

Türkiye’de Nadir Hastalık ve Yetim İlaçlar Mevzuat Tarihçesi

Avrupa Komisyonu nadir hastalıkları toplumda çok az sayıda kişide görülmesinden dolayı ortak çaba gerektiren ve yaşamı tehdit eden ya da çok ciddi engellilik yaratan hastalıklar olarak tanımlamıştır.¹ Nadir hastalık sıklığı da toplumda 10.000 kişide 5 kişi olarak belirlenmiştir. Ultra-nadir tanımları için FDA ve EMA tarafından onaylanmış bir ifade olmamasına rağmen, AB’de de İngiltere’de NICE tarafından tanımlanmakta olduğu gibi, 1/50.000 kişi hastalık sıklığı dikkate alınarak sınıflandırılmaktadır.

Dünyada bilinen nadir hastalıkların sayısının 6-8 bin olduğu vurgulanmaktadır. Dünyada 250-300 milyon insanın ve Avrupa’da 27-36 milyon insanın nadir hastalıklarla mücadele ettiği, ülkemizde ise nadir hastalıkların toplumun %6-8’ini, yani yaklaşık 6-7 milyon insanı etkilediği tahmin edilmektedir. Bunların %50’sini çocuk nüfusu oluşturmaktadır. Türkiye’de akraba evliliği yoğunluğu (toplumun %25’i) nedeniyle görülen nadir hastalıkların %80’i herediterdir. Nadir hastalıkların Türkiye’deki mevcut boyutuna ilaveten bu hastalıkların toplum sağlığı için önemi de dikkat çekici düzeydedir ve halk sağlığı açısından farklı bir yaklaşım gerektirmektedir.

Nadir hastalıklar toplumda az görülmele birlikte yaşamı tehdit etmeleri ya da ciddi engellilik yaratmaları nedeni ile toplumsal bir sağlık problemi olarak yansımaktadır. Hastaların düşen yaşam kaliteleri ve verimlilikleri, sürekli hastane ziyaretleri, bağımlılık ve yük olma hissi ve buna bağlı olarak yaşadıkları depresyon hasta yakınlarını da olumsuz etkilemektedir. Özellikle de nadir bir hastalığa sahip çocukların aileleri tanı ve tedavi süreçlerinde çok ciddi etkilenmekte ve sorunlar yaşamaktadırlar.



Burcum Uzunoğlu

RX KURUMSAL İLETİŞİM
Genel Müdür

Bilinmezlerle dolu bir alan

Yetim ilaçlar, yaşamı tehdit eden ya da ciddi engellilik yaratan nadir hastalıkların teşhisi, önlenmesi veya tedavisinde kullanılan beşeri tıbbi ürünler olarak tanımlanmaktadır.

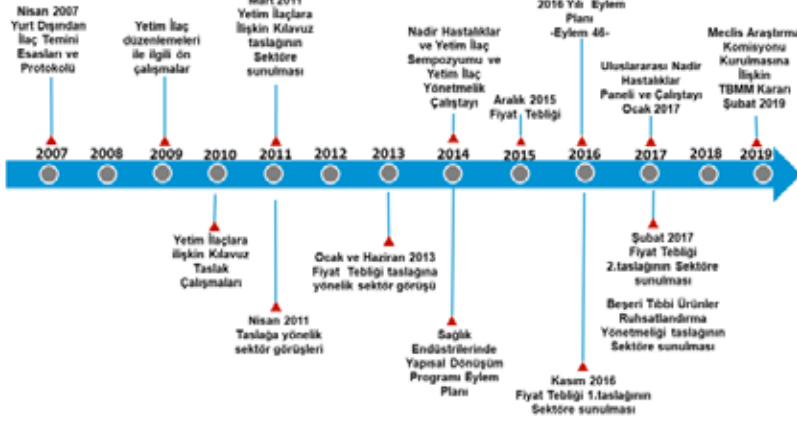
Nadir hastalıklar ve yetim ilaçlar konusu, diğer alanlarla kıyaslandığında farkındalığın az olduğu ve bilinmezlerle dolu bir alandır. “Yetim İlaçlar” ABD’de 1980, Japonya’da 1993, Avusturya’da 1998 ve AB’de 2000’li yıllarda ancak gündeme taşınabilmiş ve diğer hastalıklardan farklı ele alınmaya başlanmıştır. Haziran 2009’da Avrupa Birliği Sağlık Bakanları Konseyi tüm AB üye devletlerin nadir hastalıklar için ulusal planlar uygulamalarını gerektiren bir Avrupa stratejisi benimsemiştir. 2016 yılında tüm Avrupa ülkeleri ulusal nadir hastalık planlarını resmîleştirmiştir. Ülkeler nadir hastalıklarla ilgili kendi ulusal ihtiyaçları doğrultusunda yetim ilaç sektörüne farklı imtiyazlar sağlamaktadır. Örneğin Avustralya yetim ilaç şirketlerine 5 yıl pazar münhasırlığı sağlarken ABD 7 yıl, AB ve Japonya 10 yıl pazar münhasırlığı sağlamaktadır.

