

T.C.
DOKUZ EYLÜL ÜNİVERSİTESİ
SOSYAL BİLİMLER ENSTİTÜSÜ
AVRUPA BİRLİĞİ ANABİLİM DALI
AVRUPA ÇALIŞMALARI PROGRAMI
DOKTORA TEZİ

AVRUPA BİRLİĞİ SAĞLIK POLİTİKASI
BAĞLAMINDA NADİR HASTALIKLAR VE AVRUPA
REFERANS AĞLARI

İbrahim GÜLHAN

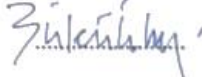
Danışman
Prof. Dr. Zeki ERDUT

İZMİR - 2020

DOKTORA
TEZ ONAY SAYFASI

Üniversite : Dokuz Eylül Üniversitesi
Enstitü : Sosyal Bilimler Enstitüsü
Adı ve Soyadı : İbrahim GÜLHAN
Öğrenci No : 2013800852
Tez Başlığı : Avrupa Birliği Sağlık Politikası Bağlamında Nadir Hastalıklar ve Avrupa Referans Ağları
Savunma Tarihi : 24.02.2020
Danışmanı : Prof. Dr. Zeki ERDUT

JÜRİ ÜYELERİ

<u>Ünvanı, Adı, Soyadı</u>	<u>Üniversitesi</u>	<u>İmza</u>
Prof. Dr. Zeki ERDUT	Dokuz Eylül Üniversitesi	
Prof. Dr. Asuman ALTAY	Dokuz Eylül Üniversitesi	
Prof. Dr. Bülent KILIÇ	Dokuz Eylül Üniversitesi	
Doç. Dr. Sühal ŞEMŞİT	Celal Bayar Üniversitesi	
Doç. Dr. Sedef EYLEMER	İzmir Katip Çelebi Üniversitesi	

İbrahim GÜLHAN tarafından hazırlanmış ve sunulmuş olan bu tez savunmada başarılı bulunarak oy birliği / oy çokluğu () ile kabul edilmiştir.

Prof. Dr. Erkan GÖKSU
Müdür V.

YEMİN METNİ

Doktora Tezi olarak sunduđum “Avrupa Birliđi Sađlık Politikası Bađlamında Nadir Hastalıklar ve Avrupa Referans Ağları” adlı alıřmanın, tarafımdan, akademik kurallara ve etik deđerlere uygun olarak yazıldıđını ve yararlandıđım eserlerin kaynakada gsterilenlerden oluřtuđunu, bunlara atıf yapılarak yararlanılmıř olduđunu belirtir ve bunu onurumla dođrularım.

24/02/2020

İbrahim GÜLHAN

ÖZET

Doktora Tezi

Avrupa Birliği Sağlık Politikası Bağlamında Nadir Hastalıklar ve Avrupa

Referans Ağları

İbrahim GÜLHAN

Dokuz Eylül Üniversitesi

Sosyal Bilimler Enstitüsü

Avrupa Birliği Anabilim Dalı

Avrupa Çalışmaları Programı

Bütün dünyada önemli bir gündem konusu olan sağlık, Avrupa Birliği'nde (AB) de özellikle yaşlanan nüfus ve sınır ötesi sağlık hizmetleri bağlamında giderek daha çok gündeme gelmektedir. Ekonomik gelişmeyi sağlıklı bir toplum yapısına bağlayan, ancak sağlık alanında kurumsal olarak münhasıran yetkili olmayan AB, son yıllarda bu alanda geniş bir inisiyatif kullanmaya başlamıştır. AB'nin kurumsal olarak ilgilendiği spesifik bir sağlık konusu da bütün Avrupa'da çok geniş bir nüfusu etkileyen ve ülkelerin tek başlarına mücadele etmelerinin çok zor olduğu nadir hastalıklardır (NH). AB toplumunda 1/2000'den daha az görülen hastalıkları NH olarak tanımlamaktadır. Büyük kısmı genetik nedenli olan NH'nin çoğunun tedavisi ya yoktur ya da çok pahalıdır. Son yıllarda NH'yle mücadelede çağdaş yönetim şeklinin merkezi bir yaklaşım olduğu kabul edilmiş ve AB de buna yönelik olarak hem ülkeleri tek tek güçlendirecek hem de onları bir çatı altında toplayarak bilgi ve deneyim birikimi sağlayacak bir politika geliştirerek Avrupa Referans Ağları'nı (ARA) kurmuştur. Dünyada benzeri olmayan ARA sistemi, bütün Avrupa'daki NH merkezlerini sanal bir ağda birleştiren ileri bir e-sağlık uygulamasıdır. Bu sistem sayesinde doktorlar hastalarını başka ülkelerdeki merkezlerle konsülte ederek geniş bir bilgi ve deneyimden yararlanma imkânı bulacak, hastaların gereksiz yere başka ülkelere gitmesi önlenecek ve başka bir merkeze gitmesi gereken hastalar ise en iyi tedavi seçeneklerini ve merkezi bu ağlarda bulabileceklerdir. AB'nin NH konusunda yaklaşık otuz yıllık çalışmasının sonunda kurduğu ARA sistemi, AB sağlık

politikasındaki derinleşmenin tipik bir örneği olarak karşımıza çıkmaktadır. Henüz çok yeni olan ARA sisteminin bundan sonraki gelişimi ve NH açısından sağlayacağı yararlar ise önümüzdeki dönemde ortaya çıkacaktır.

Anahtar Kelimeler: Avrupa Birliği, Sağlık Politikası, Nadir Hastalıklar, Avrupa Referans Ağları.



ABSTRACT
Doctoral Thesis
Doctor of Philosophy (PhD)
Rare Diseases and European Reference Networks in Context of European
Union's Health Policy
İbrahim GÜLHAN

Dokuz Eylül University
Graduate School of Social Sciences
Department of European Union
European Studies Program

As a substantial concern throughout the world, health becomes a current issue in the European Union (EU), especially within the context of aging population and cross-border health services. The EU, which ties economic development to a healthy society, is not exclusively authorized in the field of health, but has begun to develop a wide range of initiatives in recent years. A specific health issue that the EU has adopted institutionally is rare diseases (RD) which are very difficult for member states to fight on their own that affects a very large population throughout Europe. The EU defines the diseases that affect less than one person in 2,000 as RD. The majority of RD, most of which are genetically induced, have either no treatment or very expensive. In recent years, the modern management is accepted to be the central approach to fight against the RD. In parallel, the EU has introduced European Reference Networks (ERN) by developing a policy to provide knowledge and experience that will gather and empower member states under the same roof. As a unique system in the world, the ERN is an advanced e-health implementation that unites RD centers across Europe within a virtual network. This system will give the opportunity to benefit from a wide range of knowledge and experience by consulting their patients with related centers in other countries for doctors, will avoid unnecessary travel to other countries, and will let patients to find the best treatment options and the center within this network. The ERN system established by the EU at the end of

nearly three decades of efforts, is a typical example of deepening process in the EU's health policy. The future developments of the very recent ERN system and its benefits for RD will appear in the future period.

Keywords: European Union, Health Policy, Rare Diseases, European Reference Networks.



**AVRUPA BİRLİĞİ SAĞLIK POLİTİKASI BAĞLAMINDA NADİR
HASTALIKLAR VE AVRUPA REFERANS AĞLARI**

İÇİNDEKİLER

TEZ ONAY SAYFASI	ii
YEMİN METNİ	iii
ÖZET	iv
ABSTRACT	vi
İÇİNDEKİLER	viii
KISALTMALAR	xi
TABLolar LİSTESİ	xiii
ŞEKİLLER LİSTESİ	xiv
GİRİŞ	1

**BİRİNCİ BÖLÜM
AVRUPA BİRLİĞİ SAĞLIK POLİTİKASI**

1.1. KAVRAM	4
1.2. AVRUPA BİRLİĞİ SAĞLIK POLİTİKASI	4
1.2.1. Avrupa Birliği Sağlık Politikasının Tarihsel Arka Planı	4
1.2.2. Avrupa Birliği Güncel Sağlık Politikası	7
1.2.2.1. Avrupa Birliği Güncel Sağlık Politikasının İlkeleri	10
1.2.2.2. Avrupa Birliği Güncel Sağlık Politikasının Amaçları	11
1.3. AKTÖRLER	12
1.3.1. Karar Organları	12
1.3.1.1. Avrupa Konseyi	12
1.3.1.2. Avrupa Birliği Konseyi	14
1.3.1.3. Avrupa Parlamentosu	15
1.3.1.4. Avrupa Komisyonu	16
1.3.1.5. Avrupa Birliği Adalet Divanı	18

1.3.2. Sağlıkla İlgili Diğer Ajans ve Kurumlar	19
1.4. AVRUPA BİRLİĞİ SAĞLIK POLİTİKASININ UYGULANMASI	20
1.4.1. Mevzuat	20
1.4.2. Finansal Araçlar	21
1.4.3. Sağlık Politikasını Uygulama Aracı Olarak İşbirliği	23
1.5. AVRUPA BİRLİĞİ E-SAĞLIK POLİTİKASI	26

İKİNCİ BÖLÜM

NADİR HASTALIKLAR VE AVRUPA REFERANS AĞLARI

2.1. KAVRAM	31
2.2. NADİR HASTALIKLAR	31
2.3. NADİR HASTALIKLAR TAKİP MERKEZLERİ	36
2.4. NADİR HASTALIKLAR KAYIT SİSTEMİ	41
2.5. NADİR HASTALIKLARDA ARAŞTIRMA VE MALİ DESTEKLER	47
2.6. AVRUPA REFERANS AĞLARI	49
2.6.1. Avrupa Birliği'nin Çalışma Yöntemi: Projeler	51
2.6.1. 1. EURORDIS	52
2.6.1.2. ORPHANET	53
2.6.1.3 CARE-DMD Projesi	53
2.6.1.4. EUROCAT Projesi	54
2.6.1.5. EUROPLAN Projesi	55
2.6.1.6. ECORN-CF Projesi	55
2.6.1.7. RARE-CARE Projesi	56
2.6.2. Avrupa Birliğinde Nadir Hastalıklar ve Birlik Mevzuatı	56
2.6.3. Avrupa Referans Ağlarının Kuruluşu	61

ÜÇÜNCÜ BÖLÜM

AVRUPA REFERANS AĞLARININ İŞLEYİŞİ

3.1. KEMİK HASTALIKLARI AĞI	69
3.2. BAŞ VE YÜZ ANOMALİLERİ AĞI	70

3.3. ENDOKRİN HASTALIKLAR AĞI	71
3.4. EPİLEPSİ AĞI	73
3.5. BÖBREK HASTALIKLARI AĞI	74
3.6. NÖROLOJİK HASTALIKLAR AĞI	75
3.7. DOĞUMSAL ANOMALİLER AĞI	76
3.8. SOLUNUM HASTALIKLARI AĞI	77
3.9. CİLT HASTALIKLARI AĞI	78
3.10. YETİŞKİN KANSERLERİ AĞI	78
3.11. KAN HASTALIKLARI AĞI	80
3.12. ÜROGENİTAL HASTALIKLAR AĞI	81
3.13. NÖROMÜSKÜLER HASTALIKLAR AĞI	83
3.14. GÖZ HASTALIKLARI AĞI	84
3.15. GENETİK TÜMÖR RİSKİ SENDROMLARI AĞI	85
3.16. KALP HASTALIKLARI AĞI	87
3.17. DOĞUMSAL ANOMALİLER VE NADİR BİLİŞSEL HASTALIKLAR AĞI	88
3.18. KALITSAL METABOLİK HASTALIKLAR AĞI	90
3.19. ÇOCUKLUK ÇAĞI KANSERLERİ AĞI	91
3.20. KARACİĞER HASTALIKLARI AĞI	92
3.21. KAS-İSKELET VE BAĞ DOKUSU HASTALIKLARI AĞI	94
3.22. BAĞIŞIKLIK SİSTEMİ HASTALIKLARI AĞI	95
3.23. ÇOCUKLARDA ORGAN NAKLİ AĞI	98
3.24. MULTİSİSTEMİK DAMAR HASTALIKLARI AĞI	99
 SONUÇ	 101
KAYNAKÇA	118

KISALTMALAR

AAET	Avrupa Atom Enerjisi Topluluğu
AB	Avrupa Birliği
ABAD	Avrupa Birliği Adalet Divanı
ABD	Amerika Birleşik Devletleri
ABİHA	Avrupa Birliği'nin İşleyişi Hakkında Antlaşma
AKÇT	Avrupa Kömür ve Çelik Topluluğu
AET	Avrupa Ekonomik Topluluğu
ARA	Avrupa Referans Ağları
BM	Birleşmiş Milletler
CARE DMD	Duchenne Muskular Distrofi Hastalığıyla İlgili Proje
CEGRD	Komisyon Nadir Hastalıklar Uzman Grubu (Commission Expert Group on Rare Diseases)
DG SANTE	Sağlık ve Gıda Güvenliği Genel Müdürlüğü (European Commission's Directorate for Health and Food Safety)
DSÖ	Dünya Sağlık Örgütü
ECORN-CF	European Centres of Reference Network for Cystic Fibrosis (Kistik Fibrozis için Avrupa Referans Merkezleri Ağı)
E-sağlık	Elektronik sağlık
EUCERD	Avrupa Birliği Nadir Hastalıklar Uzmanlar Komitesi (European Union Committee of Experts of Rare Diseases)
EUROCAT	European Surveillance of Conenital Anomalies (Avrupa'da Doğumsal Anomalileri İzleme)
EURORDIS	Rare Disease Europe (Hasta ve Hasta Yakınları Tarafından Kurulan Dernekleri Birleştiren Avrupa Birliği Destekli Dernek)
ICD	International Classification of Diseases ((Uluslararası Hastalık Sınıflaması)
Komisyon	Avrupa Birliği Komisyonu
NH	Nadir Hastalıklar
OECD	Ekonomik Kalkınma ve İşbirliği Örgütü (Organisation for Economic Co-operation and Development)

OMIM	Online Mendelian Inheritance in Man
ORPHANET	Nadir Hastalıklarla İlgili Bilgiler İçeren Avrupa Birliği Destekli İnternet Portalı
RARECARE	Surveillance of Rare Cancers in Europe (Avrupa’da Nadir Kanserleri İzleme)
RDTF	Avrupa Nadir Hastalıklar Görev Gücü (Rare Diseases Task Force)
SNOMED CT	Systematisized NOmenclature of Medicine – ClinicalTrials



TABLÖLAR LİSTESİ

Tablo 1: Etkin, Ulaşılabilir ve Esnek Sağlık Sistemi İçin AB Gündemindeki Maddeler	s. 26
Tablo 2: Günümüzde Kullanılan Bazı Uluslararası Tanı Standartları	s. 35
Tablo 3: Veri Tabanları Ortak Maddeler Paketi	s. 46
Tablo 4: Komisyon Tarafından Desteklenen NH'yle İlgili Önemli Projeler	s. 51
Tablo 5: ARA Sistemindeki İlk Kurulan 24 Ağ	s. 63
Tablo 6: ARA Koordinatörler Grubu Görev Dağılımı	s. 69
Tablo 7: Endokrin Hastalıklar Ağına Dahil Olan Bazı Merkezler	s. 72
Tablo 8: Epilepsi Ağını Oluşturan Merkezler	s. 73
Tablo 9: Nörolojik Hastalıklar Ağının Sekiz Faaliyet Alanı ve Yönetici Merkezi	s. 75
Tablo 10: Yetişkin Kanseri Ağının İlgilendiği Kanseri Türleri	s. 78
Tablo 11: Ürogenital Hastalıklar Ağı İçindeki Bazı Merkezler	s. 82
Tablo 12: Genetik Tümör Riski Sendromları Ağının Bazı Üyeleri	s. 86
Tablo 13: Bağışıklık Sistemi Hastalıkları Ağına Katılan Bazı Merkezler	s. 97
Tablo 14: Çocuklarda Organ Nakli Ağının Tahmini Ortalama Hasta Sayıları	s. 99

ŞEKİLLER LİSTESİ

Şekil 1: ARA'nın Temel Çalışma Yöntemi

s. 50

Şekil 2: ARA'nın İşleyiş Mekanizması

s. 66



GİRİŞ

Günümüzde sağlık politikaları, dünyanın her yerinde en önemli ve öncelikli gündem maddeleri arasındadır. Bir taraftan sağlığın artık temel bir insan hakkı olarak görülmesi, diğer taraftan savaşlar, göçler ve çevre felaketleri gibi toplum sağlığına büyük zarar verici faktörlerin varlığı, ayrıca değişen, değiştirilen ve yönlendirilen tüketici davranışları gibi başka olumsuz etkenler nedeniyle dengeli bir sağlık politikası oluşturmak ve izlemek giderek zorlaşmaktadır. Sağlık söz konusu olduğunda istismar olasılığı artmakta ve hükümetler gereksinimin artışı ve olumsuz göstergelere rağmen sağlık harcamalarını kısmak için yoğun bir baskı altında kalabilmektedirler. Dünya genelinde gelir adaletsizliği, yoksulluk, artan yaşlı nüfus gibi sağlık göstergelerinde eşitsizliği körükleyen pek çok durum hükümetleri ağır bir baskı altında tutmaktadır. Küreselleşmenin olumlu ve olumsuz etkileri de sağlıkta ciddi bir tartışma konusudur.

Dünyada zaman içinde değişen sağlık anlayışı ve politikasının izleri, Dünya Sağlık Örgütü'nün (DSÖ) sağlık politikasında da görülebilir. Bu konudaki temel belgelerden birisi 1978 tarihli Alma-Ata Bildirgesidir. Bu bildirgede 2000 yılına kadar '*herkes için sağlık*' hedeflenmiş ve bu hedefe giden yolun da '*birinci basamak sağlık hizmetleri*'nden geçtiği vurgulanmıştı. Bu, başlangıçta ucuz ve özellikle üçüncü dünya ülkeleri için uygulanabilir bir politika olarak kabul görmüştü. Ancak 1990'lara doğru bu politikanın uygulanamadığı ve hedeflere ulaşma konusunda ciddi sorunların var olduğu görüldü. 21. yüzyıl'ın başlarında DSÖ tarafından *Milenyum Kalkınma Hedefleri* belirlendiğinde ise AIDS, tüberküloz ve sıtma kontrolden çıkma noktasına gelmiş ve acil müdahale gerektirir haldeydi. İşte bu koşullar altında Alma-Ata'nın 30. yılında yine aynı şehirde DSÖ konferansı yapılmış ve ardından '*2008 Dünya Sağlık Raporu*' yayınlanmıştır. Bu Raporda temel sağlık hizmetlerini güvence altına almak için dört reform önerilmektedir. Bunlar sağlık güvencesinin kapsayıcılığı (evrensel kapsayıcılık) reformları, hizmet sunum reformları, kamu düzeni reformları ve liderlik reformlarıdır.

Ancak yapılan tespitler sağlık konusunda hedeflerin yine tutturulamadığını ve temel bakış açısında radikal bir değişim gerektiğini gösteriyordu. DSÖ bütün bu tespitlerin ışığında, Alma-Ata'nın 40. yılında yani 2018'de bu kez Kazakistan'ın Astana şehrinde '*Birinci basamak sağlık hizmeti küresel konferansı: Alma-Ata'dan*

evrensel sađlık kapsayıcılıđına ve sürdürülebilir gelişme hedeflerine dođru' başlıklı bir toplantı düzenlemiştir. Bu toplantıda dünyanın bütün ülkelerinden devlet ve hükümet başkanları, 1978 Alma-Ata bildirgesindeki değerlere ve *'sürdürülebilir gelişme için 2030 gündemi'*ne bađlılıklarını, *'herkes için sađlık'* hedefiyle yeni bir deklarasyon imzalayarak göstermişlerdir. Bu bildirgenin içeriđi dünyada insan sađlığı için gerçekten ümit vaat etmektedir. Bu bildirmede öne çıkan başlıca unsurlar sađlığın temel insan haklarından olduđunun güçlü şekilde vurgulanması, birinci basamak sađlık hizmetlerine yeniden öncelik verilmesi ve sađlık hizmetlerinin bütün insanları kapsaması gerekliliđidir. Bu bağlamda, birinci basamak sađlık hizmetlerini güçlendirmenin, sađlık hizmeti kapsayıcılıđının artması için en önemli koşullardan birisi olduđu vurgulanmaktadır.

Sađlık politikası, Avrupa Birliđi'nin (AB) kuruluşundan bugüne büyük bir deđişim ve ilerleme göstermiştir. Başlangıçta sađlığa yalnızca kömür çelik çalışanlarının iş sađlığı bağlamında bakan AB, günümüzde sađlık alanındaki hemen hemen her konuyu gündemine almakta ve hatta küresel sađlıkta önemli bir aktör olma iddiasını taşımaktadır.

Nadir Hastalıklar (NH) toplumda düşük sıklıkta görülen, yaşamı tehdit eden, çođu genetik nedenlerden kaynaklanan ve binlerce türü bulunan geniş bir hastalık grubudur. Çođunun tedavisinin olmaması, var olan tedavilerin çok pahalı olması, tedaviye erişimin çok zor olması, bu hastalıklarla ilgilenen uzmanların çok az olması, bu hastalıklarla ilgili araştırma ve ilaç geliştirme çalışmalarının çok zor ve pahalı olması gibi nedenlerden dolayı, günümüzde nadir hastalıklarla ilgili temel yönetim anlayışı, bu hastaların belirli merkezlerde takip edilmesi gerektiđidir. Bu yaklaşım gerçekten de NH'yle mücadelede çok önemli avantajlar sunmaktadır. Bu merkezi takip sayesinde hastaların tedaviye erişimi kolaylaşmakta, NH'yle ilgilenen uzmanların yetişmesi sađlanmakta, buralarda sađlanan bilgi birikimi ve deneyimle bu hastalıklar üzerinde hem tanıya hem de tedaviye yönelik çok önemli araştırmalar yapılabilmektedir.

AB'nde yaklaşık 30 yıldır NH üzerinde kurumsal olarak çalışılmaktadır. Bu konuda öncelikle ulusal kayıt sistemleri ve takip merkezleri desteklenmiş ve sonra bu ulusal merkezleri birleştirme yolunda pek çok proje hayata geçirilmiştir. Bütün bu çalışmaların sonunda, 2017 yılında dünyada başka bir örneđi bulunmayan Avrupa

Referans Ağları (ARA) kurulmuştur. ARA belirli koşullar altında Avrupa'daki belirli bir grup NH'yle ilgilenen ulusal takip merkezlerini, hekimleri ve hastaları aynı platform üzerinde birleştiren bir sanal ağlar sistemidir.

Tezde AB'nde NH ağlarının kuruluş ve işleyişine ilişkin olarak zaman ve mekan boyutunda karşılaştırma yöntemi tercih edilmiştir. Bu çerçevede süreç izleme, tezin bütününde temel dayanak oluşturmaktadır.

Tezin birinci bölümünde AB sağlık ve e-sağlık politikası ele alınacaktır. Bu bölümde AB sağlık politikasının kuruluşundan bugüne geçirdiği evrim incelenecek ve sağlık politikasındaki derinleşme sorgulanacaktır. İkinci bölümde ise NH ve bu bağlamda NH kayıt sistemi ve takip merkezleri değerlendirilecektir. Bu bölümde NH ve NH'de yönetim kavramı ele alınacak ve AB'nin NH'yle uzun bir süredir sistematik şekilde ilgilendiği gösterilecektir. İkinci bölümün bir diğer başlığı ise AB NH politikası ve NH konusunda AB'nin geldiği son aşama olan ARA ve bu aşamaya ilişkin süreç incelenecektir. Bu bölümde hem AB'nin uzun yıllardır üye ülkeleri ARA'nın kuruluşu ve işleyişi için aşama aşama ortak faaliyetlerle birleştirdiği tespit edilmekte hem de ARA sisteminin NH'nin yönetiminde ne kadar özgün bir olgu olduğu gösterilmektedir. Üçüncü bölümde ise 2017 yılında kurulmuş bulunan mevcut 24 ARA ayrı ayrı değerlendirilmektedir. Bu bölümde henüz çok yeni olan bu deneyim, önce ağların ortak özellikleri tespit edilip ardından her ağ incelenmektedir.

BİRİNCİ BÖLÜM

AVRUPA BİRLİĞİ SAĞLIK POLİTİKASI

1.1. KAVRAM

AB'nin özgün kurumsal yapısı; uluslararası sağlık politikası ve sağlık hizmetine erişimi kolaylaştıran e-sağlık politikası incelenmektedir.

1.2. AVRUPA BİRLİĞİ SAĞLIK POLİTİKASI

Bu çalışmada AB sağlık politikası ile kastedilen AB'nin kurumsal kimliğiyle takip ettiği politikadır. Bu bağlamda AB ülkelerinin tek tek izledikleri sağlık politikaları bu kapsama girmemektedir. AB sağlık politikası büyük oranda DG SANTE (Sağlık ve Gıda Güvenliği Genel Müdürlüğü- European Commission's Directorate for Health and Food Safety) tarafından yürütülmekle birlikte, diğer genel müdürlüklerin karar ve uygulamaları da sağlık politikasına ait bazı alanları içermektedir.

AB kurucu antlaşmalarında başlangıçta sağlık konusu doğrudan geçmemekte ve çok az yer bulmaktayken, entegrasyon derinleştikçe sağlık da giderek kendisine daha çok yer bulmaya başlamıştır. Bu nedenle AB sağlık politikası tarihsel arka planı ve güncel sağlık politikası olmak üzere iki başlıkta incelenecektir.

1.2.1. Avrupa Birliği Sağlık Politikasının Tarihsel Arka Planı

AB sağlık politikası başlangıçta yalnızca antlaşmaların sağlık alanındaki sınırlı sayıda hükmünde yer bulmuşken, günümüzde neredeyse ortak politika alanlarıyla boy ölçüşecek hale gelmiştir. Bunun sebepleri arasında AB'nin geldiği genişleme ve siyasi bütünleşme sonucunda hastaların ve sağlık çalışanlarının giderek artan hareketliliği, sağlık hizmetlerinin üye ülkeler arasında belirli bir düzeye çıkartılma zorunluluğu, küresel sağlık tehditlerine karşı hazır olma zorunluluğu, sağlığın pek çok AB

politikasıyla doğrudan veya dolaylı olarak etkileşime giriyor olması sayılabilir.¹ Sağlıkla ilgili Avrupa Birliği Adalet Divanı (ABAD) kararları da AB'nin sağlık politikasında derinleşmesini zorunlu hale getiren bir başka nedendir.²

AB kurucu antlaşmalarında sağlık konusunun yıllar içinde kademeli olarak arttığı görülmektedir.³ AB'nin başlangıcını oluşturan 1951 tarihli Paris Antlaşması'nın 55. maddesinde kömür ve çelik endüstrisinde çalışanların sağlık ve güvenliği konusunda araştırma ve üye ülkeler arasında işbirliği yapılmasına yönelik hüküm bulunmaktadır. 1957 tarihli Roma Antlaşmasının 36. maddesinde ise insan sağlığının ve yaşamının korunması temelinde, üye ülkelere ticaretin sınırlandırılması konusunda yetki verilmektedir. 1987 tarihli Tek Avrupa Senedinde Topluluk kurumları sağlığı ilgilendiren kararlarında '*yüksek düzeyde korumayı*' temel alacaklardır denmektedir. 1992 tarihli Maastricht Antlaşmasının 129. maddesinde halk sağlığına yer verilmekte ve böylece Topluluğun sağlık alanındaki rolü resmi olarak ilk defa vurgulanmaktadır.⁴ Bu Antlaşmayla ikame etme ilkesi (subsidiarity) getirilmiş ve böylece AB'ye kurumsal olarak sağlık alanında da yetki verilmiştir. Çünkü bu ilkeye göre bir konuda AB'nin Birlik düzeyinde harekete geçmesiyle daha yararlı bir sonuç alınacaksa, bu durumda Birlik düzeyinde harekete geçilmelidir. 1997 tarihli Amsterdam Antlaşmasının 152. maddesi sağlıkla ilgilidir. Buna göre tüm Topluluk politika ve faaliyetlerinde *yüksek düzeyde bir sağlık korumasının sağlanması* gerekir. Yine bu maddeyle sağlık etki değerlendirmesi yapılması adımı atılmış ve sağlık çalışanlarını bir araya getiren *Avrupa Sağlık Forumu* kurulmuştur. Komisyonun yeniden yapılandırılması ile birlikte sağlıkla ilgilenen bir genel müdürlük (DG SANTE) kurulmuştur. Bu antlaşma ile kan, hücre ve doku nakli ile ilgili bağlayıcı kararlar alınabilir hale gelmiştir. Sağlıkla ilgili dolaylı bir atıf da *Avrupa Birliği Antlaşması*'nda (ABA) bulunmaktadır.⁵ Zira Antlaşmanın 6. maddesinde '*Birlik, 12 Aralık 2007 tarihinde Strazburg'da uyarlandığı haliyle, Antlaşmalar'la aynı hukuki değere sahip olan 7 Aralık 2000 tarihli Avrupa Birliği Temel Haklar Şartı'nda yer*

¹ Meri Tuulikki Koivusalo, "The Future of European Health Policies", **International Journal of Health Services**. Cilt:35, Sayı:2, 2005, ss.325-342.

² Hasan Hüseyin Yıldırım ve Türkan Yıldırım, **Avrupa Birliği Sağlık Politikaları ve Sağlık Sistemleri**, Güncellenmiş ve Genişletilmiş 3. Baskı, ABSAM Yayınları, Ankara, 2015, s. 64.

³ John Hodgson, "The Impact of European Union Law on Public Health", **British Journal of Nursing**. Cilt:18, Sayı:6, 2009, ss.378-379.

⁴ Yıldırım ve Yıldırım, ss. 66-68.

⁵ Yıldırım ve Yıldırım, ss. 69-70.

alan hakları, özgürlükleri ve ilkeleri tanır' denilmektedir. Böylece antlaşmaların bir parçası haline gelen Şartın 35. maddesi sağlıkla ilgili olup, herkesin koruyucu sağlık hizmetlerinden ve tıbbi tedaviden yararlanma hakkı olduğu söylenerek, Birliğin her türlü eylem ve politikalarında yüksek düzeyde sağlık koruması sağlaması gerektiği ve bunun herkesin hakkı olduğu belirtilmektedir.

Yukarıda belirtildiği gibi, sağlık politikasının oluşmasında ABAD kararları da etkili olmaktadır. Ancak bu etki AB içinde belli bir tepkiyi de beraberinde getirmiştir. Nitekim 2002 yılında İspanya'nın dönem başkanlığı sırasında, sağlık alanında işbirliği ve ortak politika arayışı için yapılan gayri resmi AB Sağlık Bakanları toplantısında; sağlık alanında hiçbir şey yapmamanın sürdürülebilir olmadığı, ABAD'ın sağlık politikalarını belirlemesinin Avrupa'daki hastaların sağlığı için uygun olmadığı ve sağlık politikasının politikacılar tarafından yönlendirilmesi gerektiği vurgulanmıştır.⁶ Daha sonra Malaga süreci olarak tanınan bu toplantıda, yüksek derecede uzmanlaşmış referans merkezleri oluşturulması, kullanılmayan kapasitenin paylaşılması, sınır bölgelerinde işbirliğinin kolaylaştırılması ve başka bir ülkede uzun süre ikamet edenler için sağlık hizmeti sağlanması konularında alınan kararlar sonraki yıllarda AB sağlık politikasındaki derinleşmeye yön vermiştir.

13 Aralık 2007 tarihinde imzalanan ve 1 Aralık 2009 tarihinde yürürlüğe giren Lizbon Antlaşması, *Avrupa Topluluğunu Kuran Antlaşma*'nın adını *Avrupa Birliğinin İşleyişi Hakkında Antlaşma (ABİHA)* olarak değiştirmiştir. ABA ve AAET'yi kuran antlaşma ise, aynı isimlerle varlığını sürdürmektedir. Sonuç olarak AB'nin başlangıçtan beri bütün antlaşmalarını birleştiren ve günümüzde geçerli olan antlaşması ABİHA'dır. Bu antlaşma 2009 yılında kabul edildikten sonra, daha önceki antlaşmaları birleştirmiştir. AB sağlık politikasına ilişkin düzenlemeleri, bu antlaşmanın içeriğinde görmek mümkündür. Antlaşmanın '*İlkeler*' başlıklı birinci bölümünün 3. maddesine göre Birliğin münhasıran yetkili olduğu alanlar şunlardır: gümrük birliği, iç pazarın işleyişi için gerekli olan rekabet kurallarının oluşturulması, para birimi avro olan üye devletler için para politikası, ortak balıkçılık politikası çerçevesinde biyolojik deniz kaynaklarının koruma altına alınması ve ortak ticaret politikası. Aynı bölümün 6. maddesinde ise Birliğin desteklemek ve eşgüdüm sağlamakla yükümlü olduğu konular sayılmaktadır. Bu maddeye göre Birliğin, üye

⁶ Yıldırım ve Yıldırım, s. 84.

lkelerin eylemlerini desteklemek, egdm saęlamak etmek veya tamamlamak amacıyla Avrupa dzeyinde tedbirler alabileceęi alanlar unlardır: insan saęlıęının korunması ve iyiletirilmesi; sanayi; kltr; turizm; eęitim, mesleki eęitim, genlik ve spor. Birlik bylelikle kurucu antlamanın ilk blmnde saęlıęa atıf yapmaktadır.

Saęlık konusundaki temel politika ifadesi ise aynı antlamanın *‘Birlik politikaları ve dâhili eylemler’* balıklı nc blmndeki *‘Halk Saęlıęı’* isimli 168. maddesinde yer almaktadır. Burada *‘Birlięin btn politika ve faaliyetlerinde insan saęlıęının yksek dzeyde korunması temin edilir’* denilerek, Birlik faaliyetlerinin tamamlayıcı nitelikte olduęu ve bu faaliyetler sırasında ulusal saęlık politikalarına saygılı olunacaęı u ekilde vurgulanmaktadır: *‘ulusal politikaları tamamlayan Birlik eylemi; halk saęlıęının daha iyi duruma getirilmesine, fiziksel ve ruhsal rahatsızlık ve hastalıkların nlenmesine ve fiziksel ve ruhsal saęlık iin tehlike yaratan sebeplerin ortadan kaldırılmasına yneliktir. Bu eylem; nedenleri, bulaması ve nlenmesine ilikin aratırmaların, saęlık konusunda bilgilendirme ve eęitimi de kapsayacak ekilde desteklenmesi yoluyla byk saęlık felaketleriyle mcadele edilmesini ve saęlıęa ynelik ciddi sınır tesi tehditlerin izlenmesini, bu tehditler konusunda erken uyarıda bulunulmasını ve bu tehditlerle mcadele edilmesini kapsar. Birlik eylemi, ye devletlerin saęlık politikalarının belirlenmesi ve tıbbi bakım ve saęlık hizmetlerinin organizasyonu ve sunulması konusundaki sorumluluklarına saygı gsterilerek yrtlr.’*

Grldę gibi AB’nin saęlık politikası alanında, balangıta antlamalardaki ok yzeyssel ve genel saęlık dzenlemelerinden, gnmzdeki detaylı saęlık hkmlerine kadar gelen ve adım adım ilerleyen uzun bir sre yaanmıtır.

1.2.2. Avrupa Birlięi Gncel Saęlık Politikası

nceki blmde de vurgulandıęı gibi, saęlık hizmetlerini organize etmek ve sunmak ye lkelerin kendi sorumluluk ve yetki alanı iindedir. Bu baęlamda, saęlık politikası ulusal politikaları desteklemek ve btn AB politikalarında saęlıęın korunmasını temin etmek zerine kurulmutur. Saęlık alanı ye lkelerin kendi yetki sınırları iinde kalmakla birlikte; sınır tesi saęlık tehditleri, hasta hareketlilięi ve saęlık eitsizlikleri gibi konularda Birlięin de kurucu antlamalardan kaynaklanan

sorumlulukları ve yetkileri bulunmaktadır.⁷ AB'nin sağlık politikasının amaçları, vatandaşlarının sağlığını korumak ve geliştirmek, sağlık altyapısının modernize edilmesini desteklemek ve Avrupa sağlık sistemlerinin etkililiğini geliştirmek olarak sıralanmaktadır.⁸

AB'nin kuruluşundan beri izlediği sağlık politikasındaki derinleşme 2000'li yıllardan itibaren ciddi bir ivme kazanmıştır. Mayıs 2000'de AB düzeyinde sağlık politikasını ortaya koyan bir tebliğ kabul edilmiştir.⁹ Bu tebliğde işlerin daha iyi yapılabilmesi için kaynakların birleştirilmesi çağrısında bulunulmuştu. Halk sağlığı programı tarafından da desteklenen bu tebliğle halk sağlığı alanındaki faaliyetlerin gelişimi sağlanmış ve sağlıkla ilgili diğer politikalar arasındaki bağ güçlendirilmiştir. Sağlık politikasına ait genel ilke ve kurallar 2002'deki '*Sağlığın Avrupası*'nda yer almıştır. Sağlık tehditlerini de içeren bu anlayışta '*Avrupa Hastalıklardan Korunma ve Kontrol Merkezi*' (European Centre for Disease Prevention and Control-ECDC) kurulması ve sağlık sistemlerinde sınır ötesi işbirliği konuları da bulunmaktaydı. Bu süreç 2004 yılında gözden geçirilmiş ve bu gözden geçirmenin sonuçları yeni '*Sağlık Strateji*'sinin oluşumuna katkıda bulunmuştur.

Güncel AB sağlık politikası, 2007 yılında '*AB 2008-2013 için Stratejik Bir Yaklaşım*' başlığıyla 2020 yılına kadar geçerli olmak üzere başlatılmış ve '*Avrupa 2020*' stratejisini destekler nitelikte hazırlanmıştır.¹⁰ Bilindiği üzere, *Avrupa 2020* stratejisinde, büyümeyi sağlamak üzere 'akla dayalı, sürdürülebilir ve kapsayıcı bir ekonomik model' öncelik olarak belirlenmiştir. Bu bağlamda, sağlığın kendisi başlı başına bir değer olduğu gibi, ekonomik zenginlik için de bir önkoşuldur ve bu nedenle sağlığa yapılacak harcama büyümeyi de hızlandıracaktır. Avrupa'nın sağlıkta *akla dayalı yatırımlara* ihtiyaç duyduğu belirtilmektedir: sürdürülebilir sağlık sistemlerinde, daha fazla değil ama daha akla dayalı harcama; sağlığa özellikle sağlık teşvikleri ile yatırım yapma; eşitsizlikleri azaltma ve sosyal dışlanmayla mücadele için

⁷ Scott L. Greer, Tamara K. Hervey, Johan P. Mackenbach ve Martin McKee, "Health Law and Policy in the European Union", **Lancet**, Cilt:381, Sayı:9872, 2013, ss.1135-1144.

⁸ Timo Clemens, Kai Michelsen ve Helmut Brand, "Supporting Health Systems in Europe: Added Value of EU Actions?", **Health Economic Policy and Law**, Cilt:9, Sayı:1, 2014, ss.49-69.

⁹ European Commission, "Public Health", **Live, Work, Travel in the EU**, https://ec.europa.eu/health/home_en (06.07.2017).

¹⁰ European Commission, "Together for Health: A Strategic Approach for the EU 2008-2013", **White Paper**, 23.10.2007, https://ec.europa.eu/health/ph_overview/Documents/strategy_wp_en.pdf (06.07.2017).

sağlığa yatırım yapma öncelik taşımaktadır. ABİHA'nın 168. maddesine paralel olarak ulusal sağlık politikalarını tamamlamayı hedefleyen güncel sağlık politikasında; üye ülkelerin karşılaştıkları sağlık sorunları, işbirliği ve eşgüdüm güçlendirilerek yenilecektir. Komisyon tarafından 2011 yılında yapılan bir değerlendirmeye göre bu strateji ulusal ve AB düzeyinde yapılan faaliyetler için bir referans durumunda olup 2020'ye kadar geçerli kalacaktır.¹¹

AB sağlık politikaları ile dolaylı olarak ilgili olan pek çok genel müdürlük olmakla birlikte, temel olarak sağlık politikası DG SANTE tarafından *halk sağlığı* politikası başlığında ele alınmakta ve uygulanmaktadır. Stratejik sağlık konuları kıdemli ulusal ve Komisyon temsilcileri tarafından görüşülür. İkame etme ilkesine uygun olarak Komisyon'un temel rolü üye ülkelerin, vatandaşların sağlığını korumak ve geliştirmek konusundaki çabalarını desteklemek ve sağlık sistemlerinin erişilebilirliğini ve etkililiğini sağlamaktır.¹² Komisyon politika oluşturup uygularken şu araçları kullanır: yasa önerisi, finansal destek, üye ülkeler arasındaki bilgi ve deneyim alışverişini kolaylaştırmak ve eşgüdümü sağlamak ve sağlık farkındalığı faaliyetleri. Diğer AB kurumları, üye ülkeler, bölgesel ve yerel yetkililer ve diğer çıkar grupları da AB sağlık politikasının oluşumuna katkıda bulunurlar. AB *halk sağlığı* politikalarının amacı insan sağlığını korumak ve geliştirmek ve Avrupa'daki sağlık sistemlerini modernize etmek yoluyla, Komisyon'un '2014-2019 büyüme ve istihdam önceliklerine' katkıda bulunmaktadır.¹³ *Halk sağlığı* alanında AB faaliyetleri büyük oranda teşvik ve işbirliği tedbirlerini içermektedir. Komisyonun en önemli rolü, üye ülke sağlık sistemlerinin daha etkili çalışması için destekleyici faaliyetlerde bulunmaktadır. Bu bağlamda en çok üzerinde çalışılan konular şunlardır: daha düşük maliyetli sağlık hizmeti sağlamak, güvenlik içinde rekabet, antibiyotik direnci gibi küresel sorunlarla mücadele etme, kanıta dayalı politika oluşturma, bulaşıcı olmayan hastalıklarla ilgili risk faktörlerini ele alma ve aşılamaı desteklemektir.

¹¹ European Commission, Public Health.

¹² Natasha Azzopardi-Muscat, Kristine Sorensen, Cristoph Aluttis, Roderick Pace ve Helmut Brand, "Europeanisation of Health Systems: A Qualitative Study of Domestic Actors in a Small State", **BMC Public Health**, Cilt:16, Sayı:334, 2016, ss.1-14.

¹³ European Commission, Public Health.

1.2.2.1. Avrupa Birliđi Güncel Sađlık Politikasının İlkeleri

AB'nin güncel sađlık politikası '*ortak sađlık deđerleri*', '*sađlık en büyük zenginliktir*', '*bütün politikalarda sađlık*' ve '*küresel sađlıkta AB'nin sesini güçlendirmek*' şeklinde sıralanan dört temel ilkeye dayanmaktadır.¹⁴

Ortak sađlık deđerleri ilkesinden evrensellik, kaliteli sađlık hizmetine erişim ve sađlık sistemlerinde eşitlik ve dayanışma anlaşılmaktadır. Bu deđerler çerçevesinde belli sađlık temaları oluşturulmuştur. Bunlar: hastayı sađlık sisteminin merkezine yerleştirmek ve kendi tedavi süreçleri hakkında söz sahibi olmasını sağlamak şeklinde ifade edilen vatandaşları güçlendirmek; sađlık politikalarını en bilimsel ve güvenilir verilere dayandırmak olarak ifade edilen kanıta dayalı politika oluşturmak ve hem üye ülke içindeki hem de üye ülkeler arasındaki sosyal ve ekonomik gelişmeye engel olabilecek sađlık eşitsizliklerini gidermektir.

Sađlık en büyük zenginliktir ilkesine göre sađlığa yapılan yatırım, Avrupa 2020 stratejisinin istihdam, eğitim sosyal içirme, araştırma ve geliştirme gibi hedeflerini gerçekleştirmesine yardımcı olabilir. Çünkü AB ekonomisi için sađlık; yüksek orandaki inovasyon, eğitilmiş işgücü ve güçlü medikal araç-gereç sanayisiyle büyüyen bir sektör konumunda olup; yüksek inovasyon düzeyi, eğitilmiş işgücü ve güçlü tıbbi araç ve ilaç endüstrisi tarafından desteklenmektedir.

Bütün politikalarda sađlık ilkesine göre, etkili bir sađlık politikası; sosyal ve bölgesel politika, vergilendirme, çevre, ulaşım, bilgi ve iletişim teknolojileri, enerji, tarım ile eğitim ve araştırma gibi alanlarda işbirliğinin sađlandığı bütüncül bir yaklaşım gerektirir.

Son olarak, *küresel sađlıkta AB'nin sesini güçlendirmek* ilkesinin dayandığı düşünce, günümüz dünyasında küresel sađlık sorunlarının AB'nin sađlıkla ilgili iç politikasını da etkiliyor olmasıdır. Bu nedenle sađlık politikası küresel sađlık sorunlarıyla mücadele edebilmeyi gerektirir. AB kendi sađlık ilke, standart ve mevzuatını desteklemek için diđer ülke ve uluslararası örgütlerle diyalogunu güçlendirmeye çalışmaktadır. AB küresel sađlık politikası 2010 yılında tanımlanmış olup, temel zorlukları belirleyerek daha güçlü bir AB vizyon ve icraatı için ana hatları ortaya koymaktadır. Bütüncül bir yaklaşım gösteren bu politika, bütün ilgili kuruluş

¹⁴ European Commission, Public Health.

ve çıkar gruplarıyla şu alanlarda işbirliğini amaçlamaktadır: ticaret, finans, büyüme yardımı, göç, güvenlik, iklim değişimi ve çevre, araştırma ve inovasyon.

1.2.2.2. Avrupa Birliği Güncel Sağlık Politikasının Amaçları

AB sağlık politikasının üç temel amacı bulunmaktadır. Bunlar ‘yaşlanan Avrupa’da sağlıklılığı desteklemek’, ‘vatandaşları sağlık tehditlerinden korumak’, ‘dinamik sağlık sistemi ve yeni teknolojileri desteklemek’ olarak sıralanmaktadır.¹⁵

AB nüfusunda 2060 yılına kadar 65 yaşın üzerindeki oranın %17’den %30’a çıkacağı öngörülmektedir.¹⁶ Bu bağlamda hastalıklardan korunmak, yaşama ve çalışma koşulları, beslenme ve fiziksel aktivite gibi sağlıklı olmayı belirleyen faktörleri düzeltmek, özellikle yaşlanan ve doğurganlık oranı azalan Avrupa toplumu için daha da önemli hale gelmektedir.¹⁷ Bu nedenle, AB sağlık politikasının amaçlarından birisi de bu konuya odaklanmak olmuştur.

Öte yandan, son yıllarda AB vatandaşlarının sağlığını tehdit eden pek çok sınır ötesi krizle karşı karşıya kalınmıştır. Sınır ötesi sağlık tehditleriyle doğru mücadele yöntemi hızlı ve eşgüdümlü bir yanıt ortaya koymaktır. AB bu hızlı ve eşgüdümlü yanıtı oluşturabilmek için geniş bir ağ kurmuştur.

AB bölgesindeki sağlık sistemleri, artan kronik hastalık prevalansları ve sağlık sistemlerinin sürdürülebilirliği gibi epidemiyolojik ve finansal zorlukların baskısı altında bulunmaktadır.¹⁸ Bu noktada yeni teknolojilerin güvenli ve kaliteli sağlık hizmetine erişimi artırarak, sağlık sistemlerinin etkinliğine ve sürdürülebilirliğine katkıda bulunabileceği öngörülmektedir. Örneğin e-sağlık uygulamaları özellikle sağlık çalışanlarının az olduğu kırsal bölgelerde sağlık hizmetlerine erişimi kolaylaştırabilirler. Komisyona göre sağlığa yatırım; etkili, ulaşılabilir ve esnek sağlık sistemleri; koruyucu sağlık hizmetleri ve eşitsizlikleri azaltan ve sosyal dışlanmayla

¹⁵ European Commission, Public Health.

