



## Oikeustapauskokoelma

UNIONIN YLEISEN TUOMIOISTUIMEN TUOMIO (seitsemäs jaosto)

16 päivänä toukokuuta 2019\*

”Ihmisille tarkoitetut lääkkeet – Asetuksen (EY) N:o 141/2000 3 artiklan 1 kohdan b alakohta – Merkittävän edun käsite – Harvinaislääkkeen saatavuus – Asetuksen N:o 141/2000 5 artiklan 12 kohdan b alakohta – Komission päätös poistaa lääke harvinaislääkkeiden rekisteristä – Arviointivirhe – Oikeudellinen virhe – Perusteltu luottamus”

Asiassa T-733/17,

**GMP-Orphan (GMPO)**, kotipaikka Pariisi (Ranska), edustajinaan M. Demetriou, QC, E. Mackenzie, barrister, L. Tsang ja J. Mulryne, solicitors,

kantajana,

vastaan

**Euroopan komissio**, asiamiehinään K. Petersen ja A. Sipos,

vastaajana,

jossa on kyse SEUT 263 artiklaan perustuvasta vaatimuksesta kumota ihmisille tarkoitetun lääkkeen ”Cuprior – trientiini” myyntiluvan myöntämisestä Euroopan parlamentin ja neuvoston asetuksen (EY) N:o 726/2004 mukaan 5.9.2017 tehty komission täytäntöönpanopäätös C(2017) 6102 final siltä osin kuin komissio päätti tämän päätöksen 5 artiklassa, että kyseinen lääke ei enää täytä harvinaislääkkeistä 16.12.1999 annetun Euroopan parlamentin ja neuvoston asetuksessa (EY) N:o 141/2000 (EYVL 2000, L 18, s. 1) säädettyjä harvinaislääkkeeksi rekisteröimisen perusteita ja että Euroopan unionin harvinaislääkkeiden rekisteri olisi sen vuoksi saatettava ajan tasalle.

UNIONIN YLEINEN TUOMIOISTUIN (seitsemäs jaosto),

toimien kokoonpanossa: jaoston puheenjohtaja V. Tomljenović sekä tuomarit E. Bieliūnas ja A. Kornezov (esittelevä tuomari),

kirjaaja: hallintovirkamies P. Cullen,

ottaen huomioon asian kirjallisessa käsittelyssä ja 13.12.2018 pidetyssä istunnossa esitetyn,

on antanut seuraavan

\* Oikeudenkäyntikieli: englanti.

## tuomion<sup>1</sup>

--

### Oikeudenkäyntimenettely sekä asianosaisten ja muiden osapuolten vaatimukset

- 10 Kantaja nosti nyt käsiteltävän kanteen unionin yleisen tuomioistuimen kirjaamoon 2.11.2017 toimittamallaan kannekirjelmällä.
- 11 Kantaja esitti samana päivänä välimiinhakemuksen, joka hylättiin 23.11.2018 annetulla määräyksellä GMPO v. komissio (T-733/17 R, ei julkaistu, EU:T:2018:839).
- 12 Komissio jätti vastineensa 19.1.2018.
- 13 Osapuolet jättivät vastauskirjelmänsä 12.3.2018 ja 27.4.2018.
- 14 Kantaja vaatii, että unionin yleinen tuomioistuin
- kumoaa riidanalaisen päätöksen 5 artiklan ja
  - määrää komission määrittelemään Cupriorin harvinaislääkkeeksi ja sen seurauksena saattamaan unionin harvinaislääkkeiden rekisterin ajan tasalle ja
  - velvoittaa komission korvaamaan oikeudenkäyntikulut.
- 15 Komissio vaatii, että unionin yleinen tuomioistuin
- jättää kanteen osittain tutkimatta ja hylkää sen joka tapauksessa perusteettomana ja
  - velvoittaa kantajan korvaamaan oikeudenkäyntikulut.

### Oikeudellinen arviointi

--

#### *Asiakysymys*

--

*Ensimmäinen ja neljäs kanneperuste, jotka koskevat asetuksen N:o 141/2000 3 artiklan 1 kohdan b alakohdassa tarkoitetun käsitteen ”merkittävä etu” tulkinnassa tehtyä oikeudellista virhettä ja kantajan esittämän näytön arvioinnissa tehtyä ilmeistä arviointivirhettä*

