produkcie były na bieżąco dostosowywane do aktualnego stanu wiedzy naukowej, w tym do wniosków z przeprowadzonych ocen oraz do zaleceń podanych do wiadomości publicznej za pośrednictwem europejskiej strony internetowej na temat leków, utworzonej zgodnie z art. 26 rozporządzenia nr 726/2004.

57 Zakres pozwolenia na dopuszczenie do obrotu istniejącego produktu leczniczego został zatem określony w decyzji przyznającej pozwolenie na dopuszczenie do obrotu, której częścią jest charakterystyka danego produktu leczniczego, jak i w ewentualnych aktualizacjach dokonywanych w chwili złożenia wniosku o pozwolenie na dopuszczenie do obrotu dla sierocego produktu leczniczego.

58 Wynika z tego, po pierwsze, że stosowanie produktu leczniczego wykraczające poza jego charakterystykę nie może w świetle powyższego zostać uznane za „dopuszczone" i że w konsekwencji produkt leczniczy stosowany w sposób wykraczający poza jego charakterystykę nie może stanowić „zadowalającej metody […] dopuszczonej [w Unii]" w rozumieniu art. 3 ust. 1 lit. b) rozporządzenia nr 141/2000.

59 Wniosek ten znajduje potwierdzenie w zawiadomieniu Komisji z 2016 r., którego pkt B.4, zatytułowany „Zadowalająca metoda dopuszczona w Unii", przewiduje w akapitach trzecim i czwartym, co następuje:

„[…] Uwzględniane w tym kontekście produkty lecznicze powinny jednak być dopuszczone do celów leczenia tej samej choroby lub przynajmniej leczyć ten sam zestaw objawów.

Wszelkie odniesienie do produktu leczniczego dopuszczonego do obrotu należy ograniczyć do warunków danego pozwolenia na dopuszczenie do obrotu. W związku z tym produktu, który jest podawany lub stosowany w sposób wykraczający poza zatwierdzoną charakterystykę produktu leczniczego (»stosowanie leku poza wskazaniami rejestracyjnymi«), nie można uznać za zadowalającą metodę do celów art. 3 ust. 1 lit. b)".

60 Wniosek ten nie został zresztą zakwestionowany przez strony. W szczególności Komisja przyznaje w odpowiedzi na skargę, że stosowanie produktu leczniczego wykraczające poza jego charakterystykę nie może być uznane za zadowalającą metodę.

61 Po drugie, w celu sprawdzenia, czy istniejąca metoda dotyczy tego samego „stanu chorobowego" co ten, do którego odnosi się sierocy produkt leczniczy będący przedmiotem wniosku, należy wziąć pod uwagę wszystkie istotne okoliczności dotyczące dopuszczalnego zastosowania istniejącej metody, a w szczególności jej wskazania terapeutycznego i populacji, dla której lek się zaleca, zgodnie z ich definicją zawartą w charakterystyce produktu leczniczego.

62 W tym względzie należy podkreślić, że charakterystyka produktu leczniczego może być przedmiotem wyłącznie ścisłej interpretacji. Przed przyznaniem pozwolenia na dopuszczenie do obrotu, w tym w ramach zmiany lub rozszerzenia istniejącego pozwolenia na dopuszczenie do obrotu, właściwe władze powinny bowiem na podstawie dokumentów i informacji dostarczonych przez sponsora upewnić się, że korzyść w postaci produktu leczniczego związana ze skutecznością przeważa nad potencjalnymi zagrożeniami (zob. motyw 7 i art. 26 dyrektywy 2001/83). Podobnie, zgodnie z motywem 14 rozporządzenia nr 726/2004, „[według] kryteriów jakości, bezpieczeństwa i skuteczności zawartych w dyrektywach 2001/83/WE i 2001/82/WE […] powinna być możliwa ocena bilansu ryzyko–korzyść w odniesieniu do wszystkich produktów leczniczych, wtedy gdy są wprowadzane do obrotu, w trakcie odnawiania dopuszczenia lub w innym terminie, jaki właściwe władze uznają za odpowiedni".