¹⁶ European Commission, Public Health.

¹⁷ Claudine de Meijer, Bram Wouterse, Johan Polder ve Marc Koopmanschap, “The Effect of Population Aging on Health Expenditure Growth: A Critical Review”, **European Journal of Ageing**, Cilt:10, Sayı:4, 2013, ss. 353-361.

¹⁸ Claus Wendt ve Theresa Thompson, “Social Austerity versus Structural Reform in European Health Systems: A Four-Country Comparison of Health Reforms”, **International Journal of Health Services**, Cilt:34, Sayı:3, 2004, ss.415-433.

mücadele eden bir sağlık kapsayıcılığı akla dayalı, sürdürülebilir ve kapsayıcı büyümenin sağlanması için bir araç olabilir.¹⁹

1.3. AKTÖRLER

AB sağlık politikasında rol oynayan kurumsal yapı içindeki organların bazıları üye ülke hükümetlerini, bazıları Birliğin tüzel kişiliğini ve bazıları da Avrupa halkını temsil etmektedir. Bu bağlamda, AB Konseyi üye ülkelerin, Avrupa Birliği Komisyonu AB tüzel kişiliğinin ve AB Parlamentosu da Avrupa halklarının temsil edilecekleri platformlardır. AB sağlık politikası çeşitli AB kurumlarının farklı düzeylerdeki katkılarıyla oluşturulmakta ve AB Komisyonu tarafından uygulanmaktadır. AB'nin kurumsal yapısı, karar organları ve diğerleri olmak üzere ikiye ayrılabilir. Zira karar verme sürecinde yer alan kurumlar ayrı bir önem arz etmektedir

1.3.1. Karar Organları

AB kurumsal yapısı içindeki karar organları Avrupa Konseyi, Avrupa Birliği Konseyi, Avrupa Komisyonu, Avrupa Parlamentosu, ABAD, Avrupa Merkez Bankası ve Avrupa Sayıştayı'dır. Burada sağlık politikası ve NH'yle doğrudan ilgisi olmadığı için Avrupa Merkez Bankası ve Avrupa Sayıştayı'na değinilmeyecek, diğer organlar anlatılacaktır.

1.3.1.1. Avrupa Konseyi

AB'nin en üst politik organı olan Avrupa Konseyi, üye devlet hükümet başkanları, Konsey Başkanı ve Komisyon Başkanı'ndan oluşmaktadır. Dış işleriyle ilgili konuların tartışıldığı Konsey toplantılarında ise, Birlik Dış İşleri ve Güvenlik Politikası Yüksek Temsilcisi de Konsey üyelerine dâhil olur. Konsey kendi başkanını yenilenebilen 2,5 yıllık bir süre için nitelikli oyla seçmekte olup şimdiki Başkanı 1 Aralık 2019 tarihinde göreve gelen Charles Michel'dir.

¹⁹ European Commission, Public Health.

AB'nin genel politik yönünü ve önceliklerini belirleyen Avrupa Konseyi, bir yasama organı değildir. AB'nin sorunlarının ve yapılacakların tespit edildiği Konsey toplantılarından çıkan *sonuç* belgeleriyle, AB'nin politik gündemi oluşturulur. Örneğin son zamanlarda AB'nin uzun dönem önceliklerini ve odaklanacağı konuları belirleyen bir *stratejik gündem* kabul etmiştir.²⁰

Konsey her toplantının sonunda '*sonuçlar*' başlıklı bir belge kabul eder. Bu belgeler genellikle spesifik sorunları, yapılacak eylem ve ulaşılabilecek amaçları ortaya koymakla birlikte bazen de belli bir konu üzerindeki anlaşma için bir hedef tarih belirlerler. Bu '*sonuçlar*' bütün üye ülkelerin uzlaşısıyla kabul edilir. Ancak antlaşmalarda belirtilen bazı spesifik konularda ise oybirliği veya nitelikli çoğunluk aranır. Konsey ve Komisyon Başkanı oylamalara katılamazlar. Konsey bazen üye olmayan üçüncü ülkelerle de toplantılar yapabilir. Bu durumda bir *Sonuçlar* belgesi yerine *Açıklama* veya *Bildirge* kabul edilir. Örneğin Türkiye ile de 2015 ve 2016 yıllarında bu türden iki toplantı yapılmıştır.

Konsey bazı üst düzey atamalarda önemli bir rol sahibidir. Bunlar Konsey Başkanı'nın seçimi, Komisyon Başkanı'nın önerilmesi, Birlik Dış İşleri ve Güvenlik Politikası Yüksek Temsilcisi'nin atanması, Komisyonun bir bütün halinde resmi olarak atanması, AB Merkez Bankası'nın başkan ve yönetim kurulunun atanmasıdır.

Konsey 20 Haziran 2019 tarihinde yaptığı toplantıyla 2019-2024 dönemi için yeni bir stratejik gündem belirlemiştir.²¹ Bu toplantıdan sonra yayınlanan *sonuçlar'a* göre yeni stratejik gündem dört temel öncelik alanına odaklanmakta ve iyi sağlık erişimini de vurgulamaktadır: vatandaşları ve özgürlükleri korumak; güçlü bir ekonomik temel oluşturmak; iklimle negatif etki etmeyen, yeşil, adil ve sosyal bir Avrupa oluşturmak; küresel sahnede Avrupa'nın çıkarlarını ve değerlerini desteklemek.

²⁰ European Council - Council of the European Union, "The European Council, (CEU)" <https://www.consilium.europa.eu/en/european-council/president/> (12.10.2019).

²¹ European Council, "Conclusions", 20.06.2019, <https://data.consilium.europa.eu/doc/document/ST-9-2019-INIT/en/pdf> (12.10.2019).

1.3.1.2. Avrupa Birlięi Konseyi

Bakanlar Konseyi olarak da bilinen Konsey AB üye ülkelerinin bakanlarından oluşur ve AB içinde üye devletlerin ulusal çıkarlarının temsil edildięi organdır. Her Konsey toplantısı, karara bağlanacak konuya göre üye devletleri temsil eden ilgili bakanlarla yapılır. Konsey başkanlığı 18 aylık süre için görev yapan ve troyka olarak adlandırılan 3 üye devletten oluşan takımlar tarafından yürütölür. Başkanlık 6 aylık dönemlerle üye devletlerarasında dönüşümlü olarak sürdürölür. Üye devletlerin Birlik nezdindeki Büyükelçilerinden oluşan Daimi Temsilciler Komitesi (COREPER) ve dięer çalışma grupları Konsey çalışmalarını yürütölür.

Konsey'in temel görevi yasa yapmaktır ve bu görevini Parlamento ile paylaşır. Konsey bütçenin kabulünde de Parlamento ile eşit sorumluluk sahibidir.²² AB adına uluslararası örgütlerle anlaşmalar imzalama yetkisi bulunan Konsey, AB'nin *Ortak Dış ve Güvenlik* politikasını da AB Zirvesi ile birlikte belirler.

Konseyin üç farklı karar alma yöntemi bulunmaktadır. Bunlar oybirlięi, oy çokluğu ve nitelikli çoğunluktur. Lizbon Antlaşması'ndan sonra Konsey'in temel oylama yöntemi nitelikli çoğunluk olarak belirlenmiş; oybirlięi ve basit oy çokluğu ise istisnai bir yöntem olarak kabul edilmiştir. Oybirlięiyle karar alınan istisnai durumlar arasında Ortak Dış ve Güvenlik Politikası, Antlaşmaların gözden geçirilmesi ve yeni üyelerin katılımı gibi konular bulunmaktadır. Dięer birçok konuda nitelikli çoğunlukla karar alabilir. Lizbon Antlaşması'na göre 2014 yılından başlayarak nitelikli çoğunluk, üye ülkelerin %55'den (en az 15 üye devlet) fazlası ve AB nüfusunun %65 ve üstünü temsil etmek olarak tanımlanmıştır.²³ Yine bu antlaşmaya göre bloke edici azınlık ise, nüfus esaslı dikkate alınmak suretiyle en az 4 üye devlet olarak belirlenmiştir.

Avrupa Konseyi toplantılarının konusu sağlık politikası ile ilgili ise, toplantı üye devletlerin sağlık bakanları ile yapılır. Konsey yasa yapmanın yanısıra '*sonuçlar, kararlar ve açıklamalar*' da kabul eder. Bunlar yasal bağlayıcılığı olmayan ancak belli konularda teşvik edici ya da gündem oluşturu belgelerdir. Örneğin 24 Ekim 2019 tarihinde yayınlanan *sonuçlar* belgesinde *Hasta Hakları Yönergesi*'nin kazanımlarına

²² European Council, CEU.

²³ European Council, CEU.

değinilmekte ve pek çok kazanımının yanında özellikle NH ve sınır ötesi sağlık hizmetlerindeki veri değişimine getirdiği katkılara vurgu yapılmaktadır.²⁴

1.3.1.3. Avrupa Parlamentosu

Avrupa Parlamentosu AB’de demokrasiyi temsil eden organdır. Avrupa vatandaşları, başka bir deyişle AB üyesi ülkelerin vatandaşları 1979 yılından bu yana Avrupa Parlamentosu üyelerini seçmektedirler. Beş yılda bir doğrudan halk tarafından seçilen Avrupa Parlamentosu’nda siyasi gruplar ülkelere göre değil, politik görüşlere göre oluşturulur. Bu anlamda parlamento üyeleri ülkelerini temsil etmek yerine, oy aldıkları vatandaşların politik görüşlerini temsil ederler.²⁵ Devletlerin parlamentodaki üye sayısı nüfuslarına göre belirlenmektedir.

Bugün için sekiz siyasi parti grubu ve bağımsız üyelerin yer aldığı Avrupa Parlamentosu'nun Genel Kurul’u Strazburg'da toplanır; siyasi gruplar ve komiteler Brüksel’de toplanır; sekreteryaya ise Lüksemburg'dadır. Parlamento'ya görüşülecek konular önce farklı görev alanlarına sahip 24 adet komiteden konuyla ilgili olanında tartışılır ve buradan çıkan rapor Genel Kurul'a sunularak, Genel Kurul'daki görüşmeler de bu rapor bağlamında yapılır.²⁶

Konsey’le yasama yetkisini paylaşan Avrupa Parlamentosu üye devletleri bağlayacak hukuki düzenlemeleri de Konsey’le birlikte onaylar. Dış politika gibi alanlarda ise bağlayıcı olmayan ancak tavsiye niteliğinde kararlar alabilir. Konsey’le birlikte AB bütçesini yapan Parlamento diğer kurumlar üzerinde denetim yapma hakkına sahiptir. Bu denetimi Komisyon’a sözlü ve yazılı sorular sorarak kullanabildiği gibi, soruşturmalar için komiteler kurabilir ve şikâyet dilekçeleri kabul edebilir. Parlamento’nun bir başka denetim şekli de Avrupa Ombudsmanı’nın göreve atanması ve Parlamento’ya rapor sunmasıdır. Komisyon’un göreve atanabilmesi için

²⁴ European Court of Auditors, “EU Actions for Cross-Border Healthcare: Significant Ambitions but Improved Management Required”, **Special Report No: 07/2019**, <https://data.consilium.europa.eu/doc/document/ST-14265-2019-INIT/en/pdf> (02.11.2019).

²⁵ European Parliament, “About Parliament”, **Main Page**, <https://www.europarl.europa.eu/about-parliament/en> (12.10.2017).

²⁶ Avrupa Birliği Bakanlığı, “Avrupa Parlamentosu”, https://www.ab.gov.tr/avrupaparlamentosu_45628.html (12.10.2017).

de Parlamento'nun güvenoyu gerekmektedir. Aynı şekilde Parlamento güvensizlik oyuyla Komisyon'u istifaya zorlayabilir.

Parlamento yasama sürecine iki şekilde katılır.²⁷ Bunlardan birincisi *ortak karar* ya da *olağan yasama usulü*'dür. Parlamento nitelikli çoğunluk gerektiren bütün politika alanlarında Konseyle eşit şekilde sorumluluk paylaşır. Lizbon antlaşmasının yürürlüğe girmesinden sonra bu alanlar AB mevzuatının yaklaşık %95'ini oluşturmaktadır. Bu usulde Konsey ve Parlamento ilk okumada bir ortak karara varabilirler ancak ikinci okumada da ortak bir karara varamazlarsa öneri bir uzlaşma komitesinin önüne gelir. Parlamantonun yasama sürecine ikinci katılma şekli ise, AB'nin bütün uluslararası antlaşmalarının Parlamento tarafından onaylanmasıyla olmaktadır.

Parlamento Komisyon tarafından hazırlanan bütçeyi Konsey'le eşit sorumluluk altında kabul eder. Daha önce pek çok kez olduğu gibi bütçeyi reddedebilir. Böyle bir durumda bütün bütçe işlemleri en başından tekrar başlar. Parlamento bu gücünü AB politikalarına etki etmek için kullanır.

Parlamento AB üzerinde özellikle de Komisyon üzerinde demokratik denetimi yapar. Konseyin yeni Komisyon başkanı adayını onaylar ya da reddeder. Ayrıca yeni Komisyonu bir bütün olarak onaylamadan önce her üyeyle görüşme yapar.

Parlamento diğer konularda olduğu gibi, sağlık konusundaki mevzuatta da yasama sürecine katılarak sağlık politikaları üzerindeki etkisini gerçekleştirir. Sağlık konularında olağan yasama usulü geçerlidir. Parlamento ayrıca sağlıkla ilgili sürece, Komisyon'a sağlık politikası ve sağlık uygulamalarıyla ilgili sözlü ve yazılı soru önergeleri vererek de katılır.

1.3.1.4. Avrupa Komisyonu

Her üye devletten '*komiser*' olarak anılan bir temsilcinin katılımıyla 28 üyeden oluşan Avrupa Komisyonu, Birliğin yürütme organı olarak AB müktesebatını, bütçeyi ve programları uygulamaya koyar ve idari denetimi yapar.²⁸ Komisyon'un bir diğer

²⁷ European Parliament, "About Parliament", <https://www.europarl.europa.eu/about-parliament/en> (12.10.2017).

²⁸ European Commission, "About European Commission", https://ec.europa.eu/info/about-european-commission_en (12.10.2017).

görev ve yetkisi de AB hukukunu ihlal eden üye devletleri ABAD'a dava edebilmesidir.²⁹ Komisyon'un en önemli ve temel görevlerinden birisi ise, hazırladığı yasama ya da karar önerilerini Avrupa Parlamentosu ve Konsey'e sunarak yasama sürecini başlatmaktır.

Bir çeşit Bakanlar Kurulu gibi çalışan Komisyon'da, her Komiser'in sorumlu olduğu politika alanları vardır.³⁰ Görev süresi 5 yıl olan Komiserler kendi ülkelerinin değil Birliğin çıkarlarını korumak için çalışmaktadırlar.

Komisyon Başkanı, Avrupa Birliği Zirvesi tarafından Avrupa Parlamentosu seçimleri dikkate alınmak suretiyle çeşitli danışmalar yapılarak belirlenir ve Avrupa Parlamentosu'nun onayı ile atanır. Komisyon başkan yardımcılarında birise de AB'nin dış politikasını yürütmekten sorumlu olan *Birlik Dışişleri ve Güvenlik Politikası Yüksek Temsilcisi* olarak atanır. Komisyon Başkanı, üye devletlerin adayları arasından Komisyon üyelerini seçer ve bu şekilde oluşan Komisyon'un tamamı heyet olarak Parlamento'nun onayına sunulur. Komisyon Parlamentonun güvenoyu sonrasında Zirve tarafından nitelikli çoğunlukla atanarak görevine başlar.

Komisyonun üye ülkelerden bağımsız olarak çalışması garanti altına alınmıştır. Nitekim Komisyon üyeleri görev süresi boyunca üye devlet hükümetleri tarafından görevden alınamaz ayrıca bu üyelere talimat da verilemez. Aynı şekilde Avrupa Parlamentosu da Komiserleri tek tek değil ancak heyet olarak Komisyon'u görevden alabilir.

Merkezi Brüksel'de bulunan Komisyon çalışmalarını Genel Müdürlükler aracılığıyla yapar. Konulara göre oluşturulan bu Genel Müdürlüklerin başında Komiserlere karşı sorumlu olan bir Genel Müdür bulunmaktadır. Genel Müdürlükler müdürlük, bölüm ve masa şeflikleri gibi daha alt birimlere bölünmekte ve her masada konuya göre belli sayıda uzman çalışmaktadır. Komisyon'daki idari işler yaklaşık 25.000 kişiden oluşan büyük bir kadroyla yürütülmektedir.

Diğer konular gibi sağlık konusunda da uygulama mercii olan Komisyon'un 24 Genel Müdürlüğünden birisi de spesifik olarak sağlıkla ilgili konular üzerinde çalışan DG SANTE'dir. Komisyon DG SANTE aracılığıyla sağlık konusunu özellikle

²⁹ Avrupa Birliği Bakanlığı, "Avrupa Komisyonu", https://www.ab.gov.tr/avrupa-komisyonu_45629.html (12.10.2017).

³⁰ Avrupa Birliği Bakanlığı, "Avrupa Birliği Adalet Divanı (ABAD)", <https://www.ab.gov.tr/45-632.html> (12.10.2017).

halk sađlığı bařlıyla ele almakta ve Avrupa vatandaşlarının sađlıklarıyla ilgili pratik sonuçlar doğuracak uygulamalar gerçekleřtirmektedir. Özellikle yöneldiđi sorunlar ise tütün, yařlanma, kronik hastalıklar ve obezite gibi toplum sađlığını doğrudan etkileyen konulardır. Komisyon ayrıca bir bütün olarak Avrupa'daki sayısı 30 milyona ulaşan NH'si olan hastaları da bir toplum sađlığı sorunu olarak kabul etmekte ve bu konuyla çok yakından ilgilenmektedir.

1.3.1.5. Avrupa Birliđi Adalet Divanı

AB'nin yargı organı olan ABAD Lüksemburg'da bulunmakta ve Adalet Divanı, Genel Mahkeme ve uzmanlık mahkemeleri olmak üzere üçlü bir yapıdan oluşmaktadır. ABAD, AB hukukunun her yerde aynı řekilde yorumlanmasını ve uygulanmasını sađlamakla görevlidir.³¹ Bu anlamda, üye ülke yargı sistemleri ile AB hukuk düzeni arasındaki iliřkiyi düzenlemek, hukuksal denetim yapmak, hukuk oluşturmak ve uyuřmazlıkları çözmek ABAD'ın temel görevleri arasındadır.³²

Divan ve Genel Mahkeme her üye devletten altı yıl için atanan birer yargıçtan oluşur. Her iki mahkemede de davalar hakkında mütalaa hazırlayan sekiz Hukuk Sözcüsü bulunur. Bir dönemden sonra yeniden atanmaları mümkün olan yargıçların bağımsızlıkları güvence altındadır. Nitekim Divan müzakerelerinin gizlilikleri sađlanmakta olup, açıklanmaları mümkün deđildir. Ayrıca Divan kararları çoğunluk oyuyla oluşmakla birlikte karřı oylar yayınlanmaz ve çıkan kararlar tüm yargıçlar tarafından imzalanır.

ABAD, temel olarak üye devletlerin ve AB kurumlarının AB hukukuna uyup uymadıđının denetlenmesine yönelik davalara bakmakta olup, ayrıca üye ülke mahkemelerinde görölmekte olan davalar sırasında gerekirse AB hukukunun yorumunu da yapmaktadır.

ABAD süreç içinde sađlık politikasını etkileyen önemli davalara da bakmış ve verdiđi kararlarla sađlık politikası üzerinde ciddi etkileri olmuřtur. Günümüze kadar karar verilen pek çok dava arasında bařlangıç olarak Decker ve Kohl davalarının ayrı

³¹ Avrupa Birliđi Bakanlıđı, ABAD.

³² Court of Justice of the European Union, "The Institution", https://curia.europa.eu/jcms/jcms/Jo-2_6999/en/ (12.10.2017).

bir yeri vardır.³³ Bu iki vakada Lüksemburg vatandaşı olan iki hasta Almanya ve Belçika’da sağlık hizmeti almış ve aldıkları hizmet için ödedikleri bedelin kendi ülkelerindeki sigorta sisteminde geri verilmesini talep etmişlerdir. Burada özellikle izin prosedürüyle ilgili sorunlar yaşanmış ancak ABAD hastalar lehine verdiği kararda ülkelerin, mal ve hizmetlerin serbest dolaşımıyla ilgili olarak sağlık hizmetleri bağlamında uygun koşulları oluşturmaları gerektiğini belirtmiş ve bundan sonraki yeni kararlarla da bu alanda bir politika oluşturulmasına zemin hazırlamıştır.

1.3.2. Sağlıkla İlgili Diğer Ajans ve Kurumlar

AB’nin kuruluşundan bugüne sağlık politikası derinleştikçe sağlıkla ilgili örgütlerinin sayısı da artmıştır. Komisyonunun sağlıkla ilgili en üst organı, daha önce de değinildiği gibi, ‘DG SANTE’dir. Ancak AB’nin sağlık konusunda spesifik teknik, bilimsel veya idari görevler üstlenmiş bulunan başka bazı örgütleri de bulunmaktadır.³⁴ Bunlar Avrupa kamu hukukuna göre yönetilirler ve hepsinin hukuki kimliği vardır. Öteki AB kurumlarından (Konsey, Komisyon, Parlamento vb.) ayırdırılar.

Tüketiciler, Sağlık ve Gıda Yürütme Ajansı (Consumers, Health and Food Executive Agency-Chafea) ‘AB Sağlık Programı’nı, ‘Tüketici Programı’nı ve ‘daha güvenli gıda için daha iyi eğitim inisiyatifi’ni uygular. *Avrupa Hastalık Kontrol ve Önleme Merkezi* (ECDC) enfeksiyon hastalıklarıyla mücadele eder. *Avrupa Çevre Ajansı* (EEA) dolaylı olarak sağlıkla ilgili olan bu kurum çevre hakkında güvenilir ve bağımsız bilgi sağlar. *Avrupa Uyuşturucu ve Bağımlılık Gözlem Merkezi* (EMCDDA) Avrupa’daki madde bağımlılığıyla ilgili kapsayıcı bilgi sağlar. *Avrupa İlaç Ajansı* (EMA) hem insanlar hem de hayvanlar için kullanılan ilaçları değerlendirir. *Avrupa Kimyasallar Ajansı* (ECHA) bütün Avrupa’da kimyasalların kayıtlı, denetim altında ve sınırlandırılmış şekilde kullanımını sağlar. *Avrupa Gıda Güvenliği Otoritesi* (EFSA) gıda ve beslenme güvenliği riskleri üzerine bağımsız bilimsel tavsiyeler ve açık tebliğler hazırlar. *Avrupa İş Sağlığı ve Güvenliği Ajansı* (EU-OSHA) işçi ve işverenler için çalışma güvenliği ve sağlığı konularında bilgi sağlar. *Avrupa Çalışma*

³³ Yıldırım ve Yıldırım, s 152.

³⁴ European Commission, Public Health.

ve Yaşam Koşullarını İyileştirme Vakfı (Eurofound) sosyal taraflar için çalışma ve yaşam koşulları ile endüstri ilişkileri sistemleri alanında bilgi sağlar.

1.4. AVRUPA BİRLİĞİ SAĞLIK POLİTİKASININ UYGULANMASI

AB sağlık politikası ‘mevzuat’, ‘finansal araçlar’ ve ‘işbirliği’ aracılığıyla uygulamaya konulmaktadır.³⁵

1.4.1. Mevzuat

AB sağlık politikasının uygulanmasını sağlayan Komisyon, Konsey ve Parlamento’nun yasama faaliyetlerinden oluşan AB sağlık mevzuatı, ABİHA’nın 168. (sağlığın korunması), 114. (mevzuatın yakınlaştırılması) ve 153. (sosyal politika) maddelerine göre hazırlanır.³⁶ AB sağlık mevzuatı sınır ötesi sağlık hizmetlerinde hasta hakları, ilaçlar ve tıbbi aletler, organ, kan, doku ve hücre, ciddi sınır ötesi sağlık tehditleri ve tütün alanındaki düzenlemeleri içerir.

Buna göre, AB geniş bir sağlık mevzuatına sahiptir. Bunların arasından özellikle *Hasta Hakları Yönergesi*’nin ayrı bir yeri vardır.³⁷ Bu yönerge başka bir AB üyesi ülkede sağlık hizmeti almak isteyen hastalar için temel sorun olan sağlığa erişim, geri ödeme ve benzeri konularda düzenlemeler getiren sağlıkla ilgili en temel AB yönergelerindendir. Bu yönergeye göre, yeni oluşturulan ‘ulusal bağlantı noktaları’ bu işlevi yerine getirecektir. Genellikle kendi ülkelerinde tedavi olamadıkları için başka bir ülkeye gelen bu hastaların beklentileri daha yüksek olabilmektedir. Bu bağlamda bu *bağlantı noktaları* onlara beklentileri konusunda daha gerçekçi bilgiler sağlayacaktır. Bu anlamda, hastaların başka ülkelerde tedavi olma haklarıyla sağlık sistemlerinin sürdürülebilirliği arasında bir denge kurulması zorunluluğu unutulmamalıdır.

³⁵ European Commission, Public Health.

³⁶ European Commission, Public Health.

³⁷ Official Journal of European Union, “Directive of the European Parliament and of the Council on the Application of Patients' Rights in Cross-Border Health Care (EC 2011/24/EU)”, Cilt: 88, 2011, ss. 45-65; Miek Peeters, “Free Movement of Patients: Directive 2011/24 on the Application of Patients' Rights in Cross-Border Healthcare”, **European Journal of Health Law**, Cilt:19, Sayı:1, 2012, ss. 29-60.

1.4.2. Finansal Araçlar

AB sağlık politikası büyük oranda projelerle yürütülmektedir. Dolayısıyla sağlık politikasının finansmanı bu alandaki projelerin finansmanı anlamına gelmektedir. Genel olarak bakıldığında sağlığın desteklenmesi, sağlık güvenliği ve sağlık bilgisi alanındaki projeler '*Sağlık Programı*'; biyoteknoloji ve tıbbi teknoloji alanındaki projeler '*Ufuk 2020 araştırma programı*' ve üye ülkelerdeki sağlık yatırımları projeleri de '*AB Uyum Politikası*' tarafından desteklenmektedir. Bunların dışında bir de '*Stratejik Yatırımlar için Avrupa Fonu*' bulunmaktadır.

'*Sağlık Programı*' Parlamento ve Konsey'in üye ülkeler arasındaki işbirliğini desteklemek ve sağlık alanındaki faaliyetleri geliştirmek için birlikte çıkardıkları dönemsel bir finansal araçtır. *Birinci Sağlık Programı* 2003-2007 yıllarını, *İkinci Sağlık Programı* 2008-2013 yıllarını ve halen yürürlükte olan *Üçüncü Sağlık Programı* da 2014-2020 yıllarını kapsamaktadır.³⁸ Esasen *Sağlık Programları* akla dayalı, sürdürülebilir ve kapsayıcı bir ekonomi hedefleyen *Avrupa 2020 Stratejisi* ile uyumlu olarak hazırlanmış ve bu stratejinin hedeflerine ulaşmasını kolaylaştırması amaçlanmıştır. Programlar Komisyon'un belirlediği öncelikleri gözetmektedir: istihdam, büyüme ve yatırım (toplum sağlığı), *İç Pazar* (ilaç firmaları, tıbbi aletler ve sınırötesi sağlık hizmetleri, sağlık teknolojisinin değerlendirilmesi), *Tek Dijital Pazar* (e-sağlık), adalet ve temel haklar (sağlık eşitsizliklerine karşı mücadele), göç politikası ve güvenlik (sınırötesi sağlık tehditlerine karşı hazırlıklı olma). *Üçüncü Sağlık Programı* 282/2014 sayılı AB tüzüğüne göre başlatılmış olup 23 öncelikli alan için yaklaşık 450 Milyon Euro'luk bir bütçe ayrılmıştır.³⁹

Avrupa'daki araştırma programları 1990'lardan beri '*Araştırma ve Teknolojik Gelişme Çerçeve Programları*'yla AB tarafından desteklenmektedir. İşbirliği temasıyla yapılmış olan 7. *Çerçeve Programı* 2001-2006 dönemini kapsamış ve çeşitli şekillerdeki çokuluslu işbirliklerini desteklemiştir. Bu dönemi halen geçerli olan *Ufuk 2020* çerçeve programı takip etmiştir. 2014-2020 arasını kapsayan bu programa 77 Milyar Euro'luk bir bütçe ayrılmıştır.

³⁸ European Commission, Public Health.

³⁹ European Commission, "Third EU Health Programme 2014-2020", 28.01.2020, https://ec.europa.eu/health/sites/health/files/p-programme/docs/ev_20141104_co01_en.pdf (14.01.2018).

‘Stratejik Yatırımlar için Avrupa Fonu’ Komisyon ve Avrupa Yatırım Bankası tarafından kurulmuş ve 2020 yılına kadar yaklaşık 500 Milyar Euro’luk bir finansal kaynak sağlaması hedeflenmiştir.⁴⁰ Bu fon AB’de rekabet edilebilirliği güçlendirip, yatırımları destekleyerek sürdürülebilir büyüme ve istihdam artışı sağlamak için başlatılmış olan ‘Avrupa Yatırım Planı’nın ana unsurudur. ‘Avrupa Yatırım Planı’nda yeni sağlık çözümleri, ilaçlar ve sosyal altyapı öncelik alanları olarak düşünülmüş ve böylelikle sağlık sektörünün, Plan’ın büyüme, istihdam ve rekabet edebilirlik konusundaki çabalarına katkı sunması amaçlanmıştır.

Daha önce de vurgulandığı gibi sağlık ve istihdam edilebilirlik ekonomik büyüme ve sosyal korumayla başa baş giden iki olgudur. Bu nedenle sağlığa yatırımı refah ve istikrar için vazgeçilmez bir gereklilik olarak gören AB, *Avrupa Yapısal ve Yatırım Fonları* aracılığıyla Avrupa’daki bölgeler arasındaki ekonomik ve sosyal eşitsizlikleri azaltmayı amaçlamaktadır. Sağlık alanını da destekleyen bu fonlar şunlardır: *Avrupa Bölgesel Kalkınma Fonu* (sağlık altyapısı ve donanımı, e-sağlık, sağlığın desteklenmesi, orta ve küçük ölçekli işletmelerin desteklenmesi); *Avrupa Sosyal Fonu* (aktif ve sağlıklı yaşlanmayla ilgili faaliyetlerin finansmanı, sağlığın desteklenmesi, sağlık eşitsizlikleri giderme, sağlık işgücünü destekleme ve idari yönetim kapasitesini güçlendirme).⁴¹ Bu fonların 2014-2020 dönemi için sağlıkta şu alanlara katkı sunması beklenmiştir: sağlığa erişimin güçlendirilmesi; etkili ve esnek bir sağlık sistemi kurulması; Dijital tek pazar ve AB’de karşılıklı kullanılabilirlik bağlamında e-sağlık ve dijital çözümler; araştırma ve inovasyon; aktif ve sağlıklı yaşlanma; hastalıklardan korunma ve sağlık işgücü (eğitim, planlama).

Bilindiği gibi *Sağlık Programı* 2020’de sona erecektir. 2021-2027 *Çok Yıllı Mali Çerçevesi* ile bu programın devamı olarak tasarlanmış yeni Avrupa sosyal fon programı (European Social Fund Plus/ESF+) devreye girecektir. Komisyon’un önerisiyle güncellenen bu fon, ‘insana yatırım’ ve sağlık politikalarını da kapsayan Avrupa sosyal haklar tabanının uygulanması adına, AB’nin kılavuz niteliğindeki temel mali aracını temsil edecektir. Böylece yeni çok yıllık mali çerçevede uyum politikası dâhilindeki güçlendirilmiş ve yeniden yapılandırılmış Avrupa sosyal fonu, yaklaşık 100 Milyar Euro’luk bir meblağ ile uyum politikası harcamalarının %27’sini temsil

⁴⁰ European Commission, Public Health.

⁴¹ European Commission, Public Health.

edecektir. Yeni dönemde bu fon, gençlerin istihdamı, çalışanların becerilerinin artırılması ve yeni beceri kazanımlarının yanı sıra toplumsal kapsayıcılık ve yoksulluğun azaltılmasına yönelik destek sağlamak için ayrılmıştır. Fonun bu alanlardaki etkinliğini en üst düzeye çıkarmak için Komisyon, Avrupa Sosyal Fonu, Gençlik İstihdam Girişimi, Sosyal Haklardan En Yoksun Bireylere Yönelik Avrupa Yardım Fonu, İstihdam ve Sosyal İnovasyon Programı ve Sağlık Programını tek bir kapsamlı araçta toplamayı planlamıştır.⁴² Böylece, sağlığa ilişkin diğer projelerin finansal araçlarıyla sinerji oluşturması beklenen ve 413 milyon Euro'luk bir bütçeyi içeren ESF+ programı, sayılan bu fon ve programlar ile birleşmiş olacaktır. Programın çok güçlü bir sağlık boyutunun olması beklenmektedir. Zira fonun sağlığı kapsamasının temel gerekçesi, antlaşmalarda da vurgulandığı üzere '*Birlik düzeyinde yüksek seviyede sağlığın korunmasını*' temin etmektir. Bu bağlamda, fonun AB içinde krize karşı hazırlıklı olmayı, sağlık sistemlerini, halk sağlığı konusundaki sağlık mevzuatını ve entegre çalışmayı güçlendirmesi hedeflenmiştir.

1.4.3. Sağlık Politikasını Uygulama Aracı Olarak İşbirliği

AB kurumları, üye ülkeler, bölgesel ve yerel yönetimler ve diğer paydaşlar sağlık stratejisinin uygulanmasında birlikte çalışmaktadırlar.⁴³ Bu bağlamda stratejik sağlık konuları Komisyonda ulusal temsilciler tarafından tartışılır, *AB sağlık politikası forumu* paydaşları halk sağlığı konularında bir araya getirir ve Komisyon çeşitli konularda komite ve uzman grupları oluşturarak bunlara liderlik eder. Beslenme ve fiziksel aktivite, kanserle savaş, sağlık güvenliği, hasta güvenliği ve hizmet kalitesi ve sağlık enformasyonu bunların başlıcalarıdır.

AB diğer ülkeler ve uluslararası örgütlerle sağlık alanında yaptığı işbirliğinde temel olarak şunları amaçlamaktadır: yüksek sağlık kalitesini, standartlarını ve sağlık mevzuatını desteklemek, küresel sağlık sorunları hakkında farkındalığı artırmak, ülke ve bölgeler arasındaki sağlık eşitsizliklerine çözüm üretmek.

AB üye olmayan ülkelerle sağlık konularında da işbirliği yapmaktadır. Üye olmayanlarla ikili antlaşmalar yapılmakta, potansiyel üyeler ile farklı bir işbirliği

⁴² Adem Kurtar ve Çağdaş Cengiz, *Avrupa Birliği 2021-2027 Bütçesi ve Türkiye*, İmaj Yayınevi, Ankara, 2019, ss. 64-65.

⁴³ European Commission, Public Health.

yürütülmekte ve son olarak komşu ülkelerle de AB komşuluk politikası bağlamında işbirliğine gidilmektedir. Bu antlaşmalarda teknik konularda ayrıntı gerektiğinde DG SANTE ve ilgili ülkenin sağlık bakanlığı devreye girmektedir.

AB üyeliğe aday ve potansiyel aday ülkelere AB'nin sağlık standartları ve politikaları konusunda tavsiyelerde bulunarak daha sonra bunları değerlendirir. Üyelikle ilgili sağlık politikasını ilgilendiren müzakere bölümleri şunlardır: tüketicinin ve sağlığın korunmasıyla ilgili olarak halk sağlığı (Bölüm 28), malların serbest dolaşımıyla ilgili olarak ilaç sanayi (Bölüm 1). Bu bağlamda Komisyon AB kurallarının ülkelerin mevzuatına girmesini hem destekler hem de bu konudaki ilerlemeyi kontrol eder.

Avrupa komşuluk politikası AB'nin 16 komşusuna karşı anahtar dış politikasını oluşturmaktadır. Bu politika her komşu ülkeyle ayrı ayrı yapılan ve 3-5 yıllık bir süre içinde bazı reformları öngören *eylem planlarına* dayanmaktadır. Bu anlamda, ülkeye göre değişen sağlık ve sağlık sektörü reformu, sağlık politikası diyalogu, sağlık bilişimi ve bulaşıcı hastalıklarla mücadele ve diğer sağlık tehditleri gibi konular üzerine odaklanılmaktadır.

AB sağlık alanında DSÖ, Avrupa Konseyi, Ekonomik İşbirliği ve Kalkınma Örgütü (OECD) gibi uluslararası örgütlerle de işbirliği yapmaktadır.⁴⁴ AB Komisyonu ve DSÖ arasındaki işbirliği 2001 yılında, temel prensipler ve amaçları ortaya koyan ve *kıdemli memurların düzenli toplantı yapmasını* da içeren bir *mektup teatisiyle* başlamıştır.⁴⁵ 2015 yılında Komisyon ve DSÖ Avrupa Ofisi daha sağlıklı bir Avrupa için birlikte çalışma konusundaki kararlarına olan bağlılıklarını yenilemişler ve işbirliğini özellikle inovasyon, sağlık güvenliği, sağlık eşitsizlikleri, sağlık sitemleri ve kronik hastalıklar konularında yoğunlaştırmayı amaçlamışlardır. İşbirliği, küresel konular için Cenevre'deki DSÖ merkezinden, Avrupa ile ilgili işler için de DSÖ'nün Kopenhag'daki bürosundan yürütülmektedir.

Komisyon OECD ile yakın bir işbirliği içindedir. Bu işbirliği düzenli olarak politika ve araştırma gündemlerinde devam etmektedir. 2016 yılında iki taraf arasında sağlık üzerine bir işbirliği belgesi imzalanmıştır.⁴⁶ Bu belgenin üç önceliği

⁴⁴ European Commission, Public Health.

⁴⁵ World Health Organization, "About Partnerships", <http://www.euro.who.int/en/about-us/partners/about-partnerships>. (02.07.2019).

⁴⁶ OECD, "European Union and the OECD", <https://www.oecd.org/eu/european-union-and-oecd.htm> (02.07.2019).

bulunmaktadır: sağlık sistemleri üzerindeki bilgileri geliştirmek, ülkelere hasta odaklı bir sağlık sistemi kurmaları için yardım ve özellikle halk sağlığı alanında kapasite geliştirme.

Avrupa Konseyi ve Komisyon arasında 2001 yılında '*Ortak Bildirge*' ile işbirliği ve ortaklık belgesi imzalanmış ve kan, doku, hücre ve organ güvenliği ve kalitesi, ilaçlar ve ilaç suistimaliyle mücadele konularında işbirliği başlatılmıştır.

AB BM ile de yakın işbirliği yapmakta olup, işbirliği alanları küresel sağlık ve insan sağlığıyla ilgili diğer konulardan (gelişme, insan hakları, kriz yönetimi ve insan, yardım) oluşmaktadır. AB BM'nin küresel sağlıkta lider konumdaki örgütü olan DSÖ'yu desteklemektedir. AB Komisyonu G20 ve G7 içindeki küresel sağlık konularında aktif bir rol oynamaktadır. Burada tartışılan konulardan bazıları sağlık güvenliği, artan antibiyotik direnci ve sağlık sistemlerini güçlendirmektir. BM '*Sürdürülebilir Büyüme Hedefleri*' 2015 yılında kabul edilmiş ve 2030 yılına kadar küresel bir çerçeve çizmiştir.⁴⁷ Hedeflerin çoğunun sağlıkla ilgili olmasının yanında Hedef 3 'her yaşta sağlıklı hayatlar ve iyilik halinin desteklenmesi' başlığıyla özellikle sağlığa odaklanmıştır. Bu maddenin içerdiği konulardan bazıları şunlardır: HIV/AIDS, tüberküloz ve hepatit gibi bulaşıcı hastalıklar, bulaşıcı olmayan hastalıklar ve akıl sağlığı, madde kullanımı, tütün kontrolü, ilaç ve aşılar erişim, sağlığın finansmanı ve sağlık işgücü.

Çıkar grupları ve örgütleri ile halkın, sağlıkla ilgili konularda katkı sunabilmesi için Komisyon tarafından '*AB Sağlık Politikası Platformu*' kurulmuştur.⁴⁸ Bu platform Komisyon'la sağlık alanındaki çıkar grupları ve örgütleri arasındaki iletişim ve işbirliğini sağlayan temel bir aracı olduğu gibi, grupların kendi aralarındaki iletişimini de geliştirmektedir. Bu platformun amaçları: Komisyon ve çıkar grupları arasında bir diyalog çerçevesi sağlamak; iki taraf arasındaki belli amaçlara yönelik tartışmaları kolaylaştırmak; sağlık politikası diyalogunu şeffaf hale getirmek; halk sağlığı konularında bilgi üretmek; AB Sağlık Programı tarafından finanse edilen ve DG SANTE tarafından yönetilen projelerle ilgili bilgileri yaymak; iyi sağlık politikası uygulamaların paylaşmak ve başkaları tarafından da uygulanmasını teşvik etmek;

⁴⁷ United Nations, "Sustainable Development Goals", https://www.undp.org/content/dam/undp/library/corporate/brochure/SDGs_Booklet_Web_En.pdf (14.01.2018).

⁴⁸ European Commission, "EU Health Policy Platform", <https://webgate.ec.europa.eu/hpf/> (14.01.2018).

araştırma sonuçlarını toplamak ve yayınlamak. Bu bağlamda Komisyon her yıl Sağlık Politikası Platformunda paylaşılan en iyi sağlık uygulaması için AB Sağlık Ödülü adıyla bir ödül vermektedir.

İşbirliği konusunda son olarak vurgulanması gereken bir konu da sağlık sistemlerinin eşgüdümünü sağlamaktır. Zira teorik alanda başlatılan işbirliğinin gündelik hayata yansıyabilmesi için, sağlık sistemlerinin eşgüdümünün sağlanması gerekmektedir. AB'nin her yerinde hizmet alan hastalar, farklı ülkelerde çalışan sağlık profesyonelleri, sağlıktaki giderek yükselen beklentiler ve sağlık teknolojisindeki hızlı gelişmeler gibi faktörler, AB'deki sağlık politikaları ve sistemlerini giderek artan bir şekilde birbiriyle bağlantılı hale getirmektedir. Bu nedenle 2014 yılında AB öncülüğünde sağlıkla ilgili faaliyetlerle etkinlik, ulaşılabilirlik ve esnekliği artırmak amacıyla *sağlık sistemlerinde AB gündemi* başlatılarak yapılacaklar planlanmıştır (Tablo 1).

Tablo 1: Etkin, Ulaşılabilir ve Esnek Sağlık Sistemi İçin Avrupa Birliği Gündemindeki Maddeler

Etkinliği güçlendirmek	Ulaşılabilirliği artırmak	Esnekliği geliştirmek
Sağlık sistemleri performansının değerlendirilmesi	AB sağlık işgücünün planlanması	Sağlık teknolojisi değerlendirilmesi
Hasta güvenliği ve tedavi kalitesi	İlaçların maliyet-etkin kullanımı	Sağlık bilgi sistemi
Tedavinin entegrasyonu	2011/24 sayılı yönergenin en iyi şekilde uygulanması	e-sağlık

Kaynak: European Commission, “Public Health”, https://ec.europa.eu/health/home_en (10.07.2017).

1.5. AVRUPA BİRLİĞİ E-SAĞLIK POLİTİKASI

Sağlığın her alanında bilgi ve iletişim teknolojilerinin kullanılması olarak tanımlanabilen e-sağlık; hekimler ve diğer sağlık hizmeti sunucuları, hastalar ve hastaneler arasında veri ve bilgi paylaşımını; elektronik sağlık kayıtlarını; teletıp hizmetlerini; taşınabilir hasta izleme cihazlarını; operasyon salonu planlama yazılımlarını ve robotik cerrahi gibi giderek genişleyen sayısız sağlık uygulamasını kapsamaktadır.⁴⁹ E-sağlık hastaların tedavilerinin kontrolünü ellerine daha iyi

⁴⁹ İbrahim Gülhan, “Avrupa Birliği’nde Bir İnovasyon Alanı Olarak E-Sağlık”, **Türkiye Klinikleri Tıp Etiği-Hukuku Tarihi Dergisi**, Cilt:24, Sayı:3, 2016, (Avrupa), ss. 105-110.

alabilmelerine, bir sađlık merkezine gitmeden uzaktan kontrol edilebilmelerine, hekimlerin ve hastaların sađlık kayıtlarına girebilmelerine, test sonuçlarına hızlı şekilde ulaşabilmelerine, tedavinin eşgüdümünün daha iyi sađlanması ve sađlık hizmeti sunucuları arasında daha iyi bir işbirliğine olanak sađlar. E-sađlık uygulamalarının en üst düzeyde kullanıldığı alanlardan birisi de NH'nin yönetimi için oluşturulan ARA sistemidir. Birer sanal ađ olan bu uygulamalarda, elektronik ortamda radyolojik görüntüleri de içeren hasta verilerini paylaşmak ve hekimler arası iletişim ve konsültasyonu sađlamak üzere ileri düzeyde bilgi ve iletişim teknolojileri kullanılmaktadır. Bu anlamda, ARA dünyada e-sađlık uygulamalarının en ileri düzeydeki örneklerinden birisidir.

AB'nin e-sađlık alanındaki hedefleri Komisyon tarafından řu şekilde belirtilmektedir: e-sađlık aracılığıyla ölkeler arasında bilgi alışverişini sađlamak; e-sađlığı sađlık politikasının bir parçası haline getirmek; üye ölkeler arasında siyasi, ekonomik ve teknik işbirliğini sađlayarak sađlığa erişimi ve hizmet kalitesini yükseltmek; bu süreçlere sađlık çalışanlarının ve hastaların katılımını sađlamak; geniş kitlelerce kabul edilecek etkin, kullanıcı dostu e-sađlık araçları yapımını sađlamak.⁵⁰

AB uzun yıllardır e-sađlık konusuna giderek artan bir önem vermektedir. Nitekim Komisyon özellikle son 20 yıldır e-sađlık alanındaki projelere önemli miktarlarda maddi destek vermeye başlamıştır. Örneğin 'Ufuk 2020' programı; kişisel sađlık sistemleri, mobil sađlık (m-sađlık) ve tele-sađlık konularındaki inovasyon projeleri ile şeker hastalığı, akıl sađlığı, kalp-damar hastalıkları ve inme konularını içeren toplamda 100'den fazla projeyi desteklemiştir.⁵¹

Avrupa 2020 stratejisinin yedi girişiminden birisi olan 'Avrupa İçin Dijital Gündem', *akla dayalı, sürdürülebilir ve kapsayıcı büyümeyi gerçekleştirebilmek için 'Dijital Tek Pazar'ı hedeflemekte ve bu bağlamda e-sađlık alanı için önemli gelişmeler öngörmektedir.*⁵² Teletıp ve e-sađlık uygulamalarını da kapsayan dijital tek pazarın gerçekleşmesiyle, bilgi ve iletişim teknolojilerinin, daha kaliteli ve ucuz sađlık hizmetine katkıda bulunması beklenmektedir.⁵³

⁵⁰ European Commission, Public Health.

⁵¹ European Commission, "The EU Framework Programme for Research and Innovation", **Horizon 2020**, <https://ec.europa.eu/programmes/horizon2020/>. (12.01.2016).

⁵² European Commission, Public Health.

⁵³ Gülhan, Avrupa, ss. 105-110.