--

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

- 30 Aivan aluksi on todettava, että harvinaislääkkeitä koskevassa menettelyssä on kaksi erillistä vaihetta. Ensimmäinen vaihe koskee lääkkeen määrittelyä harvinaislääkkeeksi ja toinen harvinaislääkkeeksi määritellyn lääkkeen markkinoille saattamista koskevan luvan myöntämistä ja siihen liittyvää kaupallista yksinoikeutta. (tuomio 9.9.2010, *Now Pharm v. komissio*, T-74/08, EU:T:2010:376, 33 kohta).
- 31 Harvinaislääkkeeksi määrittelyssä noudatettavan menettelyn osalta asetuksen N:o 141/2000 3 artiklassa säädetään edellytyksistä, jotka mahdollisen lääkkeen on täytettävä, jotta se voidaan määrittellä harvinaislääkkeeksi. Asetuksen N:o 141/2000 3 artiklan 1 kohdan b alakohdan ensimmäisessä vaihtoehdossa säädetään, että harvinaislääkkeen rahoittajan on osoitettava erityisesti, että siihen sairautentilaan, jonka hoitoon harvinaislääkkeeksi määriteltäväksi haettu lääke on tarkoitettu, ei ole olemassa tyydyttävää unionissa luvan saanutta diagnoosi-, ehkäisy- tai hoitomenetelmää. Jos tällainen menetelmä on kuitenkin olemassa, lainsäätäjällä on asetuksen N:o 141/2000 3 artiklan 1 kohdan b alakohdan toisessa vaihtoehdossa antanut mahdollisuuden määrittellä harvinaislääkkeeksi kaikki sellaiset mahdolliset lääkkeet, jotka on tarkoitettu saman sairautentilan hoitoon sillä edellytyksellä, että lääkkeen rahoittaja osoittaa, että kyseisestä lääkkeestä on merkittävää etua tällaisesta sairautentilasta kärsiville potilaille (tuomio 9.9.2010, *Now Pharm v. komissio*, T-74/08, EU:T:2010:376, 34 kohta).
- 32 Merkittävän edun käsite määritellään asetuksen N:o 847/2000 3 artiklan 2 kohdassa ”kliinisesti merkitykselliseksi hyödyksi tai suureksi vaikutukseksi potilaan hoitoon”. Asetuksen N:o 141/2000 3 artiklan 1 kohdan b alakohdan toisessa vaihtoehdossa, jota voidaan soveltaa käsiteltävässä asiassa, merkittävä etu määritellään siis suorittamalla vertailu olemassa olevan luvan saaneen hoidon tai lääkkeen kanssa. ”Kliinisesti merkityksellistä hyötyä” ja ”suurta vaikutusta potilaan hoitoon”, joihin mahdollisesta harvinaislääkkeestä oleva merkittävä etu perustuu, voidaan nimittäin arvioida vain vertaamalla tätä lääkettä jo luvan saaneisiin hoitoihin. (ks. vastaavasti tuomio 22.1.2015, *Teva Pharma ja Teva Pharmaceuticals Europe v. EMA*, T-140/12, EU:T:2015:41, 64 kohta oikeuskäytäntöviittauksineen).
- 33 Menettelyn toisen vaiheen eli harvinaislääkkeen markkinoille saattamista koskevan luvan osalta on todettava, että tämä vaihe seuraa tarvittaessa sen jälkeen, kun lääke on määritetty harvinaislääkkeeksi. Asetuksen N:o 141/2000 5 artiklan 12 kohdan b alakohdasta seuraa, että markkinoille saattamista koskevaa lupahakemusta tutkittaessa tulee varmistaa, että tämän asetuksen 3 artiklassa säädetty edellytykset täyttyvät yhä. Asetuksen N:o 141/2000 5 artiklan 12 kohdan b alakohdan mukaan harvinaislääkkeeksi määritetty lääke on nimittäin poistettava harvinaislääkkeiden rekisteristä, jos ennen markkinoille saattamista koskevan luvan myöntämistä käy ilmi, että nämä edellytykset eivät enää täyty kyseisen lääkkeen osalta.
- 34 Kun rahoittaja siis hakee harvinaislääkkeeksi määritellylle lääkkeelle markkinoille saattamista koskevaa lupaa, hän käynnistää samanaikaisesti menettelyn, jossa arvioidaan uudelleen harvinaislääkkeeksi määrittelyperusteet. Määrittelyperusteiden täyttymisen arviointi on harvinaislääkkeitä käsittelevän komitean tehtävä, ja sen tulee antaa asiassa lausunto. Käsiteltävänä olevassa asiassa komissio ei ole poikennut harvinaislääkkeitä käsittelevän komitean lopullisesta lausunnosta, ja komissio on täten hyväksynyt lausunnossa esitetyt päätelmät. Näin ollen on katsottava, että unionin yleiselle tuomioistuimelle kuuluvan tuomioistuINVALVONNAN tulee kattaa kaikki päätelmät tässä lausunnossa, joka muodostaa riidanalaisen päätöksen erottamattoman osan (ks. vastaavasti tuomio 5.12.2018, *Bristol-Myers Squibb Pharma v. komissio* ja *EMA*, T-329/16, ei julkaistu, EU:T:2018:878, 98 kohta).
- 35 Näiden täsmennysten jälkeen on todettava, että kantaja vetoaa nyt käsiteltävässä asiassa asetuksen N:o 141/2000 3 artiklan 1 kohdan b alakohdan toiseen vaihtoehtoon. Kantaja siis myöntää, että nyt käsiteltävänä olevassa asiassa Wilsonin tautia sairastaville potilaille on jo tyydyttäviä unionissa luvan saaneita hoitomenetelmiä, mukaan luettuna vertailulääke. Tältä osin on kiistatonta, kuten myös

kantaja istunnossa vahvisti, että vertailulääke on kliinisesti ainakin yhtä tehokas kuin Cuprior, ja että jalkimmäisen lääkkeen markkinoille saattamista koskevan luvan hakemus on perustunut vertailulääkkeellä tehtyihin prekliinisiin ja kliinisiin tutkimuksiin.

