

“Türkiye’de Nadir Hastalıklar” Raporu Kamuoyuyla Paylaşıldı

Araştırmacı İlaç Firmaları Derneği (AIFD) girişimiyle IQVIA tarafından hazırlanan “Türkiye’de Nadir Hastalıklar” raporu, ülkemizde 5 milyonun üzerinde kişiyi etkileyen nadir hastalıklar için mevcut durum hakkında saptamalar yaparken bir yandan da ulusal politika, altyapı ve Ar-Ge konularında öneriler sunuyor.



Prof. Dr. Ateş Kara
TÜSEB Aşı Enstitüsü Başkanı

Prof. Dr. Onur Burak Dursun
Otizm Zihinsel Özel Gereksinimler ve Nadir Hastalıklar Daire Başkanı

Doç. Dr. İhsan Ateş
Sağlık Hizmetleri Genel Müdürlüğü Genel Müdürü

Şehram Zayer
AIFD Yönetim Kurulu Başkan Yardımcısı

Dr. Ümit Dereli
AIFD Genel Sekreteri

20 yıldır Türkiye’deki hastaların yenilikçi ilaç ve tedavilere erişimi için üyeleri ile birlikte çalışan Araştırmacı İlaç Firmaları Derneğinin (AIFD) girişimiyle araştırma şirketi IQVIA tarafından hazırlanan “Türkiye’de Nadir Hastalıklar” raporunun bulguları, 30 Kasım 2023’te Ankara’da düzenlenen, kamunun yoğun katılım gösterdiği toplantıda kamuoyuyla paylaşıldı. Nadir hastalıklarla mücadelede işbirlikleriyle güçlendirmeyi hedefleyen AIFD, 6 üyesinin desteğiyle hazırlanan raporun nadir hastalıklar alanındaki çalışmalar için bir referans kaynağı olmasını hedefliyor.

Raporun tanıtım toplantısında açılış konuşmalarını AIFD Yönetim Kurulu Başkan Yardımcısı Şehram Zayer, Otizm Zihinsel Özel Gereksinimler ve Nadir Hastalıklar Daire Başkanı Prof. Dr. Onur Burak Dursun, TÜSEB Aşı Enstitüsü Başkanı Prof. Dr. Ateş Kara ve Sağlık Hizmetleri Genel Müdürlüğü Genel Müdürü Doç. Dr. İhsan Ateş gerçekleştirdi. IQVIA Temsilcisi Şule Akbil de “Türkiye’de Nadir Hastalıklar” sunumu ile raporda öne çıkan bulguları paylaştı.

Nadir hastalıklarla mücadelede işbirlikleri kritik önem taşıyor

Ülkemizde son yıllarda hem kamu hem de diğer paydaşlar tarafından nadir hastalıklar alanında önemli adımlar atıldığını söyleyen AIFD Yönetim Kurulu Başkan Yardımcısı Şehram Zayer şu ifadeleri kullandı: “Sağlık Hizmetleri Genel Müdürlüğü bünyesinde Otizm, Zihinsel Özel Gereksinimler ve Nadir Hastalıklar Daire Başkanlığının kurulması, TBMM Nadir Hastalıklar Komisyonunun oluşturulması ve nadir hastalıklar alanındaki ilk resmi plan olan ‘Nadir Hastalıklar Sağlık

Strateji Belgesi ve Eylem Planı'nın yayımlanması gibi önemli gelişmeler, ülkemizde nadir hastalıklarla mücadele eden herkesin gerekli tanı ve tedavi koşullarına erişmesi adına atılan önemli adımlar oldu. Bugün sizlerle paylaştığımız 'Türkiye'de Nadir Hastalıklar' raporumuzun 12. Kalkınma Planı'nda yer verilen nadir hastalıklarla mücadele adımlarını destekler nitelikte olduğuna, bulguların ve gelişim alanı önerilerinin nadir hastalıklar alanında ülkemizde sürdürülen çalışmalara ve çözümlere önemli ölçüde katkı sunacağına inanıyoruz. Nadir hastalıkların etkin yönetiminde bu hastalıklara yönelik Ar-Ge çalışmalarının yürütülmesi, hastalıkların önlenmesi ve erken tanısı, hastaların destek tedavileri dahil ihtiyaç duydukları tüm tedavilere erişimi, hasta kayıtlarının uzun vadede ve düzenli olarak tutulması ve hem sağlık çalışanları hem de toplum genelinde farkındalık yaratılması büyük önem taşıyor. Türkiye'de dünyadaki uygulamalardan farklı olarak nadir hastalıkların tedavisi için geliştirilen ilaçlara 'yetim ilaç' statüsü verilmesine olanak sağlayan yasal düzenlemelerin gerçekleştirilmesi, ilaç ruhsatlandırma yönetmeliğinde ve geri ödeme yönetmeliğinde de yetim ilaca yönelik düzenlemelere yer verilmesi, nadir hastalıkların tedavisinde kullanılan yetim ilaçların ruhsat, fiyatlandırma ve geri ödeme süreçlerinde farklı ve efektif modellerin değerlendirilmesi ve ele alınması bu ilaçlara erişim adına atılacak önemli adımları oluşturuyor. Nadir hastalıklar ile mücadele eden hasta ve hasta yakınlarına gerekli desteklerin sağlanabilmesi ve ülkemizdeki hastaların etkin tedaviye erişebilmesi için kamu, özel sektör ve sivil toplum kuruluşları tarafından yapılan işbirlikleri çok değerli. AIFD olarak her zaman olduğu gibi nadir hastalıklar alanında da geride hiçbir hastayı bırakmayacak tanı ve tedavilerin geliştirileceği bir dünyaya giden yolda tüm paydaşlarla yapıcı işbirliğine açık olmakla birlikte elimizden gelen katkıyı sunmaya ve çözüm ortağı olmaya hazırız."



