



## Delimitación del concepto de “método satisfactorio” en la designación de un medicamento como huérfano

**Sentencia del Tribunal General de 23 de septiembre de 2020, Medac- Comisión Europea, Asunto T-549/19**

### Antecedentes

Uno de los requisitos para conseguir que un medicamento sea designado como huérfano es demostrar que no existe ningún método satisfactorio autorizado en la UE para el diagnóstico, prevención o tratamiento de la afección a la que se dirige; o, en caso de existir, que el nuevo medicamento aporta un beneficio considerable a los pacientes. La interpretación de los conceptos “método satisfactorio” y “beneficio considerable” no es inequívoca. La presente sentencia precisa el concepto de método satisfactorio.

El caso trata sobre la designación como huérfano del medicamento Tricondi (Treosulfano). La Comisión Europea, en base al dictamen final del Comité de Medicamentos Huérfanos, consideró que Tricondi no podía ser declarado como medicamento huérfano porque no presentaba un beneficio considerable respecto los medicamentos a base de melfalán y ciclofosfamida; medicamentos que la CE había clasificado previamente como métodos satisfactorios para el tratamiento de la afección huérfana a la que se destina Tricondi. El Tribunal, tras constatar que los medicamentos a base de melfalán y ciclofosfamida no pueden considerarse métodos satisfactorios para el tratamiento de la afección a la que se destina Tricondi, anula la decisión de la Comisión.

### Posición del Tribunal

El Tribunal precisa el concepto de método satisfactorio. En primer lugar, apunta que para que un medicamento pueda ser clasificado como un método satisfactorio para el diagnóstico,

prevención o tratamiento de una afección huérfana, el medicamento en cuestión debe estar autorizado para dicha afección huérfana. El alcance de la autorización de comercialización se define en la Ficha Técnica, que, en todo caso, “solo puede interpretarse de manera estricta”. En segundo lugar, el Tribunal afirma también que no es admisible clasificar como métodos satisfactorios medicamentos que únicamente están autorizados para una parte de (y no todas) las afecciones a las que se dirige el medicamento que solicita la designación de huérfano.

### Conclusiones

La sentencia tiene gran relevancia para las compañías promotoras de medicamentos huérfanos. En atención al criterio mantenido en esta sentencia (sujeto aún a un posible recurso ante el Tribunal de Justicia), una fórmula magistral o un producto que se utilice *off label* para tratar una afección no son opciones válidas para impedir que un medicamento sea designado como huérfano para dicha afección. Y ello porque las fórmulas magistrales y los medicamentos usados *off label* no son productos que hayan recibido una autorización de comercialización para la referida afección. El promotor de un nuevo medicamento, por tanto, podría no tener que demostrar que su producto aporta un beneficio considerable respecto de esas fórmulas magistrales u otros medicamentos que se utilicen *off label*. Siguiendo este mismo razonamiento, las fórmulas magistrales o los medicamentos usados *off label* no deberían ser usados como comparadores al analizar el valor que aporta un nuevo producto cuando se trata de decidir sobre su financiación y su precio.