- 36 Kantaja katsoo ensimmäisessä kanneperusteessaan pääasiallisesti, että Cupriorin markkinoille saattamista koskevan luvan välitön myöntäminen koko unionissa luo ”luonnollisen oletuksen” merkittävästä edusta asetuksen N:o 141/2000 3 artiklan 1 kohdan b alakohdan toisen vaihtoehdon, asetuksen N:o 847/2000 3 artiklan 2 kohdan, vuoden 2003 tiedonannon ja vuoden 2014 suuntaviivojen tarkoittamalla tavalla, koska vertailulääke on saanut luvan ainoastaan yhdessä jäsenvaltiossa.
- 37 Ensinnäkin tältä osin on huomautettava, että yhdessä asetuksen N:o 141/2000 ja asetuksen N:o 847/2000 säännöksistä ei säädetä, että harvinaislääkkeen markkinoille saattamista koskevasta luvasta unionissa olisi sellaisenaan merkittävää etua verrattuna hoitomuotoon, joka perustuu olemassa olevaan lääkkeeseen, joka on yhtä tehokas ja saanut jo luvan, vaikkakin vain yhdessä jäsenvaltiossa.
- 38 Toiseksi asetuksen N:o 847/2000 3 artiklan 2 kohdan sanamuodon mukaan ”merkittävä etu” tarkoittaa ”kliinisesti merkityksellistä hyötyä tai suurta vaikutusta potilaan hoitoon”. Nyt käsiteltävässä asiassa Cupriorista ei ole kliinistä hyötyä vertailulääkkeeseen verrattuna, joten kantaja vetoaa toiseen vaihtoehtoon eli potilaan hoidolle aiheutuvaan suureen vaikutukseen.
- 39 Tästä määritelmästä seuraa, että uuden lääkkeen ja vertailulääkkeen välillä tehtävän vertailevan arvioinnin tulee osoittaa sen lisäksi, että uusi lääke tuo potilaille etua ja vaikuttaa heidän hoitoonsa, myös se, että tämä etu on ”merkittävä” ja vaikutus hoitoon on ”suuri”. Uuden lääkkeen tarjoaman hyödyn tulee siis ylittää tietty määrällinen tai laadullinen kynnyсарvo, jotta sitä voidaan pitää ”merkittävänä” tai ”suurena”.
- 40 Rahoittajan tulee näin ollen osoittaa näytön sekä väitteitään tukevien konkreettisten seikkojen avulla, että lääke tuo merkittävää etua eli että se parantaa suuresti potilaan saamaa hoitoa vertailulääkkeeseen verrattuna, eikä rahoittaja voi näissä perusteluissaan vedota yleisluonteisiin olettamiin tai väittämiin.
- 41 Se, että vertailulääke on saanut luvan vain yhdessä jäsenvaltiossa ei nimittäin yksistään tarkoita, että muissa jäsenvaltioissa olevat potilaat eivät voisi saada lääkettä käyttöönsä lainmukaisesti ja että heidän tarpeisiinsa ei vastattaisi. Unionissa myönnetty lupa ei myöskään itsessään takaa, että kyseinen lääke tulisi käytännössä saataville kaikissa jäsenvaltioissa. Myös unionissa luvan saaneiden lääkkeiden saatavuudessa voi nimittäin olla ongelmia.
- 42 Kolmanneksi, vuoden 2003 tiedonanto tukee tätä johtopäätöstä. Tiedonannon A. 4 kohdasta nimittäin seuraa, että oletus lääkkeen tuottamasta merkittävästä edusta, sikäli kun tämä tarkoittaa ”suurta vaikutusta potilaan hoitoon”, edellyttää välttämättömästi tuekseen tapauskohtaista konkreettisten todistavien tietojen arviointia. Tarkemmin sanottuna, ”hakijan todisteeksi toimittamien tietojen” (toinen ja kolmas alakohta) tulee tukea hakijan esittämiä merkittävää etua koskevia oletuksia, ja hakijan on ”selvitettävä, miksi [toimitus/saatavuusongelmat] johtavat siihen, että potilaiden tarpeet jäävät täyttämättä”, minkä lisäksi nämä väittämät on perusteltava ”laadullisin ja määrällisin perustein” (neljäs alakohta).
- 43 Vaikka vuoden 2003 tiedonannon A.4 kohdan viidennessä alakohdassa sanotaankin, että ”[v]almisteen mahdollisen saatavuuden osalta [unionin] väestön kannalta lääkkeellä, joka on saanut luvan ja on saatavana kaikissa jäsenvaltioissa, voidaan katsoa olevan merkittävää etua verrattuna vastaavanlaiseen lääkkeeseen, joka on saanut luvan ainoastaan osassa jäsenvaltioita”, on yhtäältä todettava, että tämä kohta viittaa lääkkeisiin, jotka ovat sekä ”saaneet luvan” että ovat ”saatavana” kaikissa jäsenvaltioissa. Lisäksi tässä kohdassa ilmaistaan ainoastaan, että tällaisesta lääkkeestä ”voidaan” katsoa olevan merkittävää etua. Näin ollen, vaikka tässä vuoden 2003 tiedonannon kohdassa sanotaan, että mahdollisesta myyntiluvasta unionissa voidaan katsoa olevan merkittävää etua, on kyseessä kuitenkin