Tek tip bir sađlık politikası bulunmayan AB’de tek tip bir e-sađlık politikası da bulunmamaktadır. E-sađlık politikasının genellikle Sađlık Bakanlıkları tarafından belirlendiđi üye ÷lkelerde, gelişmişlik farklarına göre e-sađlık politikaları da deđişmektedir.⁵⁴ Bu bağlamda AB, e-sađlık politikaları arasındaki farkları gidererek, üye ÷lke e-sađlık politikalarını birbirine yaklaştırmak için e-sađlık eylem planlarını hayata geçirmiştir.

AB, birincisi 2004-2011, ikincisi ise 2012-2020 dönemini kapsayan iki e-sađlık eylem planı çıkarmıştır. Birinci plan ‘*e-sađlık- Avrupa vatandaşları için sađlık hizmetlerini iyileştirme: Avrupa e-Sađlık Alanı için eylem planı*’ başlığını taşımaktadır. AB bu planla sađlık hizmetlerinde elektronik reçete ve hasta kartı kullanan bilgi sistemleri geliştirerek, hastaların bekleme sürelerini ve hataları azaltmayı hedeflemiştir.⁵⁵ Bu eylem planıyla ‘vatandaş-odaklı sađlık’ ve ‘*Avrupa e-Sađlık Alanı*’ kavramları ortaya çıkmıştır. İkinci plan ise, sınır ötesi sađlık hizmetlerinde hasta haklarını düzenleyen *Hasta Hakları Yönergesi*’nin ‘*Avrupa e-sađlık Bilgi Ađı*’ kurulmasını öngören 14. maddesine istinaden hayata geçirilmiştir. ‘*E-sađlık planı 2012-2020- 21. Yüzyıl için inovatif sađlık*’ başlıklı bu ikinci eylem planı da řu konulara odaklanmaktadır: uluslararası işbirliđi; e-sađlık uygulamalarının yaygınlaştırılması; araştırma, geliştirme ve inovasyonun desteklenmesi; e-sađlık uygulamalarında karşılıklı kullanılabilirliđin artırılması.⁵⁶

E-sađlık uygulamalarında ortak standartlar oluşturularak karşılıklı kullanılabilirliđin sađlanması sonucunda; ilk olarak sađlık profesyonelleri arasında işbirliđi güçlendiđi için tedavi kalitesi ve güvenliđi artacak; ikinci olarak hasta bilgilerinin güncellenmesi ve kanıta-dayalı tedavi kılavuzlarının çıkarılmasıyla, klinik karar destek süreçleri güçlenecek ve son olarak da tanı ve tedavi maliyetleri düşürülecek ve böylece dijital tek pazarın sađlık alanına genişlemesi

⁵⁴ Maurice Mars ve Richard E. Scott, “Global E-Health Policy: A Work In Progress”, **Health Affairs**, Cilt:29, Sayı:2, 2010, ss. 237-243.

⁵⁵ Commission of the European Communities, “Communication From the Commission to the Council, the European Parliament, the European Economic and Social Committee, and the Committee of the Regions: A Mid-Term Assessment of Implementing the EC Biodiversity Action Plan”, **Journal of International Wildlife Law & Policy**, Cilt: 12, Sayı: 1-2, 2009, ss. 108-120.

⁵⁶ Communication from the Commission to the Council, the European Parliament, the European Economic and Social Committee and the Committee of the Regions, “eHealth Action Plan 2012-2020- Innovative Healthcare for the 21st Century”, **6.12.2012 COM(2012) 736 Final**, https://ec.europa.eu/health/sites/health/files/ehealth/docs/com_2012_736_en.pdf (12.01.2016).

gerçekleşebilecektir.⁵⁷ Komisyon karşılıklı kullanılabilirlik ve standardizasyonla ilgili olarak ‘Avrupa’yı Birbirine Bağlamak’ ve yurtdışında seyahat eden turistler, öğrenciler ve iş insanlarının kaliteli ve güvenli sağlık hizmetine ulaşabilmesini sağlamak üzere ‘epSOS’ projelerini başlatmıştır.⁵⁸

2012-2020 planının içerdiği konulardan birisi de mobil sağlıktır (m-sağlık). E-sağlığın bir alt katmanı olan ve sağlıkta mobil cihazların kullanımını tanımlayan m-sağlık, dünyada çok hızlı bir gelişme göstermektedir. Öyle ki daha şimdiden 100 bine yakın m-sağlık uygulaması kullanıma girmiştir. Sağlık hizmetlerinde önemli bir değişim ve dönüşüm başlatması beklenen m-sağlıkla ilgili olarak Komisyon, Nisan 2014’te ‘Mobil Sağlıkta Yeşil Belge’ başlığıyla yeni bir girişim başlatmış ve konuda bir yol haritası oluşturmuştur.⁵⁹

AB, e-sağlık alanında özellikle hasta-odaklı olarak hazırlanan hızlı ve doğru tanıya yönelik, hastanın kendi kendine izlemine sağlayan, daha kaliteli ve güvenli sağlık hizmeti hedefleyen projeleri teşvik etmekte ve desteklemektedir. Diğer araştırma projeleri gibi e-sağlık projelerinin finansmanı da 2014 yılına kadar ‘Yedinci Araştırma Çerçeve Programı’ ve ayrıca ‘Rekabet Edebilirlik ve İnovasyon Çerçeve Programı’ndan sağlanmış olup, daha sonra bu projelere de Ufuk 2020 fonundan finansman desteği verilmiştir.⁶⁰ AB, araştırma projeleri, inovasyon projeleri ve karşılıklı kullanılabilirlikle ilgili projeler olmak üzere üç kategorideki e-sağlık projelerini desteklemektedir. Sağlık sisteminde reform hedefleyen inovasyon projeleri ile kişisel sağlık sistemlerinin geliştirilmesi, sağlık hizmetlerinin entegrasyonu, teletıp, mobil-sağlık ve hastanın konumunun güçlendirilmesi konularına odaklanılmaktadır.

Kişiselleştirilmiş sağlıkla ilgili projelerden MOMENTUM, CLEAR, NEXES, THALEA, CommonWell, CARRE RenewingHealth, United4Health ve INSPIRE projeleri; mobil sağlık alanında DECIPHER PCP, MovingLife ve UNWIRED Health projeleri; hastanın konumunun güçlendirilmesi ve farkındalığı artırmak üzerine odaklanmış projeler arasında SUSTAINS, PALANTE, CAMEI ve ENS4Care

⁵⁷ Gülhan, Avrupa, ss. 105-110.

⁵⁸ European Commission, “Cross-border Health Project epSOS: What has it achieved?”, <https://ec.europa.eu/digital-single-market/en/news/cross-border-health-project-epsos-what-has-it-achieved>. (10.07.2017).

⁵⁹ World Health Organization, “Green Paper on mobile Health (“mHealth””, <https://gateway.euro.who.int/en/green-paper-on-mobile-health-mhealth/> (08.09.2017).

⁶⁰ European Commission, “Horizon 2020: The EU Framework Programme for Research and Innovation”, <https://ec.europa.eu/programmes/horizon2020/>. (08.09.2017).

projeleri; sınır ötesi sağlık hizmetleriyle ilgili yürütülen e-sağlık projeleri arasında da HITCH, epSOS, EXPAND, Antilope ve Trillium Bridge projeleri öne çıkmaktadır.⁶¹

Karşılıklı kullanılabilirliği artırmaya yönelik projeler sayesinde elektronik sağlık kayıtları ülkeler arasında karşılıklı kullanılabilir hale gelmiş ve böylece EURECA, Linked2Safety ve GRANATUM gibi büyük klinik çalışmaların yapılabilmesi mümkün olmuştur.

Sonuç olarak e-sağlık uygulamalarının hem sağlık profesyonelleri hem de hastalar için çok önemli kolaylıklar getirdiğini tespit eden AB, e-sağlıktaki girişimlerini çok yönlü olarak sürdürmüş ve ortak bir e-sağlık politikası oluşturmaya çalışmıştır. Bunun için 2004-2011 ve 2012-2020 dönemlerini kapsayan iki eylem planını hayata geçirerek üye ülkeler arasında mevzuat ve uygulamalarda uyum ve eşgüdümü sağlamaya, e-sağlık uygulamalarını yaygınlaştırmaya ve güvenli, kaliteli ve hızlı sağlık hizmetine erişimi kolaylaştırmaya odaklanmıştır.



⁶¹ Gülhan, Avrupa, ss. 105-110.

İKİNCİ BÖLÜM

NADİR HASTALIKLAR VE AVRUPA REFERANS AĞLARI

2.1. KAVRAM

Bu bölümde NH kavramı, NH'si olan hastaların takip ve tedavileri için kurulmuş olan yüksek standartlara sahip ulusal merkezler, NH kayıt sistemi ve AB'nin kayıt sistemlerinde ortak standartlar kullanan bir platform oluşturmak için yaptığı çalışmalar incelenmekte ve ulusal takip merkezlerine İngiltere'den bir örnek verilmektedir.

2.2. NADİR HASTALIKLAR

Toplumda belirli bir sıklığın altında görülen hastalıklara '*nadir görülen hastalıklar*' ya da kısaca NH denilmektedir. NH için dünyada pek çok tanım kullanılmıştır. Bu tanımlar genellikle görülme sıklığına göre yapılmış olmakla birlikte bazen hastalığın türüne, şiddetine ve tedavi edilebilirliğine göre yapılmaya çalışılmıştır. Richter ve arkadaşlarının yaptığı bir çalışmada farklı ülkelerde 100 binde 5 ile 76 arasında değişen rakamlar kullanıldığı tespit edilmiş, yazarlar da ortalama 100 binde 40-50 oranını kabul edilebilir olarak değerlendirmişlerdir.⁶² DSÖ ise 100 binde 65 oranından daha az görülen hastalıkları NH olarak tanımlamaktadır.⁶³ AB 1999 yılında yayınladığı NH'yle ilgili ilaç ürünleri hakkındaki tüzüğünde, genel olarak 2000'de birin altında görülen hastalıkları bu şekilde adlandırmaktadır.⁶⁴ Fransa, İtalya, İspanya'da da AB'deki gibi oran kabul edilmektedir. Buna karşın İsveç ve Danimarka'da 10 binde bir, İngiltere'de ise 50 binde bir oranı kabul edilmektedir. Bazı

⁶² Trevor Richter ve diğerleri, "Rare Disease Terminology and Definitions-A Systematic Global Review: Report of the ISPOR Rare Disease Special Interest Group", **Value Health**, Cilt: 18, Sayı: 6, 2015, ss. 906-14.

⁶³ Safiyya Dharssi, Durhane Wong-Rieger, Matthew Harold ve Sharon Terry, "Review of 11 National Policies for Rare Diseases in the Context of Key Patient Needs", **Orphanet Journal of Rare Diseases**, Cilt:12, Sayı:63, 2017, ss. 1-13.

⁶⁴ Official Journal of the European Communities, "Regulation (Ec) No 141/2000 of The European Parliament and of The Council, on Orphan Medicinal Products", Cilt: 22, Sayı: 1, 2000, <http://eur-lex.europa.eu/legal-content/EN/TXT/PDF/?uri=CELEX:32000R0141&from=EN> (10.07.2017).

lkeler ise maksimum hasta sayısını temel almaktadır. rneęin ABD’de btn lkede maksimum 200 bin kiřiye etkileyen bir hastalık NH olarak tanımlanmaktadır.⁶⁵

Gnmzde yaklaşık %80’i genetik nedenli, %20 kadarı da genetik dıřı nedenlerle iliřkili olan ve yaklaşık %50’si ocukluk aęında grlen 8.000’e yakın NH tespit edilmiřtir. NH’nin grlme sıklıęı coęrafi blge ve etnik gruplar arasında farklılıklar gsterebilmektedir. Bazı NH zellikle bazı blgelerde veya bazı etnik gruplarda daha sık olarak karřımıza çıkmaktadır. rneęin Akdeniz blgesinde daha sık grlen *thalasemi* hastalıęı Kuzey Avrupa’da ok daha az grlmektedir. Bir dięer rnek de Tip 1 Gaucher hastalıęıdır. Bu hastalıęa bařka etnik gruplarda ok nadir olmakla birlikte, Ashkenezi Yahudilerinde daha sık rastlanmaktadır.⁶⁶

Bu tr hastalıklarda nadir grlmelerinden kaynaklanan pek ok sorun ortaya çıkmakta ve bylelikle NH zel ilgi gerektiren bir grup haline gelmektedir. Bařlıca sorunlar řu řekilde sayılabilir: az grlmelerinden dolayı bu hastalıklar zerinde bilgi birikimi ve deneyim kazanılamamaktadır, oęunun tedavisi ya yoktur ya da ok zor ve pahalıdır, tedavileri iin birok uzmanlık dalının bir arada alıřması gerekmektedir, hastalar sosyal, psikolojik ve ekonomik olarak desteęe daha ok ihtiyatırlar. Bu noktada NH, DS’nn son zamanlarda Astana’da yaptıęı toplantıda ok sayıda devlet tarafından kabul edilen *evrensel saęlık kapsayıcılıęı* ilkesinin dıřında kalmaya en yatkın hasta grubudur.⁶⁷

Hem hekimlerde hem de hasta ve hasta yakınlarında NH’yle ilgili ‘*farkındalık*’ dzeyinin olduka dřk olması, bu hastaların doęru ve zamanda tanı almasını gleřtirmektedir. Ge tanı ise bu hastalıkların tedavisindeki en nemli sorunların bařında gelmektedir.⁶⁸ EURORDIS’in⁶⁹ yaptıęı bir alıřma bu gereęi btn aıklıęıyla gzler nne sermektedir. 16 Avrupa lkesindeki 70 NH merkezinde, 980 hasta zerinde yapılan bu alıřmada, hastaların %25’inde tanı konulmasının 5-30 yıl

⁶⁵ WHO, “Background Paper 6.19 Rare Diseases, Update on 2004 Background Paper”, http://www.who.int/medicines/areas/priority_medicines/BP6_19Rare.pdf (10.07.2017).

⁶⁶ WHO, Report.

⁶⁷ Declaration of Astana, “Global Conference on Primary Health Care. From Alma-Ata towards Universal Health Coverage and the Sustainable Development Goals Astana”, 25-26.10.2018, <https://www.who.int/docs/default-source/primary-health/declaration/gcphc-declaration.pdf> (12.10.2019).

⁶⁸ Karen Feltmate, Peter M. Janiszewski, Sheena Gingerich ve Michael Cloutier, “Delayed Access To Treatments for Rare Diseases: Who’s to Blame?”, **Respirology**, Cilt: 20, Sayı: 3, 2015, ss. 361–369.

⁶⁹ EURORDIS- Rare Disease Europe (hasta ve hasta yakınları tarafından kurulmuř olan dernekleri birleřtiren AB destekli dernek).

sürdüğü, %40'ının ise en az bir kez yanlış tanı aldığı tespit edilmiştir. Bu çalışmada ortaya çıkan diğer sonuçlar ise NH'yle ilgili bilgi eksikliği, tıbbi eğitimin yetersizliği ve tedaviye erişimdeki zorluklardır.⁷⁰ Bugüne kadar yapılan çalışmalarla kistik fibroz, sarkoidoz, hemofili, fenilketonüri gibi bazı NH için '*toplumsal farkındalık*' oldukça iyi düzeyde oluşturulabilmişken; geride kalan Darier hastalığı, primer siliyer diskinezi, eritropoetik protoporfiri, Usher sendromu, Smith-Lemli-Opitz sendromu ve alkaptonüri gibi yüzlerce NH ise toplum tarafından hiç bilinmemektedir. Oysa NH'de en önemli erken tanı faktörlerinden birisi de, hasta yakınlarının mevcut hastalıkla ilgili bulguları fark ederek erken dönemde hekime başvurabilmesidir. NH bugün daha çok Charlie Gard vakasında olduğu gibi basında çıkan trajik örnekleriyle tanınmaktadır.⁷¹

2010 yılında yapılan bir Eurobarometre çalışması, Avrupa'da NH'nin genel olarak bilindiği ancak detaylı bilgi ve farkındalığın ise düşük düzeyde olduğunu göstermiştir.⁷² Yine bu çalışmada uygulanacak NH politikalarına ise güçlü bir destek ortaya çıkmıştır. EURORDIS'in 2017 yılında yaptığı ve 43 ülkeden 3000 kişinin katıldığı başka bir araştırmada ise, hastaların %70'ten fazlasının günlük ev işlerini yapmada sorun yaşadıkları, hasta bakımıyla uğraşanların günde 6 saatten fazla zamanlarını hastalıkla ilgili işlere ayırmak zorunda kaldıkları ve hastaların ve bakıcılarının %70'ten fazlasının işlerini bırakmak zorunda kaldıkları tespit edilmiş ve genel popülasyona göre depresyon ve mutsuzluğun 3 kat daha fazla olduğu görülmüştür.⁷³

Son dönemde NH'nin oluşum mekanizmalarını daha iyi anlamak, tanı, tedavi takibini daha iyi yapabilmek için bütün dünyada geniş çaplı araştırmalar yapılmaya

⁷⁰ EURORDIS, "Eurodis Care 2: Survey of Diagnostic Delays, 8 Diseases, Europe", 2004, at: http://www.eurordis.org/sites/default/files/publications/Fact_Sheet_Eurordiscare2.pdf (10.07.2017).

⁷¹ Charlie Gard 4 Ağustos 2016'da İngiltere'de genetik nedenli nadir hastalıkla doğan bir bebektir. İngiltere'de hastalığının tedavisi yoktu ve yaşam destek ünitesinin kapatılması kararı verildi, ABD'de ise belirli bir yaşa kadar uygulanan deneysel bir tedavi yapıyordu. Ailesi Charlie Gard'ı ABD'ye götürmek istedi ve bunun için bir hukuk mücadelesi başlattı. Ancak bu süreç uzayınca tedavi dönemi kaçırılmıştı ve sonuç olarak 28 Temmuz 2017'de Charlie Gard'ın yaşam destek ünitesi kapatıldı. Bütün bu süreç zarfında Charlie Gard'ın durumu yalnızca İngiltere'de değil bütün dünyada yakın ilgi gördü ve günlük olarak takip edildi. Detaylar için bkz. BBC, "Charlie Gard: The Story of his Parents' Legal Fight", 27.07.2017, www.bbc.com/news/health-40554462 (10.07.2018).

⁷² Special Eurobarometer, "European Awareness of Rare Diseases", http://ec.europa.eu/health/rare_diseases/docs/ebs_361_en.pdf. (10.07.2017).

⁷³ EURORDIS, "A Rare Barometer Survey", **Juggling Care and Daily Life**, http://download2.eurordis.org.s3.amazonaws.com/rbv/2017_05_09_Social%20survey%20leaflet%20final.pdf (10.07.2017).

başlanmıştır. Bu çalışmaların bir sonucu da ilaç konusunda görülmektedir. Zira NH'nin tedavisi için neredeyse hergün yeni bir ilaç bulunmaktadır. Somut olarak bakıldığında, geçtiğimiz birkaç yılda Avrupa'da 45 NH için 70'e yakın, ABD'de ise 200'den fazla NH için 400'e yakın ilaca onay verilmiştir.⁷⁴ Büyük çoğunluğu biyoteknolojik ve inovatif ürünler olan bu ilaçlar NH alanında kuşkusuz büyük bir gelişmedir. Ancak NH'nin büyük çoğunluğu için hastalığın nedeni, patofizyolojisi, doğal seyri, epidemiyolojisi gibi bilgiler hala çok sınırlı düzeydedir. Farkındalık eksikliğiyle birlikte bu bilgi eksikliği, NH'nin tanı ve tedavisindeki en önemli engel olarak karşımıza çıkmaktadır. İşte NH alanındaki bütün bu güçlükler tek tek hekimlerin, hastaların ya da hastanelerin çabası ile değil; ancak ulusal düzeyde ve hatta bazen uluslararası düzeyde bilgi, deneyim ve finansal kaynakların bir araya getirilmesiyle aşılabilmektedir.

NH'yle ilgili çok önemli bir başka sorun da bu hastalıkları tedavi ve takip eden herkes tarafından ortak bir dil kullanılması zorunluluğudur. Çünkü doğru sınıflama yalnızca uzmanlar arasındaki iletişimi kolaylaştırmakla kalmaz, aynı zamanda NH'nin epidemiyolojisi ve daha sonra yapılacak araştırmalar için de vazgeçilmez bir gereklilik arz eder. Bir başka deyişle, bu hastalıkların hepsini kapsayacak bir sınıflama sisteminin bütün dünyada kullanılması bilimsel bir zorunluluktur. Sınıflama sisteminde farklı yöntemler kullanılmaktadır. Bazı sınıflamalar hastalıkları etkiledikleri organ sistemlerine göre ayırırlar. Örneğin nöromuskular hastalıklar bu şekilde sınıflanmışlardır. Yine lizozomal depolama hastalıkları, peroksizomal ve mitokondrial bozukluklar gibi metabolizma hastalıkları da ayrı bir şekilde sınıflandırılmaktadırlar. Ancak nasıl yapılsa yapılsın bütün sınıflamaların bazı avantaj ve dezavantajları bulunmaktadır. Bu anlamda, hangi sınıflamanın ortak olarak kullanılacağı bilimsel bir uzlaşmayla belirlenmelidir. Bugüne kadar yapılan sınıflamalar arasında, en çok kabul gören ve kullanılanlardan ICD⁷⁵ sınıflaması, *Orphanet sınıflaması*, *OMIM sınıflaması* ve SNOMED CT⁷⁶ sınıflaması öne

⁷⁴ Pedro Franco, "Orphan Drugs: The Regulatory Environment", **Drug Discovery Today**, Cilt: 18, Sayı: 3-4, 2013, ss. 163-172; Gammie Todd, Y. Lu Christine ve Ud-Din Babar Zaheer, "Access to Orphan Drugs: A Comprehensive Review of Legislations, Regulations and Policies in 35 Countries", <https://dash.harvard.edu/bitstream/handle/1/23473978/4599885.pdf?sequence=1&isAllowed=y>. (12.02.2019).

⁷⁵ ICD- International Classification of Diseases.

⁷⁶ OMIM: Online Mendelian Inheritance in Man SNOMED CT- Systematized Nomenclature of Medicine - Clinical Trials.

çıkılmaktadır.⁷⁷ ICD sınıflamasının 10. sürümü bugün itibariyle en yaygın kullanılan sınıflama durumunda olup, şimdilik 240 tür NH bu sınıflamada kodlanmıştır. Bu sınıflamanın yakında çıkması beklenen 11. sürümü ile çok daha fazla sayıda NH kodlanmış olacaktır. Tablo 2’de günümüzde kullanılan sınıflamaların bir özeti verilmektedir.

Tablo 2: Günümüzde Kullanılan Bazı Uluslararası Tanı Standartları

Alan	Standard	Geliştirici	Web sitesi
Hastalık	ICD	DSÖ	http://www.who.int/classifications/icd/en/
	ORDO	ORPHANET	http://www.orphadata.org/cgi-bin/inc/ordo_orphanet.inc.php/
Tıp terminolojisi	SNOMED	SNOMED International	https://www.snomed.org/snomed-ct
Fenotipik terimler	HPO	Berlin Charité Üniversitesi ve Monarch İnisiyatifi	http://human-phenotype-ontology.github.io/
Nadir klinik bulgular	ICHPT	IRDIRC	http://www.irdirc.org/activities/current-activities/ichpt/
Yan etkiler	DSÖ	DSÖ	https://www.who-umc.org/vigibase/services/learn-more-about-who-art/
İşlev	ICF	DSÖ	http://www.who.int/classifications/icf/en/
Birinci basamak sağlık hizmetleri	ICPC-2	DSÖ	http://www.who.int/classifications/icd/adaptations/icpc2/en/
Genler ve genetik hastalıklar	OMIM	McKusick-Nathans Enstitüsü, Johns Hopkins Üniversitesi	https://www.ncbi.nlm.nih.gov/omim
Laboratuvar ve klinik gözlem	LOINC	Regenstrief Enstitüsü	https://loinc.org/

Kaynak: Yllka Kodra ve diğerleri, “Recommendations for Improving the Quality of Rare Disease Registries”, **International Journal of Environmental Research and Public Health**, Cilt: 15, Sayı: 1644, 2018, ss. 1-22.

Bugün birçok genetik nedenli NH hastalık, doğum öncesi veya yenidoğan dönemindeki tarama yöntemleri ile tanınabilmekte ve böylece erken tanı sayesinde

⁷⁷ World Health Organization, “Classifications”, www.who.int/classifications/icd/en/index.html. (10.07.2017).

önleyici tedavi veya müdahale yapılabilir. ⁷⁸ Bu konudaki bir sorun da tarama yöntemlerindeki büyük bilimsel ve teknolojik ilerlemeye karşın, yenidoğan taramalarında, ülkeler ve bölgeler arasındaki eşitsizliklerin devam ediyor olmasıdır. ⁷⁹

Tarama programlarının yanında kontrol programları da NH'yle mücadeledeki başka bir yöntemdir. Örneğin, gelişmiş ülkelerde Hemofili hastalığı kontrol çalışmaları; hastalığın etkilerini, öldürücülüğünü ve hastalığın toplum üzerindeki yükünü azaltmada olağanüstü bir başarı göstermiştir. ⁸⁰ Son yıllarda NH'lerin tanısıyla ilgili genetik çalışmalarda da önemli başarılar gösterilmiş ve pek çok hastalığın genetik testi yapılmaya başlanmıştır. Ancak bu konuda da ülkeler arasındaki eşitsizlikler, temel sorunlar arasındaki yerini korumaktadır. Örneğin bugün 578 gen yalnızca bir ülkede, 1879 gen 5 ülkede, 2721 gen 10 ülkede çalışabilmektedir. Aynı şekilde 986 hastalık yalnızca bir ülkede, 2689 hastalık 5 ülkede, 3458 hastalık 10 ülkede test edilebilmektedir. ⁸¹

2.3. NADİR HASTALIKLAR TAKİP MERKEZLERİ

Dünya nüfusunun %6 ile 8'ini etkilediği tahmin edilen ve yaklaşık 400 milyon etkilenmiş nüfusla AIDS ve kanserden daha geniş bir kitle oluşturan NH'nin %95'ten fazlası için, maalesef onaylanmış tek bir ilaç bile bulunmamaktadır. Bunun altında yatan temel neden ise NH'yle ilgili yukarıda sayılan zorluklardır. Bütün bu zorlukları aşmak ve NH konusunda bilgi ve deneyim oluşturmak için temel yöntem ise, kayıt ve takip merkezleri kurarak burada bilgi ve deneyimi birleştirmek, biriktirmek ve tanı tedaviye yönelik araştırmalar yapmaktır.

⁷⁸ Erik Harms ve Bernhard Olgemöller, "Neonatal Screening for Metabolic and Endocrine Disorders", **Deutsches Ärzteblatt International**, Cilt: 108, Sayı: 1-2, 2011, ss. 11-22; Newborn Screening Program: Disordered Screened, "Perinatal Services BC", **An Agency of the Provincial Health Services Authority**, 2016, <http://www.perinatalservicesbc.ca/our-services/screening-programs/newborn-screening-program/disorders-screened> (10.07.2017).

⁷⁹ European Commission, "Evaluation of Population Newborn Screening Practices for Rare Disorders in Member States of the European Union", **Report on the Practices of Newborn Screening for Rare Disorders Implemented in Member States of the European Union, Candidate, Potential Candidate and EFTA Countries**, 2012, http://ec.europa.eu/chafea/documents/news/Report_-_NBS_Current_Practices_20120108_FINAL.pdf (10.07.2017).

⁸⁰ WHO, Report.

⁸¹ Victoria Hedley, Hannah Murray, Charlotte Rodwell ve Segolene Ayme, "2018 Report on the State of the Art of Rare Disease Activities in Europe" Temmuz 2018, <http://www.rd-action.eu/wp-content/uploads/2018/09/Final-Overview-Report-State-of-theArt2018version.pdf> (15.10.2019).

Bu kayıt ve takip merkezleri oluşturulurken iki yöntem bulunmaktadır. Birincisi, yalnızca hastalara ait tıbbi bilgilerin toplandığı ve araştırmacıların yararlandığı kayıt sistemleri kurmaktır. İkincisi ise, bilgi toplamanın yanı sıra hasta takip ve tedavisinin de yapıldığı spesifikleşmiş kayıt ve takip merkezleri kurmaktır. Tabii ki ikinci yöntem birincisinden çok daha kapsamlı bilgi birikimi ve deneyim oluşturacağı gibi, hastaların tedaviye erişimi de çok daha kolay ve ayrıca alınan hizmetin niteliği de çok daha yüksek olacaktır.

NH için hastaların başvurabileceği uzmanlaşmış merkezlerin kurulması bu hastalar için yaşamsal bir önem arz eder. Zira bu hastaların, tedavi olabilecekleri merkez ve tedaviyi gerçekleştirebilecek multidisipliner uzman ekipleri bulmaları çok zordur. Bu anlamda, günümüzde NH için ileri derecede uzmanlaşmış ve sfesifikleşmiş multidisipliner merkezlerin kurulması yaklaşımı benimsenmiştir. Ayrıca bu tür merkezlerin olmaması, yeni tedavi seçenekleri geliştirilmesinin önündeki ciddi bir engeldir.

Bu tür merkezlerden ilk olarak ‘*uzmanlık merkezleri*’ adıyla 2006 yılındaki Avrupa Nadir Hastalıklar Görev Gücü (RDTF- Rare Diseases Task Force) raporunda bahsedilmekte, ardından NH’yle ilgili çıkan pek çok rapor ve resmi belgede ise bu merkezler ayrıntılı olarak anlatılmaktadır.⁸² Konseyin 2009 yılındaki önerilerinde üye ülkelerin ulusal planlarını yapmaları ve ‘*Uzmanlık Merkezleri*’ni oluşturmaları gerektiği vurgulanmaktaydı.⁸³ Bunun sonucu olarak da birçok ülkede giderek artan sayıda ‘*Uzmanlık Merkezleri*’ kurulmaya başlandı. Takip eden yıllarda ise Avrupa Birliği Nadir Hastalıklar Uzmanlar Komitesi (EUCERD- European Union Committee of Experts of Rare Diseases) oldukça ayrıntılı bir öneriler seti yayınladı.⁸⁴

İsveç ve Danimarka uzmanlık merkezleri konusunda en erken davranan ülkeler arasında yer almıştır.⁸⁵ İlk NH merkezini 1990 yılında kurmuş olan İsveç, 1999 yılında da bilgi ve veri bankası kurmuştur. 1990 yılında NH bilgi merkezi kuran Danimarka

⁸² RDTF Report, “Centres of Reference for Rare Diseases in Europe”, **State of the art in 2006 and Recommendations of the Rare Diseases Task Force**, Eylül 2006, <http://www.eucerd.eu/upload/file/Publication/RDTFECR2006.pdf> (10.07.2017).

⁸³ European Commission, “The Council Recommendation of 8 June on an action in the Field of Rare Diseases”, **2009/C 151/02**, http://ec.europa.eu/health/ph_threats/non_com/docs/rare_com_en.pdf (11.05.2018).

⁸⁴ EUCERD Recommendations, “Quality Criteria for Centres of Expertise for Rare Diseases in Member States”, 24.10.2011, <http://www.EUCERD.eu/upload/file/EUCERDRecommendationCE.pdf> (23.11.2018).

⁸⁵ RDTF Report, Recommendations.

ise 2001 yılında ilk NH merkezini hayata geçirmiştir. Bu ilk merkezleri takip eden sonraki yüzlerce NH merkezinin çalışma ve deneyimlerini birleştirecek ortak bir dil, ortak bir standart veya ortak bir iletişim ağı bulunmamaktaydı.

İngiltere’de uzmanlık merkezleri için *mükemmeliyet merkezi* kavramı kullanılmaktadır. Buradaki tanıma göre, bir tür ya da bir grup NH için multidisipliner uzmanlık anlayışıyla birçok hizmeti aynı anda sağlayan belli hizmet ve donanım kalitesindeki merkezlere *mükemmeliyet merkezi* denmektedir.⁸⁶ Bu anlamda mükemmeliyet merkezleri bilgi, araştırma, tedavi ve belli bir hastalığa göre spesifikleşmiş diğer hizmetlerin bulunduğu ve üretildiği yerlerdir. Buralar sıklıkla bölgesel, ulusal ya da uluslararası bir *hasta toplama alanı* olarak da hizmet ederler. Bu merkezlerle ilgili anahtar kavram *multidisipliner bakış açısıdır*. Nitekim NH’yle mücadele çok çeşitli uzmanlık alanlarının katılımını gerektirir. Bir merkezde şu uzmanlar bulunmalıdır: belli bir konuda uzmanlaşmış hekimler, hemşireler, laboratuvar uzmanları, araştırmacılar, genetik danışmanlar, sosyal hizmet uzmanları ve hasta danışmanları. Kabul edilmiş evrensel standartlar olmamakla birlikte çeşitli kaynaklarca bazı önerilerde bulunulmuştur. *İngiltere Nadir Hastalıklar Planı*’na göre mükemmeliyet merkezleri eşgüdümlü tedavi yapmalılar, tek bir hekime bağlı olmamalılar, çocuktan yetişkine geçiş mümkün ve araştırma odaklı olmalılardır.

EUCERD’in 2011’de yayınladığı ve *uzmanlık merkezlerinin* amaçları, kapsamı ve kalite ölçütlerini belirleyen önerisi 40’tan fazla maddeyi içermektedir.⁸⁷ Bunlar arasında en önemli olanları şu şekilde sıralanabilir: her hastalık için aynı düzeyde hizmet verilemese de bütün NH kapsanmalıdır; bu merkezlerin multidisipliner bir yaklaşımla hastaların tedavi, rehabilitasyon ve palyatif ihtiyaçlarıyla ilgili uzmanları biraraya getirmesi ya da bu eşgüdümü sağlaması gerekir; bu merkezler tedavi kılavuzları oluşumuna katkıda bulunurlar; merkezlerin özelleşmiş laboratuvarları olmalıdır; hasta bakışını yansıtabilmek için hasta örgütleriyle işbirliği içinde olmalıdırlar; merkezler iyi klinik uygulamaların geliştirilmesine ve yayılmasına katkıda bulunurlar; merkezler bütün disiplinlerden sağlık çalışanlarına eğitim sağlarlar; merkezler hem hastalara hem de sağlık çalışanlarına güvenilir bilgi sağlarlar;

⁸⁶ Dirk Moritz, “Rare Disease Centers of Excellence”, 2018, <https://bluematterconsulting.com/rare-disease-centers-of-excellence/> (24.10.2019).

⁸⁷ EUCERD, “EUCERD Recommendations on Quality Criteria for Centres of Expertise for Rare Diseases in Member States”, 24.10.2011, <http://www.EUCERD.eu/upload/f-ile/EUCERDRecommendationCE.pdf> (23.11.2018).

merkezler farklı kültür ve etnisitelerden hastaların ihtiyaçlarına cevap verirler; merkezler ayrımcılık yapılmamasına özen göstermelidirler; merkezler hastalığın doğasının anlaşılmasını sağlayacak, tanı ve tedaviyi geliştirecek araştırma ve inovasyona katkıda bulunurlar; merkezlerin kapsadığı hastalıklar ülkelerin büyüklüğüne ve sağlık sisteminin yapısına göre değişebilir; gerektiğinde diğer ulusal ve Avrupa düzeyindeki merkezlerle irtibata geçebilir. Yine aynı grubun önerilerine göre bir uzmanlık merkezinin kapasitesiyle ilgili olarak da şunlar vurgulanmaktadır: tanı ve tedavi için iyi klinik uygulamalar kılavuzu oluşturma kapasitesi; kalite yönetimi ilkelerinin uygulanabilmesi; belgelenmiş yüksek düzeyde uzmanlık ve deneyim; bütün hastalar için yeterli kapasite; araştırmalara ileri düzeyde katkı verebilme; klinik çalışmalar ve halk sağlığı amaçları için veri toplama kapasitesi; klinik çalışmalara katılma kapasitesi; multidisipliner yaklaşım gösterebilme kapasitesi.

AB NH takip merkezlerini *uzmanlık merkezleri* olarak belirleyip, nasıl olması gerektikleriyle ilgili standartları oluşturduktan sonra, son olarak da ARA sistemine katılacak olan merkezlerin türlerini ve isimlerini belirleyerek buralarla ilgili ayrıntılı ölçütleri tespit etmiştir. Buna göre ARA sisteminde üç tür merkez bulunacaktır. Bunlar ‘ulusal ortak merkezler’, ‘eşgüdüm sağlama merkezleri’ ve ‘ulusal işbirliği merkezleri’dir.⁸⁸ *Ulusal ortak merkezler* daha ziyade hasta ile muhatap olan merkezler olup bunlarla ileri düzeydeki klinikler, patoloji ve genetik laboratuvarları ile ileri teknoloji kullanan sağlık kurumları kastedilmektedir. *Eşgüdüm sağlama merkezleri* ise, herhangi bir ARA ağına girmiş bir merkezi olmayan ülkeler için belirli ağlarla belirli hastalıklar için bir bağlantı noktası şeklinde düşünülmektedir.

Jinekolojik hastalıklar grubunda da NH bulunmaktadır. Bunlardan birisi de *gestasyonel trofoblastik hastalıklar*’dır (GTH). GTH Mol Hidatiform, İnvaziv Mol, Choriocarcinoma ve Plesantal Site Trofoblastik Tümörler olmak üzere dört klinik ve patolojik alt türü bulunan ve görülme sıklığı batı toplumlarında daha az olan bir hastalık grubudur.⁸⁹ Bu hastalıkların tanı, tedavi ve takibinde, son birkaç dekatta elde edilen olağanüstü gelişmeler bu hastalıkların mortalitelerini hızla düşürmüş ve

⁸⁸ ERN RITA, “Summary ERN BoMS Statement on Affiliated Members”, <http://rita.ern-net.eu/wp-content/uploads/2018/05/Summary-ERN-BoMS-Statement-on-Affiliated-Members.pdf> (12.07.2019).

⁸⁹ İbrahim Gülhan, “Gestational Trophoblastic Diseases, National Registry System and European Reference Networks”, *Türkiye Klinikleri Journal of Gynecology and Obstetrics*, Cilt: 27, Sayı: 4, 2015, ss. 211-212.

günümüzde neredeyse % 100 tedavi edilebilir hale getirmiştir. Ancak unutulmaması gereken, bu tedavi oranlarının, yalnızca optimal tedavi ve takip olanaklarıyla sağlanabiliyor olmasıdır.

İngiltere uzun yıllardır hem GTH ve hem de germ hücreli over kanserlerini bu şekilde merkezi bir anlayışla takip etmektedir.⁹⁰ Bunun için kurulmuş olan ulusal takip merkezleri, İngiltere Sağlık Bakanlığı tarafından da onaylanmış ve böylece hastaları bu merkezlere yönlendirmenin yasal gerekçesi de oluşturulmuş bulunmaktadır.⁹¹ Buna göre, ilk tanısı konulup başlangıç tedavisi yapılan bütün hastalar sonraki takipleri için bu merkezlere sevk edilmekte ve devam eden takip ve tedavileri buralarda yapılmaktadır. Bu merkezlerde multidisipliner bir yaklaşım sergilenmekte ve burada onkolog, jinekolog, genetik uzmanı, patoloji uzmanı, sosyal hizmet uzmanı, psikiyatrist gibi çok sayıda farklı uzman belli bir hastalık alanına odaklanarak çalışmaktadır. Hastaların takip sırasındaki kan testleri de aynı merkezlerin laboratuvarına gönderilmekte ve böylece laboratuvarlar arasında olabilecek farklı sonuçlar önlenmektedir. Yine bu merkezdeki patoloji ve genetik laboratuvarları, gerektiği zaman hastalara ait örnekleri tekrar değerlendirmektedir. Böylece hastalar en iyi tedaviyi alabilmektedir.

Londra'da bulunan Imperial Üniversitesi, Charing Cross Hastanesi, Gestasyonel Trofoblastik Hastalıklar Merkezi, NH takip merkezlerinin en iyi örneklerinden birisidir. Merkez kendi alanında bilgi üretmek ve yeni tedavi ve yöntem geliştirmeye ünlenmiştir. Charing Cross Hastanesi, üniversiteye bağlı beş hastaneden biridir.⁹² Bu hastanenin onkoloji kliniğinde kurulmuş bulunan Gestasyonel Trofoblastik Hastalıklar Merkezi, İngiltere'deki iki ana merkezden biri durumundadır. Diğer merkez Sheffield'de kurulmuştur. Merkez aynı zamanda germ hücreli over kanserlerinin takibini de yapmaktadır.

Ülkemizde de çeşitli NH'yle ilgilenen klinikler bulunmaktadır. Ancak bunlar NH merkezi şeklinde yapılmış değildir. Genellikle bir üniversite ya da eğitim hastanesinin belli bir hastalık üzerine spsesifikleşmiş kliniği şeklindedir. Sağlık

⁹⁰ Department of Health, "The UK Strategy for Rare Diseases", 2013, https://www.gov.uk/government/uploads/system/uploads/attachment_data/file/260562/UK_Strategy_for_Rare_Diseases.pdf. (12.10.2016).

⁹¹ Chorio, "Hydatidiform Mole and Choriocarcinoma UK Information and Support Service", <http://www.hmole-chorio.org.uk/index.html> (23.06.2018).

⁹² Chorio, Hydatidiform Mole.

bakanlığı da bu konuda bir arayış içinde olup, NH Daire Başkanlığı adıyla sadece bu hastalıklarla ilgilenen bir birim son zamanlarda kurulmuş bulunmaktadır. Bundan sonra mevcut merkezlerin sağlık bakanlığı onaylı NH merkezlerine dönüştürülmesi beklenmektedir.

Sonuç olarak NH'nin yönetiminde *uzmanlık merkezlerinin* yeri ve önemi çok iyi anlaşılmıştır. AB de bu konuda önce *uzmanlık merkezlerinin* ölçütlerini belirlemiş, sonra bütün üye ülkeleri uzmanlık merkezleri kurması ve var olanların kalitesini yükseltmeleri için EUROPLAN aracılığıyla desteklemiştir.⁹³ Zira ARA sistemi de bu uzmanlık merkezlerinin birbirine bağlanmasıyla kurulmuştur.

2.4. NADİR HASTALIKLAR KAYIT SİSTEMİ

Kayıt sistemleri, belli bir hastalık alanında gözlemsel yöntemler kullanarak, uzun dönemleri içeren, toplum tabanlı veri toplayan ve bu verileri bilimsel, klinik ve politik amaçlarla kullanan sistemler olarak tanımlanmaktadır.⁹⁴ Kayıt sistemleri ile veri toplama; hastalıkların etiyolojisi, patogenezi, tanı ve tedavisine yönelik araştırma yapabilmek için en iyi yöntem olarak kabul edilmektedir.⁹⁵ Zira buradan elde edilen bilgiler tanı ve tedavi için yaşamsal önem arz eder.⁹⁶

Kayıt sistemlerinin bazı spesifik amaçlarını şu şekilde sıralayabiliriz: hastalar, hasta yakınları ve hekimler arasında bağlantı kurmak; hastalığın doğal seyrini, gelişimini, risk faktörlerini ve son halini öğrenmek; NH'nin genetik, moleküler ve fizyolojik zemini üzerinde araştırmalar yapmak; ilaçlar ve tıbbi araçları değerlendirmek için hasta veritabanı oluşturmak.⁹⁷

⁹³ EUROPLAN 2012-2015, European Project for Rare Diseases National Plans.

⁹⁴ Yılka Kodra, ve diğerleri, "Recommendations for Improving the Quality of Rare Disease Registries", **International Journal of Environmental Research and Public Health**, Cilt: 15, Sayı: 8, 2018, ss. 1-22.

⁹⁵ Epirare.eu, "The Current Situation", "**The Challenges and the Expectations on Patient Registries and Databases**". In **-Activities and Needs of Existing rd Registries**, http://www.epirare.eu/_down/del/EPIR-AREsurveyreport.pdf (10.07.2017).

⁹⁶ Maurizio Luisetti ve diğerleri, "The Problems of Clinical Trials And Registries In Rare Diseases", **Respiratory Medicine**, Cilt: 104 Sayı: 1, 2010, ss. 42-44.

⁹⁷ EUCERD, "RDTF Report on Patient Registries the Field of Rare Diseases", Haziran 2011, <http://www.eucerd.eu/EUCERD/upload/file/RDTFReportRegistriesJuly2011.pdf> (10.07.2017).

Mayıs 2018 itibari ile Avrupa’da 77’si bölgesel, 518’i ulusal, 59’u Avrupa düzeyinde ve 93’ü de küresel düzeyde olmak üzere toplam 747 NH kayıt sistemi bulunmaktadır.⁹⁸ Bunların % 84’ü kamu geri kalan % 16’sı ise özel sektöre aittir.

NH kayıt sistemleri, pek çok yararının yanında, ARA sisteminin başarı ile uygulanabilmesi için gerekli bir altyapı ögesidir ve bu nedenle hem Avrupa ölçeğinde hem de ulusal ve küresel ölçekte NH için öncelik arz ederler.⁹⁹ Ayrıca veri tabanları, NH için ulusal planların dayandığı güncel AB politika çerçevesinin ana sütunlarından birisini oluşturur.

Kayıt sistemlerini bir öncelik olarak gören EURORDIS de NH alanındaki araştırmaların somut sonuçlar verebilmesi için, kayıt sistemlerinin en önemli belirleyiciler arasında olduğunu ve güçlü kayıt sistemi ve hasta örgütlenmesi bulunan bir NH alanında tedavi geliştirilmesi olasılığının daha yüksek olduğunu, yeni tedavi seçenekleri bulunmasa bile kayıt sistemlerinin tedavi standartları oluşumunu kolaylaştırarak hastalığın seyrini iyileştirdiğini ve yaşam beklentisini uzattığını ifade etmektedir. NH veri tabanlarının geliştirilmesi konusunda EURORDIS’in 10 önerisi bulunmaktadır.¹⁰⁰ Buna göre, kayıt sistemleri nadir hastalıklar alanında küresel bir öncelik olarak kabul edilmelidir. Kayıt sistemleri mümkün olduğu kadar geniş bir coğrafik bölgeyi kapsamalıdır. Uluslararası işbirliğiyle sınırlı kaynakların maksimizasyonu sağlanmalıdır. Kayıt sistemleri tedavi edici müdahalelere göre değil hastalık veya hastalık gruplarına göre düzenlenmelidir. Kayıt sistemleri arasında karşılıklı kullanılabilirlik ve uyum gözetilmelidir. Bütün kayıt sistemlerinde mümkün olduğunca ‘*ortak veri bileşenleri*’ seti kullanılmalıdır. Kayıt sistemlerinin verileri belli biyobankalarla bağlantılı hale getirilmelidir. Kayıt sistemleri hekimlerin olduğu kadar doğrudan hastaların verdiği bilgileri de içermelidir. Kamu-özel ortaklığı sürdürülebilirliği güçlendirmek için özendirilmelidir. Hastalar yönetimde diğer paydaşlarla birlikte eşit şekilde yer almalıdırlar. Hasta topluluklarını oluşturmak ve güçlendirmek için veri tabanları anahtar bir rol oynamalıdır.

⁹⁸ Orphanet Report Series, “Rare Disease Registries in Europe”, Mayıs 2018. <http://www.orpha.net/orphacom/cahiers/docs/GB/Registries.pdf> (10.07.2017).

⁹⁹ EURORDIS, “2013 EURORDIS Policy Fact Sheet”, **Rare Disease Patient Registries**, https://www.eurordis.org/sites/default/files/publications/Factsheet_registries.pdf (01.07.2017).

¹⁰⁰ EURORDIS, “EURORDIS-NORD-CORD Joint Declaration of 10 Key Principles for Rare Disease Patient Registries”, http://download.eurordis.org/documents/pdf/EURORDIS_NORD_CORD_JointDec_Registries_FINAL.pdf (10.07.2017).

