

## Nadir Hastalıklar Alanında Doğru Ulusal Politikalar ve Yasal Düzenlemeler Geliştirilmeli

Son 20 yıla baktığımızda bu alanda önemli sayıda yenilikçi ilacın geliştirildiğini gözlemliyoruz; ancak yetim ilaçların geliştirilmesi, nadir hastalıkların doğasında bulunan belirli zorluklar nedeniyle teşvik mekanizmalarına özellikle ihtiyaç duyarlar. Söz konusu hastalıklar ile ilgili bilgi eksikliği, klinik araştırmalar için gerekli olan sonlanım noktalarının bu hastalıklar için çok yeni veya henüz kanıtlanmamış olması, görece küçük ve oldukça heterojen hasta popülasyonları, daha yaygın ve daha iyi anlaşılabilir hastalıklara kıyasla Ar-Ge süresini ve başarısızlık riskini artırır. Küçük hasta popülasyonları, pazara başarıyla ulaşan ürünlerin gelir potansiyelini de sınırlar.

AB'de 2000 yılı öncesine kadar yasal, politik ve ekonomik teşviklerin de yokluğunda bilinen 6.000-7.000 nadir hastalık için yalnızca 8 yenilikçi tedavinin onaylanması mümkün olabilmektedir. 2000 yılında yürürlüğe giren "Avrupa Komisyonu Yetim İlaç Mevzuatı", nadir hastalıklarda tedavilerin ve ilaçların geliştirilmesinin önünde engel olan bilimsel ve ekonomik zorlukları hafifletmek ve nadir hastalıklarla ilgili çalışmalarını teşvik etmek amacıyla ortaya konuldu.

AIFD'nin de üyesi olduğu Avrupa İlaç Endüstrileri ve Birlik-

leri Federasyonunun (EFPIA) desteğiyle hazırlanan "Avrupa Birliği Yetim İlaç Mevzuatının İnovasyon Teşvikleri Üzerinde Öngörülen Etkisi Raporu"na göre, mevzuatın yürürlüğe girdiği 2000 ve sonrasındaki 17 yıllık sürede geliştirilen 142 yetim ilacın neredeyse %73'ünün mevzuat sayesinde oluşan ve yenilikçiliği teşvik eden ortam sayesinde geliştirildiği vurgulanıyor.<sup>1</sup>

### Platform çalışma raporu yayımlandı

Nadir hastalıkların tedavisi alanında önemli gelişmelere tanık olan 2019 yılında TBMM Kararı ile bir Meclis Araştırma Komisyonu kurulurken Nadir Hastalıklar Ağı ile TÜBİTAK Türkiye Sanayi Sevk ve İdare Enstitüsünün gerçekleştirdiği "Nadir Hastalıklar Hasta ve Hasta Yakınları İhtiyaç Analizi Ortak Akıl Platformu" ile hasta ve hasta yakınlarının ihtiyaçlarının tespit edilmesi ve nadir hastalıklara sahip bireylerin yaşam kalitelerini ve sürelerini artırarak toplum içinde aktif rol almalarını sağlayacak çalışmalar yapılması hedeflendi.

Platform sonucunda, faaliyet planı çalışmasını da içeren Nadir Hastalıklar Hasta ve Hasta Yakınları İhtiyaç Analizi Ortak Akıl Platformu Çalışma Raporu yayımlanmıştır.<sup>2</sup>



### Nadir hastalıklar tedavisinde tüm dünyada önemli bir sıçrama yaşandı

Yenilikçi tedavilere yönelik Ar-Ge zincirinin en temel halkalarından biri olan klinik araştırmalarda yaşanacak artışın, nadir hastalıklarla mücadele eden pek çok hastanın yenilikçi tedavilere erken erişimini mümkün kılacağına biliyoruz.

AIFD'nin kendi üyeleri arasında 2018 yılı içinde yaptığı bir anket çalışmasının sonuçlarına göre, çokuluslu 10 ilaç firmasının nadir hastalıklar alanında yürüttüğü 30'dan fazla klinik çalışmaya Türkiye'den 300'den fazla hasta katıldı. 2019 yılı içinde yapılan anket çalışmasının sonuçlarına göre, Türkiye'de henüz erişimi olmayan yetim ilaçlar için 21 klinik araştırma yürütülüyor. 2020 yılında AIFD ve EFPIA tarafından oluşturulan rapora göre, Türkiye'de 2009-2019 yılları arasında nadir hastalıklar alanında yürütülen 89 adet endüstri destekli aktif klinik çalışma, tüm klinik çalışmaların %17,1'ini oluşturmaktadır.<sup>3</sup>

Rakamlar, nadir hastalıkların tedavisi alanında tüm dünyada önemli bir sıçrama yaşandığını ortaya koyuyor. 2006 ile 2016 yılları arasında nadir hastalıklara yönelik klinik araştırmalar yıllık %88 oranında artarken<sup>4</sup> 2000-2017 yılları arasında 1.956 ilaca nadir hastalıkların tedavisinde kullanılan ilaçları tanımlayan "Yetim İlaç Statüsü" verildi.<sup>1</sup>

AIFD olarak "Ulusal Nadir Hastalıklar Politikası" kapsamında yayımlanması beklenen yetim ilaçlarla ilgili mevzuatın da bu alandaki en değerli iyileştirmelerden biri olacağına inanıyoruz.