yksinomaan mahdollisuus, jota tulee kussakin yksittäistapauksessa tukea konkreettisilla todistavilla tiedoilla, mikä seuraa myös vuoden 2003 tiedonannon edellä esitetyistä kohdista (ks. 42 kohta edellä), eikä kyseessä ole sitova sääntö tai lakiin perustuva oletama.

- 44 Kantaja myönsi istunnossa, että se ei voi vedota vuoden 2003 tiedonannon A.4 kohdan yhdeksännessä alakohdassa kuvattuun vaihtoehtoon, sillä sitä ei voida soveltaa nyt käsiteltävänä olevan asian olosuhteisiin. Käsiteltävänä olevassa asiassa vertailulääke on nimittäin saanut luvan Iso-Britannian markkinoille jo vuonna 1985, mikä on tapahtunut huomattavasti ennen vuonna 2015 tehtyä määrittelyä koskevaa päätöstä, eikä näin ollen voida perustellusti väittää, että vertailulääkkeen rahoittaja olisi pyrkinyt kansallisen luvan hankkimisella estämään Cupriorin markkinoille saattamista koskevan luvan saamisen. Vuoden 2003 tiedonannon A.4 kohdan yhdeksännessä alakohdassa kuvattu vaihtoehto ei näin ollen ole sovellettavissa käsiteltävänä olevaan asiaan.
- 45 Kantaja vetoaa kuitenkin vuoden 2003 tiedonannon A.4 kohdan kymmenenteen alakohtaan, jonka mukaan "[unionin markkinoille saattamista koskevan luvan sisältämä] välitön oletus merkittävästä edusta verrattuna yhdessä tai useassa jäsenvaltiossa myönnettyyn kansalliseen lupaan voi riittää pitämään merkittävän edun oletuksen voimassa". Jos oletetaan, että tämä alakohta olisi sovellettavissa myös vuoden 2003 tiedonannon A.4 kohdan yhdeksännessä alakohdassa kuvattujen olosuhteiden ulkopuolella, jotka ovat erilaiset kuin nyt käsiteltävänä olevassa asiassa, on riittävää todeta, että tässäkin alakohdassa esitetään yksinomaan mahdollisuus eikä sitovaa sääntöä tai lakiin perustuvaa oletamaa.
- 46 Neljänneksi, myös vuoden 2014 suuntaviivat tukevat tätä johtopäätöstä. Tämän asiakirjan D.3 kohta vahvistaa pääasiallisesti vuoden 2003 tiedonannon sisällön. Siinä nimittäin myönnetään, että yhtäältä kaikissa jäsenvaltioissa luvan saaneesta lääkkeestä "voi" olla merkittävää etua verrattuna lääkkeeseen, joka on saanut luvan vain osassa jäsenvaltioita, mutta että toisaalta rahoittajan esittämät perustelut toimitusten tai saatavuuden mahdollisesta parantumisesta tulee tutkia sen selvittämiseksi, voiko niistä olla kliinisesti olennaista merkittävää etua potilaille kaikissa jäsenvaltioissa.
- 47 Viidenneksi se, että lääke ei ole saanut lupaa unionissa vaan ainoastaan yhdessä jäsenvaltiossa, ei estä niitä jäsenvaltioita, joissa kyseinen lääke ei ole saanut lupaa, ottamasta käyttöön lakisääteisiä maahantuontimenettelyjä, jotka sallivat kyseisen lääkkeen tuonnin niiden alueelle. Direktiivin 2001/83 johdanto-osan 30 perustelukappaleen mukaisesti jäsenvaltiossa asuvalla henkilöllä on nimittäin oltava mahdollisuus vastaanottaa toisesta jäsenvaltiosta kohtuullinen määrä henkilökohtaiseen käyttöön tarkoitettuja lääkkeitä. Direktiivin 2001/83 5 artiklan 1 kohdassa säädetään tämän mukaisesti, että jäsenvaltio voi voimassa olevan lainsäädännön mukaisesti ja täyttääkseen erityiset tarpeet olla soveltamatta kyseisen direktiivin säännöksiä ja näin ollen sen 6 artiklan 1 kohdassa asetettua kieltoa sellaisiin lääkkeisiin, jotka toimitetaan vilpittömässä mielessä vapaaehtoisesti tehtyä tilausta vastaan ja jotka on valmistettu laillistetun terveydenhuollon ammattihenkilön antamien laatuvaatimusten mukaisesti ja tarkoitettu hänen välittömällä henkilökohtaisella vastuullaan hänen yksittäisille potilailleen.
- 48 Unionin tuomioistuin on todennut, että kaikista direktiivin 2001/83 5 artiklan 1 kohdassa mainituista edellytyksistä seuraa – kun niitä tarkastellaan direktiivin keskeisten tavoitteiden ja etenkin kansanterveyden turvaamistavoitteen kannalta –, että tässä säännöksessä säädetyn poikkeuksen voidaan katsoa koskevan ainoastaan sellaisia tilanteita, joissa lääkäri arvioi, että hänen yksittäisten potilaidensa terveydentila vaatii sellaisen lääkkeen käyttämistä, jota vastaavaa luvan saanutta lääkettä ei ole kansallisilla markkinoilla tai jota ei ole juuri kyseisellä hetkellä saatavilla näillä markkinoilla (ks. tuomio 23.1.2018, F. Hoffmann-La Roche ym., C-179/16, EU:C:2018:25, 57 kohta oikeuskäytäntöviittauksineen).

