



“TÜRKİYE’DE NADİR HASTALIKLARLA YAŞAYAN 5 MİLYON KİŞİ İÇİN YAPISAL ADIMLARLA İLERLEMeye İHTİYAÇ VAR”



Her yıl 28 Şubat’ta, Nadir Hastalıklar Günü kapsamında milyonlarca kişiyi etkileyen ancak adından da anlaşıldığı üzere, her biri tek başına nadir görüldüğü için çoğu zaman görünürlük kazanamayan nadir hastalıklar gündeme geliyor. Nadir hastalıklarda, tanı süreçlerinin uzunluğu, tedavi seçeneklerinin sınırlılığı ve erişim zorlukları bu alanı sağlık politikalarının en hassas başlıklarından biri haline getiriyor.

Araştırmacı İlaç Firmaları Derneği (AiFD) ile IQVIA iş birliğinde hazırlanan Türkiye İlaç Sektörü Raporu 2025, nadir hastalıklar ve yetim ilaçlara erişim konusundaki güncel verileriyle nadir hastalıklar alanındaki küresel ve yerel tabloyu gözler önüne seriyor.

Türkiye’de 5 milyondan fazla kişi nadir hastalıklarla yaşıyor

Avrupa Birliği tanımına göre görülme sıklığı 1/2000 ve altında olan hastalıklar “nadir hastalık” olarak kabul ediliyor. Türkiye de bu tanıma esas alıyor. Türkiye’de 5 milyondan fazla kişinin nadir hastalıklarla yaşadığı tahmin ediliyor. Yüksek akraba evliliği oranı nedeniyle görülme sıklığının Avrupa ortalamasının üzerinde olduğu değerlendiriliyor. Dünya genelinde yaklaşık 300 milyon, Avrupa’da ise 30 milyon kişi nadir hastalıklardan etkileniyor.¹

¹IQVIA (2023), Türkiye’de Nadir Hastalıklar

²EFPIA (2025), Patients W.A.I.T. Indicator Survey 2024. <https://www.aifd.org.tr/wp-content/uploads/2025/11/EFPIA-tr.pdf>, slide 31

Türkiye’de yetim ilaçlara erişim oranı %2

Her birinin sınırlı sayıda kişiyi etkilemesi nedeniyle nadir hastalıklara yönelik Ar-Ge çalışmaları yürütmek zorlu ve yüksek maliyetli süreçler gerektiriyor. Bununla birlikte ilgili hastalıkların oluşma mekanizmasını netleştirmek de zorlu ve karmaşık bir süreç gerektiriyor. Buna bağlı olarak, nadir hastalıklara yönelik geliştirilmiş tedavilerin sayısı oldukça sınırlı kalıyor. Bu sorunun çözülmesi amacıyla, dünyanın pek çok ülkesinde sınırlı sayıda hastaya hitap eden tedaviler “yetim ilaç” olarak tanımlanıyor.

Bu ilaçların Ar-Ge faaliyetleri ve pazara erişim süreçleri çeşitli yasal düzenlemelerle destekleniyor. Türkiye’de halihazırda yetim ilaçlara yönelik bir yasal düzenleme bulunmuyor. Türkiye İlaç Sektörü Raporu 2025’te yer verilen EFPIA W.A.I.T. 2024 çalışmasına göre, 2020–2023 yılları arasında Avrupa İlaç Ajansı (EMA) tarafından ruhsatlandırılan 66 yetim ilaç bulunuyor. 2024 yılı itibarıyla bu ilaçlardan yalnızca 1’i Türkiye’de geri ödeme kapsamında yer alıyor.

AB genelinde yetim ilaçlara erişim oranı ortalama %42 seviyesindeyken, Türkiye’de bu oran %2 düzeyinde kalıyor.² Yetim ilaçlara erişim çoğu zaman Yurt Dışı İlaç Listesi üzerinden sağlanıyor. Bu model, hastalar açısından uzun ve karmaşık süreçler yaratırken sistem açısından da sürdürülebilirlik tartışmalarını beraberinde getiriyor.



Dr. Ecz. Nihan Burul Bozkurt
AIFD Genel Sekreter Yardımcısı

“Mevcut durumda önceliğimiz nadir hastalıklar için gerekli politika çerçevelerinin yeniden tanımlanması değil; belirlenen politika önerilerinin kararlılıkla hayata geçirilmesi olmalı”

Türkiye’de yenilikçi ilaçlara ve tedavilere erişimi hızlandırmak ve Türkiye’nin ilaç araştırma ve geliştirme alanındaki küresel rekabet gücünü artırmak için faaliyet gösteren Araştırmacı İlaç Firmaları Derneği’nin Genel Sekreter Yardımcısı Dr. Ecz. Nihan Burul Bozkurt, konuyla ilgili yaptığı açıklamada şu ifadeleri kullandı: “Ne yazık ki ülkemizde yetim ilaçlara yönelik özel bir yasal düzenleme bulunmuyor ve resmi olarak belirlenmiş bir ‘yetim ilaç’ tanımı da yer almıyor. Nadir hastalıkların doğası gereği özel politika araçlarına ihtiyaç duyulmaktadır.

