**2021 Nadir Hastalıklarla Mücadelede Etkin İş Birliklerinin Yılı Olmalı**

**28 Şubat Nadir Hastalıklar Günü dolayısıyla açıklama yapan Araştırmacı İlaç Firmaları Derneği (AIFD), nadir hastalıklar ile mücadele eden hasta ve hasta yakınlarına gerekli desteklerin sağlanabilmesi için kamu - özel sektör - sivil toplum iş birliklerini güçlendirmeyi hedeflediklerini bildirdi.**

Tüm dünyada 300 milyon kişiyi etkileyen ve nadir hastalık tanımına giren 6 bin hastalık bulunuyor.Mücadele edenlerin yarısını çocukların oluşturduğu nadir hastalıkların yüzde 72’si genetik kökenli. Nadir hastalıkların yüzde 70’i çocuklukta, diğerleri ise viral, bakteriyel enfeksiyon, alerji ya da diğer çevresel faktörler sonucu ortaya çıkabiliyor. Bazı bulaşıcı hastalıklar, kanserler ve otoimmün hastalıklar da nadir hastalık olarak kabul ediliyor. Dünya nüfusunun yüzde 3,5- 5,9’unun nadir hastalıklarla mücadele ettiği tahmin ediliyor.**[[1]](#footnote-1)**

Türkiye’de her 16 kişiden 1’inde nadir hastalık görülürken, toplamda 5 milyonun**[[2]](#footnote-2)** üzerinde nadir hasta bulunduğu tahmin ediliyor.Son yıllarda nadir hastalıkla mücadelede araştırmacı ilaç firmaları ve kamu kurumlarının iş birliği sayesinde önemli adımların atıldığını ifade eden **Araştırmacı İlaç Firmaları Derneği (AIFD) Genel Sekreteri Dr. Ümit Dereli** “Türkiye Büyük Millet Meclisi Meclis Araştırma Komisyonunun yaptığı çalışmaların yanı sıra Sağlık Hizmetleri Genel Müdürlüğü bünyesinde Otizm, Zihinsel Özel Gereksinimler ve Nadir Hastalıklar Daire Başkanlığının kurulmuş olması, nadir hastalıkların tanı ve tedavisine yönelik ‘Mükemmeliyet Merkezleri’ kurma çalışmaları bu alanda atılan önemli adımlar oldu. Nadir hastalığı olan bireyler ve bu hastaların takip ve tedavisini üstlenecek sağlık profesyoneli için tanı, tedavi ve bakım olanakları hakkında bilgiler sağlanması, gerekli yasal düzenlemelere hazırlık çalışmalarının yapılması ile süren bu gelişmeleri 2021 ve takip eden dönemde ülkemizde nadir hastalıkla mücadele eden sağlık ekosistemini geliştirecek iş birlikleriyle güçlendirmeye kararlıyız” diye konuştu.

Tüm hasta ve hasta yakınlarının hayatlarını derinden etkileyen COVID-19 salgını ile birlikte elbette nadir hastalıklar konusundaki mücadelelerinin de devam ettiğinin altını çizen AIFD Genel Sekreteri Dr. Ümit Dereli yaptığı açıklamada şu ifadeleri kullandı: “Araştırmacı ilaç firmaları olarak çalışmalarımızı kesintisiz olarak sürdürmeye ve zorlu koşullara rağmen dünyadaki herkes gibi ülkemizdeki hastaların da uygun şartlar altında uygun tedaviye erişebilmesi için yetkili kurumlar ile yoğun şekilde iş birliği yaparak gereken katkıyı yapmaya 2020 yılında da devam ettik. Nadir hastalıklar alanındaki paydaşlarımız ve yetkili kurumlara çok sayıda ziyaret gerçekleştirdik. Bu verimli iş birliği sayesinde pek çok farklı nadir hastalık ile mücadele eden hastalarımızın COVID-19 salgını sürecinde de hayati önem taşıyan tedavilerinin sürmesine katkı sağladığımıza inanıyoruz.”