63 W tym celu, jak przypomniano w pkt 54 powyżej, art. 6 ust. 1 akapit drugi dyrektywy 2001/83 przewiduje, że każda zmiana i rozszerzenie istniejącego pozwolenia na dopuszczenie do obrotu muszą również uzyskać pozwolenie zgodnie z akapitem pierwszym tego przepisu lub zostać włączone do pierwotnego pozwolenia na dopuszczenie do obrotu, podczas gdy art. 23 ust. 3 dyrektywy 2001/83 zobowiązuje posiadacza produktu leczniczego, który uzyskał już pozwolenie, do aktualizacji informacji o tym produkcie zgodnie z aktualną wiedzą naukową.

64 Wynika z tego, że każda zmiana charakterystyki produktu leczniczego, która nie jest formalnością, powinna być przedmiotem dodatkowego badania stosunku korzyści do ryzyka oraz jakości, bezpieczeństwa i skuteczności produktu leczniczego w odniesieniu do nowego wskazania, któremu towarzyszą ewentualnie testy kliniczne.

65 W związku z tym pozwolenie na dopuszczenie do obrotu produktu leczniczego nie obejmuje diagnozowania, zapobiegania lub leczenia stanów chorobowych lub kategorii pacjentów, które nie są wymienione w jego charakterystyce.

66 Po trzecie, należy podkreślić, że w przypadku gdy produkt leczniczy będący przedmiotem wniosku o pozwolenie na dopuszczenie do obrotu jako sierocym produktem leczniczym przeznaczonym do diagnozowania, zapobiegania lub leczenia stanów chorobowych lub kategorii pacjentów, dla których, choćby tylko w części, referencyjne produkty lecznicze nie są dopuszczone, według ich odpowiednich charakterystyk, tych ostatnich produktów leczniczych nie można uznać za „zadowalające metody" dla tych stanów chorobowych lub kategorii pacjentów.

67 Biorąc bowiem pod uwagę fakt, że pewne stany chorobowe są tak rzadkie, iż przemysł farmaceutyczny jest mało skłonny do opracowywania produktów leczniczych przeznaczonych do diagnozowania, zapobiegania im lub leczenia w normalnych warunkach rynkowych (motyw 1 rozporządzenia nr 141/2000), a celem rozporządzenia nr 141/2000, wyrażonym w jego art. 1, jest właśnie wprowadzenie zachęt mających na celu wspieranie badań, rozwoju i wprowadzania do obrotu produktów leczniczych stosowanych w leczeniu takich stanów chorobowych, okoliczność wykluczenia potencjalnego produktu leczniczego z korzyści przewidzianych przez rozporządzenie nr 141/2000 z uwagi na to, że stanowi on „zadowalającą metodę" wyłącznie względem części wskazanych stanów chorobowych, stanowiłaby zaprzeczenie zamierzonego celu.

68 Ponadto należy podkreślić, że art. 7 ust. 3 rozporządzenia nr 141/2000 pozwala, właśnie na etapie udzielania pozwolenia na dopuszczenie do obrotu sierocego produktu leczniczego, uwzględnić możliwość częściowego pokrywania się z pozwoleniami na dopuszczenie do obrotu innych produktów leczniczych, przewidując, że „[p]ozwolenie na dopuszczenie do obrotu wydane dla sierocego produktu leczniczego obejmuje jedynie te wskazania terapeutyczne, które będą spełniać kryteria określone w art. 3" oraz że „[t]o nie narusza możliwości oddzielnego wnioskowania o pozwolenie na dopuszczenie do obrotu dla innych wskazań, pozostających poza zakresem niniejszego rozporządzenia". Zatem w zakresie, w jakim niektóre wskazania terapeutyczne produktu leczniczego spełniają kryteria oznaczenia wymienione w art. 3 rozporządzenia nr 141/2000, ów produkt leczniczy co do zasady kwalifikuje się do oznaczenia jako sierocy produkt leczniczy dla tych wskazań, podczas gdy w odniesieniu do wskazań, dla których nie spełnia on kryteriów określonych w art. 3 tego rozporządzenia, odrębne pozwolenie na dopuszczenie do obrotu może zostać udzielone poza zakresem stosowania rozporządzenia nr 141/2000.

