



Arařtırmacı İlaç Firmaları Derneęi
Association of Research-Based Pharmaceutical Companies

Acıbadem Üniversitesi
Saęlık Politikaları Merkezi, Sektör Buluşmaları
"Nadir Hastalıklarda Paydaşlar ve Beklentiler"

Dr. Ümit DERELİ
Genel Sekreter
AIFD

Nadir Hastalıklara Genel Bakış

- ❑ Dünya genelinde bugüne kadar tanımlanan **yaklaşık 7 bin** nadir hastalık bulunuyor.¹
- ❑ Nadir hastalıkların **%80'i genetik kökenli**, geri kalanı ise viral, bakteriyel enfeksiyon, alerji ya da diğer çevresel faktörler sonucu ortaya çıkıyor.^{2, 3, 4}
- ❑ Avrupa Birliği nadir hastalıkları, **her 10 bin kişi arasından en fazla 5 kişide** görülen hastalıklar olarak tanımlıyor.⁵
- ❑ Nadir hastalığı olan bir kişinin doğru tanıyı alması **ortalama 8 yıl**, hatta daha fazla sürebilirken bu tanıyı almak için birden fazla doktora görünmesi gerekiyor.¹

1- <https://globalgenes.org/rare-facts/>

2- EURORDIS: European Organisation for Rare Diseases. Rare Diseases: understanding this Public Health Priority, 2005.

3- EURORDIS: European Organisation for Rare Diseases. What is a Rare Disease?, 2007.

4- Melnikova I. Rare diseases and orphan drugs. Nature reviews Drug discovery 2012;11(4):267-8.

5- European Commission. Communication from the Commission to the European Parliament, the Council and the European Economic and Social Committee and the Committee of the Regions on Rare Diseases: Europe's Challenge, 2008.

Nadir Hastalıklarda Önceliğimiz: Doğru Tanı

- ❑ Nadir hastalıklar alanında farkındalığın ve etkilenen hasta sayısının düşük olması nedeniyle doğru tanıda gecikmeler yaşanmaktadır.
- ❑ Tanıdaki bu gecikmeler birçok hasta için önemli olabilir ve hastanın durumunun geri dönüşümsüz ilerlemesine yol açabilir.
- ❑ İngiltere ve ABD'de, nadir görülen hastalıklar için doğru bir tanı alma süresi ortalama 5-7 yıl olarak ölçülmüştür ve bu süre içinde belirli bir nadir hastalığın doğru tanısına kadar 2-3 yanlış tanı konulduğu gözlemlenmiştir.¹
- ❑ Yanlış ve geç tanı konmasının bir sonucu olarak gereksiz testler ve tedaviler sağlık sistemi için önemli bir maddi yük anlamına gelmektedir.²

1. Shire Human Genetic Technologies. Rare Disease Impact Report: Insights from patients and the medical community, 2013.

2. EURORDIS: European Organisation for Rare Diseases. The Voice of 12,000 Patients - Experiences and Expectations

Nadir Hastalıklarda Uzmanlığımız Kısıtlı

- ❑ Nadir hastalıklara yönelik en iyi kalitede sağlık hizmetinin sağlanması için bu alanlarda yeterli deneyime sahip sağlık hizmetleri uzmanlarının bulunması genellikle zordur.
- ❑ Az sayıdaki hasta nedeniyle nadir hastalıklarda sağlık uzmanlarının yeterli tecrübe kazanması da zor olabilir.¹
- ❑ Diğer yandan, tedavi bu alandaki uzmanlar tarafından yönetilmezse, bu durum yanlış tanı, uygunsuz tedavi ve daha kötü sağlık çıktıları ile sonuçlanabilir.^{2, 3, 4}

1. EURORDIS: European Organisation for Rare Diseases. Rare Diseases: understanding this Public Health Priority, 2005.

2. Shafie AA, Chaiyakunapruk N, Supian A, et al. State of rare disease management in Southeast Asia. Orphanet journal of rare diseases 2016; 11:107.

3. Ross IL. Exploring Rare Diseases in South Africa, a Personal Journey: Time for Electronic Record-keeping. Annals of medical and health sciences research 2016;6(1):1-3.