- 49 Käsiteltävänä olevassa asiassa on kiistatonta, että on olemassa kansallisia maahantuontiohjelmiä, joissa sallitaan vertailulääkkeen lainmukainen maahantuonti silloinkin, kun lääkkeelle ei ole myönnetty lupaa jäsenvaltiossa, johon sitä maahantuodaan. Näiden ohjelmien puitteissa potilaille voidaan määrätä käyttöön myös sellaisia lääkkeitä, joilla ei ole markkinoille saattamista koskevaa lupaa kyseisessä jäsenvaltiossa.
- 50 Toisin kuin kantaja väittää, nyt käsiteltävänä olevassa asiassa maahantuontiohjelmissä ei ole kyse vertailulääkkeen ”alkuperäistarkoituksesta poikkeavasta käytöstä” vaan yksinomaan lääkkeen käytöstä muussa kuin luvan myöntäneessä jäsenvaltiossa ja nimenomaisesti sellaisiin terapeuttisiin käyttöaiheisiin, joita varten lupa on myönnetty. Kantajan tavoittelemalla analogialla ”alkuperäistarkoituksesta poikkeavan käytön” ja terapeuttisten käyttöaiheiden mukaisen muussa kuin vertailulääkkeelle luvan myöntäneessä jäsenvaltiossa tapahtuvan käytön välillä ei näin ollen ole menestymisen mahdollisuuksia.
- 51 Kantajan väite, että tällaisten kansallisten maahantuontiohjelmien huomioon ottaminen arvioitaessa merkittävän edun olemassaoloa aiheuttaa epäyhdenvertaisuutta vertailulääkkeen saannissa siltä osin kuin sitä säännellään kunkin jäsenvaltion soveltamien joskus erilaisten menetelmien mukaisesti, ja että se on näin ollen vastoin unionin lainsäätäjän tavoitetta luoda unionin tasolla tiukat ja harmonisoidut markkinoille saattamisen menettelyt, ei myöskään menesty. Näiden ohjelmien merkitystä ei nimittäin voida kieltää yksinomaan sillä perusteella, että ne perustuvat poikkeukseen eli siihen, josta säädetään direktiivin 2001/83 5 artiklan 1 kohdassa, eikä myöskään sillä perusteella, että niiden soveltamissääntöjä ei ole harmonisoitu unionin tasolla. Sen selvittäminen, varmistavatko nämä ohjelmat käytännössä vertailulääkkeen riittävän ja tehokkaan saannin, on aivan toinen kysymys, johon vastaaminen edellyttää jokaisen yksittäistapauksen ominaispiirteiden arviointia, mikä on puolestaan neljännen kanneperusteen aihe. Tällaisten ohjelmien huomioon ottaminen ei myöskään aseta millään tapaa kyseenalaiseksi keskitettyä markkinoille saattamisen menettelyä unionin tasolla, vaan sen avulla halutaan yksinomaan selvittää, voivatko kyseisestä sairaudesta kärsivät potilaat tosiasiallisesti saada vertailulääkettä käyttöönsä.
- 52 Harvinaislääkkeitä käsittelevä komitea ei näin ollen ole tehnyt oikeudellista virhettä lopullisessa lausunnossaan, johon komission riidanalainen päätös perustuu, ottamalla huomioon kansalliset maahantuontiohjelmat, jotka sallivat vertailulääkkeen lainmukaisen maahantuonnin.
- 53 Kun otetaan huomioon kaikki edellä esitetyt seikat, tästä seuraa, ettei siitä, että lääke voi mahdollisesti saada myyntiluvan unionin tasolla, voida päätellä tai tehdä oletusta, että lääkkeestä on asetuksen N:o 141/2000 3 artiklan 1 kohdan b alakohdan toisen vaihtoehdon, asetuksen N:o 847/2000 3 artiklan 2 alakohdan, vuoden 2003 tiedonannon ja vuoden 2014 suuntaviivojen tarkoittamaa merkittävää etua vertailulääkkeeseen verrattuna yksinomaan sillä perusteella, että jälkimmäinen on saanut luvan ainoastaan yhdessä jäsenvaltiossa.
- 54 Ensimmäinen kanneperuste on näin ollen hylättävä perusteettomana.
- 55 Neljännen kanneperusteen osalta tulee tutkia, onko riidanalaisessa päätöksessä tehty arviointivirhe siltä osin kuin harvinaislääkkeitä käsittelevä komitea on katsonut, että kantajan esittämä näyttö ei perustellut riittävällä tavalla oletusta merkittävästä edusta. Harvinaislääkkeitä käsittelevä komitea on todennut tältä osin, että kantaja ei ole riittävällä tavalla osoittanut, että vertailulääkkeen saatavuudessa unionissa olisi puutteita ja että näin ollen väitettä, että Cuprior parantaisi huomattavasti hoidon saatavuutta, ei voitu hyväksyä.
- 56 Tässä yhteydessä oikeuskäytännöstä ilmenee, että kun komission on tehtävä teknisesti tai tieteellisesti monitahoisia arviointeja, on sillä laaja harkintavaltia. Tällaisessa tilanteessa unionin tuomioistuinten harjoittama valvonta rajoittuu sen valvomiseen, että menettelysääntöjä on noudatettu, että komission