69 W świetle powyższych rozważań należy zatem zbadać, czy w niniejszej sprawie w leczeniu stanu chorobowego i kategorii pacjentów, dla których zaleca się Trecondi – treosulfan, stosuje się również produkty lecznicze na bazie melfalanu i cyklofosfamidu, zgodnie z ich charakterystykami.

70 W tym względzie należy zauważyć, że zgodnie z pkt 4.1 charakterystyki produktu leczniczego załączonego do zaskarżonej decyzji, Trecondi - treosulfan „[t]reosulfan w połączeniu z fludarabiną jest wskazany w ramach schematu kondycjonowania do allogenicznego przeszczepienia krwiotwórczych komórek macierzystych [KKM] u dorosłych pacjentów z chorobami złośliwymi i łagodnymi oraz u dzieci w wieku powyżej jednego miesiąca z chorobami złośliwymi".

71 Zgodnie z wyjaśnieniami przedstawionymi przez skarżącą w pkt 6–9 skargi, których Komisja nie zakwestionowała, określenie „przeszczep krwiotwórczych komórek macierzystych" oznacza transfer komórek macierzystych krwi od dawcy do biorcy, który odbywa się w przypadku złośliwych chorób hematologicznych oddziałujących na układ krwiotwórczy pacjenta, jak również w przypadku

niektórych łagodnych stanów chorobowych. Jeśli chodzi o pozyskiwanie komórek macierzystych krwi od dawcy, istnieją trzy metody, a mianowicie pobranie komórek macierzystych krwi ze szpiku kostnego, z krwi obwodowej lub z krwi łożyska. Określenie „leczenie kondycjonujące" oznacza zatem przetwarzanie komórek macierzystych krwi poprzedzające przeszczep. Celem poprzedzającego przeszczep kondycjonowania krwiotwórczych komórek macierzystych jest, po pierwsze, immunosupresja u pacjenta, aby zapewnić fazę regeneracji hematopoezy po przeszczepie allogenicznym, w celu zapobieżenia odrzucenia przeszczepu pierwotnego, po drugie, skuteczność antyleukemiczna, w celu wyeliminowania jak największej liczby komórek nowotworowych, a po trzecie, indukcja mielosupresji (obniżenia liczby komórek szpiku kostnego), aby „zrobić miejsce" dla krwiotwórczych komórek macierzystych przeszczepianych od dawcy. Ponadto należy dokonać rozróżnienia między autogenicznym przeszczepieniem krwiotwórczych komórek macierzystych, w którym dawca i biorca to jedna i ta sama osoba, a allogenicznym przeszczepieniem komórek macierzystych, w którym biorca otrzymuje komórki od innej, zdrowej osoby.

72 Wyjaśniwszy powyższe, należy zauważyć, że charakterystyki produktu leczniczego porównywanych produktów leczniczych ukazują oczywiste różnice, z których niektóre nie są kwestionowane przez strony.

73 W pierwszej kolejności, w odniesieniu do stanów chorobowych leczonych odpowiednio przez Trecondi - treosulfan i przez produkty lecznicze na bazie melfalanu należy zauważyć, po pierwsze, że zgodnie z pkt 4.1 charakterystyki produktu leczniczego Trecondi - treosulfan jest dopuszczony w leczeniu stanów chorobowych wymagających przeszczepienia krwiotwórczych komórek macierzystych bez ograniczeń w odniesieniu do chorób, którym leczenie to ma zaradzić. Natomiast zgodnie z charakterystyką dopuszczonego do obrotu w Niemczech produktu leczniczego na bazie melfalanu, które zostało dołączone do akt sprawy przez skarżącą, jest on przeznaczony do leczenia „z przeszczepieniem lub bez przeszczepienia" krwiotwórczych komórek macierzystych u pacjentów, u których zdiagnozowano jedynie niektóre stany chorobowe, wyliczone w sposób wyczerpujący w charakterystyce produktu. Podobnie charakterystyka produktu leczniczego dla tego produktu dopuszczonego do obrotu we Francji zawiera wyczerpujący wykaz stanów chorobowych i precyzuje, że powyżej pewnej dawki niezbędne jest „autogeniczne przeszczepienie krwiotwórczych komórek macierzystych".