Türkiye’de de nadir hastalıkların tedavisi için geliştirilen ilaçlara ‘yetim ilaç’ statüsü verilmesine olanak sağlayan yasal düzenlemelerin oluşturulması, yetim ilaçların ruhsat, fiyatlandırma geri ödeme ve klinik araştırma süreçlerinde farklı ve efektif modellerin değerlendirilmesi ve ele alınması bu ilaçlara erişim adına atılacak önemli adımları oluşturuyor. Bu çerçevede, AIFD destekleriyle IQVIA tarafından 2023 yılında yayımlanan Nadir Hastalıklar Raporu, hâlihazırda bu alanda önemli bir referans ve yol haritası niteliği taşıması yönüyle güncelliğini sürdürüyor. Raporda ulusal politikalar, altyapı ve Ar-Ge başlıkları altında ortaya konan 19 politika önerisi; nadir hastalıklar alanındaki ihtiyaçları sistematik biçimde tanımlıyor ve uygulanabilir çözüm alanlarını netleştiriyor. Mevcut durumda önceliğimiz ülkemizde bu çözüm alanlarının yeniden tanımlanması değil; belirlenen politika önerilerinin kararlılıkla hayata geçirilmesi olmalı.”

“Yetim ilaçlara erişim önemli bir gösterge”

Yetim ilaçlara erişimdeki mevcut duruma vurgu yapan AIFD Genel Sekreteri Dr. Ümit Dereli ise Nadir Hastalıklar Günü kapsamında yaptığı değerlendirmede şunları söyledi: “Türkiye İlaç Sektörü Raporu 2025, nadir hastalıklar alanındaki erişim farkını açık biçimde ortaya koyuyor. Yetim ilaçlara erişim, yalnızca tedavi ile sınırlı bir mesele değil; sağlık sisteminin kapsayıcılığı ve sürdürülebilirliği açısından da önemli bir gösterge. Bu alanda atılacak yapısal adımlar, hem hastaların yaşam kalitesini artıracak hem de sağlık sistemimizin öngörülebilirliğini güçlendirecektir.

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 iş birlikleri çok değerli. AIFD olarak her zaman olduğu gibi nadir hastalıklar alanında da geride hiçbir hastayı bırakmayacak tanı ve tedavilerin geliştirileceği ve tedavilerin erişilebilir olduğu bir dünyaya giden yolda tüm paydaşlarla yapıcı iş birliğine açık olmakla birlikte elimizden gelen katkıyı sunmaya ve çözüm ortağı olmaya hazırız.

Nadir hastalıklar alanında ilerleme; erken tanı kapasitesinin güçlendirilmesi, klinik araştırmaların desteklenmesi, veri altyapısının geliştirilmesi ve yetim ilaçlara erişim modellerinin sürdürülebilir biçimde yapılandırılması ile mümkün. Nadir Hastalıklar Günü, sayıca az görülen ancak toplamda milyonlarca kişiyi etkileyen bu hastalıklar için daha kapsayıcı, veri temelli ve sürdürülebilir çözümlerin önemini bir kez daha hatırlatıyor.”



Dr. Ümit Dereli
AIFD Genel Sekreteri

Nadir Hastalıklar ve Yetim İlaçlar

Türkiye, AB’nin nadir hastalık tanımını esas almaktadır. 5 milyondan fazla nadir hastalığa sahip bireyin olduğu tahmin edilen Türkiye’de, yüksek akraba evliliği oranı nedeniyle nadir hastalıkların görülme sıklığının Avrupa ülkelerinden yüksek olduğu düşünülmektedir. Avrupa’da yaklaşık 30 milyon, dünya genelindeyse yaklaşık 300 milyon kişinin nadir hastalıklardan etkilendiği tahmin edilmektedir. Dünyanın pek çok ülkesinde sınırlı sayıda hastaya hitap eden tedaviler “yetim ilaç” olarak tanımlanmış, bu ilaçların Ar-Ge faaliyetleri ve pazara erişim süreçleri çeşitli yasal düzenlemelerle desteklenmiştir. Türkiye’de yetim ilaçlara yönelik bir yasal düzenleme hayata geçirilmemiştir. W.A.I.T. çalışmasında, 2020-2023 yılları arasında EMA tarafından ruhsat onayı almış 66 yetim ilaç bulunmaktadır. İlgili tedaviler arasında **2024 yılında Türkiye’de geri ödemeli erişim sağlanabilen 1 ilaç bulunmaktadır.**