huomioon ottamat tosiseikat pitävät asiallisesti paikkansa, ettei näitä tosiseikkoja ole arvioitu ilmeisen virheellisesti ja ettei harkintavaltaa ole käytetty väärin (ks. tuomio 9.9.2010, *Now Pharm v. komissio*, T-74/08, EU:T:2010:376, 111 kohta oikeuskäytäntöviittauksineen).

- 57 Käsiteltävänä olevassa asiassa unionin yleinen tuomioistuin kuitenkin toteaa, että harvinaislääkkeitä käsittelevän komitean lausunnossa, johon riidanalainen päätös perustuu, ei suoriteta teknisesti tai tieteellisesti monitahoisia arviointeja, vaan käytännössä sen lähtökohtana ovat tosiseikkoja koskevat toteamukset vertailulääkkeen saatavuudesta unionissa. Unionin yleisen tuomioistuimen harjoittama tuomioistuinvalvonta on näin ollen täysimääräistä käsiteltävänä olevassa asiassa.
- 58 Käsiteltävänä olevassa asiassa on aluksi huomautettava, että harvinaislääkkeitä käsittelevä komitea suoritti oman tutkimuksensa vertailulääkkeen saatavuudesta unionin jäsenvaltioissa. Tämän tutkimuksen tulokset paljastivat, että ainakin 26 jäsenvaltiossa on käytössä vertailulääkkeen maahantuontia koskeva sääntelymekanismi ja että lääkettä näin ollen voidaan tuoda maahan tai sitä jo tosiasiallisesti tuotiin maahan direktiivin 2001/83 5 artiklan 1 kohdan mukaisesti.
- 59 Kantaja ei näytä kiistävän harvinaislääkkeitä käsittelevän komitean tutkimuksessa hankkimien tietojen paikkansapitävyyttä. Sitä vastoin kantaja kritisoi sitä, että tutkimus perustuu harvinaislääkkeitä käsittelevän komitean ja kansallisten sääntelyviranomaisten väliseen ”epäviralliseen tietojenvaihtoon”. Kantaja näyttää näin ollen ainakin implisiittisesti kyseenalaistavan tämän tutkimuksen todistusarvon.
- 60 Tältä osin on huomautettava, että vakiintuneen oikeuskäytännön mukaan unionin oikeudessa vallitseva periaate on vapaan todistusharkinnan periaate, ja ainoa merkityksellinen arviointiperuste esitettyjen todisteiden harkinnassa on niiden uskottavuus. Lisäksi näytön todistusarvoa arvioitaessa on tutkittava sen sisältämän tiedon todennäköisyys, ja huomioon on otettava erityisesti asiakirjan alkuperä, sen laatimisolosuhteet ja vastaanottaja sekä pohdittava, vaikuttaako se sisällöltään järkeenkäyvältä ja luotettavalta (ks. vastaavasti tuomio 31.5.2018, *Kaddour v. neuvosto*, T-461/16, EU:T:2018:316, 107 kohta oikeuskäytäntöviittauksineen).