Nadir hastalıklar konusunda yürüttüğümüz çalışmalar sadece tıbbi bir sorumluluk değil aynı zamanda etik bir sorumluluk

Sağlık Hizmetleri Genel Müdürlüğü Genel Müdürü Doç. Dr. İhsan Ateş ise konuşmasında, "Nadir hastalıklar konusunda yürüttüğümüz çalışmaların sadece tıbbi bir sorumluluk değil aynı zamanda etik bir sorumluluk olduğunun da bilincindeyiz. Nadir hastalıkların tanı ve tedavi süreçlerini hızlandırmak, araştırma ve geliştirme faaliyetlerini artırmak, hastalar ve hasta yakınlarına destek olmak son derece elzemdir. Bu süreçte iyi bir işbirliği örneği olarak bizlere katkıda bulunan herkese teşekkürlerimi iletiyorum. Önümüzdeki 5 yıllık süreçte nadir hastalıklara yönelik tüm paydaşların katılımı ile düzenlenen bugünkü çalıştayımızın önemli bir yol gösterici olacağına inanıyorum" dedi.

Raporda öne çıkan bulgular şöyle sıralanıyor:

- Türkiye'de 5 milyondan fazla bireyin herhangi bir nadir hastalığı olduğu tahmin ediliyor.

- Türkiye'de nadir hastalıklara sahip bireyler doğru tanı alana kadar yaklaşık 7 yıl geçiyor ve yaklaşık 8 uzmanın kontrolünden geçiyor.
- Avrupa'ya kıyasla Türkiye'de çok yüksek olan akraba evliliği oranı (%5'in altına karşılık %23,2) ülkemizde nadir hastalıkların görülme sıklığının Avrupa seviyesinin üzerinde olabileceğini düşündürüyor.
- Dünya çapında bugüne dek tanımlanmış yaklaşık 8 bin nadir hastalık buluyor ve bunlara her yıl yenileri ekleniyor.
- Tanımlı hastalıkların %70'ten fazlası genetik geçişli olmakla birlikte yaklaşık %70'i çocukluk çağında ortaya çıkıyor.
- Bugüne dek tanımlanmış nadir hastalıkların ancak %5'i için tedavi geliştirilebilmiştir.

Tarama çalışmaları

- Ülkemizde 2021 sonu itibarıyla 6 nadir hastalık yenidoğan taraması programına dahil edilmiş durumda.
- Türkiye'de yürütülen tüm yenidoğan tarama çalışmaları sayesinde yılda yaklaşık 4 bin 500 çocuğun var olan

hastalıklarının sonuçlarından korunması ve engellilik oluşumunun önüne geçilmesi sağlanıyor.

- İtalya'da ve ABD'nin çeşitli eyaletlerinde 50'den fazla, Tayvan'da ise 26'dan fazla nadir hastalığın yenidoğan bebeklerde tarandığı göz önünde bulundurulduğunda Türkiye'de bu programın gelişim potansiyeli görülüyor.

Pazara erişim süreçleri

- Ülkemizde 2009 yılından itibaren nadir hastalıkların tedavisinde kullanılan "yetim ilaçlara" yönelik bir yasal düzenleme üzerinde çeşitli çalışmalar yapılmışsa da herhangi bir yasa ya da yönetmelik hayata geçirilmemiş durumda.

- Türkiye'deki hastalar, ABD Gıda ve İlaç Dairesi (FDA) veya Avrupa İlaç Kurumu (EMA) tarafından yetim ilaç statüsü tanınmış ve bu statüsü hâlâ geçerli olan toplam 416 adet ilaçtan 151 adedine çeşitli şekillerde erişebiliyor. Bu ilaçların sadece 76 adedi Türkiye'de olmakla birlikte 75'i ülkemize "Yurtdışı İlaç Listesi" aracılığıyla getiriliyor.