Fibröz displazi veya McCune-Albright sendromu olan hastalar için kurulmuş bulunan Fibrous Dysplasia Vakfı'nın bir çalışmasına göre hastaların NH kayıt sistemlerinden yararlanacağı çok önemli üç yol vardır.¹⁰¹ Birincisi kayıt sistemleri tedavi olanaklarını geliştirebilir. Çünkü hastaların durumlarıyla ilgili ayrıntılı bilgileri veritabanlarında paylaşmaları sonucu araştırmacılar daha spesifik konular üzerine odaklanabilir ve daha iyi tedavi seçenekleri geliştirilebilir. İkincisi, kayıt sistemleri istemlerini daha kolay dile getirmelerine olanak tanıyabilir. Zira tanı ve tedaviye yönelik klasik bilgiler dışında birçok veritabanında hastalar için önemli olan öteki unsurlar da belirlenebilir. Böylece hastalar istemlerini duyurma fırsatı bulmuş olurlar. Örneğin hangi semptomların daha rahatsız edici ve tedavide daha öncelikli olduğu veya hangi tedavi seçeneklerinin daha iyi olabileceği gibi tedavilerini kendilerinin seçimi açısından hastaları güçlendirebilir. Hastaların görüşlerini paylaşması ilaç firmaları, düzenleyici kurumlar ve hasta örgütleri açısından daha iyi sağlık ve sosyal hizmet sunumunun nasıl olabileceğiyle ilgili son derece yol gösterici olabilir. Üçüncüsü ise, kayıt sistemleri ilaç geliştirilmesi olasılığını yükseltir. Bilindiği gibi ilaç geliştirmek pahalı, zor ve oldukça zaman alıcı bir iştir. İlaç firmaları için klinik deneylerde yer alacak hasta bulmak oldukça zordur. Ancak NH için mevcut olan veritabanlarının ilaç firmaları tarafından kullanılabilir olması firmalar açısından işlerini son derece kolaylaştırıcı bir durumdur. Zira bir çalışma başlayacağı zaman hasta örgütleri tarafından veritabanındaki hastalara haber verilerek isteyenlerin çalışmalarda yer alması kolaylıkla sağlanabilir.

Kodra vd. kayıt sistemlerinin kalitesini yükseltmek için bazı önerilerde bulunmuşlardır.¹⁰² Buna göre kayıtlar coğrafi bölgeyle sınırlandırılmamalı, uluslararası bir vizyona göre yapılmalıdır; kayıtlar araştırma, tedavi ve halk sağlığı amacıyla kullanılabilir şekilde yapılmalıdır; açık amaçlar belirlenmeli ve kayıt sistemi sonuca göre planlanmalıdır; bir veri tabanı başlangıçta yalnızca bir amaca yönelik olarak düzenlense de daha sonra genişletilebilir olmalıdır; uygulamanın başında bütün paydaşlarla özellikle hasta temsilcileriyle bağlantıda olunmalıdır; kayıt sisteminin genişliği ve amacıyla orantılı olarak yeterli sayıda ve görevleri açıkça tanımlanmış bir ekip kurulmalıdır; bir sistem lideri seçilmelidir ayrıca bir bilişim

¹⁰¹ The Fibrous Dysplasia Foundation, "3 Huge Ways Registries can Benefit Rare Disease Patients", <https://fibrousdysplasia.org/3-huge-ways-registries-can-benefit-rare-disease-patients/> (10.07.2017).

¹⁰² Yılka Kodra ve diğerleri, ss. 1-22.

uzmanı bulunmalıdır; ulusal ve uluslararası etik ve hukuki gerekliliklerle uyumlu bir sistem kurulmalıdır; finansal çerçevesi ve kaynakları iyi belirlenmiş olmalıdır. Aynı yazarlar birincil veri kaynaklarının kayıt sisteminin başarısı için kritik bir rolde olmakla birlikte pahalı ve zaman alıcı olduğu; ikincil veri kaynaklarının ise daha az güvenilir olduğunu vurgulamaktadırlar. Ayrıca veri bileşenlerini tanımlamak için 10 öneride bulunulmuştur. Bu önerilere göre, kayıt sisteminin amacı için hangi verilere ihtiyaç olduğu; tekrar kullanılabilecek hangi bilgi ve formların olduğu; birincil ve ikincil kaynaklardan hangi bilgilerin toplanabileceği; diğer veri kaynaklarından hangi bilgilerin toplanabileceği; rutin tedavi sürecinden veri toplanıp toplanamayacağı; tedavi sürecine yardımcı olmak üzere bilgi sağlanıp sağlanamayacağı gibi konular belirlenerek, kayıt sisteminde hem hastalıkların hem de fenotiplerin tanımlanmasında herkesçe kabul edilmiş standartların kullanılması sağlanmalıdır.

Bugün uzmanlık merkezleri gibi, kayıt sistemlerinin de NH için çok önemli olduğu kabul edilmektedir. AB de bu bağlamda uzmanlık merkezlerinde olduğu gibi, üye ülkeleri desteklemekte ve teşvik etmektedir. Hasta örgütleri de bu sistemlerin oluşumunda önemli bir rol oynamaktadır.

Hasta kayıtları ve veri tabanlarının, NH'yle ilgili araştırma ve yeni tedavilerin geliştirilmesi üzerindeki öneminde geniş bir uzlaşma sağlanmış olmasına karşın, bu sistemlerin kurulması, işletilmesi ve veri toplanması ile ilgili olarak belirlenmiş ortak standartlar bulunmamaktadır. Bazen aynı NH için birden fazla veri tabanı bulunabildiği gibi var olan veri tabanları da mevcut NH'nin ancak %20'sini kapsamaktadır.¹⁰³ Bu noktadan hareketle Komisyon NH için '*Avrupa Nadir Hastalıklar Kayıt Platformu*'nun oluşturulmasını tavsiye etmiştir.¹⁰⁴ Platformu'n kurulmak istenmesinin temel amacı, Avrupa'daki yüzlerce kayıt sisteminde birikmiş farklı standartlardaki bilgileri ortak standartlara dönüştürerek kullanılabilir hale getirmektir. Platform bu amaçla AB düzeyindeki kayıt sistemi standartlarını belirleyip eğitim verecektir. Bu Platform için önce *Avrupa Nadir Hastalıklar Kayıt Sistemi Altyapısı* (European RD Registry Infrastructure -ERDRI) kurularak, hem mevcut kayıt sistemleri desteklenmiş hem de yenilerinin kurulması sağlanmış olacaktır. Bu

¹⁰³ European Commission, "European Platform on Rare Disease Registration", <https://eu-rd-platform.jrc.ec.europa.eu/aim-of-the-platform> (24.06.2019).

¹⁰⁴ European Commission, "Rare Diseases", https://ec.europa.eu/health/non_communicable_diseases/rare_diseases_en (24.06.2019).

altyapıyla mevcut veri tabanları ‘bulunabilir, erişilebilir, karşılıklı kullanılabilir, tekrar kullanılabilir’ hale getirilmiş olacaktır. Ayrıca bütün verilerin toplandığı bir veri deposu da yapım aşamasındadır.

Ancak AB bu *Platform*’u kurmadan önce, nihai hedefine ulaşabilmek için bir hazırlık projesi başlatmıştır. Bu proje EPIRARE (European Platform for Rare Disease Registries) projesidir.¹⁰⁵ Projenin amacı, NH’nin kaydı için bir Avrupa Platformu hazırlamak ve en iyi kalitede veri elde edilmesini ve kayıtlı verinin en iyi şekilde kullanılmasını sağlamak olarak belirlenmiştir. İtalya Sağlık Bakanlığı’nın desteğiyle 15 Nisan 2011 tarihinde üç yıllık olarak başlatılan ve Komisyon ve EURORDIS tarafından ortaklaşa finanse edilen projede kayıt merkezlerinin koşulları ve ihtiyaçları, verilerin tanımlanması ve formatları ve hasta ve endüstrinin beklentileri üzerine araştırmalar yapılmış ayrıca ulusal kayıt merkezlerini kurmuş ya da planlamış olan ülkelerle ve uluslararası kuruluşlarla istişareler gerçekleştirilmiş ve AB inisiyatiflerine katkıda bulunulmuştur.

Bu sürecin sonunda Komisyon, 28 Şubat 2019 *Dünya Nadir Hastalıklar Günü*’nde ‘Avrupa Nadir Hastalıklar Kayıt Platformu’nu başlatmıştır. Komisyon’a göre bu platformun amacı AB düzeyinde NH için tutulan kayıtların standardizasyonunu sağlayarak yüzlerce veri tabanını araştırma yapılabilir hale getirmek ve hasta verilerinin dağınıklığını engellemektir. Bu platform veri tabanlarının içerdiği verilerin değerini maksimize edecek ve bu bilgileri ARA’nın ve bütün paydaşların kullanabilmesinin yolunu açacaktır.¹⁰⁶ Mevcut bütün kayıt sistemlerine açık olan Platformun nihai amacı, ARA, araştırmacılar, hastalar ve politikacılar için kullanabilecekleri bilgiler üretmektir. Platform şunlardan oluşur: *Avrupa Kayıt Sistemleri Direktörlüğü, Merkezi Meta Veri Deposu ve Veri Koruma Aracı*.

Komisyon ‘Avrupa Nadir Hastalıklar Kayıt Platformu’nun açılışı için 28 Şubat 2019 *Dünya Nadir Hastalıklar Günü*’nde yaptığı basın açıklamasında, NH alanında bütün Avrupa’da yaklaşık 600 kayıt sistemi bulunmasına rağmen, bu sistemlerdeki

¹⁰⁵ EURORDIS, “EPIRARE”, <https://www.eurordis.org/content/epirare> (10.06.2018).

¹⁰⁶ VASCERN, “European Platform on Rare Disease Registration (EU RD Platform) Launched”, <https://vascern.eu/european-platform-on-rare-disease-registration-eu-rd-platform-launched/> (12.05.2019).

verilerin ortak kullanımını sağlayacak bir standart olmadığını belirtmekte ve kurulan platformun bu eksikliği gidereceğini vurgulamaktadır.¹⁰⁷

Avrupa Nadir Hastalıklar Kayıt Platformu kayıt sistemleri arasında karşılıklı kullanılabilirliği artırmak için hasta verilerinin kaydında ‘*Veri Tabanları Ortak Maddeler Paketi*’ kullanılmasını önermiştir.¹⁰⁸ Önerilen bu veri paketine göre, her veri tabanında kişisel bilgilerin yanı sıra tanı, tedavi, anamnez ve araştırma amacı taşıyan bilgilerden oluşan en az 16 maddenin bulunması zorunlu olmalıdır (Tablo 3). Paket, Komisyonun oluşturduğu *Ortak Araştırma Merkezi* tarafından eşgüdümü sağlanan ve AB projelerinde çalışan uzmanlardan oluşan bir çalışma grubu tarafından hazırlanmıştır.

Tablo 3: Veri Tabanları Ortak Maddeler Paketi

Grup	No	Madde ismi	Açıklama	Kodlama
1. Takma ad	1.1.	Takma ad	Hastanın takma adı	☐ Yazıyla
2. Kişisel bilgiler	2.1.	Doğum tarihi	Hastanın doğum tarihi	Tarih (gün/ay/yıl)
	2.2.	Cinsiyet	Hastanın doğumdaki cinsiyeti	☐ Kadın ☐ Erkek Belirsiz ☐ Fetüs (Bilinmeyen)
3. Hastanın durumu	3.1.	Hastanın durumu	Ölü veya yaşıyor	☐ yaşıyor ☐ ölü ☐ takipten kayıp
	3.2.	Ölüm tarihi	Ölüm tarihi	☐ Tarih (gg/aa/yyyy)
4. Tedavi süreci	4.1.	Uzmanlık merkeziyle ilk temas	İlk temasın tarihi	☐ Tarih (gg/aa/yyyy)
5. Hastalığın öyküsü	5.1.	Başlama yaşı	Bulguların ilk görülme yaşı	☐ Doğum öncesi ☐ Doğumda ☐ Tarih (gg/aa/yyyy) ☐ Belirsiz
	5.2.	Tanı sırasındaki yaş	Tanı yaşı	☐ doğum öncesi ☐ doğumda ☐ tarih (gün/ay/yıl) ☐ belirsiz
6. Tanı	6.1.	Nadir hastalık tanısı	Özel merkezde konulmuş tanı	Orpha code (önerilen) / Alpha code/ ICD-9 code/ ICD-9CM code / ICD-10 code
	6.2.	Genetik tanı	Uzmanlaşmış merkez tarafından koyulan genetik tanı	Uluslararası mutasyon sınıflaması (HGVS) (önerilen) / HGNC / OMIM kodu
	6.3.	Tanı konmamış olgu	Tanı konmamış olgunun tanımlanması	☐ Fenotip ☐ Genotip
7. Araştırma	7.1.	Araştırma amaçlı bağlantı	Mevcut araştırma için rıza varlığı	☐ EVET ☐ HAYIR

¹⁰⁷ European Commission, Rare Disease Day: A New EU Platform to Support Better Diagnosis and Treatment”, https://ec.europa.eu/commission/presscorner/detail/en/IP_19_1414 (12.05.2019).

¹⁰⁸ European Commission, “Set of Common Data Elements”, <https://eu-rd-platform.jrc.ec.europa.eu/set-of-common-data-elements> (05.02.2019).

		kurulabilme anlaşması		
	7.2.	Verinin tekrar kullanılması izni	Başka araştırmalar için de rıza bulunup bulunmaması	☐ EVET ☐ HAYIR
	7.3.	Biyolojik numune	Araştırmaya uygun hastaya ait numune	☐ EVET ☐ HAYIR
	7.4.	Biyobanka bağlantısı	Biyobankada saklanan numune	☐ EVET ☐ HAYIR
8. Engellilik	8.1.	İşlevselliğin sınıflandırılması	Hasta engellilik profili	☐ Engellilik profili / Skor

Kaynak: European Commission. “European Platform on Rare Disease Registration (EU RD Platform)”, 2019, https://eurplatform.jrc.ec.europa.eu/sites/default/files/EU%20RD%20Platform_CDS%20_final.pdf (05.02.2019).

NH kayıt sistemleriyle ilgili olarak Komisyonun bir diğer projesi de RD-CONNECT’tir.¹⁰⁹ Komisyon tarafından Kasım 2012’de 6 yıllık bir proje olarak başlatılmış ise de Mayıs 2017’de projenin devam ettirilmesine karar verilmiştir. RD-CONNECT NH araştırmaları için veri tabanları, kayıtlar, biobankalar ve klinik biyobilgileri birbirine bağlayan bütünleşik bir platformdur. Bu proje ile Komisyon’un amacı, veri paylaşımı kültürünü geliştirerek NH araştırmalarını kolaylaştırmak ve hızlandırmaktır. Bu nedenle NH’yle ilgilenen fakat farklı disiplinlerden gelen uzmanların birarada olabileceği böyle bir platformu kurmuştur. Bu proje 7. Çerçeve Programı’ndan finanse edilmiş ve yaklaşık 12 milyon Euro’luk bir kaynak ayrılmıştır.

2.5. NADİR HASTALIKLARDA ARAŞTIRMA VE MALİ DESTEKLER

Avrupa düzeyinde NH’yle ilgili araştırmalar 1990’lardan beri ‘*Araştırma ve Teknolojik Gelişme Çerçeve Programları*’ altında yapılmaktadır. Çerçeve Programları’nda öncelik alanı olarak belirlenen konular bulunmaktadır. NH da bir öncelik alanı olarak belirlemiştir. 2007-2013 dönemini kapsayan 7. Çerçeve Programı, ‘işbirliği’ temasıyla yapılmış ve çeşitli şekillerdeki çokuluslu işbirliklerini desteklemiştir.¹¹⁰ Bu dönemi takip eden *Ufuk 2020 Çerçeve Programı* ise 2014-2020

¹⁰⁹ RD-Connect, “About RD-Connect”, <https://rd-connect.eu/about-rd-connect/> (08.09.2017).

¹¹⁰ European Commission, “EU Research Funding 2007-2013 7th Framework Programme”, https://ec.europa.eu/research/fp7/pdf/fp7_evaluation/5_fp7_fundingbyeu.pdf (08.09.2017).

arasını kapsamakta olup 77 milyar Euro'luk bir bütçe ayrılmıştır.¹¹¹ 2021-2027 döneminde ise *Ufuk Avrupa Çerçeve Programı* devreye girecek olup yaklaşık 100 milyar Euro'luk bir bütçesi ayrılması planlanmıştır.¹¹² *Ufuk 2020* ve 7. *Çerçeve Programlarında* NH'yle ilgili 200'den fazla proje için toplamda 1 milyar Euro'nun üzerinde bir yatırım yapılmıştır. Bu bütçe özellikle patofizyoloji, hastalığın doğal seyrinin anlaşılması ve yeni tanı ve tedavi yöntemlerinin geliştirilmesi için kullanılmıştır.

Komisyon '*AB Sağlık Stratejisi*'ni uygulamak için '*Sağlık Alanında Birlik Eylem Programları*'ni kullanmaktadır. Bu programların ilki olan ve 1999-2003 dönemi için '*Nadir Hastalıklarda Birlik Eylem Programı*' başlığıyla çıkarılan *Halk Sağlığı Çerçeve Programları* içinden 6,5 milyon Euro tutarında bir bütçe NH'ye ayrılmış ve 24 farklı NH projesi desteklenmiştir.¹¹³ Bu programdan sonra 2003-2008 dönemi için yeni bir '*Sağlık Alanında Birlik Eylem Programı*' hazırlanmıştır. Bilgiyi geliştirmek, sağlık tehditlerine hızlı cevap vermek ve koruyucu sağlık konularından oluşan üç temel hedefi bulunan bu programa 312 milyon Euro'luk bir bütçe ayrılmıştır.¹¹⁴ NH da bu programın öncelikleri arasında bulunmaktaydı. Daha sonraki dönemde 2008-2013 yılları için çıkarılan '*Halk Sağlığı Alanında Birlik Eylemi İkinci Programı*' da NH'yi bir öncelik olarak kabul etmiş ve NH alanındaki araştırmalara 27 milyon Euro ayrılmıştır. Aynı şekilde 2014-2020 dönemini kapsayan *Ufuk 2020 Çerçeve Programı*'nda da NH konusundaki öncelikler devam etmektedir.¹¹⁵

NH alanında uluslararası araştırmalara odaklanan bir başka araştırma programı ise AB ve ABD tarafından; Avrupa, Kuzey Amerika, Ortadoğu, Asya ve Avustralya'dan yaklaşık 40 üyenin bir araya getirilmesiyle kurulan '*Uluslararası NH Araştırma Konsorsiyumu*'dur (The International Rare Disease Research Consortium-

¹¹¹ European Commission, "The EU Framework Programme for Research and Innovation", **Horizon 2020**, <https://ec.europa.eu/programmes/horizon2020/> (08.09.2017).

¹¹² European Commission, "Horizon Europe", The Next Research And Innovation Framework Programme, https://ec.europa.eu/info/sites/info/files/research_and_innovation/ec_rtd_hrepresentation_062019_en.pdf (11.05.2019).

¹¹³ European Commission, "Programme of Community Action on Rare Diseases (1999 – 2003). Decision No 1295/99/European Commission of the European Parliament and of the Council of 29 April 1999", http://ec.europa.eu/health/archive/ph_overview/previous_programme/rare_diseases/raredis_wpgm99_en.pdf (10.07.2017).

¹¹⁴ European Commission, "The Second Programme of Community Action in the Field of Health 2008-2013", http://ec.europa.eu/health/ph_programme/documents/prog_factsheet_en.pdf (10.07.2017).

¹¹⁵ European Commission, Horizon 2020.

IRDİRC). Araştırmacılara finansal destek sağlamak için 2011’de kurulan IRDiRC, 2020’ye kadar gerçekleştirmek üzere iki amaç belirlemiştir: birincisi NH için 200 yeni tedavi geliştirmek ve ikincisi de NH’nin çoğunun tanısını mümkün kılmak.¹¹⁶ Bu amaçlardan ilkinin 2017’de gerçekleştirilmesi üzerine Paris’te yapılan 3. IRDiRC konferansında 2017-2027 dönemi için yeniden üç amaç belirlenmiştir. Birincisi tanıları literatürde bulunan bütün hastalar bir yıl içinde tanı almış olacaklardır. İkincisi 1000 yeni tedavi bulunmuş olacaktır. Üçüncüsü de tanı ve tedavinin hastalar üzerindeki etkilerini değerlendirecek yeni yöntemler geliştirilecektir. 2018 itibarıyla 22 ülkeden 50’den fazla üyenin 1 milyar ABD dolarlık bir taahhütü bulunmaktadır.¹¹⁷

Avrupa Ortak Programı araştırma faaliyetlerinde yüksek derecede örgütlenme ve performans sağlayan bir finansal araçtır.¹¹⁸ Program sahibi olan çeşitli bakanlıklar ile araştırma fonu sağlayan program yöneticileri, hasta örgütleri ve özel sektör gibi diğer paydaşlar tarafından yürütülür. Bu programda 2019-2023 dönemi için NH alanındaki araştırmalara 55 milyon Euro ayrılmıştır. Amacı teoriden gündelik yaşama geçebilecek araştırmalar yapılmasını sağlamak olan programın 110 milyon Euro’luk bir bütçeye ulaşması hedeflenmiştir. Program ortakları 25’i AB üyesi olan 33 ülkeden, çok çeşitli alanlarda faaliyet gösteren toplamda 85 örgütten oluşmaktadır. Bunların 29’u araştırma kurumları veya bakanlıklar, 12’si araştırma enstitüsü, 22’si üniversite, 11’i hastane, 5’i AB araştırma altyapı kuruluşu, EURORDIS ve 5’i vakıf kuruluşudur. Bu programdaki araştırmalar dört sütun üzerinde planlanmıştır: birincisi işbirliği araştırma fonu, ikincisi dönüştürücü NH araştırmalarının desteklenmesi, üçüncüsü kapasite geliştirme ve dördüncüsü de yüksek potansiyelli projeleri hızlandırmak ve klinik çalışmaların sonuçlarını geliştirmektir.

2.6. AVRUPA REFERANS AĞLARI

AB’nin yaşlanan nüfus, sağlık tehditleri, sınır ötesi sağlık hizmetleri gibi halk sağlığı konuları içinde gördüğü ve öncelikli olarak değerlendirip Birlik düzeyinde ele aldığı sağlık gündemindeki konulardan biri de NH’dir. AB Komisyonu uzun yıllardır

¹¹⁶ International Rare Diseases Research Consortium (IRDİRC), www.irdirc.org (10.07.2017).

¹¹⁷ IRDiRC, “The 3rd IRDiRC Conference: Working towards New Rare Disease Research Goals for the Next Decade”, <http://www.irdirc.org/the-3rd-irdirc-conference-working-towards-new-rare-disease-research-goals-for-the-next-decade/> (21.11.2018).

¹¹⁸ European Joint Programme Rare Diseases, <https://www.ejprarediseases.org/> (21.11.2018).

devam eden çalışmalarının sonucunda, NH alanında çalışan uzmanların bilgi ve deneyimlerini birleştirerek güçlendirmek, geniş çaplı araştırmalar yapılmasını sağlamak, yeni tanı ve tedavi yöntemleri geliştirebilmek için, NH'yle ilgili merkezleri ortak ağlarda birleştiren bir sistem olan ARA'yı kurmuştur.¹¹⁹ Sistem sayesinde ağdaki merkezlerden birisinde çalışan bir NH uzmanı, sistemde biriken verilerden yararlanabilecek, araştırmalar yapabilecek ve gerekirse başka bir merkezde eğitim alabilecektir. Hastalar ise bulundukları yerden Avrupa'daki en ileri merkezlere ve en iyi uzman görüşlerine ulaşabileceklerdir.

ARA sistemindeki temel anlayış *işbirliğidir* (Şekil 1). Buna göre sistem önce NH'yi gruplara ayırmakta ve sonra da Avrupa'daki aynı hastalık grubuna bakan NH merkezlerini sanal bir ağda biraraya getirmektedir. Böylece hastaların veya uzmanların bulundukları yerden en iyi bilgi ve deneyime ulaşabilmeleri hedeflenmiştir. Zira bu ağlara katılan merkezler belli standartlara kavuşacak, uzmanlar eğitimler alacak ve hastalar da buradaki konsültasyon sisteminden yararlanacaklardır. Bu sistem sınır ötesi sağlık hizmetlerinde hasta hakları açısından da çok büyük bir aşama olacaktır. Çünkü bu sistemden çıkacak kararlar hasta Avrupa'daki en iyi merkeze geri ödeme koşulları sağlanmış olarak gidebilecektir. ARA sisteminin bir başka amacı da belli bilimsel ölçütleri sağlamış yeni ulusal merkezlerin kurulmasına kılavuzluk yapmaktır. Ayrıca, sağlık alanındaki harcamalardan ciddi bir tasarruf sağlanacağını da unutmamak gerekir.

Şekil 1: ARA'nın Temel Çalışma Yöntemi



Kaynak: European Commission, "Public Health", https://ec.europa.eu/health/home_en (10.07.2017).

¹¹⁹ Official Journal of the European Union, "Commission Implementing Decision of 10 March 2014 setting out criteria for establishing and evaluating European Reference Networks and their Members and for facilitating the exchange of information and expertise on establishing and evaluating such Networks (Text with EEA relevance) (2014/287/EU)", Cilt:147, 17.05.2014, ss. 79-87.

2.6.1. Avrupa Birliği'nin Çalışma Yöntemi: Projeler

AB hemen her konuda planladığı bir olguyu hayata geçirmeden önce projelerle denemektedir. Bu AB'nin temel çalışma yöntemlerinden biridir. ARA sistemi kurulmadan önce de AB, bir taraftan NH'nin nasıl yönetilmesi gerektiğiyle ilgili hem bilimsel hem de mevzuata yönelik çalışmalarını yapmıştır. Ayrıca, bir taraftan da olası sorunları yaşayarak görmek ve çözmek için, NH'yle ilgili pek çok projeyi hayata geçirmiş veya var olan projeleri desteklemiştir. Bu yöntemle ARA sisteminin en az sorunla başlaması sağlanmıştır. 2000'li yılların başından beri devam eden ya da yeni başlatılan bu projelerle; ulusal merkezlerin kuruluş ölçütlerinin belirlenmesi, hasta gruplarının ve derneklerinin görüşlerinin alınarak desteklerinin sağlanması, NH merkezlerinin ağlarda birleştirilmesi için AB mevzuatının hazırlanması ve kişisel verilerin korunması gibi pek çok konuda somut veriler elde edilmiştir.¹²⁰ AB'nin maddi ve teknik destek sağladığı çok sayıdaki proje arasında en önemli olanlara değinilecektir (Tablo 4).

Tablo 4: Komisyon Tarafından Desteklenen NH'yle İlgili Önemli Projeler¹²¹

Proje adı	Amacı
EURORDIS	Avrupa'daki hasta derneklerini, hasta ve hasta yakınlarını desteklemek ve bilgilendirmek
ORPHANET	Hekimler ve hastalara güncel ve güvenli bilgiler sağlayarak NH'de farkındalığı artırmak.
ECORN-CF CARE-NMD	Kistik fibroz ve Duchenne muscular distrofi hastalığı ile ilgilenen klinikler arasında işbirliği kurmak, hastalara bilgi sağlayarak destek olmak
RARECARE	Nadir kanserlerin epidemiyolojisini tespit etmek
EUROCAT	Doğumsal anomalilerle ilgili epidemiyolojik veri elde etmek
EUROPLAN	NH konusunda ulusal eylem planı hazırlayan üye ülkelere destek olmak

Kaynak: European Commission, "Reaching out to Rare Disease Patients across Europe", https://ec.europa.eu/chafea/health/archives/documents/health/leaflet/rare_diseases.pdf (10.07.2017).

¹²⁰ İbrahim Gülhan, "Nadir Hastalıklar ve Avrupa Birliği Sağlık Politikasında Derinleşme: Avrupa Referans Ağları", **Çalışma ve Toplum**, Cilt: 58, Sayı: 3, 2018, (Çalışma) ss. 1287-1306.

¹²¹ Proje isimleri uluslararası ortamda tanındıkları şekliyle kullanılmıştır.

2.6.1. 1. EURORDIS

Avrupa’da güçlü bir sivil toplum geleneği bulunmaktadır. Bu anlamda, NH’yle ilgili olarak da hasta ve hasta yakınlarını temsil eden yüzlerce dernek kurulmuştur. EURORDIS¹²² bu yüzlerce derneği aynı çatı altında birleştiren uluslararası bir örgüttür. Kendini NH’yle mücadeleye adanmış örgüt hem halkı bilgilendirmek hem de ulusal ve uluslararası otoriteler üzerinde baskı oluşturmak için faaliyet göstermektedir. EURORDIS’in içinde 28’i AB üyesi olan toplam 70 ülkeden 837 dernek temsil edilmekte ve yaklaşık 5000 farklı NH kapsamaktadır.¹²³ Yaklaşık 30 milyon hastayı temsil eden ve onların sesi durumunda olan örgüt 1997’de kendi olanaklarıyla kurulmuş olmakla birlikte, günümüzde hem üye ülkeler hem de Komisyon EURORDIS’i maddi olarak desteklemektedir. Bu örgütün farkındalık oluşturmak için 29 Şubat 2008’de bir Avrupa faaliyeti olarak başlattığı etkinlik günümüzde bütün dünyada kabul gören ‘*Nadir Hastalıklar Günü*’ne dönüşmüştür.

EURORDIS’in bugüne kadarki kazanımları şunlardır: 1999 yılındaki *Yetim İlaçlar Yasası*’ndan itibaren bütün AB NH mevzuatının oluşumuna katkı sağlayan EURORDIS’in, bu konudaki en temel belge olan 2011 yılındaki *Hasta Hakları Yönergesi*’nde de katkısı bulunmaktadır. Bunun yanında AB sağlık politikası ve araştırma programlarındaki önceliklerin belirlenmesi ve üye ülkelerin ulusal NH planlarının yapılması sürecine; NH’yle ilgili 1100’den fazla ilacın geliştirilmesine; Avrupa’daki NH konferanslarına ve NH günü etkinliklerine destek vermiştir. Ancak EURORDIS’in en büyük katkısı ARA sistemindeki karar verme mekanizmalarında hasta derneklerinin de yasal olarak bulunma zorunluluğu getirilmiş olmasıdır. EURORDIS *Uluslararası NH Birliğine* de ev sahipliği yapmaktadır. EURORDIS’in içinde kurulmuş olan bu küresel birlik Mayıs 2018 itibarıyla 34 ülkeden 54 üyeye sahiptir.¹²⁴

Ülkemizden de NH alanında kurulmuş beş dernek EURORDIS üyesidir. Bunlar Kistik Fibrozis Derneği, Türkiye Mukopolisakkaridaz ve Benzeri Lizozomal Depo Hastalıkları Derneği, Pulmoner Hipertansiyon ve Siklereoderma Hasta Birliği, SMA Hastalığı ile Mücadele Derneği ve Yüzüme Mutluyum Derneğidir. Son

¹²² EURORDIS, Rare Disease Europe.

¹²³ EURORDIS, "About Eurordis", <http://www.eurordis.org/about-eurordis> (10.07.2017)

¹²⁴ EURORDIS, "About Eurordis", <http://www.eurordis.org/about-eurordis> (10.07.2017).

zamanlarda bu derneklerin de aralarında olduğu dokuz NH derneği, NH Hastalıkları Ağı ismiyle bir şemsiye örgüt kurmuşlardır.¹²⁵

2.6.1.2. ORPHANET

Bir internet portalı olan *ORPHANET*,¹²⁶ Avrupa’da NH ve bu hastalıkların ilaçlarıyla ilgili güvenli bilgiler içermektedir. NH alanındaki çok önemli sivil toplum oluşumlarından birisi olan *ORPHANET*, 1997 yılında Fransa Sağlık Bakanlığı tarafından kurulmuştur. Halen AB tarafından da desteklenen *ORPHANET*, NH alanında dünya çapında güvenilir bilgi sağlayan en önemli kaynaklardandır.¹²⁷ Bütün üye ülkelerden veri toplayan *ORPHANET*’in sitesinde 6000’e yakın NH’nin uzmanlık düzeyinde geçerli olan bilgileri kayıtlıdır. Burada yalnızca NH bulgu ve semptomları değil NH için kullanılan ilaçların bir envanteri de bulunmaktadır. Hergün binlerce kişinin ziyaret ettiği sitede, altı dilde elektronik ansiklopedi ve açık erişimli bilimsel dergi (*Orphanet Journal of Rare Diseases*) yayınlanmaktadır. Avrupa’daki NH uzmanlık merkezleri ve laboratuvarları; devam etmekte olan ulusal ve uluslararası araştırma projeleri de sürekli güncellenerek hasta ve hekimler bilgilendirilmektedir. *ORPHANET* ayrıca NH konusunda geliştirilen politikalara etki etmek üzere, mevcut durumu ve kendi önerilerini bir rapor haline getirerek ilgili tarafların bilgisine sunmaktadır.¹²⁸

2.6.1.3 CARE-DMD Projesi

Çocuklarda görülen en sık sinir-kas hastalığı olan Duchenne Muskular Distrofi (DMD) hastalığı için başlatılan *CARE-DMD* projesi, Avrupa’daki en iyi uzmanları ve merkezleri biraraya getirerek en iyi klinik uygulama kılavuzlarını oluşturmayı amaçlamıştır.¹²⁹ Tamamı AB tarafından finanse edilen ve 2010 yılında başlatılan proje

¹²⁵ Nadir Hastalıklar Ağı, <http://www.nadirhastaliklaragi.org.tr/uyeler> (11.07.2019).

¹²⁶ ORPHANET- Nadir hastalıklarda kullanılan nadir ilaçlara (Orphan Drugs) atfen bu isim verilmiştir.

¹²⁷ ORPHANET, www.orpha.net/ (10.07.2017).

¹²⁸ ORPHANET, www.orpha.net/ (10.07.2017).

¹²⁹ European Commission, “Reaching out to Rare Disease Patients across Europe”, https://ec.europa.eu/chafea/health/archives/documents/health/leaflet/rare_diseases.pdf (10.07.2017).

ile DMD hastalığındaki yeni tedaviler için uzmanlar arasında uzlaşma sağlanmakta ve bu yeni tedavilerin yaşam kalitesine olan etkileri incelenmektedir.

DMD yalnızca erkek çocukları etkileyen ve 1/6000 sıklığında görülen bir kas-sinir hastalığıdır. Doğum sırasında normal olan bu çocuklarda, ilk bulgular 3-5 yaşlarında ayağa kalkmada zorluk gibi belirtilerle başlar. Daha sonraki dönemlerde ilerlemeye devam eden kas zayıflığı, yaklaşık 10 yaşında tekerlekli sandalyeye bağımlı hale getirir. Diğer organların da etkilenmesiyle tabloya solunum yetmezliği ve kalp hastalığı da eklenir. Hastalık birçok farklı sistemi etkilediğinden, tedavide multidisipliner bir yaklaşım gerekmede ve ancak bu şekilde yaşam kalitesi ve süresi iyileştirilebilmektedir. Projenin amaçlarından birisi de beklenen yaşam süresini iyi bir bakımla uzatabilmektedir.¹³⁰

2.6.1.4. EUROCAT Projesi

Doğumsal (konjenital) anomaliler hem anne karnında hem de süt çocukluğu ve çocukluk döneminde çok önemli bir ölüm ve sakatlık nedenidir. *EUROCAT*¹³¹ projesinin amacı, doğumsal anomalileri takip ederek olası etkenleri tespit etmek üzere daha önce kurulmuş olan toplum tabanlı kayıt sistemlerini birleştirmektir.¹³² Bilindiği gibi doğumsal anomaliler hem hasta ve hasta yakınları hem de toplum için yaşam boyu devam eden ağır maddi ve manevi yükler getirirler.

EUROCAT projesi günümüzde çok büyük bir hacme ulaşmıştır. Öyle ki yılda 20 Avrupa ülkesinden yaklaşık 1,5 milyon doğum bu projeye izlenmekte ve doğumsal anomalilerle ilgili en son bulgular, korunma yöntemleri, risk faktörleri, doğum öncesi tarama ve tanı önerileri bütün uzmanların yararlanması için yayınlanmaktadır. Zira doğumsal anomalilerin en önemli etkenlerinden olan çevresel faktörler de ancak bu şekilde ortaya çıkarılabilir. Böyle bir proje daha erken başlasaydı belki de tıp tarihindeki en büyük facialardan birisi olan bazı anomalili doğumlardaki Thalidomide ilacının rolü daha erken ortaya çıkarılabilirdi.¹³³

¹³⁰ CARE DMD, <http://en.care-nmd.eu/> (10.07.2017).

¹³¹ EUROCAT, European Surveillance of Conenital Anomalies.

¹³² European Commission, “EUROCAT”, www.eurocat-network.eu (10.07.2017).

¹³³ 1957 yılında bir uyku ilacı olarak Contergan adıyla piyasaya çıkan ve etken maddesi Thalidomide olan bu ilaç, ilerleyen dönemlerde gebelikte kullanıma bağlı olarak bebeklerde özellikle el ve ayaklarda anomalilere yol açtığı anlaşılmış olması üzerine piyasadan çekilmiştir. Oysaki ilaç ilk çıktığında

2.6.1.5. EUROPLAN Projesi

ARA kurulmadan önce üye ülkelerin kendi merkezlerini kurmaları ya da var olan merkezleri belli standartlara getirmeleri gerekmektedir. Zira Konsey üye ülkelere ulusal NH planlarını yapmalarını ve bir yol haritası çıkarmalarını tavsiye etmişti. Ancak bu süreç Komisyon'un hem maddi hem de teknik desteğini gerektirmekteydi. Bu desteği sağlayabilmek için Komisyonun tarafından 2008-2011 dönemi için *EUROPLAN*¹³⁴ projesi başlatılmıştır. Projenin temel amacı, Konsey tarafından tavsiye edilen ulusal planların yapılması konusunda üye ülkelere yardım etmektir. Bu projenin hedefi kurucu antlaşmalarda AB'ye verilen yetkinin sınırlarıyla tam olarak örtüşmektedir. Üye ülkeler, aday ülkeler ve EURORDIS bu projenin paydaşları arasındadır. 2008 yılında ulusal NH planını yapan ilk ülke olan Fransa, 2018'de üçüncü planını yaparak diğer ülkeleri geride bırakmıştır. 2008 yılında Fransa ile birlikte dört ulusal plan yapılmışken, bugün itibarıyla 25 ülke ulusal planlarını yapmış olup artık planlamaktan faaliyete geçme aşamasına gelmişlerdir.

2.6.1.6. ECORN-CF Projesi

Bu proje, akciğerleri ve pankreası tutan kalıtsal bir hastalık olan ve Avrupa'da nispeten daha fazla görülen kistik fibrosis hastalığı için oluşturulmuştur. *ECORN-CF*¹³⁵ projesi ARA sistemi kurulmadan önce, ona benzer bir modeli kistik fibrosis hastalığında denemeyi amaçlamıştır. AB tarafından 2007 yılında başlatılan projede, Avrupa çapında referans merkezleri ortak bir ağda birleştiriliyordu. Böylece ARA sisteminin de amacı olan, bilgi ve deneyim birikimi ve ileri sağlık hizmetine kolay

yüksek dozları bile güvenli bulunmuştur. İlacın Avrupa'da kullanıldığı 1950-60 yılları arasında yaklaşık 12.000 bebek, kollarında, ellerinde, bacaklarında, kulaklarında ve iç organlarında sakatlıklarla dünyaya geldi. Nedeni anlaşıncaya kadar radyoaktivite, virüsler ve çeşitli kimyasallar gibi birçok etken suçlandı, ancak 1961 yılında pediatrist Dr. Widukind Lenz, yaptığı araştırmalarla çocuklardaki sakatlıklar ile gebelikte talidomid kullanımı arasında bir bağlantı olduğunu gösterdi. Bu sonuçtan sonra talidomid satışı önce Almanya'da ve akabinde bütün dünyada durduruldu. Yaşanan bu trajedi, ilaçların güvenilirliğinin artırılmasına yönelik sonraki çalışmalar için de bir zemin hazırlamış oldu. Detaylar için bkz. Cüneyt Kemal Buharalıoğlu ve Gökçe Yıldırım Buharalıoğlu, "Talidomit Faciasının Farmakovijilans Etkinliklerinin Gelişimi Üzerine Etkisi", **Mersin Üniversitesi Sağlık Bilimleri Dergisi**, Cilt:12, Sayı:1, 2019, ss. 136-142.

¹³⁴ EUROPLAN, European Project for Rare Diseases National Plans Development.

¹³⁵ ECORN-CF, European Centres of Reference Network for Cystic Fibrosis.

erişimle ilgili pratik sorunlar ve çözümler tespit edilecekti. Bu proje hekimleri ve sağlık merkezlerini olduğu kadar hastaları da kapsamıştır.¹³⁶

2.6.1.7. RARE-CARE Projesi

Nadir kanserler NH'nin önemli bir alt grubudur. Avrupa'da görülen nadir kanserlerin bir bütün olarak izlenebilmesi için RARECARE projesi başlatılmıştır. AB'nin finansal desteğiyle 2007 yılında hazırlanan proje; Avrupa'daki nadir kanserlerin izlenerek insidans, prevelans ve sağkalım¹³⁷ oranlarının tespit edilmesini amaçlamış ve 14 Avrupa ülkesinden çeşitli kuruluşlar projede biraraya gelmiştir.¹³⁸ Proje ile nadir kanserlerin takip ve tedavisinde kullanılan toplum tabanlı veriler yoğun bir şekilde toplanmaya başlamıştır. Bu projenin bugüne kadarki verileri göstermiştir ki, tek tek yaygınlığı anlaşılmayan nadir kanserler, bir araya geldiğinde toplam kanser prevalansının %19-22'si gibi oldukça yüksek bir orana ulaşmaktadır.¹³⁹

2.6.2. Avrupa Birliğinde Nadir Hastalıklar ve Birlik Mevzuatı

Avrupa'da 27-36 milyon insanı etkilediği tahmin edilen NH'yi AB uzun yıllardır bir *halk sağlığı sorunu* ve *öncelikli alan* olarak belirlemiştir. AB'nin NH'yle ilgili çalışmalarını 1993 yılında çıkardığı *Halk Sağlığı Eylem Çerçevesine* kadar götürebiliriz. Zira bu belgede ilk kez NH'den bahsedilmekte ve bir öncelikli alan olarak vurgulanmaktadır.¹⁴⁰

Her ne kadar diğer genel müdürlüklerin de sağlığı ilgilendiren pek çok proje ve politikası olsa da NH'yle ilgili Birlik düzeyinde yürütülmekte olan çalışmaların büyük çoğunluğu, DG SANTE tarafından yapılmakta ve '*Halk Sağlığı*' başlığı altında toplanmaktadır.¹⁴¹ Komisyon NH'yle ilgili olarak kendisine şu hedefleri koymuştur:

¹³⁶ ECORN-CF, "Expert Advice on Cystic Fibrosis", <https://ecorn-cf.eu/index.php?id=60> (10.07.2017).

¹³⁷ Prevelans, bir hastalığın sıklığını; insidans, bir yılda görülen yeni vaka sayısını ve sağkalım da hastalığa yakalandıktan sonra belirli bir sürede (örneğin 5 yıl) sağ kalanların oranını ifade etmek için kullanılan terimlerdir.

¹³⁸ RARECARE, "Surveillance of Rare Cancers in Europe", www.rarecare.eu/ (10.07.2017).

¹³⁹ RARECARE, Surveillance of Rare Cancers in Europe.

¹⁴⁰ Commission of the European Communities, "Commission Communication on the Framework for Action in the Field of Public Health", **Office for Official Publications of the European Communities**, 1993. <http://aei.pitt.edu/5792/1/5792.pdf> (10.07.2017).

¹⁴¹ European Commission, "Public Health", https://ec.europa.eu/health/home_en (10.01.2016).

NH'nin tanınırlığını artırmak; Avrupa'daki sağlık sistemlerinin tamamında NH'nin ortak kodlanmasını sağlamak; ulusal planlarını yaparken üye ülkeleri desteklemek; işbirliğini Avrupa düzeyine taşımak; NH merkezlerini birbirine bağlayarak uzmanlara erişimi kolaylaştırmak; daha fazla araştırma yapılabilmesini sağlamak; güncel NH tarama uygulamalarını geliştirmek ve NH kayıt merkezlerini destekleyerek bir Avrupa Kayıt Platformu oluşturmak.¹⁴²

Birlik düzeyinde NH'yle ilgili 2000'lerin başından itibaren büyük bir ivme izlenmektedir. Bu ivme NH ilaçları hakkındaki AB tüzüğüyle başlamaktadır.¹⁴³ Aralık 1999'da kabul edilip 2000 yılında yürürlüğe giren bu tüzükle AB, NH'ye karşı Birlik düzeyindeki 1993'ten sonra başlayan ilgisini perçinlemekte ve NH'yle ilgili sağlık politikaları belirleyerek bu alanda hastaların tanı, tedavi ve takip olanaklarını geliştirmeyi amaçlamaktadır. Tüzük özellikle NH alanında ilaçlar geliştirilmesi ve pazarlanması konularına değinerek bu konularda teşvikler getirmektedir. Bu tüzüğü Komisyonun 2008 yılındaki NH'yle ilgili tespitleri içeren *'Nadir hastalıklar: Avrupa'nın zorlukları'* başlıklı tebliği izlemekte ve burada NH'nin tanınırlığının artırılması ve işbirliği yapılması zorunluluğu ve konunun Birlik düzeyinde ele alınması gerekliliği vurgulanmaktadır.¹⁴⁴ Bu belgeden sonra ise Konseyin 2009 yılındaki NH'yle ilgili eylem önerisi gelmektedir.¹⁴⁵ Genel olarak bu iki belgede NH'yle ilgili plan ve projeler, NH'nin tanımlanması, kodlanması ve envanterinin çıkarılması, araştırma, uzmanlık merkezleri ve ARA, hasta örgütlerinin güçlendirilmesi ve sürdürülebilirlik konularına değinilmektedir. 2008 yılındaki tebliğin öngördüğü amaçlara paralel olarak, 2009 yılında üye ülke Sağlık Bakanlarından oluşan Avrupa Konseyi tarafından NH için eylem önerileri yayınlanmıştır.¹⁴⁶ Bu önerilerde, üye ülkelerin ulusal plan ve stratejilerini 2013 yılına kadar tamamlamak zorunda oldukları vurgulanmakta ve bilgi ve uzmanlık paylaşımı

¹⁴² Gülhan, Çalışma, ss. 1287-1306.

¹⁴³ Official Journal of the European Communities, "Regulation (EC) No 141/2000 of the European Parliament and of the Council, on Orphan Medicinal Products", 22.01.2000, <http://eur-lex.europa.eu/legal-content/EN/TXT/PDF/?uri=CELEX:32000R0141&from=EN>. (10.07.2017).

¹⁴⁴ Communication from the Commission to the European Parliament, the Council, the European Economic and Social Committee and the Committee of the Regions on Rare Diseases, "Europe's Challenges", **COM (2008) 679 Final**, Aralık 2008, http://ec.europa.eu/health/ph_threats/non_c-com/docs/rare_com_en.pdf (10.07.2017).

¹⁴⁵ European Council, "Council Recommendation on an Action in the Field of Rare Diseases", **2009/C 151/02** <http://eurlex.europa.eu/LexUriServ/LexUriServ.do?uri=OJ:C:2009:151:0007:0010:EN:PDF>. (10.07.2017).

¹⁴⁶ Council Recommendation, 2009/C 151/02.

için Avrupa referans ağlarının kurulması ve araştırmalar yapılması teşvik edilmektedir.