4. Interfarma. Rare Diseases: Contributions for a National Policy. Special Health Editions - Volume V, 2013.

Nadir Hastalıklarda Ulusal Politika

- ❑ **Nadir hastalıklar ve yetim ilaçlar için ulusal politikaların oluşturulması**
 - Nadir hastalıklarla mücadele, toplum sağlığı politikalarının öncelikli hususlarından biri olmalıdır. Bu politikalar, tanı ve tedavi süreçlerinin iyileştirilmesine yönelik ulusal planların oluşturulup desteklenmesi gibi unsurları kapsamalıdır. Klinik araştırmalar, hasta/hastalık kayıt çalışmaları, ulusal epidemiyolojik veri üretiminin teşviki, ulusal veri tabanlarının ve nadir hastalıklarla ilgili ulusal raporların oluşturulması, hastalık tarama çalışmaları ve nadir hastalıklara özgü tıbbi eğitimin artırılması gerekmektedir.
- ❑ **Hasta, hasta yakını ve sağlık mesleği mensupları dahil toplumda farkındalığın arttırılması**
 - Nadir Hastalıklar Günü başta olmak üzere yıl boyunca yapılan bilinçlendirme kampanyalarının oluşturulmalıdır.
- ❑ **Uluslararası standartlar ile uyumlu yerel mevzuat oluşturulması**
 - Yetim ilaç tanımını içeren uluslararası standartlarla uyumlu bir yerel mevzuat oluşturulmalıdır. Mevcut mevzuatlara yetim ilaçlara yönelik düzenlemeler yapılmalıdır.

Tanı ve Tedaviye Erişim

❑ Tanı ve Tedaviye erişim koşullarında iyileştirme

- Nadir hastalıklarda uzmanlaşmış tanı ve tedavi merkezleri geliştirilmelidir. Nadir hastalıklara spesifik tanı yöntemlerinin geri ödeme süreçleri iyileştirilmelidir. Yeni doğan taramalarının kapsamı geliştirilmelidir.
- Tanı ve tedavi süreçlerinin iyileştirilmesine yönelik iş birliği ve koordinasyonun güçlenmesi için nadir hastalık uzmanlık komiteleri, sivil toplum teşkilatlarının oluşum ve çalışmalarının desteklenmesine, tanı ve tedavi merkezleri arası referans iletişim ağları oluşturmaya ihtiyaç vardır.
- Doğru hastaya doğru tedavinin doğru zamanda sunulmasına yönelik programlar geliştirilmeli ve desteklenmelidir.

Nadir Hastalıklar Alanındaki Yasal Düzenlemeler

- ❑ İlaç şirketlerini nadir hastalıklara yönelik araştırma yapmaya ve ilaç geliştirmeye teşvik etmek amacıyla nadir hastalıkların tedavisi için geliştirilen ilaçlara **Yetim İlaç Statüsü** verilmesine olanak sağlayan yasal düzenlemeler büyük önem taşımaktadır.¹
- ❑ Yetim ilaç mevzuatı, yürürlüğe girdiği ülkelerde nadir hastalıkların tedavisinde kullanılan ilaçlara erişimde önemli bir fark yaratmıştır.
- ❑ Avrupa Birliği'nde Yetim İlaçlar Yönetmeliği yürürlüğe girmeden önce nadir hastalıklar için sadece **8** tedavinin ruhsat onayı varken, mevzuatın yürürlüğe girmesinden bu yana **125'ten fazla** ürüne ruhsat onayı verilmiştir.²