Nadir hastalara yönelik farklı politikalar geliştirildi

Türkiye’de sağlık sistemi 2003-2008 yılları arasında bir reform döneminden geçmiştir. Genel sağlık güvenliği ve hastaların serbest erişim tercihi, hizmet sunucu sektörü için sürdürülebilir bir talebi güvenceye aldı. Özel hizmet sunucuları ile ilgili düzenleyici ortam 2008 yılından sonra istikrarını korudu ve yalnızca fiyatlandırma konusunda küçük revizyonlar yapıldı (İstikrar dönemi, 2009-2017). Bu süre zarfında da nadir hastalıklarla mücadele eden hastalara yönelik olarak farklı politikalar geliştirilmesi görüşü benimsendi ve nadir hastalıklar ve yetim ilaçlar alanında tüm paydaşların görüş ve önerileri de alınarak ulusal hedefler belirlendi. 2011 yılında Türkiye İlaç ve Tıbbi Cihaz Kurumu tarafından Ulusal Yetim İlaç Kılavuz Taslağı hazırlandı ve sektör temsilcileriyle paylaşılarak kendilerinin de ulusal mevzuat ile ilgili önerileri alındı. 2014 yılında gerçekleştirilen “Nadir Hastalıklar ve Yetim İlaçlar Sempozyumu ve Yetim İlaç Yönetmelik Çalıştayı”nda akademi, kamu, sektör ve STK temsilcilerinin önerileri doğrultusunda Ulusal Yetim İlaç Kılavuz Taslağı güncellendi.

2014 yılında 10. Beş Yıllık Kalkınma Programı kapsamında oluşturulan ve 9 Öncelikli Dönüşüm Programı’ndan birisi olarak açıklanan Sağlık Endüstrilerinde Yapısal Dönüşüm Programı Eylem Planı çerçevesinde yerli ve yabancı sektör ile yakın iş birliği içinde çalışacak akredite araştırma, test ve ölçüm merkezlerinin kurulması politikası kapsamında, ülkemizde yetim ilaçlar alanında kapasite oluşturulması eylemi Sağlık Bakanlığı ve ilgili kuruluşlara add edildi. 5 Ocak 2017 tarihinde Ankara’da Sağlık Bakanlığı tarafından

Türkiye'de Nadir Hastalıklar ve Yetim İlaç Düzenlemeleri Tarihi



Sağlık Hizmetleri Genel Müdürlüğü ve TÜSEB iş birliği ile "Uluslararası Nadir Hastalıklar Panel ve Çalıştayı" organize edildi. Konularında uzman yaklaşık 80 klinisyen hekimin katıldığı "Nadir Hastalıklar Eylem Planı Çalıştayı" sırasında belirlenen hedef ve eylemlerin hızlı bir şekilde fiiliyata dönüştürülerek "Ulusal Nadir Hastalık Eylem Planı" oluşturulması bu alanda ilerleme yönünde atılmış önemli bir adımdır.

Meclis Araştırma Komisyonu kuruldu

6 Şubat 2019 tarihinde TBMM Genel Kurulu'nda ALS, SMA, DMD, MS hastalıklarında ve tedavisi bilinmeyen diğer hastalıklarda uygulanan tedavi ve bakım yöntemleri ile bu hastalıklara sahip kişiler ve yaşadıkları sorunların ve çözümlerinin belirlenmesi amacıyla bir meclis araştırması

açılmasına, bu araştırmayı yapacak 12 üyeden oluşan bir Meclis Araştırma Komisyonu'nun kurulmasına dair karar alındı. Komisyonun çalışma süresi başkan, başkanvekili, sözcü ve kâtip seçimi tarihinden itibaren 3 ay olarak belirlendi. TBMM kararı 9 Şubat 2019 tarihli ve 30681 sayılı Resmî Gazete'de yer aldı.³ Meclis Araştırma Komisyonu'nun araştırmaları sonucunda elde edilecek çıktılar Sağlık Bakanlığı ve Türkiye İlaç ve Tıbbi Cihaz Kurumu'nda Eylem Planı'na dönüştürülecektir. Görülen o ki ülkemizde nadir hastalıklar konusunda farkındalık düzeyi hem kamuoyu hem de kamu kurum ve kuruluşları nezdinde son yıllarda giderek artmış ve hasta odaklı ve uzun soluklu çözüm geliştirmeye yönelik gerekli tüm adımlar atılmıştır.