AB'nin NH'yle ilgili belki de en önemli resmi belgesi ise 2011 yılında çıkarılan ve 12. maddesinde ARA'ların kuruluşunun öngörüldüğü, bunun dışında sağlıkla ilgili pek çok başka alanda da düzenlemeler içeren '*Hasta Hakları Yönergesi*'dir.¹⁴⁷ Sağlıkla ilgili pek çok konuyu düzenleyen bu yönergenin NH alanıyla ilgili sağlamaya çalıştığı amaçları ise şunlardır: hastaların farklı üye ülkelerdeki sağlık hizmetine erişimini kolaylaştırmak; üye ülkeler arasındaki işbirliğini geliştirmek; mevcut bütün uzmanları aynı şemsiye altında birleştirerek ARA sisteminin kurulmasını sağlamak ve böylece hastaların tedavilerini geliştirmek. Bu *Yönerge*, 2013 yılında bütün üye ülkelerde uygulamaya konularak ARA sisteminin de yasal altyapısını oluşturmuştur.

Birlik tarafından çıkarılan çalışma programlarında uzun bir süredir NH de yer almaktadır. Ocak 1999- Aralık 2003 dönemini kapsayan ve '*Nadir Hastalıklar Birlik Eylem Programı*' başlığıyla çıkarılan ilk program, NH konusunda da *sağlığın yüksek düzeyde korunması* amaçlamış ve bu hastalıklar hakkındaki bilgiyi geliştirmeyi ve bilgiye erişimi kolaylaştırmayı hedeflemiştir.¹⁴⁸ Takip eden dönemde ise 2008-2013 yılları için *Sağlık Alanında Birlik Eylemi İkinci Programı* oluşturularak, NH öncelikli bir alan haline getirilmiştir.¹⁴⁹ 2014-2020 dönemini için çıkarılan '*Büyüme İçin Sağlık*' başlıklı *Sağlık Alanında Birlik Eylemi Üçüncü Programı* da ikinci program gibi NH'yi bir öncelik alanı olarak kabul etmiştir.¹⁵⁰

ARA sistemine giden yolu başlatan en önemli adım ise, DG SANTE tarafından 2004 yılında RTDF'nin kurulması olmuştur.¹⁵¹ Üye ülkelerden, Avrupa Komisyonundan ve DSÖ'den uzmanların biraraya gelmesiyle oluşturulan grubun en temel görevi; ilgili birimler arasında bilgi alışverişini hızlandırmak ve Komisyona NH konusunda bilgi vermek olarak belirlenmiştir. 'Avrupa referans merkezleri ağı'

¹⁴⁷ Directive of the European Parliament and of the Council, EC 2011/24/EU.

¹⁴⁸ Programme of Community Action on Rare Diseases (1999 – 2003), Decision No 1295/99/EC.

¹⁴⁹ European Commission, "The Second Programme of Community Action in the Field of Health 2008-2013", http://ec.europa.eu/health/ph_programme/documents/prog_factsheet_en.pdf (10.07.2017).

¹⁵⁰ Official Journal of the European Union, "Regulation (EU) No 282/2014 of the European Parliament and of the Council of 11 March 2014 on the Establishment of a Third Programme for the Union's Action in the Field of Health (2014-2020) and Repealing Decision No 1350/2007/EC Text with EEA Relevance", Cilt: 86, 2014, ss. 1-13.

¹⁵¹ Official Journal of the European Union, "European Commission, Commission Decision (2004/192/EC) of 25 February 2004 Adopting the Work Plan for 2004 for the Implementation of the Programme of Community Action in the Field of Public Health (2003 to 2008), Including the Annual Work Programme for Grants (Text with EEA relevance)", Cilt:60, 2004, ss. 58-70.

kurulması için çalışmalarda bulunan grup, oluşturulacak pilot projeler için şu önerileri getirmiştir. Ulusal veya bölgesel merkezler arasında hiyerarşi bulunmamalıdır. Tecrit edilmiş referans merkezleri yerine birbiriyle bağlantılı uzmanlaşmış merkezler kurulmalıdır. Hastaların değil uzmanlaşma olgusunun hareketliliği temel yaklaşım olmalı ancak gerektiğinde hastaların merkezlere ulaşımı kolaylaştırılmalıdır. Hem hasta yoğunluğunu karşılamak, hem de doğru tanı koyabilmek ve iyi uygulama kılavuzları çıkarabilmek için yeterli kapasite olmalıdır. Multidisipliner bir yaklaşım esas alınmış olmalıdır. Çeşitli şekillerde belgelenmiş yüksek düzeyde uzmanlık ve deneyim bulunmalıdır. Güçlü araştırmalar yapabilmelidir. Ulusal ve uluslararası düzeydeki diğer merkezlerle ve hasta dernekleriyle yakın işbirliği içinde olmalıdır.¹⁵²

Pilot projeler için yukarıdaki önerileri oluşturan *RTDF*, '*Avrupa Referans Merkezleri Ağı*'nın test edilebilmesi için Komisyona bir pilot proje çağrısında bulunmuştur. Bu çağrıyı dikkate alan 2006 yılındaki *Halk Sağlığı Programı*, bu merkezleri yeni bir öncelik olarak programa dahil etmiş ve proje başvurularını almaya başlamıştır. Bu süreçte NH alanında bir referans merkezleri ağı kuran 10 pilot proje desteklenmiştir.¹⁵³

Komisyon, 30 Kasım 2009 tarihinde *RTDF*'yi sonlandırarak, NH alanındaki her çeşit çalışmayı yürütmek üzere EUCERD'i kurmuştur.¹⁵⁴ NH konusundaki Birlik faaliyetlerini hazırlamak ve uygulamak için kurulan EUCERD, hem uzmanlarla hem de farklı paydaşlarla çalışarak deneyim, politika ve uygulama paylaşımını sağlamıştır.¹⁵⁵ EUCERD'in yapısında üye ülkelerden birer kişi, hasta derneklerinden dört kişi, ilaç endüstrisinden dört kişi, sağlık programlarından fonlanan Birlik projelerinden 9 kişi, *Birlik Çerçeve Programlarından* fonlanan NH projelerinden 6 kişi ve *Avrupa Hastalık Kontrol ve Önleme Merkezinden* bir kişi olmak üzere toplam 51 kişi bulunmaktadır. Bu grubun NH konusundaki en önemli katkısı ise, 2011 yılında

¹⁵² RDTF, Report.

¹⁵³ European Commission, "Implementation Report on the Commission Communication on Rare Diseases", **Europe's challenges and Council Recommendation of 8 June 2009 on an action in the field of Rare Diseases**, 05.09.2014 COM(2014) 548 final, https://ec.europa.eu/health/sites/health/files/rare_diseases/docs/2014_rarediseases_implementationreport_en.pdf (10.07.2017).

¹⁵⁴ Official Journal of the European Union, "Commission Decision of 30 November 2009 establishing a European Union Committee of Experts on Rare Diseases (2009/872/EC)", Cilt: 315, 2009, ss. 18-21.

¹⁵⁵ Gülhan, Çalışma, ss. 1287-1306.

yeni merkez kuracak üye ülkelere yol göstermek üzere NH uzmanlık merkezlerinin kalite ölçütlerini yayınlamış olmasıdır.¹⁵⁶

2014 yılında EUCERD de Komisyon'un aldığı bir kararla sonlandırılarak yerine 2014-2016 dönemi için CEGRD kurulmuştur.¹⁵⁷ Grup, üye ülke ve paydaşların temsilcileri ile NH uzmanlarından oluşmaktadır. Komisyonun başkanlığındaki bu gruba üye ülke yetkilileri, hasta örgütleri, tıbbi ürün ve ilaç temsilcileri, bilimsel derneklerin temsilcileri, NH alanında uzmanlık derecesinde yetkinliği olanlar dâhil edilmiştir. AB NH politikasını desteklemek amacıyla; kılavuz ve öneriler dâhil olmak üzere çeşitli politika belgeleri hazırlamak; Birlik ve ulusal düzeyde alınan önlemlerin sonuçlarını izlemek, değerlendirmek ve yaymak konusunda Komisyona tavsiyede bulunmak; Birlik ve üye ülke ulusal politikalarını değerlendirerek deneyim, politika ve uygulama paylaşımını hızlandırmak bu grubun temel görevleri arasındadır.¹⁵⁸ Grup Temmuz 2014'te toplantı yaparak bir kısa rapor hazırlamıştır.¹⁵⁹ Bu toplantıda NH'yle ilgili o zamana kadar sağlanan gelişmelere ilişkin bütün maddeler güncellenmiştir. Grubun bir sonraki toplantısı 12 Kasım 2014'te yapılmış ve NH'de kodlamayla ilgili öneriler yayınlanmıştır.¹⁶⁰ ARA'ya dahil olacak NH'nin gruplandırılması ve sürece hastaların da dahil edilmesi yine bu grup tarafından tavsiye edilmiştir.¹⁶¹ Grup son olarak yayınladığı iki rapordan birincisinde farklı ülkelerde genetik test yapılmasının koşullarını belirlemiş, ikincisinde ise sosyal hizmetler ve politikaların sürece dâhil edilmesi; sağlık çalışanlarının eğitimi; ağları oluşturacak merkezlerin multidisipliner, bütünlükçü, insan haklarına saygılı ve süreklilik arz eden bir anlayışla kurulması;

¹⁵⁶ European Union Committee of Experts on Rare Diseases, "Recommendations on Quality Criteria for Centres of Expertise for Rare Diseases in Member States", 2011. http://www.eucerd.eu/?post_type=document&p=1224 (10.07.2017).

¹⁵⁷ Official Journal of the European Union, "Commission Decision of 30 July 2013 Setting up a Commission Expert Group on Rare Diseases and Repealing Decision 2009/872/EC", Cilt: 219, 2013, ss. 4-7.

¹⁵⁸ Gülhan, Çalışma, ss. 1287-1306.

¹⁵⁹ European Commission, "Commission Expert Group on Rare Diseases 2nd Meeting", 3-4.07.2014, https://ec.europa.eu/health/sites/health/files/rare_diseases/docs/ev_20140703_mi_en.pdf (19.02.2018).

¹⁶⁰ European Commission, "12 November 2014 Recommendation on Ways to Improve Codification for Rare Diseases in Health Information Systems", https://ec.europa.eu/health/sites/health/files/rare_diseases/docs/recommendation_coding_cegrd_en.pdf (19.02.2018).

¹⁶¹ European Commission, "10 June 2015 Rare Disease European Reference Networks: Addendum to Eucerd Recommendations of January 2013", https://ec.europa.eu/health/sites/health/files/rare_diseases/docs/20150610_erns_eucerdaddendum_en.pdf (19.02.2018).

ağların kendi aralarında ve hastalarla iletişiminin sağlanması ve NH'yle ilgili konuların ulusal sağlık sistemlerine dâhil edilmesi önerilerinde bulunmuştur.¹⁶²

CEGRD grubunun 2016 yılında sona ermesinden sonra NH için spesifik bir yapılanmaya gidilmemiştir. Bunun yerine 2018 yılında Komisyon tarafından '*Sağlığı Destekleme, Hastalıktan Korunma ve Bulaşıcı Olmayan Hastalıklarda Yönetim Grubu*' kurulmuş ve tamamıyla üye ülke temsilcilerinden oluşturulmuştur.¹⁶³ Yeni dönemde bu grubun CEGRD'in işlevlerini de yerine getirmesi beklenmektedir.

2.6.3. Avrupa Referans Ağlarının Kuruluşu

ARA'ya son şekli verilip kurulmadan önce 2013 yılında son iki proje daha hayata geçirilmiştir. Bu projelerden birisi epilepsi ve epilepsi cerrahisi diğeri ise çocukluk çağı kanserleri üzerinedir.¹⁶⁴ Böylece olası sorunlarla ilgili daha detaylı tespitler yapılarak, bu sorunların çözülmesi planlanmıştır. Bu iki proje de *Hasta Hakları Yönergesi* çerçevesinde oluşturulmuş ve *Halk Sağlığı Programı* 'ndan finanse edilmiştir.

ARA'nın NH ile ilgili resmi olarak belirlenen amaçları şunlardır: kılavuzlar, eğitim ve bilgi paylaşımı aracılığıyla tedavi olanaklarını geliştirmek; hastalar ve hasta yakınları dâhil temel paydaşların güvenli şekilde sürece dâhil olmasını sağlamak; hastalık doğasını anlamak için klinik çalışmalar ve araştırmalar yapmak ve klinik işbirliğini sağlamak için yeni bilgi teknolojilerini devreye sokmak.

Projeler ve mevzuat çalışmaları gibi birçok çabanın sonunda AB, ARA kuruluşu, prensipleri, çalışma yöntemi gibi konuları 2014 yılında aldığı kararla

¹⁶² European Commission, "13 November 2015 Recommendation on Cross-Border Genetic Testing of Rare Diseases in the European Union", https://ec.europa.eu/health/sites/health/files/rare_diseases/docs/2015_recommendation_crossbordergenetic_testing_en.pdf (07.09.2019); European Commission, "12 April 2016 Recommendations to Support the Incorporation of Rare Diseases into Social Services and Policies", https://ec.europa.eu/health/sites/health/files/rare_diseases/docs/recommendations_socialservices_policies_en.pdf (07.09.2019).

¹⁶³ Official Journal of the European Union, "Commission Decision of 17 July 2018 setting up a Commission Expert Group 'Steering Group on Health Promotion, Disease Prevention and Management of Non-Communicable Diseases' and Repealing the Decision Setting up a Commission Expert Group on Rare Diseases and the Decision Establishing a Commission Expert Group on Cancer Control (Text with EEA relevance.) C/2018/4492", Cilt:251, 2018, ss. 9-13.

¹⁶⁴ A European Pilot Network of Reference Centres in Refractory Epilepsy and Epilepsy Surgery (E-PILEPSY), http://www.liplyon1.fr/index.php?option=com_k2&view=item&id=162:epilepsy&Itemid=197&lang=fr (03.04.2018); European Expert Paediatric Oncology Reference Network for Diagnostics and Treatment (ExPO-r-NeT), <https://www.expornet.eu/> (03.04.2018).

somutlaştırmıştır.¹⁶⁵ ARA kuruluşu için ilk çağrı ise Temmuz 2016'da yapılmış, Aralık 2016'da kurulmaları *Üye Ülkeler Kurulu* tarafından onaylanmış ve Mart 2017'de 24 ARA faaliyete başlamıştır.¹⁶⁶ Bu ilk grup ARA Yunanistan, Malta ve Slovakya hariç olmak üzere 25 üye ülke ve Norveç'ten 313 hastanenin 900'den fazla ünitesini bir araya getirmiştir (Tablo 5).

ARA'nın günümüz itibarıyla finansmanı '*Sağlık Programı, Avrupa İletişim Aracı ve Ufuk 2020*' gibi çeşitli destek programlarından sağlanmaktadır.¹⁶⁷ ARA'nın kuruluş süreci ve gereken ölçütler ile üyelerinin seçimi AB mevzuatına dâhil edilmiştir.¹⁶⁸ Komisyonun sürekli ve büyük bir desteği olmakla birlikte, ARA sistemi temel olarak üye ülkeler tarafından yürütülür. Komisyon uygulama kararında gösterildiği gibi ARA'nın kurulması ve üyeliklerin oluşturulması veya sonlandırılmasında yetkili organ '*Üye Ülkeler Kurulu*'dur.¹⁶⁹ Kurul 28 üye ülkenin ve Avrupa Ekonomik Alanı ülkelerinin temsilcilerinden oluşur.¹⁷⁰ Üye ülkelerin ARA sistemiyle ilgili harcamalara nasıl katılacakları konusunda tam olarak açıklığa kavuşmayan noktalar bulunmaktadır. Burada en önemli sorun ARA sistemindeki konsültasyon sonunda başka bir ülkede tedavi olması gerektiğine karar verilen hastalardır. Bu noktada yine *Hasta Hakları Yönergesi* devreye girecektir. Zira yönergenin düzenlediği pek çok konudan birisi de başka bir ülkede tedavi ve geri ödeme koşullarıdır. AB ülkeleri 25 Ekim 2013 tarihine kadar bu yönergeyi kendi ülkelerinde yasalaştırdılar. Ancak ARA sistemindeki hastaların da diğer hastalar gibi

¹⁶⁵ Official Journal of the European Union, "Commission Implementing Decision of 10 March 2014 setting out criteria for establishing and evaluating European Reference Networks and their Members and for Facilitating the exchange of Information and Expertise on Establishing and Evaluating such Networks (Text with EEA Relevance) (2014/287/EU)", Cilt:147, 2014, ss. 79-87.

¹⁶⁶ European Commission, "Public Health", https://ec.europa.eu/health/rare_diseases/european_reference_networks_en (10.07.2017).

¹⁶⁷ European Commission, Public Health.

¹⁶⁸ Official Journal of the European Union, "Commission Delegated Decision 2014/286/EU of 10 March 2014 setting out criteria and conditions that European Reference Networks and healthcare providers wishing to join a European Reference Network must fulfil", Cilt:147, 2014, ss. 71-78.

¹⁶⁹ European Commission, "Rules of Procedures of The Board of Member States of the European Reference Networks (ERNs) (2014)4305124-19/12/2014", https://ec.europa.eu/health/sites/health/files/ern/docs/board_procedures_en.pdf (11.05.2019).

¹⁷⁰ European Commission, "ERN Board of Member States. Statement adopted by the Board of Member States on the definition and minimum recommended criteria for Associated National Centres and Coordination Hubs designated by Member States and their link to European Reference Networks Final November", 2017, https://ec.europa.eu/health/sites/health/files/ern/docs/boms_affiliated_partners_en.pdf (11.05.2019).

mi kabul edileceği yoksa ayrı düzenlemeler mi yapılacağı ve geri ödeme koşullarıyla ilgili detaylar sistem çalışmaya başladıktan sonra açıklığa kavuşacaktır.

Tablo 5: ARA Sistemindeki İlk Kurulan 24 Ağ

1	Kemik Hastalıkları Ağı
2	Baş ve Yüz Anomalileri Ağı
3	Endokrin Hastalıklar Ağı
4	Epilepsi Ağı
5	Böbrek Hastalıkları Ağı
6	Nörolojik Hastalıklar Ağı
7	Doğumsal Anomaliler Ağı
8	Solunum Hastalıkları Ağı
9	Cilt Hastalıkları Ağı
10	Yetişkin Kanseri Ağı
11	Kan Hastalıkları Ağı
12	Ürogenital Hastalıklar Ağı
13	Nöromuskular Hastalıklar Ağı
14	Göz Hastalıkları Ağı
15	Genetik Tümör Riski Sendromları Ağı
16	Kalp Hastalıkları Ağı
17	Doğumsal Anomaliler ve Nadir Bilişsel Hastalıklar Ağı
18	Kalıtsal Metabolik Hastalıklar Ağı
19	Çocukluk Çağı Kanseri Ağı
20	Karaciğer Hastalıkları Ağı
21	Kas İskelet ve Bağ Dokusu Hastalıkları Ağı
22	Bağımsızlık Sistemi Hastalıkları Ağı
23	Çocuklarda Organ Nakli Ağı
24	Multisistemik Damar Hastalıkları Ağı

Kaynak: European Commission, “European Reference Networks”, **Public Health**, https://ec.europa.eu/health/ern/networks_en (10.07.2017).

Komisyon’un belirlediği ölçütlere göre, bir ağ kurulabilmesi için en az 8 ülkeden 10 uzmanın bir grup oluşturması; sisteme katılmak isteyen her uzmanın ulusal sağlık otoritesi tarafından onaylanmış olması; bir ağı oluşturacak bütün uzmanların aynı konuda uzmanlaşmış olması gerekmektedir.

ARA sistemine dâhil olacak bir ağ, yukarıdaki ölçütlerin sağlanması ve ‘*Üye Ülkeler Kurulu*’ tarafından onaylanmasının ardından resmi olarak kurulmuş olur.¹⁷¹ Daha sonra yeni kurulan bir NH merkezin, NH merkezi olarak onaylanması ve mevcut

¹⁷¹ European Commission, “ERN Board of Member States. Statement on the Timeline for the designation of Associated National Centres and Coordination Hubs (Affiliated Partners) by the Member States”, 2018, https://ec.europa.eu/health/sites/health/files/ern/docs/2018_statementtimeline_ap_en.pdf (11.05.2019).

bir ağa katılmak için başvurusunun değerlendirilmesi üye ülke sorumluluğundadır. *Üye Ülkeler Kurulu* Komisyon tarafından 5 Şubat 2014 tarihinde kurulmuştur.¹⁷² Kurulun ana görevleri ağ önerilerini ve hekimlerin üyelik başvurularını onaylamak, hekimlerin var olan bir ağa üyeliğini onaylamak, bir ağın kapatılmasına karar vermek ve üyelikten çıkarmaya karar vermek olarak sayılabilir.¹⁷³

ARA çalışmaları genel olarak hastaların konsültasyonu, eğitim ve diğer bilimsel faaliyetlerden oluşmaktadır. Konsültasyonun temel mantığı ağ koordinatörlerinin, ağ içindeki uzmanları e-sağlık araçlarıyla ortak bir platformda buluşturarak hastalara ait verilerin değerlendirilmesini sağlamaktır. Bu sayede yalnızca hastaların en iyi tedavi olanaklarına ulaşması değil, aynı zamanda uzmanların farklı görüş ve yöntemleri öğrenmeleri de sağlanmış olur.

Bir hastanın teşhis ve tedavisini değerlendirmek üzere ARA koordinatörü özel olarak kurulmuş bilgi ve iletişim platformu ve tele-tıp araçlarını kullanarak farklı disiplinlerden uzmanların bulunduğu bir sanal danışma kurulu toplar. Hastalar ulusal sağlık hizmeti sunucusundan hizmet alırlar, hastayı takip eden uzman gerekli görürse ilgili ağdan sanal konsültasyon paneli aracılığıyla diğer merkezlerdeki uzmanların görüşlerine başvurabilir. Ağ bir uzmanlar kurulunu davet ederek konsültasyon panellerine katkı sunmasını ve olguyu tartışmalarını ister. Ağdaki her uzman isterse konsültasyon panellerine katkıda bulunabilirler. Teknik olarak bunun için önce kendisine gelen daveti kabul eden uzman, daha sonra gerekli görürse hasta hakkında ilave bilgi isteyebilir. Konsültasyon panelindeki herhangi bir uzman herhangi bir aşamada bir toplantı isteyebilir. Toplantı ayarlamak için toplantı ayarla butonuna basarak başlık, tarih ve saat belirtilir ve sonra farklı katılımcılar toplantıya davet edilir. Konsültasyon panelini açan yani genellikle danışılan hastayı tedavi etmekte olan hekim, aynı zamanda toplantı lideri olur. Bu hekim hastanın bütün klinik bilgisini bilgisayara girer ve panelin akışını belirler. Nadiren hastanın olduğu yerden başka bir merkezdeki hekim de hastayı tedavi eden hekim adına konsültasyon panelini açabilir. Yeni bir konsültasyon paneli açmak için hastayı tedavi eden hekim merkez uygulamasına girerek oradaki listeden hastanın ismini seçer. Hasta ismini tıklayarak

¹⁷² European Commission, Public Health.

¹⁷³ European Commission, "Rules of Procedures of The Board of Member States of The European Reference Networks (ERNs) (2014)4305124-19/12/2014", https://ec.europa.eu/health/sites/health/files/ern/docs/board_procedures_en.pdf (11.05.2019).

hasta için daha önce açılmış konsültasyonu görür ve ‘*yeni panel aç*’ butonuna tıklayıp burada çıkan formu doldurarak paneli başlatmış olur. Kasım 2017’de çalışmaya başlayan sistemde Mayıs 2018 itibariyle 100’den fazla hastanın konsültasyonu yapılmıştır.¹⁷⁴

Bir yönüyle ARA sistemi, dünyada başka örneği olmaya ileri bir e-sağlık ve teletıp uygulamasıdır.¹⁷⁵ Buna göre ARA’nın işleyiş sisteminin merkezinde üç temel e-sağlık uygulaması bulunmaktadır.¹⁷⁶ Birinci uygulama *ARA işbirliği platformudur*. Bu sistem ağların aktivitelerini desteklemek, üyeler arasındaki bağlantıyı kolaylaştırmak, belge yönetimi ve çeşitli faaliyetlerin organizasyonu için kurulmuştur. Hastalara ait bilgiler bu sistemde paylaşılmaz. Sistemde her ağa ait bir alan sağlanmıştır. Kullanıcıya destek için çeşitli olanaklar mevcuttur. Her ağa o ağın yöneticisi tarafından yetkilendirilmek suretiyle bir şifre ile giriş yapılır. İkinci uygulama *ARA hasta klinik yönetim sistemidir*. Bu sistem görüntüleme dâhil hasta bilgilerini paylaşmak için kurulmuş platformdur. Altyapıdaki temel sorun: bugüne kadar birçok ülkeyi kapsayan böyle bir sistem daha önce kurulmamış. Hastanın onamı alındıktan sonra ilgili uzman tarafından hasta bilgileri bu platformda paylaşılıp konsültasyona açılır. Bu süreç sonunda hasta bilgileri arşivlenir. Her ağın koordinatörü bu süreci yönetir. Üçüncü e-sağlık uygulaması ise *ARA internet sitesidir*. Teknik altyapıları AB tarafından desteklenen bu siteler, hem halkta hem de sağlık çalışanlarında farkındalığı artırmak için ağlara ait bilgileri içerir. Site aynı zamanda klinik kılavuzları, hasta kılavuzları ve ağ tarafından üretilmiş diğer bilgileri de içerebilir.

ARA’nın işleyişinde hem hasta kayıtları hem de konsültasyon için hasta onamlarının nasıl olması gerektiğine de yer verilmektedir. Temel onam formu ‘*ağ standart onam formu*’ ismiyle düzenlenmiş olup hasta veya yakınlarından üç konuda izin ister: tedavi amaçlı bilgi paylaşım izni, bilgilerin ağ veri tabanlarına kaydedilmesi izni ve araştırma gruplarına bağlantı kurma izni. Bu izin formu bir tedaviye izin formu

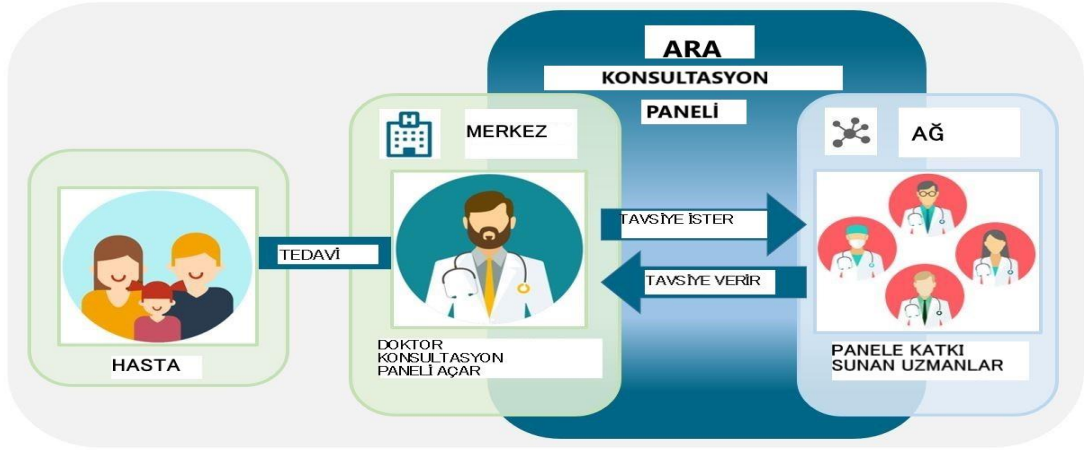
¹⁷⁴ Hedley ve diğerleri.

¹⁷⁵ İbrahim Gülhan, “A unique e-health and telemedicine implementation: European Reference Networks for rare diseases”, **Journal of Public Health (Berl.)**, 2019, <https://doi.org/10.1007/s10389-019-01052w> (15.10.2019).

¹⁷⁶ Conference Report, “Reference Networks Conference and ERN Kick-off meeting Vilnius”, Lithuania, 10.03.2017, https://ec.europa.eu/health/sites/health/files/ern/docs/ev_20170309_ag_en.pdf (17.10.2018).

değil, bir bilgi paylaşım izni formudur. Tedavi için izin konusu, tedaviyi yapan merkezin sorumluluğundadır. Hasta bilgi izinlerden bir veya birkaçını kabul edebilir. İzin formunda paylaşılacak hasta bilgileri arasında hastanın ismi, doğum tarihi ve kimlik numarası gibi kişiyi belirleyen özel bilgiler yer almayacağından, bu bilgiler veri tabanına kayıttan önce silinecektir. Ayrıca hasta iznini istediği zaman çekme hakkına sahiptir. Hastadan kayıt sistemine dâhil olması için izin istenirken, araştırmalarla ilgili olarak kendisiyle bağlantı kurulup kurulamayacağına da karar vermesi istenir. Burada istenen izin genel bir araştırma izni değil yalnızca spesifik olarak bir araştırmaya yönelik izindir. Hasta bilgilerinin güvenli saklanması yasal sorumlusu ağıdır. Hasta kendisiyle ilgili saklanan ve diğer ortamlarda paylaşılan bilgileri görme ve kendisiyle ilgili bilgilerin bir kopyasını alma hakkına sahiptir.

Şekil 2: ARA'nın İşleyiş Mekanizması



Kaynak: European Commission, “Public Health”, https://ec.europa.eu/health/home_en (15.08.2018).

ARA kuruluşuyla ilgili yasal belge olan *Hasta Hakları Yönergesi*'nin 12. maddesinin 2. fıkrasına göre ARA için sekiz amaç belirlenmiş olup, her ağ bu sekiz amaçtan en az üçünü benimsemek zorundadır. Bu sekiz amaç şunlardır: tıpta ve sağlık teknolojisindeki gelişmeler aracılığıyla hastalar için en yüksek düzeyde tedavi olanakları açısından Avrupa işbirliğinin potansiyelini ortaya çıkarmak; hastalıklardan korunma bağlamında bilgi birikimine katkıda bulunmak; uzmanların sayıca az olduğu yerlerdeki tanı ve tedavide yüksek kaliteli ve maliyet etkin hizmeti kolaylaştırmak;

kaynakları biraraya getirerek onları en yüksek maliyet etkinlik noktasına ulařtırmak; arařtırma ve epidemiyolojik takip yapılmasını saęlamak ve saęlık profesyonellerini eęitmek; uzmanların hem sanal anlamda hem de gerek anlamda hareketlilięini artırmak, bilgi üretmek ve yaymak, NH'nin tanı ve tedavisinin gelişmesini desteklemek; kalite ve güvenlik ölçütleri oluşturmak, en iyi klinik uygulamaları geliřtirmek ve bunları yaymak; özel tıbbi durumlar için gereken ileri düzeyde saęlık sistemi ve teknolojisinde yetersizlik bulunan üye ölkelere yardım etmek.

Herhangi yasal bir engel olmamasına rağmen, ölkemiz ARA sistemine henüz dâhil olmamıřtır. Zira bu konuyla ilgili olan saęlık bakanlıęı NH'yle ilgilenmek üzere Nadir Hastalıklar Daire Başkanlıęı birimini yeni kurmuř olup, bundan sonra hem NH merkezlerinin oluşturulması hem de bunların onaylanarak ARA sistemine katılması süreci başlayabilecektir. Aslında en başından beri AB NH'yle ilgili yaptıęı alıřmalara Türkiye'yi de dâhil etmiř ancak Türkiye bu konudaki gereklilikleri yerine getirmekte isteksiz davranmıřtır. Nitekim bu durum en son AB ilerleme raporlarından birisine de yansımıř ve burada NH'yle ilgili yapılanların yetersiz olduęu vurgulanmıřtır.¹⁷⁷

¹⁷⁷ Avrupa Birlięi Bakanlıęı, “2018 İlerleme Raporu”, https://www.ab.gov.tr/siteimages/pub/kom-isyon_ulke_raporlari/2018_turkiye_raporu_tr.pdf (12.02.2019).

ÜÇÜNCÜ BÖLÜM

AVRUPA REFERANS AĞLARININ İŞLEYİŞİ

Haziran 2017 itibariyle kurulmuş olan 24 ARA'nın hepsinin, AB'nin bundan önceki bölümlerde bahsedilen aynı mevzuatına göre kurulup yapılandırıldığı için birçok özellikleri aynı ya da benzerdir. Ancak yine de her ağın mevzuat ölçüsünde kendine özgü davranabileceği bazı alanlar bırakılmıştır.

Ağları en önemli ortak özellikleri yönetim şeklidir. Buna göre her ağın yönetim kurulu, koordinatörü ve koordinatör merkezi bulunmaktadır. Bu temel yönetim yapılanmasını kuran ağ isterse başka yönetim basamakları da oluşturabilmektedir.

Ağların diğer bir ortak özelliği de finansman sitemleridir. Bugün itibariyle bütün ağlar *Sağlık Programı* tarafından finanse edilmektedir. Buna göre ağlar 5 yıllık ortaklık antlaşmaları imzalayarak doğrudan finansal destek almaktadırlar. Bugüne kadar bu yolla yaklaşık 13 milyon Euro'luk bir finansman sağlanmıştır.¹⁷⁸ Ancak sistem tam olarak çalışmaya başladığında, yani özellikle sınır ötesi hasta hareketliliği başladığında finansmanın nasıl olacağı henüz bütün ayrıntılarıyla ortaya koyulmuş değildir. *Hasta Hakları Yönergesi* başka ülkede tedavi ve geriye ödeme koşullarıyla ilgili genel düzenlemeler getirmiştir. Ancak ARA sistemi için farklı, daha detaylı, hastalar için daha kolay ve bürokrasiden uzak bazı düzenlemelerin gündeme gelmesi kaçınılmazdır.

Her ağ yukarıda da vurgulandığı gibi genel olarak belirlenmiş sekiz amaçtan en az üç tanesini kendisi için seçmek ve bunları gerçekleştirmek zorundadır. İsteyen ağ bu amaçların tamamını da benimseyebilir.

Ağların çok önemli bir başka ortak özelliği ise *hasta merkezli* olarak kurulmalarıdır. Ağlar bu yönleriyle geleneksel tıp anlayışından farklı olarak, hastaların konumunu güçlendirmektedirler. Böylece daha önce pek çok sorunlarıyla yalnız kalan ve belki de en zayıf konumda olan bu hastalar, ARA sistemi sayesinde çok güçlü bir desteğe kavuşmaktadırlar. EURORDIS tarafından seçilen her ağ için '*hasta danışma grupları*' yasal olarak ARA karar verme mekanizmasının içinde yer almaktadır. Ancak her ne kadar hasta merkezli olsalar da, hastaların bu ağlara girişleri şimdilik mümkün değildir. ARA sistemi deneyim kazandıkça bu konuda da bir gelişme kaydedileceği

¹⁷⁸ European Commission, Public Health.

varsayılabılır. Mevcut durumda bir hastanın kendi hastalığıyla ilgili bildiği bir ağ varsa, bu ağdan destek almak için hekimiyle bu konuyu konuşması teşvik edilmektedir.

Ağların bir başka ortak oluşumları da her ağın koordinatörünün katılımıyla kurulan *ARA Koordinatörler Grubu*'dur. MetabERN ağının koordinatörü olan Maurizio Scarpa 2017 yılındaki ilk grup lideri olarak seçilmiştir. Şimdiki grup lideri ise ERK-NET ağının koordinatörü olan Franz Schafer'dir. Grup kendi içinde çalışma konularına göre alt gruplara bölünmüştür (Tablo 6).

Tablo 6: ARA Koordinatörler Grubu Görev Dağılımı

Konu	Yönetici merkez
Bilgi Teknolojileri ve Veri Paylaşımı	ERNPaedcan
Araştırma	ERN TransplantChild
Yasal Konular, Veri Koruma ve Etik	GENTURIS
Kılavuzlar ve Eğitim	ERN EURACAN
İzleme ve Değerlendirme	EUROGEN
Özel Projeler, Sağlık Sistemleri, Entegrasyon, Sürdürülebilirlik	MetabERN
Sınır Ötesi Sağlık Hizmetleri ve Devamlılık	ERN-RND ve EURO-NMD

Kaynak: European Commission, “Public Health”, https://ec.europa.eu/health/home_en (09.11.2018).

3.1. KEMİK HASTALIKLARI AĞI

Nadir görülen kemik hastalıkları ve özellikle *osteogenesis imperfecta* (OI) hastalığı için kurulan Kemik Hastalıkları Ağı (ERN-BOND); Belçika, Çek Cumhuriyeti, Estonya, Fransa, Almanya, İtalya, Portekiz, İsveç ve İngiltere'deki merkezler tarafından oluşturulmuştur.¹⁷⁹ ERN-BOND tanısı zorluklar; araştırma, kılavuzlar ve en iyi uygulama; klinik çalışmalar; hastalığın doğal seyri; diğer ağlarla işbirliği; e-sağlık ve multidisipliner tedavi; eğitim; hastalar ve sağlık çalışanlarına görünürlük ve paydaşlar konulu on çalışma grubuna bölünmüştür.

¹⁷⁹ European Reference Networks, “ERN-BOND”, <https://oife.org/what-we-do/ern-bond/> (08.10.2018); European Commission, “Working for Patients With Rare, Low-Prevalence and Complex Diseases”, https://ec.europa.eu/health/sites/health/files/ern/docs/2017_brochure_en (09.11.2018). (Working for Patients).

ERN-BOND NH'yle ilgili bütün hasta örgütlerinden '*Avrupa Hasta Danışma*' grubu aracılığıyla veri kabul etmektedir. OI hastalığı için bugün itibariyle herhangi küratif bir tedavi bulunmamaktadır. Ancak bu ağ tarafından hastalara yapılan öneriler, NH'deki multidisipliner yaklaşımın ne kadar önemli olduğunu göstermesi açısından önemli bir örnek durumundadır. Buna göre bu hastalar genetik danışma ve DNA testi almalı, kırıklar ve deformiteler için ortopedik tedavi görmeli, işitme, diş, kalp-damar ve solunum problemleri için tarama yaptırmalı, pediatrik kontrollere girmeli, ağrı uzmanına muayene olmalı, fizik tedavi yaptırmalı, psikolojik danışmanlık ve diyet danışmanlığı almalı ve sosyal yardım görmelidirler.

Avustralya'daki gönüllüler tarafından 2010 yılında, her yılın 6 Mayıs gününün '*lades kemiği günü*' veya '*Uluslararası OI*' günü olarak kabul edilmesi için bir etkinlik başlatılmıştır. Dünyada kabul gören bu etkinlik, halen 90'dan fazla ülkede kutlanmaktadır. Bu özel gün, farkındalık yaratmak üzere OI hastalarının sesi haline gelmiştir.

3.2. BAŞ VE YÜZ ANOMALİLERİ AĞI

Baş ve Yüz Anomalileri Ağı (ERN CRANIO), nadir baş ve yüz anomalileri için, 11 üye ülkeden biraraya gelen 29 Avrupa hastanesi tarafından kurulmuştur.¹⁸⁰ Ağ Avrupa'daki uzmanların nadir baş ve yüz anomalilerindeki bilgi ve deneyimlerinin paylaşılmasını hedeflemektedir. AB düzeyindeki bir işbirliğinin hem hastalar hem de hekimler için önemli bir fark yaratacağına inanılmakta ve tek başına hiçbir ülkenin nadir baş ve yüz anomalileriyle mücadelede yeterli bilgi, deneyim ve finansal kaynağa sahip olamayacağı ancak AB düzeyinde yapılacak işbirliğiyle bunun mümkün olabileceği vurgulanmaktadır.

ERN CRANIO ağının kendisi için belirlediği amaçlar şunlardır: kraniofasial anomaliler, yarık dudak/damak ve ortodontolojik anomaliler için bütün Avrupa'yı kapsayacak güçlü bir referans merkezleri ağı oluşturmak; tanı, tedavi ve izlem olanaklarını geliştirerek hizmet kalitesini yükseltmek; tedavi standartları oluşturmak, bunların etkinliğini takip etmek ve bu standartlara mümkün olduğu kadar uyulmasını sağlamak; çok merkezli çalışmalar aracılığıyla hastalık nedenleri, patofizyoloji ve

¹⁸⁰ European Reference Networks, "ERN CRANIO", <https://ern-cranio.eu/> (08.10.2018).

diğer problemlerle ilgili inovasyonu ve e-sağlık uygulamalarını teşvik etmek; hekim, hemşire ve diğer sağlık çalışanlarına en yüksek düzeyde sürekli eğitim olanakları sağlayarak gelişimlerini desteklemek ve edinilen bilginin yayılmasını ve bütün paydaşların yararlanmasını sağlamak.¹⁸¹

Ağ faaliyetleri altı çalışma grubuna ayrılmıştır: yönetim, hizmet standartları, çıktı ölçümü, e-sağlık, eğitim ve bilginin yayılması. İleri derecede uzmanlaşmış sağlık profesyonellerinden oluşan multidisipliner bir ekibi bulunan ağda hasta temsilcileri de aktif bir rol oynamaktadırlar. ERN CRANIO Erasmus üniversitesinden. Prof. Dr. Irene Mathijssen tarafından yönetilmektedir.

ERN CRANIO üç tanısal grubu kapsamaktadır: kraniosinostoz ve diğer kraniofasial anomaliler; yarık damak/dudak, ağız ve diş anomalileri ve kulak /burun /boğaz hastalıkları. Ağ faaliyetleri bu üç tanısal gruba da uyarlanan yedi çalışma alanında yürütülmektedir.

3.3. ENDOKRİN HASTALIKLAR AĞI

Nadir hormonal bozuklukları olan hastaların yüksek kaliteli sağlık hizmetine erişimini hedef alan Endokrin Hastalıklar Ağı (*Endo-ERN*), bütün Avrupa’da ulusal merkezlerdeki eğitimi desteklemeyi ve geliştirmeyi hedeflemiştir.¹⁸² Bunun için endokrinologların NH’yle ilgili güncel eksikliklerini belirleyerek eğitim olanakları sağlamayı planlamaktadır. Bu anlamda komiteler oluşturmayı ve böylece eğitimin içeriğini ve kalitesini sürekli güncellemeyi hedeflemektedir. Çocuk ve yetişkin endokrinolojisindeki ayrım klinik açıdan önem arz etmektedir. Bu nedenle Endo-ERN eğitimde özellikle bu ayrıma dikkat etmeyi ve ikisi arasındaki geçiş dönemini de kapsamayı hedeflemektedir.

Ağ Yönetim Kurulu aracılığıyla yönetilmektedir. Yönetim Kurulu 13 kişilik tematik grup liderlerinden oluşur. Yönetimde başkan ve başkan yardımcısı yer almakta ve bunlar Yönetim Kurulunun faaliyetlerinin eşgüdümünü sağlamaktadırlar. Ayrıca, Yönetim Kurulu ve genel meclis toplantılarını organize etmekte ve üye ülkeler, Komisyon ve diğer ağlar arasındaki iletişimi yürütmektedirler. Her tematik grup ve

¹⁸¹ European Commission, Working for Patients.

¹⁸² European Reference Networks, “Endo-ERN”, <https://endo-ern.eu/> (11.01.2019).

çalışma grubu bir yetişkin, bir çocuk hekimi ile bir hasta temsilcisinden oluşan üç kişi tarafından yönetilir. Bunların dışında idari organ olarak uzmanlık merkezlerinden bir temsilcinin yer aldığı bir idari kurul ve ayrıca bir danışma kurulu bulunmaktadır.

Ağın amaçları birincil ve ikincil sağlık hizmetlerinde coğrafi farklılıklardan gelen sorunları hafifletmek ve nadir endokrin hastalıklarda sağlık hizmeti kalitesini yükseltmek şeklinde ifade edilmekte ve bunu gerçekleştirmek için çok güçlü bir eğitim programı oluşturulması planlanmaktadır.¹⁸³

Ağ bilgi ve iletişim araçlarını etkili bir şekilde kullanarak; araştırma ve epidemiyolojik gözlemi güçlendirmeyi, hasta ve hekimler arasındaki iletişimi artırmayı ve uzmanların mobilizasyonunu kolaylaştırmayı hedeflemektedir.

Tablo 7: Endokrin Hastalıklar Ağına Dâhil Olan Bazı Merkezler

Ülke	Merkez (Hastane)	Şehir	Yönetici
İngiltere	Great Ormond Çocuk Hastanesi	Londra	Prof J. Helen Cross
	Londra Üniversitesi Hastanesi	Londra	Prof Matthew Walker
	Kraliçe Elizabeth Üniversitesi Hastanesi	Glasgow	Prof Sameer Zuberi
	Oxford Üniversitesi Hastanesi	Oxford	Dr. Arjune Sen
Belçika	Gasthuisberg Üniversitesi Hastanesi	Leuven	Professor Lieven Lagae
Çek Cumhuriyeti	Motol Üniversitesi Hastanesi	Prag	Dr. Petr Marusic
	St. Anne Üniversitesi Hastanesi	Brno	Professor Milan Brazdil
Finlandiya	Kuopio Üniversitesi Hastanesi	Kuopio	Professor Reetta Kalviainen
Fransa	CHRU LILLE, Epilepsi Ünitesi	Lille	Professor Sylvie Nguyen
	Lyon Üniversitesi Hastanesi, Epilepsi Bölümü	Lyon	Prof Alexis Arzimanoglou
	Necker Çocuk Hastanesi	Paris	Dr. Rima Nababout
Almanya	Bonn, Üniversitesi Hastanesi, Epilepsi Bölümü	Bonn	Dr. Rainer Surges
	Freiburg Üniversitesi Hastanesi, Epilepsi Bölümü	Freiburg	Prof Andreas S-Bonhage
Hollanda	Utrecht Üniversitesi Hastanesi	Utrecht	Professor Kees P. J. Braun
Polonya	Memorial Çocuk Hastanesi	Varşova	Prof Katarzyna K-Jozwiak
Portekiz	Coimbra Üniversitesi Merkez Hastanesi	Coimbra	Dr. Francisco Sales
	Santa Maria Hastanesi Epilepsi Merkezi	Lizbon	Professor Jose Pimentel
	Porto Merkez Hastanesi	Porto	Dr. Rui Rangel
Romanya	Alexandru Obregia Kliniği	Bükreş	Prof Dana Craiu
İspanya	Sant Joan de Deu Hastanesi	Barselona	Dr. Mar Carreno
	Del Mar-Parc de Salut Mar Hastanesi	Barselona	Prof Rodrigo Zungia
	La Fe Üniversitesi Hastanesi	Valensiya	Dr. Vincente Villaneva Haba
İsveç	Sahlgrenska Üniversitesi Hastanesi	Gothenburg	Prof Kristina Malmgren

Kaynak: Endo-ERN, “European Reference Network on Rare Endocrine Conditions”, <https://endo-ern.eu/> (09.11.2018).

¹⁸³ European Commission, Working for Patients.

Endo-ERN ağının hem hastalar hem de hekimler için somut çabalarından birisi de mevcut tedavi standartlarını, fizyoloji, cinsiyet, vücut kompozisyonu ve hormon dinamiklerini de dikkate alarak, erişimi kolay tek bir tedavi standardına dönüştürmektir.

3.4. EPİLEPSİ AĞI

Epilepsi Ağı (*ERN EpiCARE*), nadir görülen epilepsi vakaları için 13 Avrupa ülkesinden 28 merkezin katılımıyla kurulmuş olup, koordinatörü Londra Great Ormond Street Çocuk Hastanesinden Professor Helen Cross'tur.¹⁸⁴ Ağın amaçları Avrupa'dan her yaş grubundaki nadir ya da kompleks epilepsisi olan hastalara, detaylı bir değerlendirmeyi içeren sağlık hizmeti erişimi sağlamak, tedavi protokolleri oluşturmak, hastalarda ve hekimlerde farkındalığı yükseltmek, eğitsel faaliyetleri ve olanakları geliştirmek ve kayıt merkezlerini güçlendirmektir.¹⁸⁵ Ağ bu amaçlara ulaşmak için, Avrupa'daki her yaşta hastanın tanı ve tedaviyle ilgili detaylı bilgilere erişimini kolaylaştırmayı; nadir ve kompleks epilepsi olguları için tedavi protokolleri geliştirmeyi ve tedavi süreçlerini takip etmeyi ve farkındalığı artırmayı, hasta ve hekimlerin tedavi protokollerine erişimini kolaylaştırmayı hedeflemektedir.