**COVID-19 pandemisi nadir hastalıkların tedavisinde aksamalara neden oldu**

Nadir Hastalıklar Avrupa Organizasyonu (EURORDIS) tarafından 18-28 Nisan 2020 tarihleri arasında gerçekleştirilen ve Avrupa’da 993 hastalıkla mücadele eden beş binin üzerinde kişinin katılımı ile oluşturulan Rare Barometer Programme sonuçlarına göre, pandemi döneminde her 10 kişiden 9’u tedavi sürecinde aksama yaşandığını belirtiyor. Tedavide aksamanın kendi ya da bakımını üstlendiği hastanın sağlığına olumsuz yansıdığını belirtenlerin oranı 10 kişide 6 olurken, 10 kişiden 8’i konuşma terapisi veya fizik tedavi gibi rehabilitasyon randevularının iptal edildiğini veya ertelendiğini belirtiyor. Araştırmaya katılan her 10 kişiden 3’ü normalde tedavi aldıkları merkezin pandemi döneminde kapatıldığını belirtirken 2 kişiden 1’i çevrimiçi konsültasyon veya “teletıp” gibi yöntemleri kullandıklarını ifade ediyor. 10 kişiden 9’u uzaktan tedavi uygulamalarından memnun kaldığını ve yararlı bulduğunu belirtirken 10 kişiden 6’sı ise infüzyon, hormon tedavisi veya kemoterapi gibi tedavilere erişemediklerini kaydediyor. Araştırmanın kapsadığı dönemde ameliyat ve organ nakillerinin yarısından fazlasının iptal edildiği ya da ertelendiği de ifade ediliyor.**[[3]](#footnote-3)**

**Nadir Hastalıklar Ağı ve** **Nadir Hastalıklar Dairesi etkin iş birliği için en önemli paydaşlarımız**

Nadir hastalık derneklerinin ve derneği olmayan nadir bireylerin sesi olmayı hedefleyen Nadir Hastalıklar Ağı, nadir hastalıklara yönelik ihtiyaç analiz çalıştayı ve nadir hastalıklarda cepten yapılan harcama tespit çalışmalarına ilave olarak, pandemi döneminde yaşanan sorunları tespit etmek amaçlı anketler de düzenledi.**[[4]](#footnote-4)** Tedavi ve uygulama sürecinde yaşananlarla ilgili 18 dernek ve 10 nadir bireyden gelen verileri, Sağlık Bakanlığı bünyesindeki Sağlık Hizmetleri Genel Müdürlüğü’ne bağlı Nadir Hastalıklar Birimi’ne ileten Nadir Hastalıklar Ağı, tüm hasta grupları bakımından öncelikli ve hastaların lehine olacağını düşündüğü bir ortak çözüm önerisi listesi de hazırladı.**[[5]](#footnote-5)**

SHGM Otizm, Zihinsel Özel Gereksinimler ve Nadir Hastalıklar Dairesi ise pandemi sürecinin başından bu yana düzenli olarak STKlar 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 anlaşılmış olan bu kritik konuda çok önemli bir adım atmış bulunuyor.

**Yetim İlaç Mevzuatı, bu alandaki ilaçların yüzde 73’ünün geliştirilmesi için zemin hazırladı**

Ülkemizde nadir hastalıklara özgü mevzuat çalışmaları hız kazanırken AIFD’nin de üyesi olduğu Avrupa İlaç Endüstrileri ve Birlikleri Federasyonu’nun (EFPIA) desteğiyle hazırlanan “Avrupa Birliği Yetim İlaç Mevzuatının İnovasyon Teşvikleri üzerinde Öngörülen Etkisi Raporu” yayınlandı. Raporda incelenen Avrupa Komisyonu Yetim İlaç Mevzuatı (EU 141/2000), nadir hastalıklarda tedavilerin ve ilaçların geliştirilmesinin önünde engel olan bilimsel ve ekonomik zorlukları hafifletmek ve nadir hastalıklarla ilgili çalışmaları teşvik etmek amacıyla ortaya kondu. Raporda, mevzuatın yürürlüğe girdiği 2000 yılı ve sonrasındaki 17 yıllık sürede geliştirilen 142 yetim ilacın neredeyse yüzde 73’ünün, mevzuat sayesinde oluşan ve yenilikçiliği teşvik eden ortam sayesinde geliştirildiği vurgulanıyor.**[[6]](#footnote-6)**