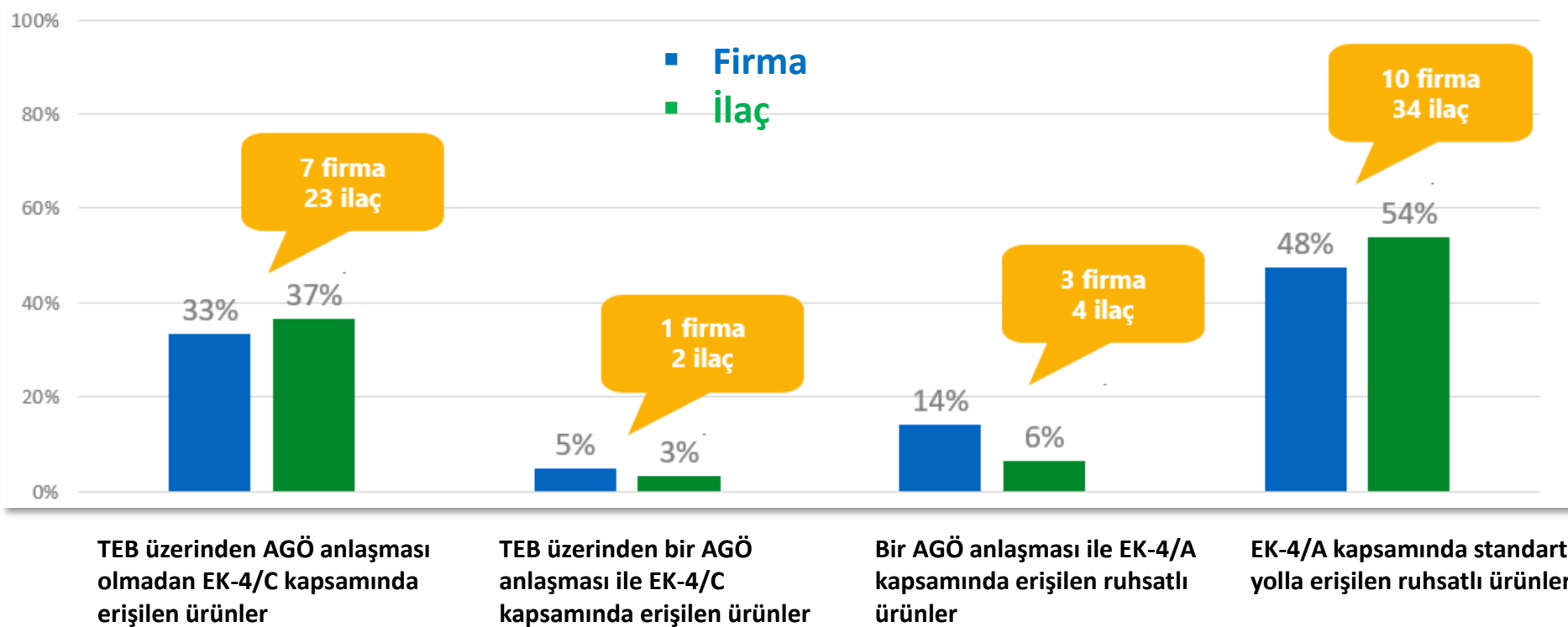
1. EuropaBio-EFPIA Joint Task Force. Development process of Orphan Medicines, 2015.
2. European Commission. Medicinal products for human use: Orphan medicinal products. 2016.