Tablo 8: Epilepsi Ağını Oluşturan Merkezler

Ülke	Şehir	Merkez	Yönetici
Avusturya	Salzburg	Paracelsus Tıp Fakültesi	Professor Eugen Trinka
Danimarka	Dianalund	Danimarka Epilepsi Merkezi/ SCORE Consortium	Professor Sandor Beniczky
Almanya	Erlangen	Erlangen Üniversite Hastanesi	Professor Ingmar Blumke
İrlanda	Dublin	Uluslararası Epilepsi Bürosu	Ann Little
	Cork	İrlanda Fetal ve Neonatal Araştırma Merkezi ve Cork Üniversitesi Doğum Hastanesi	Professor Geraldine Boyle
İtalya	Verona	Dravet Italia Onlus	Isabella Brambilla
İsviçre	Lozan	Vaudois Üniversite Hastanesi	Professor Philippe Ryvlin
İngiltere	Lingfield	Ketojenik Diyet Tedavisi için Matthew'un Dostları Kliniği	Emma Williams, MBE

Kaynak: ERN, “EpiCARE”, <https://epi-care.eu/> (24.08.2019).

¹⁸⁴ European Reference Networks, “ERN EpiCARE”, <https://epi-care.eu/> (11.01.2019).

¹⁸⁵ European Commission, Working for Patients.

Ağ içindeki karşılıklı değişimlerle eğitsel faaliyetlerin güçlendirilmesi ve kayıt sistemleri arasındaki işbirliğine dayalı araştırma faaliyetlerinin hızlandırılması, ağın diğer hedefleri arasındadır.

3.5. BÖBREK HASTALIKLARI AĞI

Böbrek Hastalıkları Ağı (ERKNet), nadir görülen çocuk ve yetişkin böbrek hastalıkları için 12 ülkeden 38 merkezin birleşmesiyle kurulmuş olup, yaklaşık 40 bin hastaya hizmet vermeyi amaçlamaktadır.¹⁸⁶ ERKNet'e katılan merkezler en yüksek kalitede multidisipliner bir sağlık hizmeti sunmaktadırlar.¹⁸⁷ Merkezlerin hepsi en son tıbbi bilgilere göre düzenlenmiş kılavuzları takip eder. Ağ Avrupa'da nadir böbrek hastalığı takibi sırasında sorunla karşılaşan her hekime sanal konsültasyon hizmeti sunacaktır. ERKNet kendisini hem hekimler hem de hastalarda nadir böbrek hastalıkları konusundaki bilgileri artırmaya adanmış olup, bunun için halka açık internet sitesi ve çeşitli eğitim faaliyetleriyle hastalıklar hakkındaki bilgilerin yayılmasına çalışmaktadır. Ağ bir taraftan da tanı ve risk taminini geliştirmek ve yeni tedaviler bulmak için klinik araştırmaları desteklemekte ve bu amaçla Avrupa'daki *Avrupa Böbrek Birliği*, *Avrupa Diyaliz ve Nakil Birliği*'nin *Kalıtsal Böbrek Hastalıkları Çalışma Grubu* ve *Avrupa Çocuk Nefrolojisi Derneği* gibi nefroloji dernekleriyle yakın işbirliği içine girmektedir.

ERKNet ağının yönetiminde Ağ Danışma Kurulu, Koodinatör, Ağ sekreteryası, Yönetim Kurulu (koordinatör, her çalışma grubunun temsilcisi, ePAG), tematik çalışma grupları bulunmaktadır. Ayrıca moleküler tanı, patoloji-immünoloji, kayıt sistemi, eğitim ve kılavuzlar konularında 'görev gücü ekipleri' oluşturulmuştur. eUROGEN, MetabERN, Transchild ve VASCERN ağları bu ağla ortak ilgi alanı olan ağlar olarak değerlendirilmektedir.

Tematik çalışma grupları hereditör glomerulonefrit, immünglomerulonefrit, tubulopatiler, trombotik mikroanjiyopatiler, siliopaatiler ve renal malformasyonlar, AD displaziler, metabolik nefropatiler, pediyatrik CKD ve dializ, pediyatrik nakiller

¹⁸⁶ European Reference Networks, "ERKNet.", <https://www.erknet.org/index.php?id=home> (11.01.2019).

¹⁸⁷ European Commission, Working for Patients.

olarak; görev güçleri ise moleküler tanı, eğitim, kılavuzlar, patoloji ve görüntüleme, kayıt sistemleri olarak belirlenmiştir.

ERKNet tarafından bir merkezin ağı kabul edilebilmesi için yıllık bazda baktığı en az hasta sayıları şunlardır: kalıtsal glomerülonefrit 50, immün glomerülonefrit 200; tübülopati 75; metabolik nefropatiler ve böbrek taşı yapan hastalıklar 40; trombotik mikroanjyopati 20; kistik ve kistik olmayan böbrek malformasyonları 200; otozomal dominant böbrek gelişim bozuklukları 400 yetişkin, 40 çocuk; tıkalı nefropatiler 80; diyaliz 125 ve çocuklarda böbrek nakli 100.¹⁸⁸

3.6. NÖROLOJİK HASTALIKLAR AĞI

Nörolojik Hastalıklar Ağı (*ERN-RND*), Avrupa'daki nadir nörolojik hastalığı bulunan ve %60'ı hala tanı almamış yaklaşık 500 bin kişi için kurulmuştur.¹⁸⁹ Tanı almış ya da almamış bütün nadir nörolojik hastalığı bulunan her yaş grubundaki hastanın ihtiyacı için, kanıta dayalı tedavilerin yapıldığı hasta merkezli bir ağ oluşturmayı amaçlamaktadır.¹⁹⁰

Çalışma grupları serebellar ataksi ve kalıtsal spastik paraplejiler, frontotemporal demans, distoniler, paroksizmal bozukluklar, beyin demir depolanmasıyla oluşan nörodejeneratif hastalıklar, lökodistrofiler, kore ve Huntington koresi ve atipik Parkinson sendromları olarak belirlenmiştir.

Tablo 9: Nörolojik Hastalıklar Ağının Sekiz Faaliyet Alanı ve Yönetici Merkezi

Konu başlığı	Yönetici
Eşgüdüm, yönetim, iletişim ve kalite faaliyetleri	Tübingen Üniversite Hastanesi
ERN-RND faaliyetlerinin değerlendirilmesi	Tübingen Üniversite Hastanesi
Tanısal yollar	Paris Nörogenetik Referans Merkezi
Tedavinin eşgüdümü	Groningen Üniversitesi Tıp Merkezi
Eğitim ve kapasite geliştirme	Budapeşte Semmelweis Üniversitesi
Bilgi paylaşımı ve hastalık kaynakları	Tübingen Üniversite Hastanesi
Kılavuzlar, yollar ve en iyi uygulama	Senese Üniversite Hastanesi

Kaynak: ERN, "RND", <http://www.ern-rnd.eu/> (24.08.2019).

¹⁸⁸ European Reference Network, "ERKNet", **Competency Requirements**, https://www.erknet.org/f-ileadmin/files/user_upload/HCP_Specific_Competency_Criteria.pdf (09.11.2018).

¹⁸⁹ European Reference Networks, "ERN-RND", <http://www.ern-rnd.eu/> (09.11.2018).

¹⁹⁰ European Commission, Working for Patients.

İlerde daha fazla hastalığı kapsamayı ve daha fazla ülkeyi sisteme dâhil etmeyi planlayan ağın amaçları şunlardır: nadir nörolojik hastalığı olanlarda kesin tanı oranını yükseltmek, bütün Avrupa’da nadir nörolojik hastalık tedavilerini geliştirip standart hale getirmek, ağdaki bütün gruplar için kılavuzlar oluşturup paylaşmak, ağ ve üye ülkelerde eğitim faaliyetleri yapmak, güçlü bir kayıt sistemi kurmak ve minumum kalite ve karşılıklı kullanılabilirlik ölçütlerini tanımlamak.

3.7. DOĞUMSAL ANOMALİLER AĞI

Kısa adı ERNICA olan bu ağ, nadir kalıtsal ve doğumsal sindirim sistemi hastalıkları için kurulmuştur.¹⁹¹ Bu hastalıklar yaşamın erken dönemlerinde bulgu vererek belirgin hale gelir ve uzun süreli takip ve multidisipliner yaklaşım gerektirirler. Bu hastaların büyük çoğunluğu doğru tanı ve tedavi alabilmekten uzaktırlar. Çünkü hem klinisyenlerin bu hastalıklar ve tedavileriyle ilgili farkındalıkları ve bilgileri yetersizdir hem de yeteri kadar uzman yoktur.

ERNICA bu hastalıklarda kaliteli bir tedavi sağlamak için Avrupa’da pek çok alandan uzmanları bir araya getirmeye çalışmaktadır. Ağın amaçları şunlardır: güçlendirilmiş referans merkezleriyle hastaların başlangıç tedavisini desteklemek; kalıtsal sindirim hastalığı olan hastalar ve aileleri için bir finansal kaynak merkezi oluşturmak; bütün sağlık çalışanları için bağımsız ve yüksek kaliteli eğitim olanakları sağlamak; yüksek kaliteli sağlık hizmeti sunmak; altyapı ve bilgi eksikliği olan yerlerde kapasite oluşturmak; tedavi kalitesini yükseltmek için sağlık çalışanlarını, bilim insanlarını, hastaları ve halkı birbiriyle iletişime geçirmek; sınır ötesi sağlık hizmetlerinde engelleyici düzenlemeleri kaldırmak için politika yapıcılarla diyaloga geçmek.¹⁹²

Erasmus Üniversitesinden Prof. Dr. Rene Wijnen tarafından koordine edilen ERNICA ağı, 10 ülkeden 20 hastanedeki ileri derecede uzmanlaşmış multidisipliner ekibi içermekte ve hasta temsilcileri de ağ faaliyetlerinde aktif rol almaktadırlar. ERNICA’nın kapsadığı iki tanısı alan bulunmaktadır: sindirim sisteminin malformasyonları (çalışma grupları: ösefagus hastalıkları, ince barsak hastalıkları,

¹⁹¹ European Reference Networks, “ERNICA”, <https://ern-ernica.eu/> (21.05.2019).

¹⁹² European Commission, Working for Patients.

ince barsak yetmezliđi, mide barsak hastalıkları) ve diyafram ve karın duvarının malformasyonları. Ağ faaliyetleri yönetim, tanıtım, değ erlendirme, tedavi standartları, eğitim, araştırma, e-sağlık ve fetal tıp olmak üzere sekiz ç alışma alanına ayrılmıştır.

3.8. SOLUNUM HASTALIKLARI AĞI

Solunum Hastalıkları Ağı (ERN-LUNG), solunum sisteminin nadir hastalıkları için, 15 Aralık 2016 tarihinde *ARA Üye Ülkeler Kurulu* tarafından onaylanarak hizmete başlamıştır.¹⁹³

Kompleks akciğ er hastalıkları psiko-sosyal destekle birlikte multidisipliner bir yaklaşımı gerektirmektedir. Hastalığın karmaşıklığı altta yatan genetik mekanizmaya, ikincil değ iş ikliklere ve diğ er organlardaki hasara bağı lı olabilir. Erken tanı ortaya ç ıkacak komplikasyonlardan çoğ unu hafifletebilir.

ERN-LUNG idiopatik akciğ er fibrozisi, kistik fibrosis, kistik olmayan fibrosis, bronş iektazi, pulmoner hipertansiyon, mesotelyoma, kronik akciğ er allograft disfonksiyonu gibi çok çeş itli nadir ve kompleks akciğ er hastalıklarıyla ilgilenmektedir.

ERN-LUNG'ın vizyonu nadir akciğ er hastalıkları alanında Avrupa'nın bilgi merkezi olmak ve hastalık ve ölüm oranlarını düş ürmektir. Hasta merkezli, bilimsel bir ağ olmayı ve kendisiyle aynı alanda ç alış an ulusal ve uluslararası örg ütlerle iş birliğı içinde olmayı amaçlamaktadır. ERN-LUNG 12 ÷ lkedeki 60 merkezden oluş maktadır. İ llerde yeni akciğ er hastalıklarının türlerine göre organize edilmiş bulunmaktadır. İ llerde yeni merkezlerin de katılması beklenmektedir.

Oluşturduğı tematik gruplar ş unlardır: alpha-1 antitripsin eksikliğı, kistik fibrosis, kronik akciğ er allograft disfonksiyonu, interstisiyel akciğ er hastalığı, mezotelyoma; kistik olmayan fibrozis, bronş iektazi; primer siliyer diskinezi; pulmoner hipertansiyon ve diğ er nadir akciğ er hastalıkları. ERN-LUNG tematik grupların yanı sıra araştırma ve klinik deneyler, yaş am kalitesi, etik konular, kayıt sistemleri ve biobankalar, kılavuzlar, en iyi uygulama, iletişim, sınırötesi tedavi, eğitim vb. konularda ç alış mak üzere fonksiyonel komiteler oluşturmuştur.

¹⁹³ European Reference Networks, “ERN-LUNG”, <https://ern-lung.eu/> (21.05.2019).

3.9. CİLT HASTALIKLARI AĞI

Cilt Hastalıkları Ağı (ERN Skin) 18 ülkeden 56 merkezi nadir cilt hastalıkları için biraraya getirmiştir.¹⁹⁴ Ağın amacı nadir cilt hastalıklarında tedavi kalitesi ve güvenliğini artırmak, tedaviye erişimi kolaylaştırmak ve araştırmalar yapılmasını sağlamaktır.¹⁹⁵

Bugün için 600 civarında nadir cilt hastalığı bulunmakta olup bu hastalıklarla ilgili temel sorunlar şunlardır: cilt hastalıkları konusundaki bilgi eksikliğine bağlı yanlış tanı konması, cilt hastalıkları semptomlarının ihmal edilmesi, yardımcı sağlık personelinin cilt değişikliklerini fark etmedeki eğitim eksikliği, cilt değişikliklerinin tanınmasının zor olması ve hastaların sosyal uyumlarının kötü olması. Nadir cilt hastalıkları arasında yaşamı tehdit eden hastalıklar, kronik cilt hastalıkları, immün baskılayıcı tedaviler sonucu oluşanlar ve genetik yatkınlık sonucu oluşanlar bulunmaktadır.

Bu sorunlarla mücadele için ERN-Skin ikili bir yaklaşımla organize edilmiştir. Bunlar ileri düzeyde hasta tedavisi ve araştırmaya dayalı alt gruplardan oluşan hastalık yaklaşımı ile eğitim, e-sağlık, kayıt sistemi, araştırma ve klinik çıktıya dayanan yatay yaklaşımdır.

3.10. YETİŞKİN KANSERLERİ AĞI

Kısa adı EURACAN olan bu ağ, yetişkin kanserleri için kurulmuş olup, nadir kanseri olan hastaların tedavi kalitesini yükseltmeyi ve herkesin en iyi tedaviyi almasını sağlamayı amaçlamaktadır.¹⁹⁶ Dünya lideri, hasta merkezli, sürdürülebilir ve araştırma odaklı multidisipliner klinik merkezler kurmayı hedefleyen EURACAN; 17 ülkedeki 66 merkez ve Avrupa Hasta Danışma Grubu ve NH paydaşlarından oluşan 22 yardımcı ortaktan oluşmaktadır.¹⁹⁷

Nadir kanserlerde yönetim, hastaların yaşam kalitelerini ve hastalık seyrini etkileyen önemli tanısal güçlükler barındırır. Uygun olmayan tedaviler hastalık

¹⁹⁴ European Reference Networks, “ERN-Skin”, <http://skin.ern-net.eu/> (21.05.2019).

¹⁹⁵ European Commission, Working for Patients.

¹⁹⁶ European Reference Networks, “ERN EURACAN”, <http://euracan.ern-net.eun> (21.05.2019).

¹⁹⁷ European Commission, Working for Patients.

nüksüne ve ölüme yola açabilir. ERN EURACAN düzenli olarak güncellenen tanısal ve teröpatik klinik kılavuzları hazırlamaktadır. Ağ 5 yıl içinde bütün AB ülkelerine ulaşmayı ve bütün hastaların en az % 75’inin herhangi bir EUROCAN merkezinde tedavi almasını sağlamayı hedeflemektedir.¹⁹⁸ Ağın diğer hedefleri ise sağkalımı uzatmak, hekimler ve hastalar için her dilde iletişim araçları geliştirmek ve çokuluslu veritabanları ve tümör bankaları kurmaktır.

ERN EURACAN yetişkin kanserleriyle ilgilenen merkezleri biraraya getiren en geniş ağıdır. Uzmanlık alanları son 10-20 yılda yapılmış olan özellikle klinik araştırmalar ve uzman ağları üzerine yapılmış başarılı işbirliklerine dayanmaktadır. Kanser konusundaki diğer ağlar ve örgütlerle işbirliği içinde bulunmaktadır. Ağın araştırma projeleri 7. Çerçeve Programı ve Ufuk 2020’den desteklenmektedir.

Tablo 10: Yetişkin Kanserleri Ağının İlgilendiği Kanser Türleri

	Kanser türü	Alt türleri
G1	Sarkom	G1.1. Kemik sarkomu G1.2. Yumuşak doku/visseral sarkomlar
G2	Nadir kadın genital sistemi ve plesanta hastalıkları	G2.1 Nadir trofoblastik hastalıklar G2.2 Nadir over kanserleri
G3	Nadir erkek genital sistem ve üriner sistem hastalıkları	G3.1. Testis
G4	Nadir nöroendokrin sistem hastalıkları	-
G5	Nadir sindirim sistemi hastalıkları	G 5.1 Periton G 5.2 Anal kanal G 5.3 Safra kanalı
G6	Nadir endokrin organ hastalıkları	-
G7	Nadir baş boyun hastalıkları	G 7.1 Salgı bezleri G 7.2 Nazofarinks G 7.3 Burun G 7.4 Orta kulak
G8	Nadir göğüs hastalıkları	G 8.1 Timoma ve timik kanser
G9	Nadir deri ve göz hastalıkları ve melenom	G 9.1 Göz melonomu G 9.2 Deri melonomu
G10	Nadir beyin ve spinal kord hastalıkları	-

Kaynak: ERN, “EURACAN”, <http://euracan.ern-net.eu/> (21.05.2019).

ERN EURACAN kanserleri önce ortak histolojik özelliklerine göre ayırmakta sonrasında ise spesifik organ ve histopatolojik özelliklerine göre sınıflamaktadır. ERN EURACAN sayıları 300’ü geçen yetişkin solid nadir kanserlerinin hepsini kapsamakta

¹⁹⁸ European Reference Networks, ERN EURACAN.

ve onları ICD kodları ve RARECARE sınıflamasına göre 10 temel gruba ayırmaktadır (Tablo 9).

Yönetim şemasında, temel konularda karar alan EUROCAN Genel Meclisi; rutin işleyiş konusunda kararlar alan ve koordinatör, 10 grup lideri, 7 spesifik görev ekibi lideri ve hasta danışma gruplarından oluşan Yürütme Kurulu; AB içinden veya dışından 6 bağımsız uzmandan oluşan Bilimsel Danışma Kurulu; kılavuzlar, araştırma, eğitim, finans ve sürdürülebilirlik, iletişim, tanıtım, kalite kontrol ve tanı konularındaki Spesifik Görev Ekipleri ve 16 alt grubun liderleri bulunmaktadır.

3.11. KAN HASTALIKLARI AĞI

Kan Hastalıkları Ağı (*EuroBloodNet*) nadir kan hastalıkları için Komisyon tarafından Aralık 2016 tarihinde onaylanmış ve 1 Mart 2017 tarihinde faaliyetlerine başlamıştır.¹⁹⁹ EuroBloodNet Avrupa Hematoloji Birliği, Nadir ve Konjenital Anemiler Avrupa Ağı ve EURORDIS Hasta Danışma Grubu (ePAGS) tarafından ortak bir çabayla kurulmuştur. Ağ hem nadir anemiler, nadir pıhtılaşma bozuklukları, polistemi gibi onkolojik olmayan, hem de myeloid ve lenfoid tümörler gibi onkolojik kan hastalıklarıyla ilgilenmektedir.²⁰⁰ Hasta grupları ve uzmanlardan gelen istek üzerine nadir kalıtsal hemakromatozis de ağ kapsamına alınmıştır. 15 ülkeden ileri derecede uzmanlaşmış 66 multidisipliner ekip, gelişmiş özel tıbbi ekipman ve altyapısı ile EuroBloodNet, nadir kan hastalıklarındaki zorluklarla baş edebilecek ve maliyet-etkin yüksek kaliteli sağlık hizmeti sunabilecektir. Hasta örgütlerinin ağa dâhil olması hastaları güçlendirecek ve hasta merkezli bir yaklaşım sağlayacaktır.

Ağ Kurulu karar verici organ olup koordinatör, bütün merkezlerin ve hasta örgütlerinin temsilcilerini kapsar. Ağ Kurulu'nun temel işlevi şunlardır: ağın işlemlerini sağlamak, hizmetleri ve etkilerini gözlemek, işbirliği için yasal zemin hazırlamak, uzun dönem sürdürülebilirlik için finansal stratejiler geliştirmek, gruplar ve alt grupların yöneticilerini seçmek ve çok yıllık çalışma planını onaylamak.

Kan hücre anormallikleri, lenf bozuklukları, koagülasyon faktörleriyle ilgili problemler gibi geniş bir grubu içeren kan hastalıkları, onkolojik ve onkolojik olmayan

¹⁹⁹ European Reference Networks, “EuroBloodNet”, <https://www.eurobloodnet.eu/> (21.05.2019).

²⁰⁰ European Commission, Working for Patients.

altı gruba ayrılmaktadır. Onkolojik hastalıklar grubu Prof. Pierre Fenaux ve onkolojik olmayan hastalıklar grubu da Prof. Beatrice Gulbis tarafından yönetilmektedir. Onkolojik hastalıklar grubu iki, onkolojik olmayan hastalıklar grubu da dört alt gruba ayrılmıştır: myeloid ve lenfoid kanserler, nadir kan hücresi bozuklukları, kemik iliği yetmezliği ve hematopoetik bozukluklar, nadir kanama pıhtılaşma bozuklukları, hemakromatosis ve diğer nadir genetik demir metabolizması ve hem sentezi bozuklukları.

EuroBloodNet'in temel amacı nadir hematolojik hastalığı olan hastaların tedavi hizmetlerini ve yaşam kalitesini yükseltmektir. Bunun için multidisipliner ve hasta odaklı bir merkez anlayışıyla ileri düzeydeki uzmanlık hizmetlerine erişimi artırmayı; kanıta dayalı tıp kılavuzlarıyla tanı, tedavi ve korunmada en iyi klinik uygulamaları sağlamayı; Avrupa Hematoloji Birliği ve Avrupa Hematoloji Okulu'yla işbirliği yaparak en son bilgileri yaymayı ve sürekli tıp eğitimini kolaylaştırmayı; uzmanlar arası konsültasyon aracılığıyla güvenli klinik bilgi paylaşımını sağlamayı ve epidemiyolojik izlemi güçlendirerek inovatif tedaviler, klinik araştırmalar ve ileri teknolojiler için gereken hasta grubunu biraraya getirmeyi hedeflemektedir.

3.12. ÜROGENİTAL HASTALIKLAR AĞI

Kısa adı *ERN eUROGEN* olan bu ağ, özellikle cerrahi gerektiren kompleks ürogenital hastalıklar olmak üzere, nadir ürogenital hastalıklar alanında tanısal doğruluğu ve yüksek kaliteli sağlık hizmetine erişimi artırmak için kurulmuştur.²⁰¹

Vizyonunu gelecek neslin cerrahlarını daha iyi sonuçlar ve beceriler için eğitilmesi; bilgi transferi ve eğitim aracılığıyla bütün Avrupa'da maliyetlerin düşürülmesi ve eğitim ve araştırma stratejilerinin hasta ve hasta temsilcileriyle birlikte planlanması olarak belirlemiştir.²⁰² ERN eUROGEN'in koordinatörü İngiltere'den Prof. Christopher Chapple'dır. Yönetim basamaklarından birincisi Stratejik Kurul olup, eUROGEN'in koordinatörü stratejik kurulun da başkanıdır. Kurul her merkezden bir temsilci, hasta danışma kurulundan bir temsilci ve Komisyon'dan bir temsilciden oluşur. Kurul üyeleri toplantılara katılamazlarsa yerlerine bir temsilci

²⁰¹ European Reference Networks, "ERN eUROGEN", <http://eurogen-ern.eu/> (09.11.2018).

²⁰² European Commission, Working for Patients.

atayabilirler. Kararlar uzlaşma ya da % 80 çoğunlukla alınır. Bu kurul yeni merkezlerin üyeliğe alınması, kılavuzların geliştirilmesi, ağın aktivitelerinin genişletilmesi gibi önemli kararları alır. Diğer bir yönetim organı Operasyonel Kurul olup koordinatör, yönetici, üç akım lideri ve hasta danışma grubundan bir temsilciden oluşur. Gerektiğinde Komisyon’dan da bir temsilci katılabilir. Temel görevi Stratejik Kurula öneriler hazırlamak olan bu kurul, düzenli olarak yapacağı sanal toplantılarla standart yürütme işlemlerini belirleyecek, eğitim faaliyetleri hazırlayacak ve araştırmalar başlatacaktır.

Tablo 11: Ürogenital Hastalıklar Ağı İçindeki Bazı Merkezler

Ülke	Şehir	Merkez
Belçika	Liège	Üniversite Hastanesi
	Ghent	Üniversite Hastanesi
	Leuven	Üniversite Hastanesi
Danimarka	Aarhus	Üniversite Hastanesi
	Kopenhag	Üniversite Hastanesi
Fransa	Paris	Necker Çocuk Hastanesi
Almanya	Berlin	Charite Üniversite Hastanesi
	Münih	Üniversite Hastanesi
	Leipzig	Üniversite Hastanesi
	Regensburg	Üniversite Hastanesi
	Hamburg	Üniversite Hastanesi
Hollanda	Rotterdam	Erasmus Üniversite Hastanesi
	Nijmegen	Radboud Üniversitesi Tıp Merkezi
Polonya	Gdansk	Gdansk Tıp Üniversitesi, Copernicus Medikal Şirketi
İsveç	Stokholm	Karolinska Üniversite Hastanesi
İngiltere	Londra	King’s College Hastanesi
	Sheffield	Sheffield Eğitim Hastanesi
	Londra	St George Üniversitesi Hastanesi
	Londra	Londra Üniversitesi Hastanesi

Kaynak: European Reference Networks, “ERN eUROGEN”, <http://eurogen-ern.eu/> (09.11.2018).

ERN eUROGEN ağı, 11 ülkedeki 29 merkezi ileri bir değerlendirmeden geçirerek mükemmellik merkezleri olarak sisteme dâhil etmiştir. Ağın beklentisi bu ileri düzeydeki uzmanlaşmış merkezlerin, yalnızca hastalarla ilgilenmesi değil aynı zamanda bilgi teknolojileri aracılığıyla eğitim faaliyetleri de yapmasıdır. Ağ inovatif tedaviye de çok önem vermekte ve bunun için hasta ve hasta yakınlarıyla birlikte stratejik bir gündem oluşturmayı hedeflemektedir.

Ağın özellikle ilgilendiği alanlar şunlardır: Nadir böbrek hastalıkları, ürorektal/anorektal malformasyonlar, kompleks genital rekonstrüksiyonlar, posterior hipospadias, posterior üretral valv, epispadias, mesane ekstrofisi, nadir üriner taş hastalıkları, pelvik taban hastalıkları, kadın üretra hastalıkları, penil kanser, testis kanseri, adrenal tümörler, abdomioplevik sarkom.

3.13. NÖROMÜSKÜLER HASTALIKLAR AĞI

Nöromuskular Hastalıklar Ağı (*EURO-NMD*) çocuk ve yetişkinlerde önemli bir ölüm ve sakatlık sebebi olan nöromusküler hastalıklar (NMH) için kurulmuştur.²⁰³ NMH motor veya periferik nöronların, nöromuskular bileşmelerin veya iskelet kasının genetik veya edinilmiş bozukluğu sonucu kas zayıflığı, yutma ve nefes zorluğu ve kalp yetmezliğiyle seyreden bir hastalık grubudur. NMH'nin tanısı zordur ve uzun gecikmeler yaşanır. Bugün itibarıyla hiçbir NMH tedavi edilememektedir. Nadir olmaları ve çeşitlilikleri tedavi ve araştırma için en önemli zorluklarını oluşturmaktadır. Avrupa'da yaklaşık 500 bin hastayı etkileyerek hem aileler hem de sağlık sistemi için büyük bir maliyet getirmektedirler.²⁰⁴

EURO-NMD 14 üye ülkedeki önde gelen 61 klinik ve araştırma merkezini birleştirmektedir. Yıllık olarak 100 binden fazla hasta bu ağda değerlendirilmeye başlamıştır. Ağ klinik ve tanısal en iyi uygulamaların standartlarını oluşturmayı ve uygulamayı, üye ülkelerde tedavi açısından fırsat eşitliğini geliştirmeyi, tanı için geçen zamanı azaltmayı, maliyet etkinliği arttırmayı, e-sağlık uygulamalarını hayata geçirmeyi, tedavi kılavuzları oluşturmayı, temel ve klinik bilimlerde araştırmayı kolaylaştırmayı, verileri ortak kullanılabilecek hale getirmeyi ve paylaşmayı hedeflemektedir.

EURO-NMD'nin ortaklarından beklentisi, en iyi klinik uygulamalar için ağa destek vermeleri ve ulusal sağlık sistemleriyle ağ arasındaki iletişimi güçlendirmeleridir. Böylece ağ, teoriden pratiğe dökülen araştırmalar yapabilecek, sağlık çıktılarını iyileştirecek ve bu kronik hastalıkların hasta yakınları ve sağlık

²⁰³ European Reference Networks, "EURO-NMD", <https://ern-euro-nmd.eu/> (09.11.2018).

²⁰⁴ European Commission, Working for Patients.

sistemlerine olan yükünü hafifletmiş olacaktır. Ağ koordinatörü Teresinha Evangelista'dır.

ARA mevzuatına uygun olarak kurulan ve 61 sağlık merkezinden temsilcinin yer aldığı Ağ Kurulu; işbirliğinin güçlendirilmesi, ağın çalışmasının önündeki engellerin kaldırılması, ağın kapsamı, çıktıları ve yararlarının devamlılığının sağlanması konularında birincil karar alma organıdır. Yürütme Komitesi genel politika ve stratejiden sorumludur. Diğer kurullarda alınan kararların tam olarak uygulanması ve maksimum etkililiği sağlar. Komite aynı zamanda endüstri ve politik çevreyle bağlantıdan ve sürdürülebilirlik stratejisi oluşturmaktan da sorumludur.

3.14. GÖZ HASTALIKLARI AĞI

Avrupa'daki nadir göz hastalığı bulunan çocuk ve yetişkin hastalar için 13 ülkeden 29 üye ile kurulmuş olan Göz Hastalıkları Ağı (*ERN EYE*), retinitis pigmentosa gibi 5000'de 1 görülen hastalıklardan, literatürde yalnızca bir iki tane görülen vakalara kadar 900'den fazla nadir göz hastalığını kapsamaktadır.²⁰⁵ Koordinatörü Fransa Strazburg Üniversitesinden Helene Dollfus'tur. Ağın bütün üyeleri ulusal otorite tarafından onaylı olduğu gibi bağımsız bir yapı tarafından da değerlendirilmiştir.

Bu ağda dört çalışma alanı oluşturulmuştur: nadir retina hastalıkları, nörooftalmoloji, pediatrik oftalmoloji ve ön segment nadir hastalıkları.²⁰⁶ Bu dört alana hitap eden altı çalışma grubu bulunmaktadır. Bunlar görme azlığı, günlük hayat ve hasta grubu, genetik tanı, kayıt ve epidemiyoloji, araştırma, eğitim ve kılavuzlar ve iletişim, yönetim ve kalitedir.

Hasta ve Aileleri Danışma Konseyi her ağ için EURORDIS tarafından oluşturulmuş bir gruptur. ERN EYE içindeki konsey de bütün hasta temsilcileri tarafından oluşturulmuştur. Buradan seçilen iki kişi de yönetim kurulunda yer almaktadır.

²⁰⁵ European Reference Networks, "ERN EYE", <https://www.ern-eye.eu/> (09.11.2018).

²⁰⁶ European Commission, Working for Patients.

3.15. GENETİK TÜMÖR RİSKİ SENDROMLARI AĞI

Genetik Tümör Riski Sendromları Ağı (*ERN GENTURIS*), genetik tümör riski içeren sendromları bulunan hastalar için 12 ülkeden 29 merkezle kurulmuş bir ağıdır.²⁰⁷ Genetik tümör riski sendromları, kalıtımla edinilmiş mutasyonlar sonucu kanser olma ihtimalleri yüksek olan kişilerin durumlarını ifade etmektedir. Bu kişilerde ömür boyu kanser olma olasılığı % 100 olabilir. Bu sendromu olan hastaların farklı organ sistemleri etkilenmekle birlikte hepsinde ortak olan bazı sorunlar vardır. Tanıda gecikme, hastalar ve sağlıklı akrabaları için korunma olmaması ve yanlış tedavi yönetimi. Bugün bu hastaların yalnızca % 20-30'u teşhis edilebilmiştir. Ağ genetik test kalitesini yükseltmeyi ve daha fazla genetik test yapılmasını sağlamayı hedeflemektedir.²⁰⁸

ERN GENTURIS bu hastalıkların tanınmasını artırmak, klinik çıktılar arasındaki farkları en aza indirmek, biyobankalar ve veritabanları kurmak, araştırmaları desteklemek ve hastaları güçlendirmek için çalışmaktadır. Ağ hem halkı hem de hekimleri eğitmeyi ve Avrupa'da en iyi uygulamaların paylaşılmasını desteklemeyi de hedeflemektedir. Ağ ayrıca zor olguları paylaşmayı kolaylaştıracak yeni modeller ve standartlar geliştirerek multidisipliner tedaviye erişim güçlendirilecektir. Ağ koordinatörü Hollanda Nijmegen Üniversite Hastanesinden Prof. Nicoline Hoogerbrugge Radboud'tur.²⁰⁹ Ağ diğer ağlardaki ortak uzmanlık konuları için onlarla işbirliği yapmayı da amaçlamaktadır.

Ağın ilgilendiği tümör riski taşıyan genetik sendromlar nörofibromatosis (NF), Lynch sendromu ve poliposis (PP), kalıtsal meme ve yumurtalık kanseri (KMYK) ve diğerleri (çoğunlukla malign) olmak üzere dört tematik gruba ayrılmıştır. İleriki dönemlerde paraganglioma, Carney kompleksi, kalıtsal papiller renal kanser, ataksi-telanjiyektazi, Bloom sendromu, Nevoid basal hücreli kanser sendromu, Werner sendromu, kalıtsal leiomyomatosis, renal hücreli kanser ve yeni tanı konulan genetik

²⁰⁷European Reference Networks, "ERN-GENTURIS", <https://www.genturis.eu/l=eng/ERN-GENTURIS-Home.html> (11.10.2018).

²⁰⁸ European Reference Networks, "ERN GENTURIS. ERN: GENTURIS Genetic Tumour Risk Syndromes", <https://www.eshg.org/fileadmin/www.eshg.org/NHGS2016/Hoogerbrugge.pdf> (11.10.2018).

²⁰⁹ European Reference Networks, ERN GENTURIS.

nedenli kanserler gibi bütün diğer genetik risk sendromlarının da ağ kapsamına alınması planlanmaktadır.

Tablo 12: Genetik Tümör Riski Sendromları Ağının Bazı Üyeleri

Ülke	Şehir	Merkezin adı	Uzmanlık alanı
Belçika	Ghent	Ghent Üniversite Hastanesi	Lynch ve PP, KMYK, Diğer
	Leuven	Leuven Üniversite Hastanesi	NF, Lynch ve PP, KMYK, Diğer
	Liege	Liege Üniversite Hastanesi	NF, KMYK
Finlandiya	Turku	Turku Üniversite Hastanesi	NF
Fransa	Creteil	Henri Mondor Üniversite Hastanesi	NF
	Paris	Curie Enstitüsü	KMYK
	Rouen	Rouen Üniversite Hastanesi	Lynch&PP, KMYK
Almanya	Bonn	Kalıtsal Kanser Sendromu Merkezi, Bonn Üniversite Hastanesi	Lynch&PP, Diğer
	Dresden	Kalıtsal Kanser Sendromu Merkezi	NF, Lynch ve PP, KMYK, Diğer
	Münih	Genetik Tıp Merkezi	Lynch&PP, HBOC, Diğer
Macaristan	Pecs	Pecs Üniversitesi	NF, Lynch&PP, KMYK, Diğer
İtalya	Roma	Üniversite Hastanesi	NF, Lynch ve PP, KMYK
Hollanda	Groningen	Groningen Üniversitesi Tıp Merkezi	Lynch ve PP, KMYK
	Nijmegen	Radboud Üniversitesi Tıp Merkezi	Lynch ve PP, KMYK, Diğer
	Rotterdam	Erasmus Tıp Merkezi	NF1
Norveç	Beren	Haukeland Üniversite Hastanesi	Lynch&PP, KMYK, Diğer
Polonya	Szczecin	Pomeranian Tıp Fakültesi Hastanesi	Lynch&PP, KMYK, Diğer
Portekiz	Porto	Porto Kanser Merkezi	Diğer (HDGC)
Slovenya	Lubiana	Ljubljana Onkoloji Enstitüsü	KMYK
İspanya	Barselona	Onkoloji Enstitüsü	NF, Lynch&PP, KMYK, Diğer
	Barselona	Sant Joan de Deu Hastanesi	NF
İsveç	Stokholm	Karolinska Üniversitesi Hastanesi	Lynch&PP, KMYK, Diğer
İngiltere	Cambridge	Cambridge Üniversitesi Hastanesi	NF, Lynch&PP, KMYK, Diğer
	Londra	St. Thomas Hastanesi	NF
	Manchester	Genomik Tıp Merkezi	NF, Lynch&PP, KMYK, Diğer

*Nörofibromatosis (NF), poliposis (PP), Kalıtsal meme ve yumurtalık kanseri (KMYK)

Kaynak: <https://www.genturis.eu/l=eng/ERN-GENTURIS-Home.html> (24.08.2019)

3.16. KALP HASTALIKLARI AĞI

Kalp Hastalıkları Ağı (*ERN GUARD-Heart*) hem yetişkinlerde hem de çocuklarda kompleks ve nadir kalp hastalıklarının teşhis ve tedavisini kolaylaştırmak için kurulmuş ve 12 ülkeden 24 uzmanı biraraya getiren hasta merkezli bir ağıdır.²¹⁰ Özellikle odaklandığı alan ise genetik geçişli kalp hastalıkları ve müdahale gerektiren çocuk kalp hastalıklarıdır.²¹¹

Ağ yedi farklı hastalık için hasta kayıt sistemi kurmuştur. Bu sistemlerin oluşturduğu veritabanlarına dâhil olabilmek için gerekli minimum hasta sayıları bulunmaktadır. Ağın oluşturduğu bu kayıt sistemlerine veri girişi yapabilmek için, ARA'lara özgü oluşturulan yeni izin formlarının doldurulması ve ilgili merkezde saklanması zorunlu olup, hasta girişlerini ise yalnızca grup liderleri ve koordinatörler yapabilmektedir.

Ağın ailevi elektriksel hastalıklar, ailevi kardiyomyopatiler ve çocuklarda özellik arz eden elektrofizyolojik durumlar olmak üzere üç tematik alanı bulunmaktadır. Nadir kardiyak hastalıkları olan hastalara, bilgi ve uzmanlığı aynı havuzda birleştirerek daha iyi, daha güvenli ve daha etkili sağlık hizmeti sunmayı hedefleyen ağ kendisine şu prensiplere dayanan bir strateji benimsemiştir: ağ içinde ve dışında bilgi ve kanıt üretme, paylaşma; kaynakların etkin kullanımıyla birlikte klinik çıktı ve hasta deneyimlerine odaklı bir sağlık hizmeti verme; tedavi süreçlerinde kalite ve güvenliği artırmak için en iyi uygulama ölçütlerini belirleme; Avrupa'nın tamamında etkilenmiş hastaların kaliteli ve güvenli sağlık hizmetine erişimini sağlama; inovasyon ve araştırmayı destekleme.

ERN GUARD-Heart kendisine yedi amaç belirlemiş ve bunları beş yılda gerçekleştirilmeyi hedeflemiştir: ağın kuruluşunu tamamlamak, ağı güçlendirmek ve genişletmek; mevcut en iyi kanıtlara dayalı olarak klinik uygulamaları geliştirmek için bilgi ve uzmanlığı yoğunlaştırmak; sağlık hizmeti güvenliği ve kalitesini yükseltmek; her durumda sağlık hizmetine erişimi sağlamak; tanı ve tedavide araştırma ve inovasyonu desteklemek; hasta ve ailesini sağlık hizmetlerinin merkezine yerleştirmek ve sağlık hizmeti sunumunda şeffaflığı sağlamak. Ağ kendisine hedef

²¹⁰ European Reference Networks, “ERN GUARD-Heart”, <http://guardheart.ern-net.eu/> (11.10.2018).

²¹¹ European Commission, Working for Patients.

grupları olarak hastalar ve ailelerini, sağlık hizmeti sunucularını, kamu sağlığı sistemlerini, özel sağlık sigortalarını, akademisyenler ve bilimsel dernekleri, ilaç ve tıbbi cihaz sektörünü ve ARA sistemindeki diğer ağları seçmiştir.

ERN GUARD-Heart'ın yönetsel yapısı planlama, örgütleme, liderlik etme ve ağ faaliyet ve çabalarını kontrol etmeyi kolaylaştıracak şekilde yapılmıştır. Temel yönetsel, bilimsel, yasal ve finansal konulardaki karar verici organ olan Ağ Kurulu, ağı oluşturan her merkezden bir temsilci ve iki de hasta temsilcisinden oluşmakta ve koordinatör tarafından yönetilmektedir. Hasta Danışma Kurulu hasta ve ailelerinin sesini Ağ Kurulunda duyuran bir kurul konumundadır ve hastalarla iletişim konusunda ağı desteklemektedir. Yönetim Kurulu Ağ Kurulu'nun aldığı kararları uygulamakla yükümlü icracı organdır, ayrıca alt grupların ve çalışma gruplarının çalışmalarını değerlendirir. Ağ koordinatörü, tematik grupların liderleri, *Ortak Eylem Grupları* 'nın liderleri ve iki hasta temsilcisinden oluşur. Tematik Gruplar grup lideri tarafından yönetilir ve nadir ve kompleks kalp hastalıklarında odaklanılan konular üzerindeki faaliyetlerden sorumludurlar. Ortak Eylem Grupları bilgi yönetimi, etik ve politika, araştırma ve finans, eğitim ve e-öğrenme, veri yönetimi ve sağlık gibi bütün gruplardaki ortak faaliyetleri yürütür. Sağlık Hizmeti Değerlendirme Organı kalite konularında, Proje Yönetim Ofisi ise Ağ Kurulu ve Yönetim Kurulu'nun idari işler ve toplantılarında destek sağlar. Tematik gruplar şu konulardan oluşmaktadır: ailevi elektriksel hastalıklar, ailevi kardiyomyopatiler, çocuklarda özellik arz eden elektrofizyolojik durumlar.

3.17. DOĞUMSAL ANOMALİLER VE NADİR BİLİŞSEL HASTALIKLAR AĞI

Doğumsal Anomaliler ve Nadir Bilişsel Hastalıklar Ağı (*ERN ITHACA*) nadir doğumsal gelişim bozuklukları ve nadir bilişsel yetersizlikler için kurulmuş bulunan ağıdır.²¹² Manchester'deki merkez tarafından eşgüdümü sağlanan ağa, 14 ülkedeki 38 merkez ve hasta örgütleri katılmaktadır.²¹³

²¹² European Reference Networks, "ERN on Congenital Malformations and rare Intellectual disability", https://ec.europa.eu/health/sites/health/files/ern/docs/ernithaca_factsheet_en.pdf (11.10.2018).

²¹³ European Reference Networks, "ERN ITHACA", <https://ern-ithaca.eu/> (11.10.2018).

Doğumsal gelişim bozuklukları bebeklerde 1/40 oranında görülür. Nispeten daha yaygın olan yarık damak gibi bozukluklar için, iyi çalışan tedavi ağları kurulmuş bulunmaktadır, daha az görülen hastalıklar içinse bütün Avrupa’da bir uzman sıkıntısı yaşanmaktadır.

Birçok doğumsal gelişim bozukluğu büyüme, gelişme ve sosyal adaptasyonda bozuklukla birlikte bir sendromun göstergesi olarak ortaya çıkar. Sekiz binden fazla sendrom tanımlanmıştır ve çoğu 1/2000 oranından daha az görülmektedir. Kromozomal bozukluklar, gelişim bozuklukları ve bilişsel yetersizliklerin en sık nedenleri arasındadır. Bu hastalıkların tanısında ekzom ve genom dizileme testleri gibi yeni testler geliştirilmiş olmakla birlikte, yüksek derecede uzmanlaşmış merkezlerin bile %50’sinden fazlasında bu testler hala yapılamamaktadır. Bu test teknolojisine erişimi kolaylaştırma ERN ITHACA’nın temel hedeflerindendir.

Ağ aynı zamanda multidisipliner bir yaklaşımla sanal klinikleri uygulamaya sokan ve hastaların seyahat etmeden hizmet alabilmelerini sağlayan tele-sağlık uygulamalarını da geliştirerek, hasta ve ailelerinden bir bilgi ağı kuracaktır. Hasta kayıt sistemi için kendi ölçütlerini geliştirmeyi planlayan ağ, bu konuda eğitim ve araştırma olanakları da sağlayacaktır.

ERN ITHACA tanı almış ya da almamış bütün hastalar için hasta odaklı bir merkez olmayı amaçlamaktadır. Tanı, kanıta dayalı tedavi ve güvenli bir veri tabanı için bir altyapı oluşturmak; ağın üyeleri arasında en iyi uygulamaları ve kılavuzları paylaşmak; eğitim ve kapasite geliştirmeyi kolaylaştırmak; tanısal testler ve gelecekteki tedaviler için araştırmacılarla işbirliği içinde olmak kendisine belirlediği temel hedeflerdir.

Ağın vizyonu hastalarla ortaklık içinde çalışarak işlevsel bir ağ kurmak; ileri derecede uzmanlaşmış multidisipliner tedaviyi öne çıkarmak; tele-sağlık araçlarının tanısal kullanımını kolaylaştırmak; yüksek kaliteli kılavuzlar geliştirmek için kapasite arttırmak; yüksek düzeyde güvenli ve kaliteli bir hasta kayıt sistemi kurmak; işbirliğini güçlendirerek klinik çalışmaları kolaylaştırmak; eğitim faaliyetleri organize etmek; diğer ağlar, gruplar ve merkezlerle işbirliği yapmak olarak belirlenmiştir.