- 61 Käsiteltävässä asiassa on todettava, että harvinaislääkkeitä käsittelevän komitean suorittamassa tutkimuksessa saadut tiedot ovat lähtöisin virallisista ja luotettavista lähteistä eli kansallisilta sääntelyviranomaisilta, jotka kokemuksensa ansiosta voivat arvioida lääkkeen saatavuuteen liittyvien mahdollisten ongelmien esiintymistä ja tuntevat vertailulääkkeen maahantuontia varten luodut menettelyt. Tämän tutkimuksen tulokset esitetään 15.6.2016 päivätyssä taulukossa, joka on otsikoitu ”Trientiinin saatavuus jäsenvaltioissa harvinaislääkkeitä käsittelevän komitean jäsenten suorittaman uudelleenarvioinnin perusteella, EMA/317599/2017”, joka on kannekirjelmän liitteessä A.7 ja joka sisältää jäsenvaltiokohtaiset konkreettiset ja tarkastettavissa olevat tiedot.
- 62 Lisäksi harvinaislääkkeitä käsittelevä lautakunta on yhteistyöelin, johon kuuluu yksi kunkin jäsenvaltion nimeämä jäsen, kolme komission nimeämää jäsentä, joiden tehtävänä on varmistaa potilasjärjestöjen edustus, kolme komission Euroopan lääkeviraston esityksestä nimeämää jäsentä, puheenjohtaja sekä yksi Euroopan talousalueen (ETA) valtioiden nimeämä jäsen (asetuksen N:o 141/2000 johdanto-osan 6 perustelukappaleen mukaisesti). Harvinaislääkkeitä käsittelevä komitea on siis kaikkia jäsenvaltioita ja potilasjärjestöjä edustava yhteistyöelin, minkä ansiosta sen kannat perustuvat kansallisten sääntelyviranomaisten ja potilasjärjestöjen hankkimiin kansallisiin kokemuksiin.
- 63 Näin ollen, ja kantajan perustellun vastaväitteen puuttuessa, unionin yleinen tuomioistuin katsoo harvinaislääkkeitä käsittelevän komitean suorittaman tutkimuksen nauttivan korkeaa todistusarvoa.
- 64 Toiseksi, mitä tulee kantajan harvinaislääkkeitä käsittelevälle komitealle esittämään näyttöön, kantaja on pyrkinyt osoittamaan, että vaikka valtaosassa jäsenvaltioita olisikin olemassa lainmukainen väylä vertailulääkkeen maahantuontiin, ”logistiset ja hallinnolliset” esteet asettaisivat esteitä kyseisen lääkkeen tehokkaalle saannille. Tältä osin kantaja vetoaa itse suorittamansa kyselytutkimuksen, jossa vastaajina ovat 26 jäsenvaltion lääkkeiden sääntelyviranomaiset, 18 lääkäriä 15 eri jäsenvaltiosta sekä

11 jäsenvaltion potilasjärjestöt, tuloksiin. Kantaja on laatinut vastauksista taulukon, joka on kannekirjelmän liitteessä 10 ja jossa jäsenvaltiot luokitellaan kolmeen ryhmään eli niihin, joissa vertailulääkkeen saatavuus on ”rajoitettu/ei saatavilla” (7 jäsenvaltiota), niihin, joissa saatavuus on ”vähäinen” (4 jäsenvaltiota) ja niihin, joissa saatavuus on ”hyvä” (9 jäsenvaltiota). Niissä 11 jäsenvaltiossa, joissa saatavuus on ”rajoitettu/ei saatavilla” tai ”vähäinen”, havaitut saatavuuden ongelmat johtuvat tämän tutkimuksen tulosten mukaan puutteista vertailulääkkeen korvattavuudessa tai jakeluun liittyvistä ongelmista.