Nadir Hastalıklarda İlaç Erişim Yolları

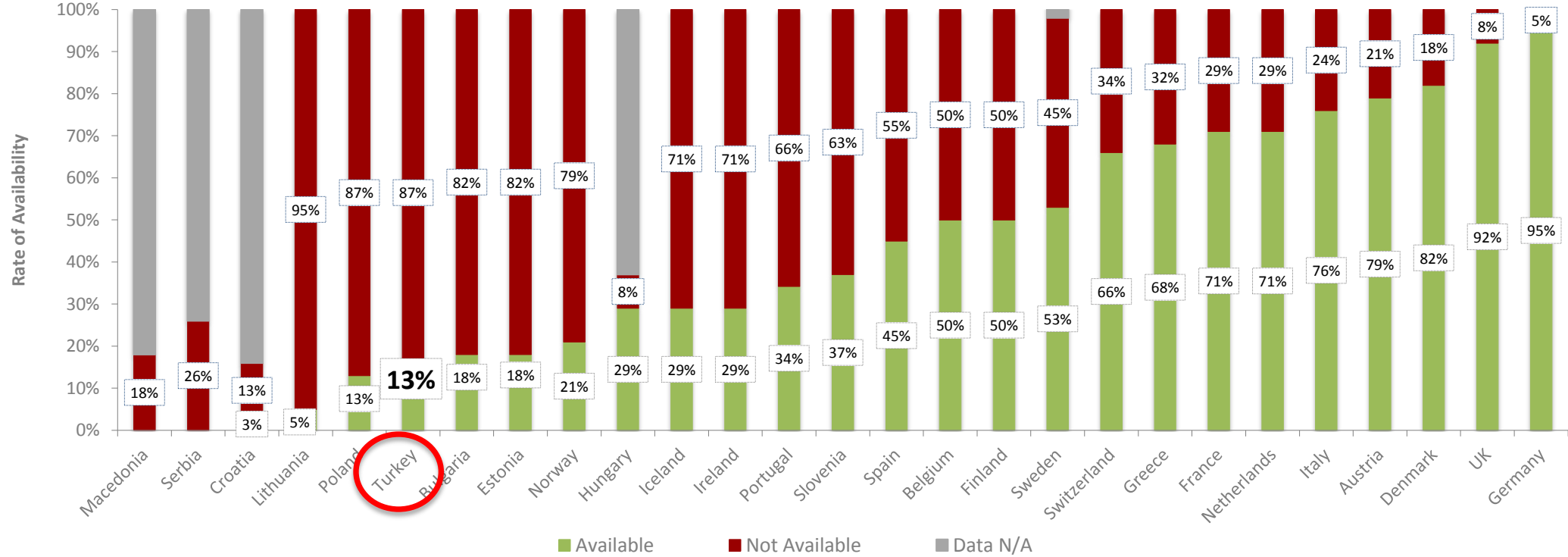
- ❑ Türkiye’de henüz yetim ilaçların geliştirilmesini ve pazara erişimini teşvik edecek bir yerel mevzuat bulunmamaktadır. Bu ilaçlara erişim, standart erişim yolu haricinde aşağıdaki yollarla sağlanmaktadır:
 - **Yurtdışından ilaç temini** - Hastanın doktoru tarafından kişisel kullanım için Türk Eczacıları Birliği (TEB) aracılığıyla yurtdışından ilaç temin edilebilir. Buna izin Türkiye İlaç ve Tıbbi Cihaz Kurumu (TITCK) tarafından vakanın durumuna göre verilir.
 - **Endikasyon dışı kullanım** - TITCK tarafından belirli bir endikasyon için onaylanan ilaçlar, vakanın uygunluğuna göre başka bir nadir hastalığı tedavi etmek için hekim başvurusu ve TITCK onayı ile kullanılabilir.
 - **Erken Erişim Programı** - Yurtdışında 3. faz klinik araştırmalarda olan ilaçlar, Türkiye’de klinik araştırması yoksa Erken Erişim Programı kapsamında hekim başvurusu ve TITCK onayı ile hastaların erişimine ücretsiz sunulabilir.

Türkiye Pazarındaki Yetim İlaçlar Standart Erişim Yoluyla ya da TEB Üzerinden Getirilmektedir

- AIFD, 2018 yılı içinde 22 üye firmasının katıldığı Yetim İlaçlar konusunda bir anket yürüttü. Bu ankete göre,
- 10 firma tarafından yürütülen 30'dan fazla klinik araştırmaya Türkiye'den katılan 300'den fazla hasta var.
 - 14 firma tarafından geliştirilen 226 yetim ilaçtan henüz 70'i Türkiye'deki hastaların erişimine sunulabilmiştir.
 - **Türkiye'de yetim ilaçlara erişim yolları:**



Yetim İlaçların Türkiye’de Erişilebilirlik Oranı Çok Düşüktür



Erişilebilirlik, 19 Aralık 2018 itibariyle 2015-17 yılları arasında Avrupa İlaç Ajansı (EMA) tarafından onaylanıp, Türkiye’de geri ödemeye giren veya yurtdışı ilaç listesinde yer alan moleküllere göre hesaplanmıştır.