74 Wynika z tego, że o ile produkty lecznicze na bazie melfalanu są dopuszczone jedynie w leczeniu pacjentów, u których wystąpiły ściśle określone choroby wymienione w charakterystyce produktu leczniczego, o tyle Trecondi - treosulfan jest dopuszczony w leczeniu pacjentów, u których wystąpiły nie tylko te schorzenia, jak szpiczak mnogi czy neuroblastoma u dzieci, ale również u pacjentów, u których wystąpiły inne schorzenia, niewchodzące w zakres charakterystyki produktu leczniczego na bazie melfalanu. Komisja nie podważa tego twierdzenia. W swojej odpowiedzi na pierwszy środek organizacji postępowania Komisja potwierdziła bowiem, że pozwolenie na dopuszczenie do obrotu Trecondi - treosulfanu obejmuje leczenie nie tylko schorzeń wskazanych w charakterystyce produktów leczniczych na bazie melfalanu i cyklofosfamidu, ale również chorób, które nie zostały tam wskazane, takich jak zespół mielodysplastyczny, które to schorzenie znajduje się ponadto wśród chorób będących przedmiotem badania klinicznego o numerze MC-FludT.14/L, na podstawie którego skarżąca złożyła wniosek o pozwolenie na dopuszczenie do obrotu.

75 Po drugie, Komisja nie kwestionuje również tego, że omawiane produkty lecznicze różnią się pod względem populacji, do których się odnoszą. I tak, jak podnosi skarżąca, Trecondi - treosulfan jest wskazany, zgodnie z jego charakterystyką, do kondycjonującej terapii allogenicznego przeszczepienia krwiotwórczych komórek macierzystych u dzieci w wieku powyżej jednego miesiąca życia, u których stwierdzono złośliwą postać choroby. Natomiast charakterystyki produktów leczniczych na bazie melfalanu zalecają ich stosowanie u dzieci wyłącznie w przypadkach neuroblastomy.

76 W tym względzie należy podkreślić, że prawodawca Unii przywiązuje szczególną wagę do dostępności w Unii produktów leczniczych stosowanych w pediatrii. W tym celu Rada przyjęła rozporządzenie (WE) nr 1901/2006 Parlamentu Europejskiego i Rady z dnia 12 grudnia 2006 r. w sprawie produktów leczniczych stosowanych w pediatrii, zmieniające rozporządzenie (EWG) nr 1768/92, dyrektywy 2001/20/WE i 2001/83 oraz rozporządzenie nr 726/2004 (Dz.U. 2006, L 378, s. 1), którego celem jest, jak wynika z jego motywu 4, przede wszystkim ułatwienie opracowywania i dostępności produktów leczniczych stosowanych w pediatrii, w drugiej kolejności zapewnienie, by produkty lecznicze stosowane w pediatrii były przedmiotem badań wysokiej jakości, zgodnych z zasadami dotyczącymi populacji dziecięcej, a po trzecie, poprawienie dostępnych informacji o stosowaniu produktów leczniczych u różnych populacji dziecięcych. Aby osiągnąć te cele, rozporządzenie nr 1901/2006 przewiduje mechanizm zobowiązujący przedsiębiorstwa farmaceutyczne do systematycznego rozważania możliwości stosowania opracowywanych przez nie produktów leczniczych w pediatrii (wyrok z dnia 14 grudnia 2011 r., Nycomed Danmark/EMA, T-52/09, EU:T:2011:738, pkt 43). Wynika z tego, że szczególne znaczenie mają informacje dotyczące populacji dziecięcej zawarte w charakterystykach produktu leczniczego porównywanych produktów leczniczych, w tym w ramach analizy istnienia „zadowalającej metody" w rozumieniu art. 3 ust. 1 lit. b) rozporządzenia nr 141/2000.

