



T.B.M.M.

CUMHURİYET HALK PARTİSİ

Grup Başkanlığı

Tarih : 01 Mart 2018

Sayı : 1763

10/2625

TÜRKİYE BÜYÜK MİLLET MECLİSİ BAŞKANLIĞINA

10.000 kişiden 5 veya daha az kişide görülen hastalıklara “nadir hastalıklar”; 50.000 kişiden 1 veya daha az kişide görülen hastalıklara “çok nadir hastalıklar” denilmektedir. Bu hastalıklar nüfusun çok az bir bölümünde ortaya çıksa da genelde yüksek ölüm oranlarına sahip, yaşamı tehdit eden veya güçten düşüren hastalıklardır. Dünyada % 80’i genetik geçişli olan 6000-8000 nadir hastalık olduğu ve bu hastalıkların toplumun %6-8’ini etkilediği düşünülmektedir.

Nadir hastalıklarla ilgili bilgi birikimi oldukça azdır ve bu nedenle de teşhis edilmeleri zor olmaktadır. Bir yandan özgü test yöntemlerinin geliştirilmesi için çalışmalar sürerken diğer yandan tedavi seçenekleri için araştırmalar sürmektedir. Çoğu zaman nadir veya çok nadir hastalıkları olan hastalar için ya hiç tedavi seçeneği bulunmamaktadır ya da varsa bile çok az olmasından kaynaklı erişilebilir nitelikte olmamaktadır.

Yaşamı tehdit eden veya güçten düşüren nadir hastalıkların teşhisi, önlenmesi veya tedavisi için tasarlanan tıbbi ürünlere ‘Yetim İlaçlar (Orphan Drugs)’ denilmektedir. ‘Yetim’ olmalarının sebebi; geleneksel olarak ilaç endüstrisinin, çok nadir hastalıklardan yakınan az sayıda hasta için tasarlanan ilaçlar geliştirme ve pazarlama konusuna çok fazla ilgi göstermemesidir. Örneğin yeni bir yetim ilacın geliştirilmesi yaklaşık 12-13 yıl almakta ve 1 milyar Avro’ya mal olmakta, ancak test edilip geliştirilen 5,000-10,000 molekülden sadece biri pazarlama ruhsatı alıp, hastaların hizmetine sunulabilmektedir. Bu konuda Avrupa’daki tabloyu esas aldığımızda; 80 ilaç “yetim ilaç (Orphan Drug)” statüsünde iken sadece 11 ilaç “ultra yetim ilaç” statüsündedir.

Bugün ülkemizde nadir hastalıklarla ilgili çok fazla farkındalığın olmayışının yanı sıra en büyük sıkıntılardan birisi hükümetin nadir hastalıkların tedavisinde kullanılan yetim ilaçlarla ilgili yıllardır yaptığımız uyarılara rağmen bir politikasının hala daha olmamasıdır.

Örneğin; SMA (Spinal Muscular Atrophy) hastalığıyla ilgili olarak geçtiğimiz aylarda kamuoyunda oluşan toplumsal baskı sonucunda Sağlık Bakanlığı gerekli çalışmaları yapmış ve Spinraza (Nusinersen) adlı ilaç, SMA hastalığının Tip 1 türüne sahip hastalar için SGK kapsamına alınmıştır. Spinraza(Nusinersen) adlı ilaç ABD Gıda ve İlaç İdaresi (FDA) ve Avrupa Birliği Parlamentosu’ndan da onay alarak tüm SMA hastalığının tüm tipleri için kullanıma sunulmuştur.

Yine ALS hastalığının tedavisi olmamasına karşın belirgin bir başarı sağlayan Radicava isimli ilaç konusunda da durum aynıdır. Radicava isimli ilacın değeri 150.000 Amerikan Doları olup ABD Gıda ve İlaç İdaresi (FDA) onaylıdır ancak yine bu ilaç da SGK ödeme kapsamında değildir ve bu ilacı yurtdışından temin etmek isteyenler yıllık doz için 352.000 dolar ödemek zorunda kalmaktadırlar.

Nadir/çok nadir hastalıklar ve hastaları için tanı ve tedavi seçeneklerinin araştırılması ve bu tedavilerin hastalara ulaştırılabilmesi adına gerekli çalışmaların yapılması; çok nadir hastalıklar ve hastaları için yeni tedavi seçenekleri araştırıp geliştiren şirketlerin karşılanması



güçlükler konuşularak, bu konuda bir devlet politikası oluşturulması son derece önemlidir. Hastaların yaşadığı mali ve idari külfetleri en aza indirecek, sosyal devlet olmanın gereğini sağlayacak 'Nadir hastalıklar ve yetim ilaçlar' politikasının ivedi olarak oluşturması gerekmektedir.

Nadir hastalıklar konusunda ülkemizdeki tanı ve tedavi süreçlerinin araştırılması, yetim ilaç araştırmaların sürdürülebilirliğinin sağlanması; farkındalık yaratmak; sosyal devlet ilkesi gereği hastaların tedaviye kolay erişiminin sağlanması ve bir "yetim ilaç politikası" oluşturulması amacıyla Anayasa'nın 98'inci, İçtüzüğü'nün 104 ve 105'inci maddeleri gereğince Meclis Araştırması açılması için gereğini saygılarımla arz ederim.

Özgür ÖZEL
Manisa Milletvekili
CHP Grup Başkanvekili