- 65 Harvinaislääkkeitä käsittelevä komitea on tämän tutkimuksen tulokset arvioituaan tullut siihen johtopäätökseen, että tutkimus ei osoita riittävällä tavalla, että vertailulääkkeen saatavuudessa olisi ongelmia. Tarkemmin sanottuna harvinaislääkkeitä käsittelevä komitea on lausunut, ettei se voi merkittävän edun olemassaoloa määrittäessään ottaa huomioon näkökulmia, jotka koskevat vertailulääkkeen korvattavuudessa olevia mahdollisia puutteita lääketta maahantuovissa jäsenvaltioissa. Harvinaislääkkeitä käsittelevän komitean mukaan kantaja ei ole myöskään toimittanut täydentävää näyttöä, joka osoittaisi vertailulääkkeen jakelussa olevan suurempia objektiivisia puutteita kuin yhtäältä korvauksen puute erinäisissä jäsenvaltioissa ja toisaalta maahantuovia tahoja rasittava hallinnollinen taakka.
- 66 Ensimmäisen tyyppin esteiden eli niiden, jotka koskevat vertailulääkkeen korvattavuuden puutteita maahantuovissa jäsenvaltiossa, osalta on syytä muistuttaa, että jäsenvaltioiden terveydenhuollon järjestelmissä suoritettavat lääkekorvaukset kuuluvat jäsenvaltioiden yksinomaiseen toimivaltaan. Yhtäältä myöskään se, että vertailulääkkeellä on lupa vain yhdessä jäsenvaltiossa, ei väistämättä tarkoita sitä, että siitä ei suoritettaisi korvausta maahantuovien jäsenvaltioiden kansallisissa terveydenhuollon järjestelmissä. Esimerkkinä voidaan mainita, että harvinaislääkkeitä käsittelevän komitean selvityksestä, johon viitataan edellä 58 kohdassa, käy nimittäin ilmi, että vertailulääke kuuluu korvauksen piiriin Saksassa.
- 67 Lisäksi, kuten kantaja totesi istunnossa, myöskään mahdollinen markkinoille saattamista koskeva lupa unionin tasolla ei tarkoita, että Cuprior tulisi korvauksen piiriin kansallisissa terveydenhuollon järjestelmissä. Kantaja ei myöskään esitä minkäänlaista näyttöä, joka osoittaisi sen, että jos Cupriorille myönnettäisiin markkinoille saattamista koskeva lupa unionin tasolla, se todennäköisesti tulisi kansallisten terveydenhuollon järjestelmien korvausten piiriin, tai sen, missä määrin sitä korvattaisiin.
- 68 Kantajan esittämien toisen tyyppin esteiden eli ”hallinnollisten tai logististen” esteiden osalta on todettava, että kantajan niitä koskevat väitteet eivät ole riittävästi perusteltuja. Kantaja nimittäin yksinomaan mainitsee itse suorittamastaan edellä 64 kohdassa mainitusta tutkimuksesta muutamia esimerkkejä, joiden mukaan joissakin jäsenvaltioissa edellytetään jaksoittain uusittavaa ennakkolupaa tai vertailulääkkeen jakelussa on tarkemmin yksilöimättömiä viivästyksiä, mutta kantaja ei kuitenkaan osoita, että kansallisten maahantuontiohjelmien toimintaa koskevat määräykset aiheuttaisivat potilaille kohtuutonta hallinnollista taakkaa odotusajan, kulujen tai noudatettavien menettelyjen muodossa, mikä olisi omiaan asettamaan kyseenalaiseksi näiden ohjelmien toimivuuden ja sitä kautta vertailulääkkeen oikea-aikaisen saannin. Kuten edellä 39 ja 40 kohdassa huomautetaan, rahoittajan tulee osoittaa sen lisäksi, että lääke tuo potilaille etua ja vaikuttaa heidän hoitoonsa, myös se, että tämä etu on ”merkittävä” ja vaikutus hoitoon on ”suuri”.
- 69 Tämän lisäksi kantajan tutkimuksessaan keräämiä tietoja tulee joka tapauksessa verrata tietoihin, jotka ilmenevät harvinaislääkkeitä käsittelevän komitean suorittamasta tutkimuksesta, joka unionin yleisen tuomioistuimen mukaan nauttii korkeaa todistusarvoa (ks. 63 kohta edellä). Tämä tutkimus ei ole osoittanut, että vertailulääkkeen saannille olisi olennaisia esteitä kohteena olleissa jäsenvaltiossa.

--



- 71 Näin ollen unionin yleinen tuomioistuin katsoo, että harvinaislääkkeitä käsittelevä lautakunta ei ole tehnyt arviointivirhettä todetessaan, että rahoittaja ei ole esittänyt riittävää näyttöä sen osoittamiseksi, että saatavuudessa olisi ongelmia ja että Wilsonin taudista unionissa kärsivät potilaat eivät saisi asianmukaista hoitoa jo luvan saaneiden lääkkeiden avulla, mukaan luettuna direktiivin 2001/83 5 artiklan 1 kohdan mukaisten lakisääteisten hankintatapojen avulla. Näin ollen riidanalaisessa päätöksessä, joka vahvistaa harvinaislääkkeitä käsittelevän komitean lopullisen lausunnon, ei ole tehty arviointivirhettä.
- 72 Myös neljäs kanneperuste on näin ollen hylättävä perusteettomana.

--

Näillä perusteilla

UNIONIN YLEINEN TUOMIOISTUIN (seitsemäs jaosto)

on ratkaissut asian seuraavasti:

- 1) **Kanne hylätään.**
- 2) **GMP-Orphan (GMPO) velvoitetaan korvaamaan oikeudenkäyntikulut, väli-toimimenettelystä aiheutuneet kulut mukaan lukien.**

Tomljenović

Bieliūnas

Kornezov

Julistettiin Luxembourgiassa 16 päivänä toukokuuta 2019.

Allekirjoitukset