Yetim İlaçların Hastalara Hızlı Erişimi

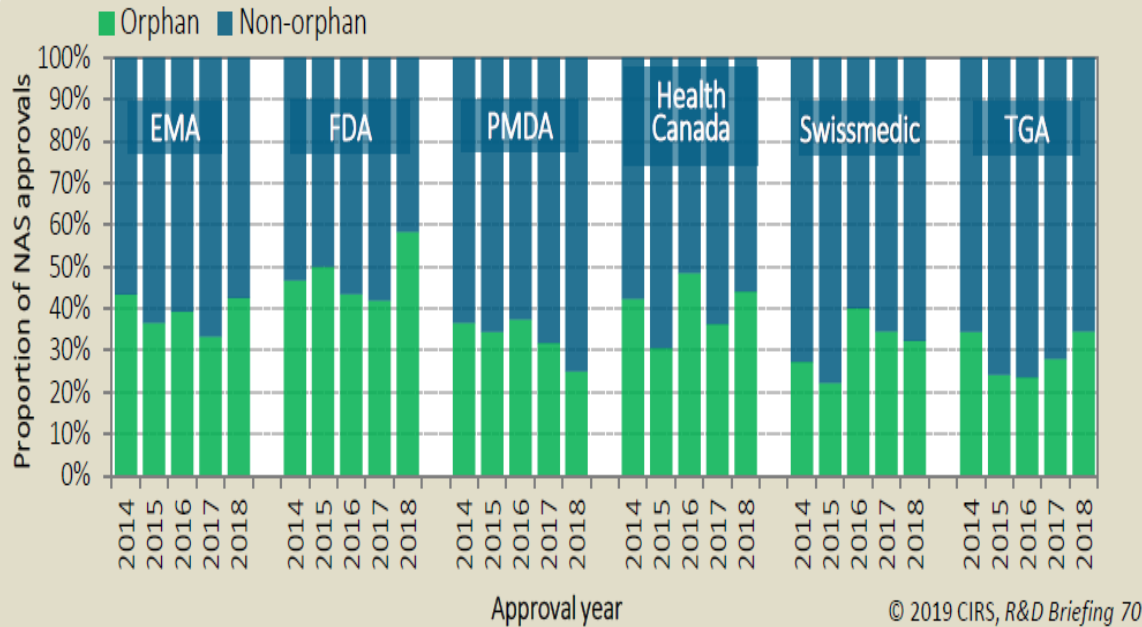
❑ İlaça hızlı erişimi için destekleyici unsurların oluşturulması

- Öncelikli değerlendirme/kısaltılmış komisyon süreçleri, paralel ruhsatlandırma ve geri ödeme süreçleri iyileştirilmelidir.
- Nadir hastalıklara yönelik endikasyon bazlı değerlendirme yapılmalıdır. İlgili kurumlarda yetim ilaçlara özgü bilimsel danışma komisyonları oluşturulmalıdır.
- Uluslararası saygın otoritelerce uygulanan ilaca hızlı erişim (*Immediate Access / Adaptive Pathways*) yöntemlerinin kamu ile iş birliği gündemine alınmalıdır.

Yetim ilaç statüsüne sahip yeni moleküllerin sayısı EMA, FDA, PMDA, Swissmedic ve TGA'da 2009-2013 yıllarında %25 iken 2014-2018 yıllarında %38'e yükselmiştir.

2014-2018 yılları arasındaki yetim ilaç statüsündeki ilaçların onay süreleri yetim ilaç statüsünde olmayanlar ile karşılaştırılmıştır.

Figure 5: Proportion of NAS approvals by orphan designation for six regulatory authorities in 2014-2018