Yetim ilaçlara özgü mevzuatın, bu alandaki yenilikçi tedavilere erişim için kilit rol oynadığını hatırlatan Dr. Ümit Dereli, “Nadir hastalıklarla mücadelenin, toplum sağlığı önceliklerinin başında yer aldığına inanıyoruz. Bu mücadelenin önemli parçalarından biri de nadir hastalıkların tedavilerine yönelik referans çalışmaları oluşturmak. Bu amaç dahilinde üye firmalarımızın koşulsuz desteğiyle, nadir hastalıkların ülkemizdeki tedavi süreçlerindeki gelişim alanları ve bu alandaki yenilikçi ilaçlara erişimin nasıl artırılabileceğini somut verilerle ortaya koyan 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” diye ekledi.

**İlgili kişi:**

Eray Coşan

Marjinal Porter Novelli

0212 219 2971

0 532 494 78 40

[erayc@marjinal.com.tr](mailto:ceylann@marjinal.com.tr)

**AIFD hakkında**

Araştırmacı İlaç Firmaları Derneği (AIFD), Türk insanının yeni ve orijinal ilaçlara erişimini sağlamak ve ülkemizde sağlık sorunlarına etkin çözümler bulunmasına katkıda bulunmak amacıyla, Türkiye’de faaliyet gösteren araştırmacı ilaç firmaları tarafından 2003 yılında kurulmuştur. AIFD İstanbul’daki merkezi ve Ankara’daki temsilciliği aracılığıyla faaliyetlerini sürdürmektedir. AIFD üyeleri çağımızda hızla ilerleyen tıp biliminin başta biyogenetik olmak üzere birçok alanda sunduğu olanaklardan yararlanarak geliştirilen yenilikçi ve orijinal ürünlerin insan yaşamını uzattığını, kalitesini artırdığını ve toplum için değer yarattığını bilerek faaliyetlerinde yenilikçiliğe odaklanırlar. Çalışmalarını dürüstlük, şeffaflık ve hesap verebilir olmak temelinde sürdürürler. AIFD üyeleri, insanlarımızın yaşam kalitesini yükseltmek ve sağlık sorunlarına çözüm sunmak öncelikli olmak üzere, topluma karşı tüm sorumluluklarını eksiksiz bir şekilde yerine getirmek için çalışırlar. AIFD, IFPMA (Uluslararası İlaç Üreticileri ve Dernekleri Federasyonu) ve EFPIA (Avrupa İlaç Sanayi ve Dernekleri Federasyonu) üyesi bir kuruluştur. [**www.aifd.org.tr**](http://www.aifd.org.tr)

1. What is a Rare Disease? https://www.rarediseaseday.org/article/what-is-a-rare-disease [↑](#footnote-ref-1)
2. nadirhastaliklaragi.org.tr [↑](#footnote-ref-2)
3. [PressRelease\_COVID19surveyresults.pdf (eurordis.org)](https://download2.eurordis.org/documents/pdf/PressRelease_COVID19surveyresults.pdf) [↑](#footnote-ref-3)
4. Nadir Hastalıklar Ağı, Pandemi Acil Durum İhtiyaç Çalışması Raporu. [↑](#footnote-ref-4)
5. COVID-19’un “Nadir” Yüzü Basın Açıklaması. https://www.nadirhastaliklaragi.org.tr/duyuru/57/covid-19-un-%EF%BF%BDnadir-yuzu-basin-aciklamasi [↑](#footnote-ref-5)
6. 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 [↑](#footnote-ref-6)