Ağın belirlediği *kılavuz ilkelere* göre hasta ağın merkezinde yer alacak ve hasta ağı değil, ağ hastayı takip edecektir; ölçütleri karşılayan bütün merkezler ağı katılabilecektir; ağdaki bütün merkezler faaliyetlere katkı sunacaktır; ağın çıktıları

kullanıma açık olacak ve geniş kitlelere yayılacaktır; daha gelişmiş olan merkezler daha kötü durumda olanlara eğitim verecektir; bütün veriler güvenli olarak saklanacaktır ve son olarak çalışanlar yıllık olarak çıkar çatışması belgesi vereceklerdir.

Ağın belirlediği çalışma paketleri yönetim, iletişim, değerlendirme, tedavi/kılavuzlar, telesağlık, kayıt sistemi, araştırma ve eğitimden oluşmaktadır. Birinci yıl için belirlenen amaçlar şunlardır: ağa katılan bütün merkezlerin 6 ay içinde çalışmalarına başlamasını sağlamak; bilgi ve iletişim araçlarıyla açık iletişim kanalları kurmak; çıktı ölçütlerini belirlemek; kılavuzları bulunan hastalıkları ve henüz kılavuzları yapılmamış olanları tanımlamak; mevcut hasta kayıt sistemlerini tespit etmek; araştırmalara katılmak.

3.18. KALITSAL METABOLİK HASTALIKLAR AĞI

Kalıtsal Metabolik Hastalıklar Ağı (*MetabERN*) nadir kalıtsal metabolik hastalıkları için 18 ülkeden 69 merkez ve 44 hasta örgütünün katılımıyla kurulmuştur.²¹⁴ Hasta merkezli olmayı temel prensip olarak kabul eden ağın amacı, hasta ve ailelerinin yaşam kalitesini yükseltmektir.

MetabERN nadir metabolik hastalıklarla ilgili korunma, tanı ve tedaviyi desteklemek üzere en ileri uzmanlaşmış merkezleri biraraya getirmeyi hedeflemektedir. Ağ tamamıyla uzman ve hasta liderliğinde olup, hasta deneyimleri ve uzmanların bilgisini birleştirerek en yenilikçi gelişmeleri yakalamaya ve tanıdan eğitime her açıdan mükemmele ulaşmaya çalışmaktadır. Kısa dönem hedefleri çalışma paketlerinin içine yerleştirilmiştir ancak değişime açıktır.

MetabERN'nin misyonu nadir metabolik hastalıklar için en iyi uzmanları ve merkezleri biraraya getiren hasta odaklı bir ağ olmak; amaçları ise bilgiyi aynı havuzda toplamak, ağ üyeleri arasında bilgi değişimini geliştirmek; uzmanları az olduğu yerlerde tanı ve tedavi hizmetini güçlendirmek; ileri derecede uzmanlaşmış tedavi olanaklarıyla üye ülkeleri desteklemek; özellikle sağlık teknolojilerinde inovasyonu desteklemek; ülkelerin sınırlarını aşan eğitim ve araştırma olanakları sağlamaktır.

²¹⁴ European Reference Networks, "MetabERN", <https://metab.ern-net.eu/> (16.12.2018).

Ağ işlevsel olarak her biri farklı kalıtsal metabolik hastalık grubunu içeren 7 alt ağdan oluşmaktadır. Kalıtsal metabolik hastalıklar çoğu ölümcül olan 700'den fazla genetik hastalıktan oluşan bir gruptur. MetabERN istisnasız bu gruptaki bütün hastalıklarla ilgilenmektedir. Yedi alt ağın ilgilendikleri hastalık grupları şunlardır: amino ve organik asitle ilgili hastalıklar; prüvat metabolizması bozuklukları, Krebs döngüsü defektleri, mitokondriyal oksidatif fosforilasyon bozuklukları, tiamin taşıma ve metabolizma bozuklukları; karbonhidrat, yağ asidi oksidasyonu ve keton cisim bozuklukları; lizozomal depo hastalıkları; peroksizomal bozukluklar; doğumsal glikozilasyon bozuklukları ve hücre içi taşıma bozuklukları ve nöromodülatörlerin ve diğer küçük moleküllerin bozuklukları.

MetabERN'nin her üyesinin, Tıbbi Yönetim Kurulu, Hasta Kurulu, Dış Uzmanlar Komitesi, Danışma Kurulu, alt gruplar ve onların yönetim ve danışma kurullarından oluşan yönetim organlarından bir veya birkaçında yer alması sağlanarak çoğulcu bir yönetim tarzı hedeflenmiştir.

3.19. ÇOCUKLUK ÇAĞI KANSERLERİ AĞI

Nadir kanserleri olan çocuk ve adölesanlara, yüksek kaliteli, erişilebilir ve maliyet etkin sağlık hizmeti sunmayı ve bu alandaki eşitsizlikleri azaltmayı hedefleyen Çocukluk Çağı Kanserleri Ağı (*ERN PaedCan*), 18 üye ülkeden 57 merkezi bir araya getirmiştir.²¹⁵ Ağ, yaşam kurtaran onkolojik tedavi ve özelleşmiş teknolojilere herkesin ulaşabilmesi için, dünyaca ünlü onkoloji uzmanlarının bulunduğu merkezlerle birlikte çalışmayı ve e-sağlık teknolojilerini de uygulamaya sokarak farklı kurumlar arasında karşılıklı kullanılabilirliği artırmayı amaçlamaktadır. Özellikle sağlık hizmetine erişim, kalite, güvenlik ve geri ödeme konularında hastalara yönelik açık ve güvenilir bilgiler sağlayarak onların bilinçli tercih yapmasına yardım etmek ağın bir diğer amacıdır.

Ağın yönetim kademelerinde *Ağ Meclisi*, *Gözetim Komitesi*, *Etik Danışma Komitesi*, *Ağ Yönetim Takımı* ve *Özel Görevler* bölümleri bulunmaktadır. Kanser hastası çocuklar ve ailelerini desteklemek için 2012 yılında kurulmuş olan uluslararası bir örgütün Avrupa ayağı (CCI Europe) da ağı desteklemektedir. Bu grup, tıbbi ve

²¹⁵ European Reference Networks, “ERN PaedCan”, <http://paedcan.ern-net.eu/> (16.12.2018).

psikososyal uzmanlar, akademisyenler, araştırmacılar, bilim insanları, sivil toplum, özel kuruluşlar ve endüstriyle birlikte kanser hastası çocukların uzun dönem sağlık sorunları üzerinde çalışmaktadır. ERN PaedCan ağı içinde hastalar ve aileleri, bu grup ve *EURORDIS*'in bir girişimi olan '*Avrupa Hasta Danışma Grubu*' aracılığıyla temsil edilmektedirler. Bu grup aynı zamanda ERN PaedCan'ın Gözetim Komitesi'nin de bir parçasıdır ve böylelikle karar alma mekanizmasında da bulunmaktadır. Ağın pek çok açıdan değerlendirildiği süreçlerde de yer alan grup yakın bir zamanda, ağ koordinatörüyle ulusal bağlantı noktaları arasındaki iletişimi sağlamaya başlayacak ve hasta çocuklar ve aileleri için kendisi de bir bağlantı noktası haline gelecektir.

ARA sisteminin işleyişine göre her üye ülkenin, hasta ve ailelerinin sorularına cevap verebilecek bir ulusal bağlantı noktası olmalı ve eğer yurtdışında bir tedavi olanağı varsa hastaları lojistik, idari işler gibi konularda desteklemelidir. Bu bağlamda ERN PaedCan ağına dâhil olan çocukluk çağı kanser örgütlerinin bir görevi de ERN PaedCan hakkında hastaları bilgilendirmek ve hasta hakları konusunda aydınlatmaktır. Zira hasta ve aileleri ülkelerindeki referans merkezinin hangisi olduğunu, uzmanları ve en iyi tedaviyi nerede bulabileceklerini bilmelidirler.

Bilindiği gibi *EURORDIS*, her ARA ağının ilgilendiği hastalık grubu için bir *Hasta Danışma Grubu* kurmuştur. Bu gruplar seçilmiş hasta temsilcileri ve afiliye örgütleri biraya getirerek ARA deneyiminde hastaların sesi olmayı hedeflemektedirler. Hekimler ve hasta temsilcilerinin, birlikte nasıl çalışabileceklerini kendilerinin geliştirmesi gerektiği bu süreçte, *EURORDIS* hasta temsilcilerini desteklemeye devam edecektir.

3.20. KARACİĞER HASTALIKLARI AĞI

Karaciğer Hastalıkları Ağı (*ERN RARE-LIVER*) Avrupa'daki nadir çocuk ve yetişkin karaciğer (KC) kanserleri için kurulmuştur.²¹⁶ Ağ sistemine dahil edilen hastalıklar otoimmün KC hastalıkları, yapısal KC hastalıkları ve metabolik, bilier atrezi ve ilişkili hastalıklardır. Ağın amacı KC hastalıklarındaki tedavi standartlarını ve klinik bilgiyi geliştirmektir.

²¹⁶ European Reference Networks, "ERN RARE-LIVER", <https://www.rare-liver.eu/> (09.11.2018).

Ağ klinikler, hekimler ve hastalarla yakın çalışma sayesinde en iyi klinik uygulamaları yaygınlaştıracak, klinisyenlerin uzmanlık bilgilerine erişimini kolaylaştırmak için inovatif bilgi iletişim araçları kullanacak, klinik kılavuzları güncelleyecek ve hastalara kaliteli bilgi temin edecektir.

Nadir KC hastalıkları önemli klinik problemlerdendir ve gerekenlerin hala tam olarak yapılamadığı bir alandır. Tanısal zorluklar genellikle tedavide gecikmeye neden olmaktadır. Mevcut tedavi seçeneklerindeki yetersizlikler ve tedaviye erişimdeki kısıtlılıklar beraberinde ölüm riski, karaciğer nakli ihtiyacı, etkisiz tedaviler ve kötü yaşam kalitesine getirir. Hastalar açısından yaşadıkları yere göre hala tedavi kalitesi anlamında eşitsizlikler olması söz konusudur. Çok önemli olmalarına rağmen nadir KC hastalıkları, bu anlamda yeterli eğitimi olmayan gastroentereologlar tarafından değerlendirilmektedir. Bu hastaların bir diğer ihtiyacı çocukluktan yetişkinliğe geçiş sürecindeki sağlık hizmeti olup, ERN RARE-LIVER bu alanı da doldurmayı planlamaktadır.

ERN RARE-LIVER'in temel amacı Avrupa'da yaşayan bütün nadir KC hastalarının tedavilerini geliştirmektir. Bu amacı kılavuzlar geliştirip bunları uygulayarak ve eğitim ve araştırma faaliyetleriyle gerçekleştirecektir. Bütün üye merkezlerin hasta refere edebilmesi için sağlık araçlarını kullanacaktır. Bütün merkezlerin tedavi süreçleri takip edilerek kalite standartları kontrol altında tutulacaktır.

Prof. Ansgar Lohse tarafından eşgüdümü sağlanan ağ, Avrupa'daki öncü Karaciğer Hastalıkları Merkezlerini içermekte olup Avrupa'nın neresinde olursa olsun nadir KC hastalığı olan hastaların en yüksek kalitede tedaviye erişimini sağlamak için mümkün olduğu kadar genişlemeyi amaçlamaktadır. Ağ ulusal, Avrupa ve uluslararası fonları kullanarak işbirliği halinde araştırma ve inovatif çalışmalar yapmak için bir platform geliştirmektedir.

ERN RARE LIVER ağının ilgilendiği hastalıklar daha ayrıntılı olarak şunlardır: Otoimmün KC hastalıkları (Primer biliyer kolanjit, Otoimmün Hepatit, Primer siklerozan kolanjit, IgG4 hastalığı), Metabolik, Biliyer Atrezi ve ilişkili hastalıklar, Genetik kolestatik hastalık, Biliyer atrezi, Koledoktal kist, Alpha-1-Antitrypsin karaciğer hastalığı, Wilson hastalığı, Yapısal KC hastalıkları (Kistik KC hastalığı, Vasküler KC hastalığı, İntrahepatik kolanjiyokarsinom).

3.21. KAS-İSKELET VE BAĞ DOKUSU HASTALIKLARI AĞI

Kas-İskelet ve Bağ Dokusu Hastalıkları Ağı (*ERN-ReCONNET*) nadir kas-iskelet ve bağ dokusu hastalıkları alanında yüksek kaliteli, inovatif, sürdürülebilir ve daha kolay erişilebilir bir sağlık hizmeti sunmak için kurulmuştur.²¹⁷

ERN-RECONNET coğrafik sınırları aşan büyük bir sistem olarak planlanmıştır. Bu sistem içinde en iyi klinik uygulamaları ve tedavi seçeneklerini belirlemek için bir araya gelmiş olan ileri düzeydeki uzmanlık merkezleri; karmaşık olguların yönetimi için farklı uzmanların bulunduğu öncü merkezler; uzmanlar için yeni eğitim olanakları; hastalar, aileleri ve hekimler için güncel bilgiler; hastaların güçlendirilmesi ve araştırmanın desteklenmesi için e-sağlık çözümleri bulunmaktadır. Ağ sayesinde hastalar sanal ya da gerçek olarak en iyi tedavi seçeneğini bulmak için ülkeler arasında gezebilirler; sağlık ekonomisi ve sağlık organizasyonu uzmanları, sağlık merkezleri, yetkili organlar strateji geliştirmek için birlikte çalışabilirler.

ERN-RECONNET'in amacı Avrupa'da tedavi standartlarını yükseltmek; şeffaf karar almayı ve kaynakların etkin kullanımını desteklemek; araştırma ve epidemiyolojik izlemi güçlendirmek ve hasta ve hekimlerin bilgi düzeyini artırmak olarak belirlenmiştir.

Morbidite ve mortaliteleri²¹⁸ nedeniyle toplum ve hastalar üzerinde ciddi bir yük oluşturan Ehlers-Danlos ve nadir sistemik otoimmün hastalıklar (sistemik siklerosis, mix bağ dokusu hastalıkları, iltihabi idiyopatik miyoatiler, antifosfolipit sendromu, sistemik lupus eritomatosis, Sjögren sendromu) ilgilendiği başlıca hastalıklar arasındadır.²¹⁹

ReCONNET ağının özel hedefleri şunlardır: tedavi sırasında hastaları güçlendirmek ve hastalıklarıyla ilgili farkındalığı artırmak; bu hastalıklarla ilgili yeni bilgiler sağlamak; yüksek kaliteli ve homojen bir tedavi için tedavi ve kalite kılavuzları hazırlamak; bu hastalıkların yönetiminde etkili, standart ve sürdürülebilir yollar belirlemek; hastalar ve hekimler arasında veri paylaşımını kolaylaştırmak.

²¹⁷ European Reference Networks, "ReCONNET", <http://reconnet.ern-net.eu/> (09.11.2018).

²¹⁸ **Morbidite:** Özel bir grup içinde ve belirlenmiş bir zaman diliminde belli bir hastalığa yakalanan ve tanı konulan hastaların sayısı (veya oranı). **Mortalite:** Genel populasyon içinde belli bir hastalığa bağlı ölüm sayısı (oranı).

²¹⁹ European Commission, Working for Patients.

Bütün bu faaliyetler, e-sağlık araçlarının kullanımı ve sisteme farklı uzmanlık alanlarının katılmasıyla mümkün hale gelecektir. Ağ hekimler ve hastalar arasında bilgi ve iletişimi artırarak, daha az deneyimli merkezlerin yararlanması için deneyimlerin paylaşılmasını sağlayarak, tedavi kılavuzları çıkararak ve disiplinler arası tedaviye erişimi sınır ötesini de kapsayacak şekilde genişleterek tedavi süreçlerini iyileştirecektir. Ağ ayrıca hastaların güçlenmesini destekleyerek farkındalığı ve hastaların tedavi süreçlerine katılımını artırmayı ve böylece yaşam kalitelerini yükseltmelerini de hedeflemektedir.

3.22. BAĞIŞIKLIK SİSTEMİ HASTALIKLARI AĞI

Nadir bağışıklık sistemi hastalıkları için kurulan bu ağın (*ERN RITA*) ilgilendiği başlıca hastalıklar şunlardır: antifosfolipit antikor sendromu, Ehler-Danlos sendromu, idiopatik iltihabi myopatiler, IgG4-ilişkili hastalık, miks bağ dokusu hastalığı ve tekrarlayıcı polikondrit.²²⁰ On ülkeden 24 uzman, afiliye üyeler ve hasta örgütleri ERN RITA'nın çekirdeğini oluşturur (Tablo 13). ERN RITA üyeleri dört alt grupta toplanmış olup, her grubun ayrı bir koordinatörü bulunmaktadır. Bu gruplar primer immün yetmezlikler, otoimmünite, otoinflamatuvar hastalıklar ve çocuk romatolojisi olarak belirlenmiştir.

İmmün yanıt mekanizmalarının son yüzyıldaki keşfinden itibaren, yaklaşık 300 genetik nedenli immün hastalık tanımlanmış ve bağışıklık sistemi hastalıklarıyla ilgili alan çok hızlı gelişmiştir. Bağışıklık sistemi hastalıklarının tamamı, immün hücrelerin genetik veya işlevsel bozuklukları nedeniyle oluşur ve patofizyolojilerinin ve yeni tedavi seçeneklerinin anlaşılabilmesi için genetik uzmanlığı gerekir. Son zamanlarda detaylı genetik testler ve immün sistemin diğer testleri hızla gelişmekle birlikte, bu testler her merkezde bulunmamaktadır. Bu anlamda testlerin merkezler arası paylaşılması ve sonuçlarının değerlendirilmesi noktasında, ağ çok önemli bir rol oynayacaktır. Genetiğin yanı sıra immünolojik tedaviler de hızla geliştirilmekte ve uygulamaya girmektedir. Polivalan immünglobulin tedavileri antikor eksikliği olan hastalıklarda, spesifik antisitokin tedavileri de nadir otoimmün ve otoinflamatuvar

²²⁰ European Reference Networks, “ERN RITA”, <http://rita.ern-net.eu/> (24.08.2019).

hastalıklarda çok önemli gelişmeler sağlamıştır. Ağ bütün bu konulardaki gelişmelere katkı sunmayı hedeflemektedir.

Vizyonunu nadir immün hastalığı olan her hastaya, yaşam potansiyelinin tamamını yaşatabilmek olarak açıklayan ağın kendisine belirlediği görevler şunlardır: nadir immün sistem hastalıkları için en ileri tedavi seçeneklerini sağlamak; her hastanın en iyi tedavi seçeneğine ve uzmana erişimini eşit hale getirmek; Avrupa'daki diğer merkezlerle işbirliği yapmak; tanı ve tedavide gelişmeler elde etmek, geleceğin liderlerini eğitmek ve araştırma ortamı sağlamak.²²¹

RITA'nın güçlü tarafı immün hastalıklarda çok iyi gelişmiş 100'den fazla bilimsel ağın üzerine kurulmuş olmasıdır. Bu en gelişmiş ve deneyimli ağlar RITA içinde de temsil edilmektedir. Ağ en zayıf ülkeleri güçlendirmeyi ve böylece Avrupa'daki hastalar açısından eşitliği sağlamayı hedeflemektedir. İlaç tedavileri bağlamında ise ağ, uluslararası kabul edilmiş standartları kullanmaya devam edecek ve ilaçların bütün üye ülkelerde bulunmasını sağlamaya çalışacaktır.

RITA-ERN'nin spesifik yararları daha maliyet etkin tedavi hizmeti, ileri uzmanlık uygulamalarının yayılması, e-sağlık araçlarının kullanımı olacaktır. Bu bağlamda etkin şekilde kullanılacak olan sanal konsultasyon sistemi, en iyi ve en maliyet etkin tedavinin hastanın bulunduğu yerden yapılması olanağını sunacaktır. Ağın diğer hedefleri kaynakların uygun yerlerde toplanmasını sağlayarak maliyet etkinliği maksimize etmek ve hasta sayılarının azlığından dolayı teknoloji ve uzmanlığın yeteri kadar gelişemediği ülkelere yardım etmek olarak belirlenmiştir.

RITA ağı hedeflerine ulaşmak için inovatif tanısal yöntemler ve tedavi modaliteleri geliştirmeyi hızlandırmayı; mevcut kayıt sistemlerini birbirine bağlamayı; moleküler genetik uzmanlarından oluşan bir ekip kurmayı; nadir durumlardaki ilaç etkileşimleri için ortak bir sistem oluşturmayı; biyolojik tedavilerin doğru kullanımı ve izlenmesi için bir ortak görev gücü oluşturmayı; nadir immün sistem hastalıklarıyla ilgili kök hücre ve gen tedavilerini içeren çalışmaları biraraya getirmeyi; farklı hasta örgütleri arasında işlevsel bir işbirliği oluşturarak deneyimlerini paylaştırmayı ve çocuk ve yetişkin uzmanlarını biraraya getirmeyi planlamaktadır.

Aşama aşama ulusal otoriteler tarafından onaylanmış bütün merkezleri ağ içine almak isteyen RITA, iki yılda bir hazır olan merkezleri sisteme katılmaları için davet

²²¹ European Commission, Working for Patients.

edecektir. Ağın yönetim organları şunlardır: Ağ Kurulu (koordinatör, ağ yöneticisi, akım liderleri ve hasta temsilcisi), Ağ Konseyi (Ağ Kurulu, merkezlerin temsilcileri, 2 hasta temsilcisi), Ağ Meclisi (ERN RITA konseyi ve 24 merkez), Ağ Konseyi (Ağ Kurulu, çalışanların temsilcileri ve 2 hasta temsilcisi).

Tablo 13: Bağışıklık Sistemi Hastalıkları Ağına Katılan Bazı Merkezler

Ülke	Şehir	Merkez
Belçika	Leuven	Üniversite Hastanesi
Çek Cumhuriyeti	Prag	Üniversite Hastanesi
Fransa	Paris	Bicetre Hastanesi
		Cochin Hastanesi
		Necker Çocuk Hastanesi
	Strasbourg	Üniversite Hastanesi
Almanya	Münih	Üniversite Hastanesi
	Münster	Üniversite Hastanesi
	Freiburg	Üniversite Hastanesi
İtalya	Pavia	Foundation IRCCS Polyclinic San Matteo
	Cenova	IRCCS Institute Giannina Gaslini
	Roma	Bambino Gesù Çocuk Hastanesi
	Milano	San Raffaele Hastanesi
Hollanda	Groningen	Üniversite Hastanesi
	Rotterdam	Erasmus Üniversite Tıp Merkezi
	Utrecht	Üniversite Tıp Merkezi
Slovakya	Lubiana	Üniversite Tıp Merkezi
İspanya	Barselona	Vall d’Hebron Üniversite Hastanesi
İsveç	Solna	Karolinska Üniversite Hastanesi
İngiltere	Londra	Barts Hastanesi
	Leeds	Leeds Eğitim Hastanesi

Kaynak: European Reference Networks, “ERN RITA”, <http://rita.ern-net.eu/> (24.08.2019).

ERN-RITA faaliyetleri eğitim, klinik kılavuzlar, araştırma, kayıtçılık ve biyobanka, moleküler testler, e-sağlık, kök hücre ve gen tedavisi, çocukluktan yetişkinliğe geçiş, farmakovijilans ve biyolojik tedavi, hasta örgütleri, iletişim olmak üzere çok çeşitli alanlara bölünmüştür.

3.23. ÇOCUKLARDA ORGAN NAKLİ AĞI

Çocuklarda Organ Nakli Ağı (*TransplantChild*) çocuklarda solid organ ve kök hücre nakli gerektiren nadir durumlar için kurulmuştur.²²² Amacı nakil ihtiyacı olan çocukların en iyi tanı ve tedavi önerilerini almasını sağlayarak yaşam beklentisini ve kalitesini yükseltmektir.

Hastalar ve aileleri için bir *mükemmellik ağı* olmayı hedefleyen TransplantChild, bütünlükçü bir yaklaşım sergilemeyi; inovatif ve daha başarılı girişimler yapılmasını sağlamayı; inovatif takip teknikleri ve kanıta dayalı tedaviler uygulamayı; hastalar ve ailelerinin hayatlarını iyileştirmeyi ve araştırma, eğitim ve bilginin yayılması için ileri derecede spesifikleşmiş multidisipliner ekipler kurmayı planlamaktadır.²²³

Çocuklardaki nakiller böbrek, karaciğer, ince barsak, kök hücre, kalp, akciğer ve çoklu organ şeklinde yapılmaktadır. Transplantchild çocuklarda en ileri teknikleri kullanarak organ ve kök hücre veya her ikisinin birden nakline odaklanmış bir ağıdır.

Ağın amaç ve hedeflerini gerçekleştirmek için kullanacağı yollar arasında en son tekniklere, tıbbi ve farmakolojik gelişmelere katkıda bulunmak; hastanede kalış süresini kısaltmak; karmaşık ve uzun süren tedavileri azaltmak; kişisel tıp uygulamalarını geliştirmek; çocuklara okul ve yetişkinliğe geçişte psikososyal destek sağlamak; farkındalığı, kendi kendini kontrolü, hasta eğitimini ve katılımını sağlamak; hastaları ve ailelerini dinlemek ve toplumsal farkındalığı artırmak gibi maddeler öne çıkmaktadır.

Bunların yanında ağın üzerinde çaba göstereceği diğer konular şunlardır: nakil ve ilaç tedavileriyle ilgili giderleri düşürmek; nakille ilgili sağlık çıktılarını, sağlık hizmetinin kalitesi ve güvenliğini ve hasta ve ailelerinin tatminini geliştirmek; birinci düzey merkezlere ve araştırma alanlarına erişimi kolaylaştırmak; bütün kliniklerde kullanılabilen klinik kılavuzlar hazırlamak; kompleks prosedürlerde ileri derecede uzmanlaşmış hekimlere sahip olmak; diğer paydaşlarla bilgileri paylaşmak.

²²² European Reference Networks, “TransplantChild”, <https://www.transplantchild.eu/en/> (23.07.2019).

²²³ European Reference Networks, “European Reference Network on Transplantation in Children”, https://www.transplantchild.eu/Documents/TRANSPLANTCHILD_v2.pdf (23.07.2019).

Tablo 14: Çocuklarda Organ Nakli Ağının Tahmini Ortalama Hasta Sayıları

İleri derecede uzmanlık gerektiren müdahale	Ortalama toplam hasta sayısı	Ortalama yıllık yeni hasta sayısı
Karaciğer nakli	2981	310
Böbrek nakli	775	119
Kalp nakli	105	13
Barsak nakli	134	12
Akciğer nakli	71	15
Hematopoetik kök hücre nakli	985	158

Kaynak: European Reference Networks, “Transplant Child”, <https://www.transplantchild.eu/en/> (24.08.2019).

3.24. MULTİSİSTEMİK DAMAR HASTALIKLARI AĞI

Farklı sistemleri tutabilen nadir damar hastalıkları için kurulan bu ağ (ERN VASCERN), Fransa Multisitemik Damar Hastalıkları Ağı’ndan Prof Guillaume Jondeau tarafından yönetilmekte ve şu nadir damar hastalıklarını kapsamaktadır: kalıtsal hemorajik telenjiaktezi, kalıtsal torasik aort hastalıkları, orta büyüklükteki arterlerin hastalıkları, çocukluk çağı lenfödem, primer lenfödem ve damar anomalileri.²²⁴ Ağ ARA için belirlenen sekiz amaçtan üçünü kendisi için benimsemiştir. Bunlar sağlık bilimlerinde, teknolojilerinde ve ileri derecede uzmanlaşmış sağlık hizmetinde Avrupa işbirliğini sağlamak; araştırma, epidemiyolojik takip ve eğitimi güçlendirmek; kalite ve güvenlik ölçütlerini ve en iyi klinik uygulamaları geliştirerek bunları ağ içinde ve dışında yaymak olarak sıralanmaktadır. Bu amaçlar bağlamında ERN VASCERN’in hedefleri de şunlardır: tanıda gecikmeyi önlemek; sağlık hizmeti sunucularında farkındalığı artırmak; çocukluktan yetişkinliğe geçilirken hasta takip kaybını önlemek; aile danışmanlığının kalitesini yükseltmek; gereksiz test kullanımını azaltıp gerekli test kullanımını artırmak ve klinik çalışmalar ve deneyimlerin paylaşılması yoluyla bilimsel bilgiyi geliştirmek.²²⁵ Ağın çalışma grupları deneyim paylaşma (kompleks vakaların tartışılması), hasta tiplerinin tanımlanması, ücretsiz mobil uygulama, online bilgi paketleri, veri tabanları, klinik çalışmalar ve araştırma, youtube için videolar, klinik

²²⁴ European Reference Networks, “ERN VASCERN”, <https://vascern.eu/> (06.08.2019).

²²⁵ European Commission, Working for Patients.

seyirlerin tanımlanması, kılavuzların yazımı, yapılması ve yapılmaması gerekenler broşürü, iletişim ve proje yönetimi olarak belirlenmiştir.

Bu ağın multidisipliner yaklaşım için gerekli gördüğü farklı branştan çalışanlar şunlardır: pratisyen hekim, kardiyolog, klinik genetikçi, genetik danışman, kalp cerrahı, göz uzmanı, ortopedist, psikiyatrist, psikolog, girişimsel radyolog, damar cerrahı, kadın doğum uzmanı, göğüs hastalıkları uzmanı, hematolog, gastroenterolog, anesteziist, solunum fonksiyon teknisyeni, diyetisyen, kan nakli teknisyeni, hemşireler ve eczacılar.

ERN VASCERN hasta grubu 6 kişiden oluşmakta ve hasta temsilcilerini ve hasta örgütlerini biraraya getirmektedir. Bu grup da tabii ki her ağda bulunan EURORDIS'in desteklediği 24 hasta grubundan birisidir. Grup hem kendi arasında toplantılar yapmakta hem de ağın bütün faaliyetlerine katılmaktadır.

SONUÇ

Bugün sağlık konusu bütün dünyada üzerinde en çok tartışılan konuların başında gelmektedir. Bir taraftan baş döndürücü bir şekilde gelişen tıp teknolojisi, yapay zekâ ve e-sağlık uygulamaları, bir taraftan küresel sağlık sorunları ve tehditleri ve bir taraftan da toplumların artan sağlık hizmeti beklentisi bu tartışmayı daima canlı tutmaktadır. Nasıl bir sağlık sistemi kurulması gerektiği konusunda dünyada büyük bir arayış devam etmektedir. Bu arayışın bir yansıması da DSÖ'dedir. Gelişen ve değişen bilim, teknoloji ve toplum yapısına göre DSÖ de paradigmasını değiştirmiştir. Artık DSÖ'nün sağlık anlayışı evrensel *sağlık kapsayıcılığı* yani kimsenin sağlık şemsiyesinin dışında kalmamasıdır. Bu bağlamda devletlerden beklenen daha fazla kapsayıcılığı olan sağlık sistemleri kurmalarıdır. Bu beklentiye doğru bir adım, Alma-Ata'nın 40. yılı olan 2018'de Kazakistan'ın Astana şehrinde DSÖ düzenlediği toplantıda atılmıştır. Bu toplantıdan çıkan bildirgede, sağlığın temel insan haklarından olduğu, birinci basamak sağlık hizmetlerine yeniden öncelik verilmesi ve sağlık hizmetlerinin bütün insanları kapsamı gerektiği kabul edilmiştir.

Bilindiği gibi AB'nin kendine özgü bir kurumsal yapısı ve karar alma mekanizması vardır. Bu kurumsal yapı içerisindeki *karar organları* Konsey, AB Konseyi, Komisyon, Avrupa Parlamentosu ve ABAD'dır. Bu *karar organlarının* yanında, doğrudan sağlıkla ilgili oldukça fazla sayıda başka AB kurumu da bulunmaktadır. Sağlık konusundaki temel organ ise Komisyon'un genel müdürlüklerinden DG SANTE olup, AB sağlık politikası genel olarak bu genel müdürlük tarafından yürütülmektedir.

AB sağlık politikası başlangıçta yalnızca antlaşmalarda yer alan sağlığa ait sınırlı maddelerden oluşmaktayken, günümüzde neredeyse ortak bir politika alanı haline gelmiştir. Bunun başlıca nedenleri arasında AB'nin geldiği genişleme ve siyasi bütünleşme sonucunda hastaların ve sağlık çalışanlarının giderek artan hareketliliği, sağlık hizmetlerinin üye ülkeler arasında belirli bir düzeye çıkartılma zorunluluğu, küresel sağlık tehditlerine karşı hazır olma zorunluluğu ve sağlığın pek çok diğer AB politikasıyla doğrudan veya dolaylı olarak etkileşime giriyor olması sayılabilir. Sağlıkla ilgili ABAD kararları da AB'nin sağlık politikasında derinleşmesini zorunlu hale getiren bir başka nedendir.

AB'nin başlangıcını oluşturan 1951 Paris Antlaşmasında yalnızca kömür ve çelik endüstrisinde çalışanların sağlık ve güvenliği konusunda araştırma ve üye ülkeler arasında işbirliği yapılmasına yönelik hüküm bulunmaktayken, 1957 Roma Antlaşmasında ise insan sağlığının ve yaşamının korunması temelinde, üye ülkelere ticaretin sınırlandırılması konusunda yetki verilmiştir. İlerleyen dönemlerde sağlık başlığı antlaşmalarda giderek daha çok yer bulmaya başlamıştır. Nitekim 1987 tarihli Avrupa Tek Senedinde Topluluk kurumları sağlığı ilgilendiren kararlarında '*yüksek düzeyde korumayı*' temel alacaklardır denmekte, 1992 tarihli Maastricht Antlaşmasında ise halk sağlığına yer verilmekte ve böylece Topluluğun sağlık alanındaki rolü resmi olarak ilk defa vurgulanmış olmaktadır. Yine bu Antlaşmayla *yetki ikamesi* kuralı getirilmiş ve böylece AB'ye kurumsal olarak sağlık alanında yetki verilmiştir. Zira bu ilkeye göre, bir konuda AB'nin Birlik düzeyinde harekete geçmesiyle daha yararlı bir sonuç alınacaksa, Birlik düzeyinde harekete geçilmelidir. Daha yakın dönemdeki Amsterdam Antlaşması da '*tüm Topluluk politika ve faaliyetlerinde yüksek düzeyde bir sağlık korumasının sağlanması gerekir*' diyerek sağlığa önemli bir vurgu yapmaktadır.

Bugüne geldiğimizde ise, AB'nin başlangıçtan beri bütün antlaşmalarını birleştiren ve günümüzde geçerli olan ABİHA'nın '*İlkeler*' başlıklı birinci bölümünde, '*insan sağlığının korunması ve iyileştirilmesi*' Birliğin desteklemek ve koordine etmekle yükümlü olduğu konular arasında sayılmaktadır. '*Birlik politikaları ve dahili eylemler*' başlıklı üçüncü bölümündeki '*Halk Sağlığı*' maddesinde '*Birliğin bütün politika ve faaliyetlerinde insan sağlığının yüksek düzeyde korunması temin edilir*' denilerek, Birlik faaliyetlerinin tamamlayıcı nitelikte olduğu ve bu faaliyetler sırasında ulusal sağlık politikalarına saygılı olunacağı belirtilmektedir. Görüldüğü gibi AB'nin sağlık politikası, başlangıçta yalnızca antlaşmalardaki çok yüzeysel ve genel sağlık vurgularından oluşmaktayken, günümüzde oldukça detaylı sağlık maddelerini kapsar hale gelmiştir.

Yukarıda da belirtildiği gibi sağlık hizmetlerini organize etmek ve sunmak üye ülkelerin kendi sorumluluk ve yetki alanı içinde olduğundan, AB sağlık politikası ulusal politikaları desteklemek ve bütün AB politikalarında sağlığın korunmasını temin etmek üzerine kurulmuştur. Ancak sınır ötesi sağlık tehditleri, hasta hareketliliği ve sağlık eşitsizlikleri gibi konularda ise Birliğin de kurucu antlaşmalardan

kaynaklanan sorumlulukları ve hakları bulunmaktadır. AB'nin sağlık politikası ve icraatlarındaki amaçları, AB vatandaşlarının sağlığını korumak ve geliştirmek, sağlık altyapısının modernize edilmesini desteklemek ve Avrupa sağlık sistemlerinin etkililiğini geliştirmek olarak sıralanmaktadır.

'Ortak sağlık değerleri', 'sağlık en büyük zenginliktir', 'bütün politikalarda sağlık' ve 'küresel sağlıkta AB'nin sesini güçlendirmek' şeklinde sıralanan dört temel ilkeye dayanan AB'nin güncel sağlık politikası, 2007 yılında 2020 yılına kadar geçerli olmak üzere başlatılmış ve *'Avrupa 2020'* stratejisini destekler nitelikte hazırlanmıştır. Bilindiği üzere Avrupa 2020 stratejisi, büyümeyi sağlamak üzere *'akla dayalı, sürdürülebilir ve kapsayıcı bir ekonomik model'* amaçlamaktadır. Bu politikaya göre sağlık ekonomik zenginlik için de bir önkoşul olarak görüldüğü için, sağlığa yapılacak harcamanın büyümeyi de hızlandıracak öngörülmektedir. Ancak AB'ye göre bu sağlık harcamaları *akla dayalı yatırımlara* yapılmalı ve sürdürülebilir sağlık sistemlerinde, eşitsizlikleri azaltma ve sosyal dışlanmayla mücadele için kullanılmalıdır.

AB sağlık politikasının oluşturulması ve uygulanmasında DG SANTE'nin yanında AB'nin bazı diğer müdürlükleri, diğer AB kurumları, üye ülkeler, bölgesel ve yerel yetkililer ve diğer çıkar grupları da yer almaktadırlar. AB'nin sağlıkla ilgili politikaları *halk sağlığı* başlığı altında toplanmakta olup, bu politikanın amacı insan sağlığını korumak ve geliştirmek ve Avrupa'daki sağlık sistemlerini modernize ederek büyüme ve istihdam önceliklerine katkıda bulunmaktır. *İkame etme* ilkesine uygun olarak Komisyon'un temel rolü ise üye ülkelerin, vatandaşların sağlığını korumak ve geliştirmek konusundaki çabalarını desteklemek ve sağlık sistemlerinin erişilebilirliğini ve etkililiğini arttırmaktır.

Sınır ötesi sağlık hizmetlerinde hasta hakları, ilaçlar, tıbbi aletler, organ, kan, doku, hücre, sınır ötesi sağlık tehditleri ve tütün gibi başlıklardan oluşan AB sağlık politikası; *'mevzuat', 'finansal araçlar' ve 'işbirliği'* aracılığıyla uygulamaktadır. Komisyon AB sağlık politikasını uygularken, Konsey ve Parlamento'nun her türlü kararından oluşan AB sağlık mevzuatını ve ABİHA'nın sağlığın korunması, mevzuatın yakınlaştırılması ve sosyal politikayla ilgili maddelerini kullanır. AB kurumları, üye ülkeler, bölgesel ve yerel yönetimler ve diğer paydaşlar sağlık politikasının uygulanmasında işbirliği yapmaktadırlar. AB bu işbirliğinde temel olarak

şunları amaçlamaktadır: yüksek sağlık kalitesini, standartlarını ve sağlık mevzuatını desteklemek, küresel sağlık sorunları hakkında farkındalığı artırmak, ülke ve bölgeler arasındaki sağlık eşitsizliklerine çözüm üretmek. AB sağlık politikası büyük oranda projelerle yürütüldüğünden, sağlık politikasının finansmanı bu alandaki projelerin finansmanı anlamına da gelmektedir. Genel olarak bakıldığında sağlığın desteklenmesi, sağlık güvenliği ve sağlık bilgisi alanındaki projeler '*Sağlık Programı*'; biyoteknoloji ve tıbbi teknoloji alanındaki projeler '*Ufuk 2020 araştırma programı*' ve üye ülkelerdeki sağlık yatırımları projeleri de '*AB kohezyon politikası*' tarafından desteklenmektedir. Bunların dışında bir de '*Stratejik yatırımlar için Avrupa fonu*' bulunmaktadır.

Sağlıkla ilgili veri ve bilgi paylaşımını, elektronik sağlık kayıtlarını, teletıp hizmetlerini, taşınabilir hasta izleme cihazlarını, operasyon salonu planlama yazılımları ve robotik cerrahi gibi pek çok uygulamayı kapsayan e-sağlık, kısaca sağlık alanında her düzeyde bilgi iletişim teknolojilerinin kullanılması olarak tanımlanabilir. E-sağlık sayesinde hastalar tedavilerini daha iyi takip edebilirler; bir sağlık merkezine gitmeden uzaktan kendilerine ait verileri alabilirler; hem hekimler hem de hastalar sağlık kayıtlarına girebilirler; istedikleri test sonuçlarına hızlı şekilde ulaşabilirler; tanı, tedavi ve takip sürecini daha iyi planlayabilirler.

AB sağlık politikası içinde e-sağlık önemli bir yer tutmaktadır. Daha 1980'li yıllardan itibaren e-sağlık konusuna ilgi göstermeye başlayan AB, özellikle bu alandaki araştırma projelerini giderek daha yüksek miktarlardaki maddi katkılarla desteklemektedir. Komisyon'a göre AB'nin e-sağlıktaki hedefleri, gerektiğinde e-sağlık araçlarını kullanarak yaşam kurtaran bilgileri ülkeler arasında kullanıma uygun hale getirip toplum sağlığını geliştirmek; e-sağlığı sağlık politikasının bir parçası haline getirerek, bu alanda üye devletlerarasındaki politik, finansal ve teknik eşgüdümü sağlamak ve böylece sağlığa erişimi ve sağlık hizmeti kalitesini yükseltmek; bu alandaki strateji, düzenleme ve uygulamalarda hem sağlık profesyonellerinin hem de hastaların sürece dâhil olmalarını sağlayarak daha etkin, kullanıcı dostu ve geniş kabul gören e-sağlık araçları yapımını sağlamaktır. AB e-sağlık alanındaki hedeflerini gerçekleştirebilmek için iki eylem planı çıkarmıştır. Birinci eylem planı, 'e-sağlık- Avrupa vatandaşları için sağlık hizmetlerini iyileştirme: Avrupa e-Sağlık Alanı için eylem planı' başlığıyla, 2004-2011 dönemi için çıkarılmış

olup bekleme zamanlarını ve hataları azaltarak daha uyumlu bir Avrupa e-sağlık anlayışını geliştirmek için bilgi sistemlerine odaklanmıştır. *Hasta Hakları Yönergesi*'nin 'Avrupa e-sağlık Bilgi Ağı' kurulmasını öngören 14. maddesine istinaden 'e-sağlık planı 2012-2020- 21. yüzyıl için inovatif sağlık' başlığıyla çıkarılan ikinci eylem planı ise, araştırma, geliştirme ve inovasyonu destekleme; uluslararası işbirliğini sağlama; e-sağlık hizmetlerinin karşılıklı kullanılabilirliğini artırma ve e-sağlığın yaygınlaştırılması konularını kapsamaktadır. E-sağlık uygulamalarının en üst düzeyde kullanıldığı alanlardan birisi de NH'nin yönetimi için oluşturulan ARA'dır. Birer sanal ağ olan bu ağlarda, elektronik ortamda radyolojik görüntüleri de içeren hasta verilerini paylaşmak ve hekimler arası iletişim ve konsültasyonu sağlamak üzere ileri düzeyde bilgi ve iletişim teknolojileri kullanılmaktadır. Bu bağlamda ARA dünyada e-sağlık uygulamalarının en ileri düzeydeki örneklerinden birisidir.

NH dendiğinde bir hekimin günlük sağlık uygulamalarında her gün görmediği, belki de hayatı boyunca yalnızca birkaç tane gördüğü hastalıklar söz konusudur. AB 1999 yılında yayınladığı NH'yle ilgili ilaçlar hakkındaki tüzüğünde, genel olarak 1/2000'in altında görülen hastalıkları bu şekilde adlandırmaktadır. Bugün çoğu genetik olmak üzere yaklaşık 8.000 türde nadir görülen hastalık tanımlanmıştır. Bazı NH özellikle bazı bölgelerde veya bazı etnik gruplarda daha yaygın görülebilmektedir. NH'yle ilgili olarak nadir görülmelerinden kaynaklanan pek çok sorun ortaya çıkmakta ve bu da NH'yi özel ilgi gerektiren bir hastalık grubu haline getirmektedir. Başlıca sorunları şu şekilde sayabiliriz: az görülmelerinden dolayı bu hastalıklar üzerinde bilgi birikimi ve deneyim kazanılamamaktadır; çoğunun tedavisi ya yoktur ya da çok zor ve pahalıdır; tedavileri için birçok uzmanlık dalının bir arada çalışması gerekmektedir; hastalar sosyal, psikolojik ve ekonomik olarak desteğe daha çok muhtaçtırlar. NH'yle ilgili çok önemli bir başka sorun da bu hastalıkları tedavi ve takip eden herkes tarafından ortak bir dil kullanılması zorunluluğudur. Zira doğru sınıflama yalnızca uzmanlar arasındaki iletişimi kolaylaştırmakla kalmaz, aynı zamanda NH'nin epidemiyolojisi ve daha sonra yapılacak araştırmalar için de vazgeçilmez bir gereklilik arz eder. Yani bu hastalıkların hepsini kapsayacak bir sınıflama sisteminin bütün dünyada kullanılması bilimsel bir zorunluluktur. Bu konudaki farklı gruplar tarafından yapılan çalışmalar hala devam ediyor olmakla birlikte, günümüzde en yaygın olarak kullanılan sınıflama DSÖ'nün ICD sınıflamasıdır.

NH'yle mücadelede geline nokta; NH'nin tanı, takip ve tedavisi için '*ulusal uzmanlık merkezleri ve kayıt sistemleri*'nin kurularak hastaların buralarda takip edilmesi gerekliliğidir. NH takip ve kayıt merkezleri, bu hastalıkların takibinde e-sağlık araçlarını yaygın şekilde kullanan birimlerdir. Bu merkezlerde, özellikle bu hastalıklar üzerinde uzmanlaşmış hekim ve yardımcı sağlık personeli çalışmaktadır. Bunun sonucu olarak da buralarda muazzam bir bilgi birikimi ve deneyim elde edilmekte ve büyük hacimli ve önemli bilimsel araştırmalar yapılabilmektedir. Bu merkezlerin hasta açısından en önemli avantajı ise hastaların bu merkezlerde optimal tedaviyi alabilmeleri ve her türlü psikolojik ve sosyal desteği görebilmeleridir.

AB NH politikası oluşturmaya başladığı dönemde, Avrupa'da NH için 2500'den fazla ulusal düzeyde *takip merkezleri* bulunmaktaydı. Bunların nitelikleri ülkeden ülkeye değişmekle birlikte büyük çoğunluğu hastalık gruplarına göre yapılanmış merkezler şeklindeydi. AB ilk olarak bu merkezlerin nasıl yapılması gerektiği üzerinde çalıştı ve sonuçta bu merkezlerin belirli hastalık gruplarına göre yapılanmış, ileri derecede uzmanlık ve teknoloji kullanan '*uzmanlık merkezleri*' şeklinde olması gerektiğine karar verdi. Hemen sonrasında ise 2011 yılında bu '*uzmanlık merkezleri*' için belirli standartlar ve kalite ölçütleri belirleyerek, üye ülkelere bu standartları sağlayabilmeleri için EUROPLAN projesiyle maddi ve teknik destek sağladı. Bu merkezlerin en temel özelliği hasta odaklı ve multidisipliner bir yapıda olmasıdır. Buna göre buralarda belli bir konuda uzmanlaşmış hekimler, hemşireler, laboratuvar uzmanları, araştırmacılar, genetik danışmanlar, sosyal hizmet uzmanları ve hasta danışmanları bu merkezlerde işbirliği içinde çalışır. Hastaların tedavi, rehabilitasyon ve palyatif ihtiyaçlarıyla ilgili uzmanları bir araya getiren ya da eşgüdümünü sağlayan bu merkezlerden diğer beklentiler ise şunlardır: tedavi kılavuzları oluşturmak; hasta bakışını yansıtabilmek için hasta örgütleriyle işbirliği içinde olmak; iyi klinik uygulamaların geliştirilmesine ve yayılmasına katkıda bulunmak; bütün disiplinlerden sağlık çalışanlarına eğitim sağlamak; hem hastalara hem de sağlık çalışanlarına güvenilir bilgi sağlamak; hastalığın doğasının anlaşılmasını sağlayacak, tanı ve tedaviyi geliştirecek araştırma ve inovasyona katkıda bulunmak; gerektiğinde diğer ulusal ve Avrupa düzeyindeki merkezlerle irtibata geçmek. NH merkezlerine İngiltere'de '*mükemmellik merkezleri*' denmektedir. Eşgüdümü sağlanmış tedavi, uzmanlar için uygun iş yükü, tek uzmana bağlı olmama,

çocukluktan erişkinliğe geçişle ilgili düzenlemeler içermek, hastalarla iletişim halinde olma, araştırma faaliyetleri yapma, sağlık profesyonellerini eğitme ve uluslararası merkezlerle bağlantı içinde olmak da buraların özellikleri arasındadır.