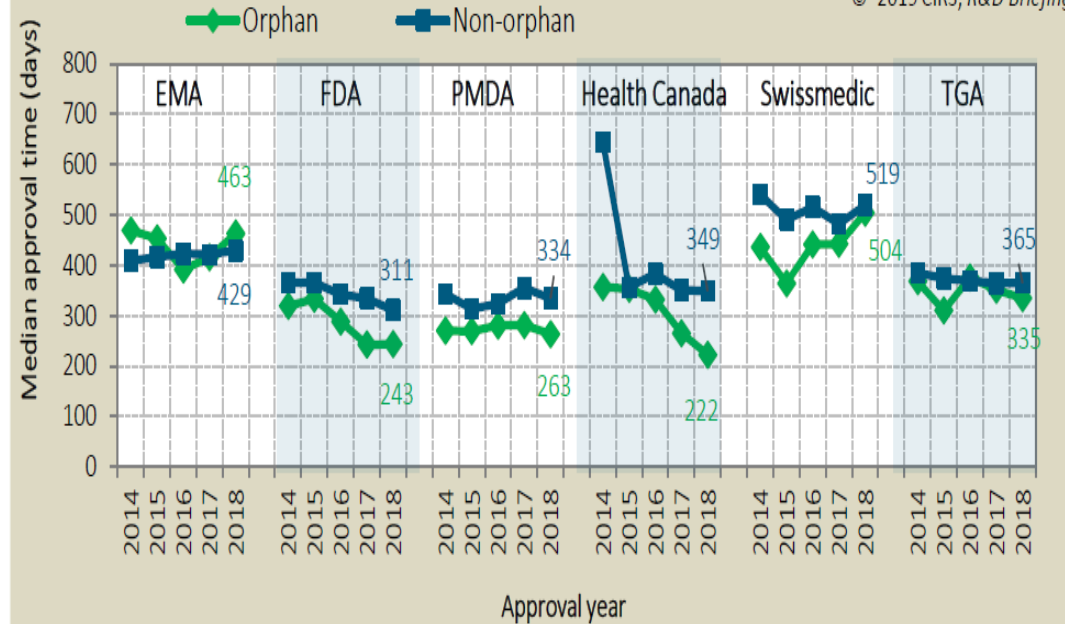


© 2019 CIRS, R&D Briefing 70

Health Canada does not currently have an orphan policy and this number shows the number of medicines that were approved by Health Canada that were classified as orphan by either FDA, EMA or TGA

Figure 6: NAS median approval time by orphan designation for six regulatory authorities in 2014-2018

© 2019 CIRS, R&D Briefing 70



Approval time is calculated from the date of submission to the date of approval by the agency. This time includes agency and company time. EMA approval time includes the EU Commission time. Health Canada does not currently have an orphan policy and this number shows the number of medicines that were approved by Health Canada that were classified as orphan by either FDA, EMA or TGA

Yetim İlaçlar ile yürütülen Klinik Araştırmalar

- ❑ AIFD Anketi: Ülkemizde Henüz Erişimi Olmayan Yetim İlaçların Klinik Araştırma Sayıları
 - ❑ Anket tarihi: **Kasım 2019**
 - ❑ Ankete katılan üye firma sayısı: **18**
 - ❑ Herhangi bir ülkede hastaların erişiminde olup ülkemizde herhangi şekilde erişimi olmayan* yetim ilaç statüsündeki moleküllerin **ülkemizde yürütülmekte** olan toplam klinik araştırma sayısı: **21**
- **Klinik araştırma faaliyetleri koşullarında iyileştirme**
- Nadir hastalıklara özel etik kurullar oluşturulmalı, hızlandırılmış etik kurul süreçleri, ulusal epidemiyolojik veri üretimi teşvik edilmeli, ihtisas dernekleri ve uzman merkezlerle iş birliği, elektronik tanımlama ve izleme sistemlerinden faydalanılmalıdır.

* Ek-A, Ek-C, Erken Erişim, vb. tüm erişim yolları dikkate alınarak yanıtlanmıştır.

Tüm Paydaşlarla İş Birliği

- ❑ Tedavi seçeneklerinin olduğu durumlarda, bütün paydaşlar iş birliği içerisinde çalışarak hastaların ihtiyaç duydukları tedavilere sürdürülebilir bir şekilde erişmeleri sağlanmalıdır.
- ❑ Hasta sayısının azlığı ve uzman sayısının yetersizliği dikkate alındığında bu iş birlikleri çok daha büyük bir önem taşımaktadır.
- ❑ Bu doğrultuda kurulacak karşılıklı iş birliği ortamı içerisinde 11. Kalkınma Planı ve Vizyon 2023 hedeflerine giden yolda önemli bir mesafe kat edileceğine inanıyoruz.
- ❑ AIFD üyesi firmalar olarak, yukarıda değindiğimiz tüm alanlarda ilgili tüm paydaşlarla yapıcı iş birliğine açık ve elimizden gelen katkıyı sunmaya hazır olduğumuzu ifade etmek isteriz.



Arařtırmacı İlaç Firmaları Derneęi
Association of Research-Based Pharmaceutical Companies

TEŐEKKÜRLER