77 W drugiej kolejności, jeśli chodzi o porównanie między produktami leczniczymi na bazie Trecondi - treosulfanu i cyklofosfamidu, po pierwsze, należy zauważyć, że zgodnie z charakterystykami tych ostatnich produktów leczniczych, takich jak dopuszczone do obrotu w Niemczech, załączonymi do akt sprawy przez skarżącą, te ostatnie są wskazane, oprócz leczenia chemioterapeutycznego niektórych schorzeń, również do „kondycjonowania przed przeszczepem szpiku kostnego" w przypadku niektórych wymienionych w sposób wyczerpujący schorzeń (ciężka anemia aplastyczna, ostra białaczka szpikowa, ostra białaczka limfatyczna, przewlekła białaczka szpikowa), w przeciwieństwie zatem do charakterystyki Trecondi - treosulfanu, którego celem jest terapia kondycjonująca przed przeszczepem krwiotwórczych komórek macierzystych w przypadku wszystkich rodzajów schorzeń złośliwych i łagodnych u dorosłych. I tak, tytułem przykładu, charakterystyki produktów leczniczych na bazie cyklofosfamidu nie obejmują zespołu mielodysplastycznego i łagodnych postaci nowotworów u dorosłych, inaczej niż w przypadku Trecondi - treosulfanu. Komisja nie podważa tych różnic.

78 Po drugie, Komisja nie kwestionuje również tego, że omawiane produkty lecznicze różnią się pod względem populacji, do których się odnoszą. Podczas gdy w charakterystykach produktów leczniczych na bazie cyklofosfamidu jest mowa jedynie o leczeniu rhabdomyosarcomy u dziecka, o tyle charakterystyka produktu leczniczego dla Trecondi - treosulfanu obejmuje wszystkie formy nowotworów złośliwych u dzieci powyżej miesiąca życia.

79 Z pkt 69–78 powyżej wynika, że charakterystyka produktu leczniczego dla Trecondi - treosulfanu obejmuje schorzenia i populacje, które nie są wskazane w charakterystykach produktów leczniczych na bazie melfalanu i cyklofosfamidu.

80 Wynika z tego, że dla tych schorzeń i populacji produkty lecznicze na bazie melfalanu i cyklofosfamidu nie mogą być uznane za zadowalające metody w rozumieniu przesłanki pierwszej z art. 3 ust. 1 lit. b) rozporządzenia nr 141/2000.

81 Prawdą jest, jak podkreśla Komisja, że badane stany chorobowe i populacje, w których stosuje się porównywane produkty lecznicze, częściowo się pokrywają. Nie zmienia to jednak faktu, że Trecondi - treosulfan jest wskazany w terapii kondycjonującej poprzedzającej allogeniczne przeszczepienie krwiotwórczych komórek macierzystych w pewnych schorzeniach i u pewnych kategorii pacjentów, dla których nie są wskazane leki na bazie melfalanu i cyklofosfamidu. W odniesieniu do tych schorzeń i pacjentów owe produkty lecznicze nie są dopuszczone do obrotu, wobec czego nie można ich uznać za „zadowalające metody", zgodnie z rozważaniami zawartymi w pkt 69–78 powyżej.

[…]

90 W świetle wszystkich powyższych rozważań należy uwzględnić pierwszy i drugi zarzut skargi, bez konieczności badania zarzutów czwartego i piątego oraz dopuszczalności lub zasadności nowego zarzutu, podniesionego przez skarżącą posiłkowo w dniu 18 sierpnia 2020 r., w tym nowych wniosków dowodowych przedstawionych w tym samym dniu (zob. pkt 22 powyżej), i stwierdzić nieważność art. 5 zaskarżonej decyzji.

[…]

Z powyższych względów

SĄD (dziesiąta izba)

orzeka, co następuje:

1) Stwierdza się nieważność art. 5 decyzji wykonawczej Komisji Europejskiej C(2019) 4858 final z dnia 20 czerwca 2019 r. przyznającej pozwolenie na dopuszczenie do obrotu produktu leczniczego stosowanego u ludzi o nazwie Trecondi - treosulfan.

2) Komisja zostaje obciążona kosztami, w tym kosztami postępowania w przedmiocie środka tymczasowego.

Kornezov Passer Hesse

Wyrok ogłoszono na posiedzeniu jawnym w Luksemburgu w dniu 23 września 2020 r.

Podpisy