KAYNAKLAR

¹ European Commission Health & Consumer Protection Directorate-General http://ec.europa.eu/health/ph_information/documents/ev20040705_rd05_en.pdf

² <https://www.tuseb.gov.tr/tbe>

³ <http://www.resmigazete.gov.ztr/eskiler/2019/02/20190209-2.pdf>

Türkiye Genom Projesi başladı

2018 yılında TÜSEB tarafından Stratejik Eylem Planı hazırlandı. Aziz Sancar Araştırma Geliştirme Merkezi (ASAGEM), genom dizileme, biyoenformatik analiz ve veri toplama amacı ile yapılandırıldı. Bu merkezde 100.000 insan tüm genomu hedefli 5 yıl sürecek Türkiye Genom Projesi (TGP) pilot fazı başarı ile tamamlandı ve 100 sağlıklı bireye ait genom dizileme ve biyoenformatik analiz çalışmaları tamamlandı. 2019 yılı itibarıyla devam edecek TGP ikinci fazı kapsamında 1.500 sağlıklı ve nadir hastalık teşhisi alan bireyin tüm genom ve mikrobiyom analizleri gerçekleştirilecektir.² "Nadir Hastalıklar", "Kanser", "Kompleks Hastalıklar"ın erken tanısını ve "Kişiyi Özel Tedaviler"i kapsayan "Genom Projesi"nde de önemli bir aşama katedilmiş olması ülkemiz adına sevindirici bir gelişmedir.

64.HÜKÜMET 2016 YILI EYLEM PLANI (ÇARAAATLAR VE REFORMLAR)

Eylem No	Eylem	Eylemin Sorumlu Kurumu veya Kuruluşu	Eylem ile İlgili Kurum ve Kuruluş	Eylemin Başlangıcı ve Bitiş Tarihi	Eylemin İhtisap Açıklaması
SOSYAL POLİTİKALAR VE ÇALIŞMA HAYATI					
46	Sağlık alanı ve gerekliliği ile stratejik ve yerli ilaçların geri ödeme, fiyatlandırma ve ruhsatlandırma süreçleri iyileştirilecektir.	Sağlık Bakanlığı	Kalkınma Bakanlığı, Maliye Bakanlığı, Hazine Müsteferliği, Sosyal Güvenlik Kurumu	21 Aralık 2015 21 Haziran 2016	Türkiye'de üretilecek üzere bayımsız yapılan ilaçların SGK geri ödeme politikaları ile birlikte ele alınarak Sağlık Bakanlığınca hızlı ruhsatlandırılması sağlanacaktır. Sosyal Güvenlik Kurumu, mevzuatında gerekli düzenlemeleri yaparak, yurt içinde imal edilen sağlık ürünlerinin geri ödeme listesine alınması için değerlendirme sürecini hızlandıracaktır. Tedavinin sağlanmasında gerekli güvence alınarak kayıtlı, geri ödeme listesinde çıkarılacak ithal ürünler belirlenecektir. Nadir hastalıkların tanınması ve güncelleme oranlarının tespiti sağlanacak, kayıt sisteminin ve istatistiklerin oluşturulması için yeni doğan ve doğum öncesi tarama programları oluşturulacaktır. Bu alanda ruhsatlı araştırma ve uygulama birliği ve tedavi merkezlerinin kurulması ve desteklenmesi sağlanacaktır. Yetim ilaçların ülkemizde üretilmesi, fiyatlandırma ve iskonto oranlarında esneklik sağlanması, geri ödeme sisteminde dahil edilmesi gibi alanlarda düzenleme yapılacaktır. İleri tıbbi tedavi ürünleri ile tedavi edilebilecek nadir hastalıklar için üçüncü basamak sağlık kurumlarında tanı/tarama testlerinin geri ödeme kapsamında paket dışında tanınmasını sağlanacaktır. Bu eylem kapsamındaki düzenleme ve uygulamalar, gerekli alanlarda Sağlık Endüstrileri Yürütme Komitesinde görüşülecektir. Komitenin uygun bulması halinde çalışmalar Ekonomik Koordünasyon Kuruluma sunulacak, uygulama için karar gerektiren durumlarda gerekli karar mekanizmaları çalıştırılacaktır.