### Evde sağlık hizmetleri için yönetmelik çalışması sürüyor

Günümüzde nadir hastalıkların yalnızca %5'i için onaylanmış bir tedavi bulunduğu tahmin ediliyor.<sup>5</sup> Nadir hastalıklar alanında karşılanmamış tıbbi ihtiyaç halen yüksek. Sektörümüzün tüm bileşenleri bu alandaki ihtiyacı karşılamak için çare bulana dek çözüm üretmeye devam ediyor.

TBMM Meclis Araştırma Komisyonunun yaptığı çalışmaların yanı sıra Sağlık Hizmetleri Genel Müdürlüğü (SHGM) bünyesinde Otizm, Zihinsel Özel Gereksinimler ve Nadir Hastalıklar Daire Başkanlığının kurulmuş olması 2019'da bu alanda yaşanan en önemli gelişmeler arasındadır. Nadir hastalıkların tanı ve tedavisine yönelik "Mükemmeliyet Merkezleri" kurulum çalışmaları da çok önemsiyoruz.

SHGM Nadir Hastalıklar Dairesi, pandemi sürecinin başından bu yana düzenli olarak STK'lar ile görüşüyor ve tedavi devamlılığı için esneklik sağlıyor.

Evde sağlık hizmetleri ile ilgili olarak ortaya çıkan yeni ihtiyaçları karşılamak için bir yönetmelik çalışması içinde olan kurum, pandemi döneminde önemi daha da anlaşılabilir olan bu kritik konuda çok önemli bir adım atmış bulunuyor.

Nadir hastalıkların tanı ve tedavi süreçlerine yönelik altyapı iyileştirmeleri, nitelikli insan kaynağının ve yenilikçi ilaçlara erişimin artırılması, bu alana özgü doğru ulusal politikalar ve yasal düzenlemelerin geliştirilmesi ile ivme kazanacaktır.

### Bu alanda somut öneriler içerecek bir rapor için çalışmalara başladık

AIFD olarak kendimizi tüm paydaşlar arasındaki etkileşimi kolaylaştıran ve bilimsel anlamda destekleyici rol oynayan bir paydaş şeklinde konumlandırıyoruz. 23 Ekim 2019 tarihinde yapılan komisyon toplantısında bu alanla ilgili önemli bilgi ve ihtiyaçları komisyon dikkatine sunma imkânı bulduk.

Toplantının ardından tutanakların analizi ile TBMM Meclis Araştırması Komisyonu Raporu 2020 yılının mart ayında yayımlandı.<sup>6</sup> Rapor içeriği bu alandaki gelişmelerin hız kazanmasını sağlayacaktır.

Nadir hastalıklarla mücadelenin toplum sağlığı önceliklerinin başında yer aldığına inanıyoruz. Yetim ilaçlara özgü düzenlemeler bu alandaki yenilikçi tedavilere erişim için kilit rol oynuyor. Bu mücadelenin önemli parçalarından biri de nadir hastalıkların tedavilerine yönelik referans bilgi kaynaklarını oluşturmaktır.

Üye firmalarımızın koşulsuz desteği ile bu alanda ülkemize özgü gelişim alanlarının belirlenmesi ve yenilikçi ilaçlara erişimin artırılması gibi öncelikli politika konularında somut öneriler içerecek bir araştırma raporu için çalışmalara başladık.

Tüm paydaşlarımıza referans kaynak olabilecek çalışmalarımızı 2021 ve devam eden yıllarda artırarak bu alanda uygulanacak politikalara katkıda bulunmak istiyoruz. Yenilikçiliğin değerini en iyi şekilde ortaya koyan tedavi alanlarından biri olan nadir hastalıklara özgü ihtiyaçların hızla karşılanması adına var gücümüzle çalışıyoruz.

#### REFERANSLAR:

1) *Estimated Impact of EU Orphan Regulation on Incentives for Innovation*, Dolon, 2020. <https://dolon.com/dolon/wp-content/uploads/2020/10/Estimated-impact-of-EU-Orphan-Regulation-on-incentives-for-innovation.pdf>

2) *Nadir Hastalıklar Hasta ve Hasta Yakınları İhtiyaç Analizi Ortak Akıl Platformu Çalışma Raporu* [http://sepd.org.tr/wp-content/uploads/2020/01/Nadir-Hastal%C4%B1klar-%C4%B0htiya%C3%A7-Analizi-%C3%87al%C4%B1%C5%9Ftay-Raporu\\_01.pdf](http://sepd.org.tr/wp-content/uploads/2020/01/Nadir-Hastal%C4%B1klar-%C4%B0htiya%C3%A7-Analizi-%C3%87al%C4%B1%C5%9Ftay-Raporu_01.pdf)

3) *Türkiye için klinik araştırma stratejisinin faydaları*. <https://www.aifd.org.tr/wp-content/uploads/2020/09/turkiye-icin-klinik-arastirma-stratejisinin-faydaları-raporu.pdf>

4) *Evaluating the Orphan regulation and its impact on patients and rare disease R&D in the European Union* [http://www.pugatch-consilium.com/?page\\_id=1589#benchmarking\\_success](http://www.pugatch-consilium.com/?page_id=1589#benchmarking_success)

5) Ürek, D., Karaman, S. (2019). *Önemli Bir Halk Sağlığı Sorunu Olarak Nadir Hastalıklar ve Yetim İlaçlar*. *Hacettepe Sağlık İdareci Dergisi*, 22 (4), 863-878. Retrieved from <https://dergipark.org.tr/pub/hacettepesid/issue/51008/865470>

6) *TBMM Meclis Araştırması Komisyonu Raporu* <https://shgmnadirdb.saglik.gov.tr/TR-86095/tbmm-nadir-hastalıklar-meclis-arastirma-komisyonu-raporu.html>