- 2017-2020 yılları arasında EMA onayı alan 57 yetim ilacın incelendiği bir çalışmada bunların sadece 8'ine Türkiye'de geri ödemeli olarak erişilebildiği, bu sayının 21 olan Avrupa ortalamasının çok gerisinde kaldığı görülüyor.

- Türkiye'de erişilen 8 yetim ilaçtan sadece 2'sinin ülkemizde ruhsatlı olduğu, diğerlerine "Yurtdışı İlaç Listesi" üzerinden erişildiği saptanmış durumda. Söz konusu ilaçlara EMA onayından itibaren Türkiye'ye "Yurtdışı İlaç Listesi" üzerinden geri ödemeli erişimin ortalama 461 günde sağlandığı, bu sürenin Almanya'da 102 gün olduğu gözlemleniyor.

- Türkiye'de çeşitli branşlardaki uzman hekim sayıları zaman içinde artış gösterirken ülkemizde kişi başına düşen uzman hekim sayısı henüz OECD ortalamasının oldukça gerisinde yer

alıyor ve uzman hekimlerin ülke geneline dağılımında eşitsizlik gözleniyor.

- Raporda nadir hastalıklarla ilgili bulguların yanı sıra ulusal politikalar, altyapı ve Ar-Ge olmak üzere üç konu odağında 19 çözüm önerisi de yer alıyor.

Raporda yer alan ulusal politika önerileri

1. Oluşturulacak ortak bir komisyon önderliğinde nadir hastalıklara özel ulusal plan, politika ve stratejilerin belirlenmesi ve uygulamasının takibi

2. Uluslararası standartlarla uyumlu nadir hastalıkların tedavisinde kullanılan "yetim ilaç" tanımının belirlenmesi ve ilgili mevzuatın oluşturulması

3. Nadir hastalık tedavilerinde ruhsat sürecinin hızlandırılması

4. Nadir hastalık tedavilerine yönelik fiyatlandırma ve geri ödeme süreçlerinin iyileştirilmesi

5. Nadir hastalıkların tanı ve tedavisinde kullanılan test ve tıbbi cihazlara erişimin kolaylaştırılması

6. Türkiye'nin nadir hastalıklar konusunda dünyada önde gelen organizasyonlarda aktif şekilde yer alması

7. Nadir hastalıklar alanında kamu ve özel sektör işbirliklerinin hayata geçirilmesine ve kapsamının genişletilmesine zemin oluşturulması

8. Nadir hastalıklarda toplumun farkındalığını ve bilgi düzeyini artırmaya yönelik faaliyetler gerçekleştirilmesi

9. Hasta derneklerinin güçlendirilmesi ve uluslararası kuruluşlar ile iletişiminin geliştirilmesi

Raporda yer alan altyapı süreçlerine ilişkin öneriler

1. Nadir hastalıkların tanı ve tedavisinde görev alan uzman hekimlere erişimin artırılması

2. Nadir hastalıkların yönetiminde görev alacak, nadir hastalıklar üzerine eğitilmiş tıbbi destek hizmetleri ve sosyal

hizmetler personeline erişimin iyileştirilmesi

3. Birinci basamak sağlık kuruluşlarında görev yapan hekimlerin ve diğer sağlık personelinin nadir hastalıklarla ilgili farkındalık ve bilinç düzeyinin artırılması

4. Nadir hastalıklar alanında ulusal ve uluslararası referans ve iletişim ağlarının kurulması ve güçlendirilmesi

5. Tarama programı kapsamındaki hastalıkların genişletilmesi ve tarama sonucu risk grubunda olduğu belirlenen hastalara sunulan danışmanlık hizmetlerinin iyileştirilmesi

6. Nadir hastalıklara özel multidisipliner yaklaşımın benimsendiği uzmanlık merkezleri oluşturulması ve bu merkezler için akreditasyon kriterlerinin belirlenerek kontrolünün sağlanması

7. Nadir hastalık tanısı alan hastaların ve risk taşıyan bireylerin sağlık kayıtlarının düzenli tutulması ve takip edilmesi

8. Ülkemizde erişilebilen ancak henüz ruhsat onayı almamış, nadir hastalıklar alanında kullanılan tedaviler için gerçek yaşam verisi çalışması yapılabilmesinde esneklik sağlanması

Raporda yer alan Ar-Ge süreçlerine ilişkin öneriler

1. Nadir hastalıkların tanı ve tedavisine yönelik ürünlerin Türkiye'de geliştirilmesi için Ar-Ge faaliyetlerinin desteklenmesi, bu faaliyetler için uygun zemin oluşturulması ve teşviklerin sağlanması

2. Nadir hastalıklar alanında Türkiye'de gerçekleştirilen klinik araştırma sayısının artırılması

QR kod okutularak raporun tamamına ulaşılabilir.