NH takibinde uzmanlık merkezleri kadar önemli olan diğer konu ise kayıt sistemleridir. Kayıt sistemleri, spesifik bir hastalıkla ilgili olarak, önceden amacı belirlenmiş bir veya birkaç gözlemsel çalışma için uzun dönemli organize olmuş ve toplum tabanlı veri toplayan sistemlerdir. Buradan elde edilen bilgiler hastalık etiyolojisi, patogenezi, tanı ve tedavisi için yapılacak araştırmalar için büyük önem arz etmektedir. Kayıt sistemlerinin bazı spesifik amaçlarını ise şu şekilde sıralayabiliriz: hastalar, hasta yakınları ve hekimler arasında bağlantı kurmak; hastalığın doğal seyrini, gelişimini, risk faktörlerini ve son halini öğrenmek; nadir hastalıkların genetik, moleküler ve fizyolojik zemini üzerinde araştırmalar yapmak; ilaçlar ve tıbbi araçları değerlendirmek için hasta veritabanı oluşturmak. NH kayıt sistemleri, bu yararlarının yanında, ARA sisteminin başarı ile uygulanabilmesi için gerekli bir altyapı ögesidir. Komisyon, var olan kayıt sistemlerinin '*Avrupa Nadir Hastalıklar Kayıt Platformu*'nda birleştirilerek, Avrupa'daki yüzlerce kayıt sistemlerinde birikmiş farklı standartlardaki bilgileri ortak standartlarda buluşturmayı ve böylece kullanılabilir hale getirmeyi amaçlamış ve bunun için bir proje başlatmıştır. Bu sürecin sonunda ise 28 Şubat 2019 *Dünya Nadir Hastalıklar Günü*'nde '*Avrupa Nadir Hastalıklar Kayıt Platformu*'nu başlatmıştır. Komisyon'a göre bu platformun amacı AB düzeyinde NH için tutulan kayıtların standardizasyonunu sağlayarak yüzlerce veri tabanını araştırma yapılabilir hale getirmek ve hasta verilerinin dağınıklığını engellemektir. Bu platform ayrıca veri tabanlarının içerdiği verilerin değerini maksimize edecek ve bu bilgileri ARA'nın ve bütün paydaşların kullanabilmesinin yolunu açacaktır. Mevcut bütün kayıt sistemlerine açık olan Platform'un nihai amacı, ARA, araştırmacılar, hastalar ve politikacılar için kullanabilecekleri bilgiler üretmektir.

Avrupa düzeyinde NH'yle ilgili bilimsel araştırmalar, 1990'lardan beri *AB Araştırma ve Teknolojik Gelişme Çerçeve Programları* desteğiyle yapılmaktadır. 2007-2013 mali döneminde 7. Çerçeve Programı ile yalnızca Ar-Ge alanındaki çalışmalara hibe desteği sunulmaktaydı. *Ufuk 2020*'de ise Rekabet Edebilirlik ve Yenilikçilik Programı'nın yenilikçiliğe ilişkin eylemleri, Avrupa Teknoloji ve Yenilik Enstitüsü tarafından uygulanan faaliyetler ile Avrupa Ortak Araştırma Merkezleri

tarafından uygulanan nükleer olmayan arařtırmalar da bu program bünyesine alınmıřtır. AB'nin gemiřten bugüne arařtırma ve yenilik programlarının en büyüğü olan bu programın 2014-2020 dönemi için 77 milyar Euro olan bütesinin, *Ufuk Avrupa* adıyla ve 2021-2027 dönemi için yaklaşık 100 ilyar Euro'ya yükseltilmesi planlanmaktadır. 7. Çereve Programı ve Ufuk 2020 dönemine bakıldığında, 200'den fazla NH projesi için toplamda 1 milyar Euro'nun üzerinde bir büte ayrıldığı görölmektedir. Bu büte özellikle patofizyoloji, hastalığın doęal seyrinin anlaşılması ve yeni tanı ve tedavi yöntemlerinin geliştirilmesi için kullanılmıştır.

Avrupa'da örgütlü toplum yapısına paralel olarak, hastalar da önce spesifik NH'yle ilgili bir dernek kurmakta, sonra dięer NH dernekleriyle birleşerek ulusal birlikler meydana getirmekte ve bu ulusal birlikler de uluslararası örgütler şeklinde bir araya gelmektedir. Tabii ki bu yapılanmanın sonucunda hastalar isteklerini çok daha güçlü bir şekilde ifade edebilmektedirler. Bugün artık bu örgütler sayesinde, tıbbın geleneksel yapısındaki hastanın daha güçsüz olan konumu deęişmekte, hastalar güçlenmekte ve karar alma mekanizmalarında hastaların da yer alması bütün kesimler tarafından giderek doęal karşılanmaya başlanmaktadır. Avrupa bağlamında NH'yle ilgili hasta örgütlerine baktığımızda, son derece güçlü bir örgütsel yapıya ve bağlantılara sahip oldukları görölmektedir. Bu güçlü örgütlenmenin en başında EURORDIS gelmektedir. EURORDIS hasta ve hasta yakınlarını temsil eden uluslararası bir kuruluştur. Kendisini nadir görölen hastalığı bulunan hastaların yaşam kalitesini arttırmaya adanmış olan bu örgüt, 1997'de kurulmuş olup 28'i AB üyesi olan 70 ülkeden 900'e yakın derneęi temsil etmekte ve yaklaşık 5000 farklı NH'yi kapsamaktadır. EURORDIS bir taraftan hasta ve yakınlarına doğrudan destek olurken bir taraftan da karar vericilerle birlikte NH politikasına yön vermektedir. EURORDIS sayesinde Avrupa'daki hasta örgütleri artık, yasal olarak da tanı ve tedavi süreçlerinde hastanın yanında yer almaktadırlar. ARA sistemindeki NH aęlarının hepsinin yönetiminde hasta örgütleri temsilcilerinin de olması yasal bir zorunluluktur. Bu, hasta ve aileleri için seslerini duyurabilmek açısından olaęanüstü bir fırsattır. ARA sisteminin kurulmasına kadar geen bütün süreçte EURORDIS hastalar adına sürece katkı ve destek vermiş ve bu çabalarının sonucunda da bütün ARA'ların yönetiminde hasta temsilcilerinin bulunması sağlanmıştır. Bu örgütün farkındalık oluřturmak için

yaptığı örnek çalışmalardan birisi de 29 Şubat 2008’de bir Avrupa faaliyeti olarak başlatılan, fakat giderek bütün dünyada kabul gören ‘*Nadir Hastalıklar Günü*’dür.

Hem hastaları hem de hekimleri destekleyen bir diğer sivil toplum girişimi de *ORPHANET* internet portalıdır. Avrupa’da nadir hastalıklar ve bu hastalıkların ilaçlarıyla ilgili bilgiler içeren bir internet portalı olan *ORPHANET*, 1997 yılında Fransa Sağlık Bakanlığı tarafından kurulmuş ve AB tarafından olduğu gibi halen bu kurum tarafından da desteklenmektedir. *ORPHANET* NH konusunda dünya çapında bilgi yayılmasına büyük katkı yapmıştır. Günümüzde 6000’e yakın NH bu sitede kayıtlıdır. *ORPHANET* bütün üye ülkelerden topladığı verileri ve uzmanlık düzeyinde geçerliliği bulunan bilgileri yedi dilde bir elektronik ansiklopedi ve açık erişimi olan bir dergide yayınlamaktadır. Hekimlere yardımcı olmak üzere NH’nin bulgu, semptom ve ilaçlarının bir envanterini, hastalara yardımcı olmak için de 37 ülkedeki uzmanlık merkezleri ve laboratuvarlarını güncelleyerek yayınlamaktadır. Ayrıca devam etmekte olan ulusal ve uluslararası araştırma projelerini de takip eden *ORPHANET*, her yıl NH’yle ilgili politika oluşturulmasına katkıda bulunmak için, kendi önerilerini içeren bir rapor yayınlamaktadır.

Her ne kadar diğer genel müdürlüklerin de sağlığı ilgilendiren pek çok proje ve uygulaması olmakla birlikte, NH’yle ilgili Birlik düzeyinde yürütülmekte olan çalışmaların büyük çoğunluğu, DG SANTE tarafından yapılmakta ve ‘*Halk Sağlığı*’ başlığı altında toplanmaktadır. Komisyon NH’yle ilgili hedeflerini şu şekilde belirlemiştir: NH’nin tanınmasını geliştirmek, bütün sağlık sistemlerinde nadir hastalıkların doğru şekilde kodlanıp takip edilebilmesini temin etmek, üye ülkelerin ulusal planlarını desteklemek, Avrupa düzeyinde işbirliğini artırmak, NH merkezlerini birbirine bağlayarak bir ülkedeki uzmana ulaşamadığı zaman bir diğer ülkedeki uzmana ulaşabilmeyi sağlamak, daha fazla araştırma için motivasyon sağlamak, güncel tarama uygulamalarını değerlendirmek ve NH takip ve kayıt merkezlerini destekleyerek bir Avrupa Platformu oluşturmak.

AB’nin NH’yle ilgili olarak çok sistematik bir mevzuat çalışması yapmış olduğu dikkati çekmektedir. İlk olarak 1999 yılında NH ilaçları hakkındaki AB tüzüğü çıkarılarak NH’yle ilgili ilaçların geliştirilmesi konusu ele alınmıştır. Bu belgeyi Komisyonun 2008 yılındaki NH’yle ilgili tespitlerini içeren ‘*Nadir hastalıklar: Avrupa’nın zorlukları*’ başlıklı tebliği izlemekte ve burada NH’nin tanınırlığının

geliştirilmesi ve bu alandaki işbirliğinin gerekli olduğu ve konunun Birlik düzeyinde ele alınmasının zorunluluğu vurgulanmaktadır. Bu belgeden sonra Konseyin 2009 yılındaki NH'yle ilgili eylem önerisi gelmektedir. Genel olarak bu iki belgede NH'yle ilgili plan ve projeler, NH'nin tanımlanması, kodlanması ve envanterinin çıkarılması, araştırma, uzmanlık merkezleri ve ARA, hasta örgütlerinin güçlendirilmesi ve sürdürülebilirlik konularına değinilmektedir. Konsey önerisi spesifik olarak özellikle üye ülkelerin 2013 yılına kadar tamamlamak zorunda oldukları ulusal planlarına ve stratejilerine odaklanmış ve üye ülkeleri, bilgi ve uzmanlık paylaşımı için Avrupa referans ağlarının kurulması ve araştırmalar yapılması konusunda teşvik etmiştir. AB'nin NH'yle ilgili belki de en önemli resmi belgesi ise 2011 yılında çıkarılan ve 12. maddesinde ARA'ların kuruluşu anlatılan, bunun dışında sağlıkla ilgili pek çok başka alanda da düzenlemeler içeren '*Hasta Hakları Yönergesi*'dir. Bu yönergenin NH bağlamındaki amaçları; hastaların bir başka AB üyesi ülkede sağlığa erişimlerini kolaylaştırmak, üye ülkeler arası işbirliğini arttırmak ve özellikle de bütün uzmanları aynı havuzda birleştirerek hastaların tedavilerini geliştirmek için ARA'nın kurulmasını teşvik etmektir. 2013 yılında üye ülkelerde kanunlaşan bu yönerge ARA'nın da yasal altyapısını oluşturmaktadır. Zaten ARA'nın kuruluşuyla ilgili en temel sorunlardan birisi de ülkeler arasında bilgi paylaşımının yapılabilmesi için teknik, bilimsel ve yasal altyapının kurulabilmesiydi. Birlik düzeyinde çıkarılan çalışma programlarında da NH'nin uzun bir süreden beri yer almakta olduğu görülmektedir. İlk olarak 1 Ocak 1999- 31 Aralık 2003 dönemini kapsayan '*Nadir Hastalıklar Birlik Eylem Programı*' ile sağlığın yüksek düzeyde korunması amaçlanmış ve NH'yle ilgili bilgiyi geliştirmeye ve bilgiye erişimi kolaylaştırmaya odaklanılmıştır. Bu sürecin devamında ise NH öncelikli bir alan haline getirilerek 2008-2013 dönemi için '*Sağlık Alanında Birlik Eylemi İkinci Programı*' oluşturulmuştur. 2014-2020 dönemini kapsayan ve '*Büyüme İçin Sağlık*' başlığını taşıyan '*Sağlık Alanında Birlik Eylemi Üçüncü Programı*' da NH'yi yine öncelik alanlarından birisi olarak korumaktadır.

AB çıkardığı mevzuatın yanı sıra, NH'yle spesifik olarak ilgilenmek üzere Komisyon bünyesinde çeşitli gruplar kurmuştur. Bunlardan ilki RDTF'dir. Bu grubun içinde üye ülkelerden, Avrupa Komisyonundan ve DSÖ'den uzmanlar bulunmaktadır. Avrupa referans merkezleri ağı kurulması için bazı öneriler geliştiren RDTF, bu

yoldaki pilot projeler için şu tavsiyelerde bulunmuştur: ulusal veya bölgesel merkezler arasında hiyerarşiden kaçınılmalıdır, izole referans merkezleri oluşturmak yerine uzmanlaşmış merkezler arasındaki bağlantı desteklenmelidir, prensip olarak hastalar değil uzmanlaşma olgusu hareket halinde olmalıdır, hastaları mümkün olduğu kadar iyi takip ve tedavi edebilmek için yeterli kapasite olmalıdır, multidisipliner bir yaklaşım gösterilmelidir, araştırmalara güçlü şekilde katkı yapılmalıdır, ulusal ve uluslararası düzeydeki diğer merkezlerle ve hasta dernekleriyle yakın işbirliği sağlanmalıdır. *RDTF*, yerini Avrupa Komisyonu tarafından 30 Kasım 2009 tarihinde NH konusundaki her türlü faaliyeti yürütmek üzere kurulan *EUCERD*'e bırakmıştır. Bu grup da 2011 yılında yeni merkez kuracak üye ülkelere yol göstermesi ve gelecekte kurulacak Avrupa referans ağlarına katkı sağlaması amacıyla, NH için oluşturulacak uzmanlık merkezlerinin kalite ölçütleriyle ilgili öneriler yayınlamıştır. 2014 yılında bu Komite de Komisyon'un aldığı bir kararla sonlandırılarak yerine 2014-2016 dönemi için *CEGRD* kurulmuştur. Grup, üye ülke ve paydaşların temsilcileri ile NH uzmanlarından oluşmaktadır. ARA yolundaki çalışmaları kaldığı yerden devam ettiren bu komite, ARA'ya dâhil olacak NH'nin gruplandırılmasını yapmış ve sürece hastaların da dâhil edilmesini tavsiye etmiştir. Grup son olarak yayınladığı iki rapordan birincisinde farklı ülkelerde genetik test yapılmasının koşullarını belirlemiş, ikincisinde ise sosyal hizmetler ve politikaların sürece dâhil edilmesi; sağlık çalışanlarının eğitimi; ağları oluşturacak merkezlerin multidisipliner, bütünlükçü, insan haklarına saygılı ve süreklilik arz eden bir anlayışla kurulması; ağların kendi aralarında ve hastalarla iletişiminin sağlanması ve NH'yle ilgili konuların ulusal sağlık sistemlerine dâhil edilmesi önerilerinde bulunmuştur.

Ulusal NH merkezleri birçok NH'nin önlenmesi, tanı ve en iyi şekilde tedavisi için olağanüstü bir fırsat olmakla birlikte, binlerce NH düşünüldüğünde yine de yetersiz kaldıkları pek çok durum söz konusudur. Örneğin bir ülkede bir grup NH'yle ilgili çok gelişmiş bir merkez bulunmaktayken, başka ülkedeki merkez aynı konuda hasta eksikliğine veya başka teknik konulara bağlı olarak yetersiz kalabilmektedir. Bazen de bir NH'nin tanısını koyup tedavi edecek uzman, hastanın kendi ülkesinde hiç bulunmayıp başka bir ülkede bulunabilmektedir. Bunun sonucunda hem hastalar mağdur olmakta hem de bilgi ve deneyim belirli yerlerde sınırlı kalmaktadır. Burada iki konu çok önemlidir. Birincisi hastaların başka bir ülkede olsa da mevcut en iyi

tedaviye ulaşabilme hakkı diğeri de bütün merkezleri aynı ya da benzer standartlara ulaştırma gerekliliği. İşte bu nedenlerle yaklaşık 30 yıldır NH üzerinde çalışan AB, 2017 yılında NH'yle ilgili uzmanların bilgi ve deneyimlerini paylaşarak arttırabilmeleri, yeni araştırmalar yapabilmeleri, yeni tedaviler geliştirebilmeleri ve sonuç olarak hastaların optimal tedavi ve desteği alabilmelerini sağlamak üzere, NH'yle ilgili merkezleri birleştiren bir sistem olan ARA'yı kurmuştur. Sistem sayesinde bir ülkedeki NH'yle ilgilenen uzmanlar, bütün Avrupa'daki verilere ulaşabilecekler, bunlardan yararlanabilecekler ve diğer uzmanlar ve merkezlerle ortak araştırmalar yapabileceklerdir. Sistem önce NH'yi gruplara ayırmakta ve sonra da Avrupa'daki aynı hastalık grubuna bakan NH merkezlerini sanal bir ağda birleştirmektedir. Böylece hastaların veya uzmanların bulundukları yerden en iyi bilgi ve deneyime ulaşabilmeleri hedeflenmiştir. Zira bu ağlara katılan merkezler belli standartlara kavuşacak, uzmanlar eğitimler alacak ve hastalar da buradaki konsültasyon sisteminden yararlanacaklardır. Bu sistem sınır ötesi sağlık hizmetlerinde hasta hakları açısından da çok büyük bir aşama olacaktır. Çünkü bu sistemden çıkacak kararlar hasta Avrupa'daki en iyi merkeze geri ödeme koşulları sağlanmış olarak gidebilecektir.

Öncesinde pek çok projeyle ARA sistemini kontrol eden ve tüm kuruluş ve çalışma ilkelerini belirleyen AB, 2017'de ARA sistemine dahil olan 24 ağı kuruluşunu gerçekleştirmiştir. Bu ilk grup ARA 25 üye ülke ve Norveç'ten 313 hastanenin 900'den fazla ünitesini 24 farklı hastalık grubuna bölünen ağlarda birleştirmiştir. ARA'nın amaçları resmi olarak şu şekilde ifade edilmektedir: kılavuzlar, eğitim ve bilgi paylaşımıyla tedavi olanaklarını geliştirmek; hastalar ve hasta yakınları dâhil temel paydaşların güvenli şekilde sürece dâhil olmasını sağlamak; hastalık doğasını anlamak için klinik çalışmalar ve araştırmalar yapmak ve klinik işbirliğini sağlamak için yeni bilgi teknolojilerini devreye sokmak. ARA'nın günümüz itibarıyla finansmanı *'Sağlık Programı, Avrupa İletişim Aracı ve Ufuk 2020'* gibi çeşitli destek programlarından sağlanmaktadır. ARA'nın kuruluş süreci ve gereken ölçütler ile üyelerinin seçimi, AB mevzuatına dahil edilmiştir. Komisyonun sürekli ve büyük bir desteği olmakla birlikte, ARA sistemi temel olarak üye ülkeler tarafından yürütülür. Üye ülkelerin ARA sistemiyle ilgili harcamalara nasıl katılacakları konusunda tam olarak açıklığa kavuşmayan noktalar bulunmaktadır. Burada en önemli

sorun ARA sistemindeki konsültasyon sonunda başka bir ülkede tedavi olması gerektiğine karar verilen hastalardır. Bu noktada yine *Hasta Hakları Yönergesi* devreye girecektir. Zira yönergenin düzenlediği pek çok konudan birisi de başka bir ülkede tedavi ve geri ödeme koşullarıdır. Ancak ARA sistemindeki hastaların da diğer hastalar gibi mi kabul edileceği yoksa ayrı düzenlemeler mi yapılacağı ve geri ödeme koşullarıyla ilgili detaylar sistem çalışmaya başladıkça açıklığa kavuşacaktır.

Komisyon uygulama kararında belirtildiği gibi ağların kurulması, üyeliklerin oluşturulması ve sonlandırılmasında yetkili organ '*Üye Ülkeler Kurulu*'dur. Kurul 28 üye ülkenin ve Avrupa Ekonomik Alanı ülkelerinin temsilcilerinden oluşur. Kurulun ana görevleri ağ önerilerini ve hekimlerin üyelik başvurularını onaylamak, hekimlerin var olan bir ağa üyeliğini onaylamak, bir ağın kapatılmasına karar vermek ve üyelikten çıkarmaya karar vermek olarak sayılabilir. Komisyon tarafından tanınan bir ağ kurulabilmesi için gereken ölçütler şu şekilde belirlenmiştir: en az 8 ülkeden 10 uzman bir araya gelmelidir; her uzman kendi resmi sağlık otoritesi tarafından onaylanmış olmalıdır; bir ağın bütün uzmanları aynı nadir hastalık üzerinde uzmanlaşmış olmalıdır; ağ oluşturmak için bir teklif verilmelidir ve son olarak da ilgili uzmanlar ve önerilecek nadir hastalıkla ilgili ağ, Komisyonun kararında belirtilen ölçütleri karşılamalıdır. ARA kuruluşuyla ilgili yasal belge olan *Hasta Hakları Yönergesi*'nde ARA için sekiz amaç belirlenmiş olup, her ağ bu sekiz amaçtan en az üçünü benimsemek zorundadır. Bu sekiz amaç şunlardır: tıpta ve sağlık teknolojisinde Avrupa işbirliğinin potansiyelini ortaya çıkarmak; hastalıklardan korunma bağlamında bilgi birikimine katkıda bulunmak; tanı ve tedavide yüksek kaliteli ve maliyet etkin hizmeti kolaylaştırmak; kaynakları biraraya getirerek onları en yüksek maliyet etkinlik noktasına ulaştırmak; araştırma ve epidemiyolojik takip yapılmasını sağlamak ve sağlık profesyonellerini eğitmek; uzmanların hem sanal anlamda hem de gerçek anlamda hareketliliğini artırmak, bilgi üretmek ve yaymak, nadir hastalıkların tanı ve tedavisinin gelişmesini desteklemek; kalite ve güvenlik ölçütleri oluşturmak, en iyi klinik uygulamaları geliştirmek ve bunları yaymak; özel tıbbi durumlar için gereken ileri sağlık sistemi ve teknolojisinde yetersizliği bulunan üye ülkelere yardım etmek.

Sistemin çalışma esası, ağların yöneticileri olan ağ koordinatörlerinin hastaların tanı ve tedavilerini gözden geçirmek üzere farklı disiplinlerden uzmanları teletıp ve bilgi teknolojileri platformları aracılığıyla bir araya getirerek, uzmanların

bilgi ve deneyim alışverişinde bulunmalarını sağlamasına dayanmaktadır. ARA sistemi doğrudan hasta erişimine açık olmamakla birlikte herhangi bir nadir hastalık olgusu, ülkenin sağlık sistemiyle uyumlu olacak şekilde ve hastanın onayı alındıktan sonra ilgili hekimler tarafından o ülkenin ARA üyesine refere edilebilir. Böylece bu hasta için bilimsel olarak daha ileri bir değerlendirme ve tedavi süreci başlamış olur.

ARA'nın işleyiş sistemine göre merkezinde üç temel e-sağlık uygulaması bulunmaktadır. Birinci uygulama *ARA İşbirliği Platformu*'dur. Bu sistem ağların aktivitelerini desteklemek, üyeler arasındaki bağlantıyı kolaylaştırmak, belge yönetimi ve çeşitli faaliyetlerin organizasyonu için kurulmuştur. Hastalara ait bilgiler bu sistemde paylaşılmaz. İkinci uygulama *ARA Hasta Klinik Yönetim Sistemi*'dir. Bu sistem görüntüleme dahil hasta bilgilerini paylaşmak için kurulmuş platformdur. Hastanın onamı alındıktan sonra ilgili uzman tarafından hasta bilgileri bu platformda paylaşılıp konsültasyona açılır. Bu süreç sonunda hasta bilgileri arşivlenir. Her ağın koordinatörü bu süreci yönetir. Üçüncü e-sağlık uygulaması ise *ARA İnternet Sitesi*'dir. Teknik altyapıları AB tarafından desteklenen bu siteler hem halkta hem de sağlık çalışanlarında farkındalığı artırmak için ağlara ait bilgileri içerir. Site aynı zamanda klinik kılavuzları, hasta kılavuzları ve ağ tarafından üretilmiş diğer bilgileri de içerebilir.

Haziran 2017 itibarıyla kurulmuş olan 24 ARA'nın hepsi, AB'nin aynı mevzuatına göre kurulup yapılandırıldığı için birçok özellikleri aynı ya da benzerdir. Ancak yine mevzuat ölçüsünde, her ağın kendine özgü davranabileceği bazı alanlar da bırakılmıştır. Ağları en önemli ortak özellikleri yönetim şekli olup, her ağın yönetim kurulu, koordinatörü ve koordinatör merkezi bulunmaktadır. Bu temel yönetim yapılanmasını kuran ağ isterse başka yönetim basamakları da oluşturabilmektedir. Ağların diğer bir ortak özelliği de finansman sitemleridir. Bugün itibarıyla bütün ağlar AB *Sağlık Programı* tarafından finanse edilmektedir. Ancak sistem tam olarak çalışmaya başladığında, yani özellikle sınır ötesi hasta hareketliliği başladığında finansmanın nasıl olacağı henüz bütün detaylarıyla ortaya koyulmuş değildir. Hasta Hakları Yönergesi başka ülkede tedavi ve geriye ödeme koşullarıyla ilgili genel düzenlemeler getirmiştir. Ancak ARA sistemi için farklı, daha detaylı, hastalar için daha kolay ve bürokrasiden uzak bazı düzenlemeler yapılması gündeme gelmesi kaçınılmazdır.

Ağların çok önemli bir başka ortak özelliği ise *hasta merkezli* olarak kurulmalarıdır. Bu yönleriyle geleneksel tıp anlayışından farklı olarak hastaların konumunu güçlendirmektedir. Böylece daha önce pek çok sorunlarıyla yalnız kalan ve belki de en zayıf konumda olan bu hastalar, ARA sistemi sayesinde çok güçlü bir desteğe kavuşmaktadırlar. Ancak her ne kadar hasta merkezli olsalar da hastaların bu ağlara girişleri şimdilik mümkün değildir. ARA sistemi deneyim kazandıkça bu konuda da bir gelişme kaydedileceği varsayılabilir. Mevcut durumda bir hastanın kendi hastalığıyla ilgili bildiği bir ağ varsa, bu ağdan destek almak için hekimleriyle bu konuyu konuşması teşvik edilmektedir.

Bugün itibarıyla ilk kurulan 24 ağ şunlardır: Kemik Hastalıkları Ağı, Baş Boyun Anomalileri Ağı, Endokrin Hastalıklar Ağı, Epilepsi Ağı, Böbrek Hastalıkları Ağı, Nörolojik Hastalıklar Ağı, Doğumsal Anomaliler Ağı, Solunum Hastalıkları Ağı, Cilt Hastalıkları Ağı, Yetişkin Kanseri Ağı, Kan Hastalıkları Ağı, Ürogenital Hastalıklar Ağı, Nöromuskular Hastalıklar Ağı, Göz Hastalıkları Ağı, Genetik Tümör Riski Sendromları Ağı, Kalp Hastalıkları Ağı, Doğumsal Anomaliler ve Nadir Bilişsel Hastalıklar Ağı, Kalıtsal Metabolik Hastalıklar Ağı, Çocukluk Çağı Kanseri Ağı, Karaciğer Hastalıkları Ağı, Kas İskelet ve Bağ Dokusu Hastalıkları Ağı, Bağışıklık Sistemi Hastalıkları Ağı, Çocuklarda Organ Nakli Ağı ve Multisistemik Damar Hastalıkları Ağı.

ARA sisteminin AB açısından tarihsel ve politik bazı anlamları da bulunmaktadır. AB sağlık alanında ortak bir politika gütmemektedir. Ancak NH alanında gerçekleştirilen işbirliği, ciddi bir derinleşme ile kendini göstermektedir. AB bu işbirliği çerçevesinde hizmetlerin ve kişilerin serbest dolaşımı ve sınır ötesi sağlık tehditleri olgusunu kullanarak '*Hasta Hakları Yönergesi*' gibi bağlayıcı olan yönergeler çıkarmıştır. Bu anlamda, NH bir toplum sağlığı sorunu olarak görülmüş ve böylece bütün üye ülkelerin sürece katılması bilimsel bir zorunluluk haline gelmiştir. Bu süreçte amaca ulaşmak için hem bağlayıcı hem de bağlayıcı olmayan araçları en uygun şekilde kullandığı görülmektedir. Tarihsel açıdan bakıldığında ise AB'nin sağlık politikasında en ileri derinleşmenin sağlandığı alanın, NH politikası olduğu görülmektedir.

NH'yle ilgili sorunların çözülebilmesi için bu konudaki sağlık politikalarının devamlılık arz etmesi gerekir AB açısından baktığımızda ARA kuşkusuz NH alanında

olağanüstü bir aşama olmuştur. Ancak ARA'nın NH alanındaki her sorunu çözmesi de mümkün değildir. Bunun en önemli sebebi ise ARA yönetimlerinin NH'yle ilgili genel politikalarda değil, yalnızca belirli bir alanda yetkili olmasıdır. İkincisi ise bu yönetimlerin NH'yle ilgili sağlık politikalarını etkileme gücünün sınırlı olmasıdır. AB'nin NH için EUCERD'den sonra kurduğu en son grup olan CEGRD'in görevi 2018 yılında bitmiştir. Bu grubun yerine henüz NH alanına özgü yeni bir organ kurulmuş değildir. Bundan sonra NH alanındaki konularla daha genel bir organ ilgilenecektir. Buradaki temel sorun ise bu organın tek işinin önceki gruplar gibi yalnızca NH değil pek çok başka hastalığı da içermesidir.

Ülkemizde NH alanında henüz ulusal bir politika belirlenmiş değildir. Bu anlamda, yapılması gereken ilk iş NH yönetmeliğinin çıkarılarak NH merkezlerinin tanımlanması ve sonraki aşamada da bunların ARA sistemine dahil olmaları için teşvik edilmeleridir. Sağlık bakanlığının yeni kurduğu NH daire başkanlığı bu konuda ümit verici bir gelişme olmuştur. Ancak bundan sonra yapılacaklar için hasta derneklerinin, akademisyenlerin ve diğer paydaşların da görüşlerinin alınarak bir yol haritası çıkarılması önem arz etmektedir.

Uzun yıllardır NH'nin farkında olan AB, bu konuda başlangıçta kendisine şu hedefleri koymuştu: NH'nin görünürlüğünü ve tanınmasını arttırmak, doğru şekilde kodlanmasını sağlayarak sağlık sistemleri içinde takip edilebilir hale getirmek, üye ülkelerin NH konusundaki ulusal planlarını desteklemek, Avrupa düzeyinde işbirliğini güçlendirmek, daha fazla araştırma için teşvik etmek, güncel tarama uygulamalarını değerlendirmek, kayıt ve takip merkezlerini destekleyerek bu konuda bir Avrupa platformu oluşturmak ve farklı ülkelerdeki hastaları uygun olan merkeze yönlendirmek için uzmanlar ve profesyonellerden oluşan Avrupa referans ağları kurmak. AB'nin NH'yle ilgili yaptıkları ve geldiği sonuç dikkate alındığında, başlangıçta ortaya koyduğu bütün hedeflerini gerçekleştirdiği görülmektedir. Zira AB bir taraftan desteklediği pek çok projeyle NH'yle ilgili bilimsel, sosyal ve yasal altyapıyı hazırlamış ve hem üye ülkeleri hem de paydaşları biraraya getirmiştir. Diğer taraftan da oluşturduğu mevzuatla ARA sisteminin kuruluşunu gerçekleştirmiştir. Sağlık konusunda münhasıran yetkili olmayan AB, bütün Avrupa için bir halk sağlığı sorunu olan NH'yle ilgili bilimsel gereklilikleri ortaya koyarak üye ülkeleri

birleřtirmeyi bařarmıřtır. Sonu olarak ortak bir saėlık politikasından yoksun olan AB'nin ortak bir NH politikasına doėru evrildiėi sylenebilir.



KAYNAKÇA

Avrupa Birliği Bakanlığı. “Avrupa Birliği Adalet Divanı”, <https://www.ab.gov.tr/4-5632.html> (12.10.2017).

Avrupa Birliği Bakanlığı. “Avrupa Birliği Zirvesi”, <https://www.ab.gov.tr/4563-1.html> (10.10.2017).

Avrupa Birliği Bakanlığı. “Avrupa Komisyonu”, https://www.ab.gov.tr/avrupa-komisyonu_45629.html (12.10.2017).

Avrupa Birliği Bakanlığı. “Avrupa Parlamentosu”, https://www.ab.gov.tr/avrupa-parlamentosu_45628.html (12.10.2017).

Avrupa Birliği Bakanlığı. “2018 İlerleme Raporu”, https://www.ab.gov.tr/siteimages-/pub/komision_ulke_raporlari/2018_turkiye_raporu_tr.pdf (12.02.2019).

Azzopardi-Muscat, Natasha, Kristine Sorensen, Cristoph Aluttis, Roderick Pace ve Helmut Brand. “Europeanisation of Health Systems: A Qualitative Study of Domestic Actors in a Small State”, **BMC Public Health**, Cilt:16, Sayı:334, 2016, ss.1-14.

Baeten, Rita, Slavina Spasova ve Bart Vanhercke. “Access to Healthcare in the EU: An Overall Positive Trend But Important Inequalities Persist”, <https://socialsecurity.belgium.be/sites/default/files/content/docs/fr/publications/rbss/2019/rbss-2019-1-access-to-healthcare-in-the-eu-an-overall-positive-trend-but-inequalities-fr.pdf> (12.10.2017).

CARE DMD. <http://en.care-nmd.eu/> (10.07.2017).

Chorio. <http://www.hmole-chorio.org.uk/index.html> (23.06.2018).

Chorio. “Hydatidiform Mole and Choriocarcinoma UK Information and Support Service”, <http://www.hmole-chorio.org.uk/index.html> (23.06.2018).

Clemens, T, K. Michelsen ve H. Brand. “Supporting health systems in Europe: Added value of EU actions?”, **Health Economic Policy and Law**, Cilt:9, Sayı:1, 2014, ss 49-69.

Commission of the European Communities. “Commission Communication on the Framework for Action in the Field of Public Health”, **Office for Official Publications of the European Communities**, 1993, <http://aei.pitt.edu/5792/1/5792.pdf> (10.07.2017).

Commisson of The European Communities. “Communication From the Commission to the Council, the European Parliament, the European Economic and Social Committee, and the Committee of the Regions: A Mid-Term Assessment of Implementing the EC Biodiversity Action Plan” **Journal of International Wildlife Law & Policy**, Cilt: 12, Sayı:1-2, 2009, ss.108-120.

Conference Report. “Reference Networks Conference and ERN Kick-off meeting Vilnius, Lithuania”, 9-10.03.2017, https://ec.europa.eu/health/sites/health/files/ern/docs/ev_20170309_ag_en.pdf (17.10.2018).

Court of Justice of the European Union. “The Institution”, https://curia.europa.eu/jcms/jcms/Jo-2_6999/en/ (12.10.2017).

Declaration of Astana. “Global Conference on Primary Health Care. From Alma-Ata towards universal health coverageand the Sustainable Development Goals Astana”, 2526.10.2018, <https://www.who.int/docs/defaultsource/primaryhealth/declaration/gcphc-declaration.pdf> (12.10.2019).

Department of Health. “The UK Strategy for Rare Diseases”, https://www.gov.uk/government/uploads/system/uploads/attachment_data/file/260562/UK_Strategy_for_Rare_Diseases.pdf (12.10.2016).

Dharssi, Safiyya, Durhane Wong-Rieger, Matthew Harold ve Sharon Terry. “Review of 11 national policies for rare diseases in the context of key patient needs”, **Orphanet Journal of Rare Diseases**, Cilt:12, Sayı:63, 2017, ss. 1-13.

Official Journal of European Union. “Directive of the European Parliament and of the Council on the application of patients' rights in cross-border health care (EC 2011/24/EU)”, Cilt: 88, 2011, ss. 45-65.

ECORN-CF. “Expert Advice on Cystic Fibrosis”, <https://ecorn-cf.eu/index.php?id=60> (10.07.2017).

ERN Board of Member States. “Statement adopted by the Board of Member States on the definition and minimum recommended criteria for Associated National Centres and Coordination Hubs designated by Member States and their link to European Reference Networks Final”, November 2017 https://ec.europa.eu/health/sites/health/files/ern/docs/boms_affiliated_partners_en.pdf, (11.05.2019).

ERN Board of Member States. “Statement on the Timeline for the designation of Associated National Centres and Coordination Hubs (Affiliated Partners) by the Member States, Final”, 2018, https://ec.europa.eu/health/sites/health/files/ern/docs/2018_statementtimeline_ap_en.pdf (11.05.2019).

ERN RITA. “Summary ERN BoMS Statement on Affiliated Members”, <http://rita.ern-net.eu/wp-content/uploads/2018/05/Summary-ERN-BoMS-Statement-on-Affiliated-Members.pdf> (12.07.2019).

EUCERD. “EUCERD Recommendations on Quality Criteria for Centres of Expertise for Rare Diseases in Member States”, 24 October 2011, <http://www.EUCERD.eu/-upload/f-ile/EUCERDRecomme-ndationCE.pdf> (23.11.2018).

European Commission. “Programme of Community Action on Rare Diseases (1999 – 2003)”, **Decision No 1295/99/European Commission of the European Parliament and of the Council of 29 April 1999**, http://ec.europa.eu/health/archive/ph_overview/previous_programme/rare_diseases/raredis_wp99_en.pdf (10.07.2017).

European Commission. “Cross-border health project epSOS: What has it achieved?”, <https://ec.europa.eu/digital-single-market/en/news/cross-border-health-project-epsos-what-has-it-achieved>. (10.07.2017).

European Commission. “EU Health Policy Platform”, <https://webgate.ec.europa.eu/hpf/> (14.01.2018).

European Commission. “EU Research Funding 2007-2013 7th Framework Programme”, https://ec.europa.eu/research/fp7/pdf/fp7_evaluation/5_fp7_fundingbyeu.pdf (08.09.2017).

European Commission. “EUROCAT”, www.eurocat-network.eu (10.07.2017).

European Commission. “ERN Board of Member States. Statement adopted by the Board of Member States on the definition and minimum recommended criteria for Associated National Centres and Coordination Hubs designated by Member States and their link to European Reference Networks Final”, November 2017, https://ec.europa.eu/health/sites/health/files/ern/docs/boms_affiliated_partners_en.pdf (11.05.2019).

European Commission. “ERN Board of Member States. Statement on the Timeline for the designation of Associated National Centres and Coordination Hubs (Affiliated Partners) by the Member States, Final”, 2018, https://ec.europa.eu/health/sites/health/files/ern/docs/2018_statementtimeline_ap_en.pdf (11.05.2019).

European Commission. “European Platform on Rare Disease Registration”, <https://eu-rd-platform.jrc.ec.europa.eu/aim-of-the-platform> (24.06.2019).

European Commission. “Horizon 2020: The EU Framework Programme for Research and Innovation”, <https://ec.europa.eu/programmes/horizon2020/> (08.09.2017).

European Commission. “Public Health”, https://ec.europa.eu/health/home_en (06.07.2017).

European Commission. “Public Health”, https://ec.europa.eu/health/rare_diseases/european_reference_networks_en (10.07.2017).

European Commission. “Rare Disease Day: a new EU Platform to support better diagnosis and Treatment”, https://ec.europa.eu/commission/presscorner/detail/en/IP_19_1414 (12.05.2019).

European Commission. “Rare Diseases”, https://ec.europa.eu/health/non_communicable_diseases/rare_diseases_en (12.05.2019).

European Commission. “Reaching out to rare disease patients across Europe”, https://ec.europa.eu/chafea/health/archives/documents/health/leaflet/rare_diseases.pdf (10.07.2017).

European Commission. “Rules of Procedures of The Board of Member States of The European Reference Networks (ERNs) (2014) 430512419/12/2014”, https://ec.europa.eu/health/sites/health/files/ern/docs/board_procedures_en.pdf (11.05.2019).

European Commission. “Set of common data elements”, <https://eu-rd-platform.jrc.ec.europa.eu/set-of-common-data-elements> (05.02.2019).

European Commission. “The EU Framework Programme for Research and Innovation”, **Horizon 2020**, <https://ec.europa.eu/programmes/horizon2020/> (12.01.2016).

European Commission. “Working for Patients With Rare, Low-Prevalence and Complex Diseases”, https://ec.europa.eu/health/sites/health/files/ern/docs/2017_brochure_en.pdf (09.11.2018).

European Commission. “Commission Expert Group on Rare Diseases 2nd Meeting, 3-4 July 2014, Luxembourg, Short Report”, https://ec.europa.eu/health/sites/health/files/rare_diseases-/docs/ev_20140703_mi_en.pdf (19.02.2018).

European Commission. “Communication from the Commission to the Council, the European Parliament, the European Economic and Social Committee and the Committee of the Regions eHealth Action Plan 2012-2020- Innovative healthcare for the 21st century”, **COM(2012) 736 final**, 06.12.2012, https://ec.europa.eu/health/sites/health/files/ehea-lth/docs/com_2012_736_en.pdf (12.01.2016).

European Commission. “Implementation report on the Commission Communication on Rare Diseases: Europe’s challenges and Council Recommendation of 8 June 2009 on an action in the field of rare diseases, Brussels”, **COM(2014) 548 final**, 5.9.2014, https://ec.europa.eu/health/sites/health/files/rare_diseases/docs/2014_rarediseases_implementationreport_en.pdf (10.07.2017).

European Commission. “Programme of Community Action on Rare Diseases (1999-2003) Decision No 1295/99/EC of the European Parliament and of the Council”, 29.04.1999, http://ec.europa.eu/health/archive/ph_overview/previous_programme/rare_diseases/raredis_wpgm99_en.pdf (10.07.2017).

European Commission. “Communication from the Commission to the European Parliament, the Council, the European Economic and Social Committee and the Committee of the Regions on Rare diseases: Europe's challenges”, **COM (2008) 679 final**, Kasım 2008, http://ec.europa.eu/health/ph_threats/non_c-om/docs/rare_co-m_en.pdf (10.07.2017).

European Commission. “Third EU Health Programme 2014-2020”, https://ec.europa.eu/health/sites/health/files/programme/docs/ev_20141104_co01_en.pdf (14.01.2018).

European Commission. “Evaluation of population newborn screening practices for rare disorders in Member States of the European Union”, **Report on the practices of newborn screening for rare disorders implemented in Member States of the European Union, Candidate, Potential Candidate and EFTA Countries**, 2012, http://ec.europa.eu/chafea/documents/news/Report_NBS_Current_Practices_20120108_FINAL.pdf (10.07.2017).

European Commission. “10 June 2015 Rare Disease European Reference Networks: Addendum to Eucerd Recommendations of January 2013”, https://ec.europa.eu/health/sites/health/files/rare_diseases/docs/20150610_erns_eucerdaddendum_en.pdf (19.02.2018).

European Commission. “12 April 2016 Recommendations to Support the Incorporation of Rare Diseases into Social Services and Policies”, https://ec.europa.eu/health/sites/health/files/rare_diseases/docs/recommendations_socialservices_policies_en.pdf (07.09.2019).

European Commission. “12 November 2014 Recommendation on Ways to Improve Codification for Rare Diseases in Health Information Systems”, https://ec.europa.eu/health/sites/health/files/rare_diseases/docs/recommendation_coding_cegrd_en.pdf (19.02.2018).

European Commission. “13 November 2015 Recommendation on cross-border genetic testing of rare diseases in the European Union”, https://ec.europa.eu/health/sites/health/files/rare_diseases/docs/2015_recommendation_crossbordergenetic_testing_en.pdf (07.09.2019).

European Commission. “The Council Recommendation of 8 June on an action in the field of rare diseases (2009/C 151/02)”, http://ec.europa.eu/health/ph_threats/non_com/docs/rare_com_en.pdf (11.05.2018).

European Commission. “The Second Programme of Community Action in the Field of Health 2008-2013”, http://ec.europa.eu/health/ph_programme/documents/prog_factsheet_en.pdf (10.07.2017).

European Council. “Council recommendation on an action in the field of rare diseases”, **(2009/C 151/02)**, <http://eurlex.europa.eu/LexUriServ/LexUriServ.do?uri=OJ:C:2009:151:0007:0010:EN:PDF> (10.07.2017).

European Council - Council of the European Union. “The European Council”, <https://www.consilium.europa.eu/en/european-council/president/> (12.10.2017).

European Court of Auditors. “EU actions for cross-border healthcare: significant ambitions but improved management required, Special Report No: 07/2019”, **Council Conclusions**, 24 October 2019, <https://data.consilium.europa.eu/doc/document/ST-14265-2019-INIT/en/pdf> (02.11.2019).

European pilot network of reference centres in refractory epilepsy and epilepsy surgery (EPILEPSY). http://www.liplyon1.fr/index.php?option=com_k2&view=item&id=162:epilepsy&Itemid=197&lang=fr (03.04.2018).

European Expert Paediatric Oncology Reference Network for Diagnostics and Treatment (ExPO-r-NeT). <https://www.expornet.eu/> (03.04.2018).

European Joint Programme Rare Diseases. <https://www.ejprarediseases.org/> (21.11.2018).

European Parliament. “About Parliament”, <https://www.europarl.europa.eu/about-parliament/en> (12.10.2017).

European Reference Networks. “ERKNet”, **Competency Requirements**, https://www.erknet.org/fileadmin/files/user_upload/HCP_Specific_Competency_Criteria.pdf (09.11.2018).

European Reference Networks. “Endo-ERN”, <https://endo-ern.eu/> (11.01.2019).

European Reference Networks. “ERN CRANIO” <https://ern-cranio.eu/> (08.10.2018).

European Reference Networks. “ERN EpiCARE”, <https://epi-care.eu/> (11.01.2019).

European Reference Networks. “ERN EURACAN”, <http://euracan.ern-net.eu> (21.05.2019).

European Reference Networks. “ERN eUROGEN”, <http://eurogen-ern.eu/> (09.11.2018).

European Reference Networks. “ERN EYE”, <https://www.ern-eye.eu/> (09.11.2018).

European Reference Networks. “ERN GENTURIS”, <https://www.genturis.eu/l=eng/Home.html> (11.10.2018).

European Reference Networks. “ERN GENTURIS. ERN: GENTURIS Genetic Tumour Risk Syndromes”, <https://www.eshg.org/fileadmin/www.eshg.org/NHGS2016/Hoogerbrugge.pdf> (11.10.2018).

European Reference Networks. “ERN GUARD-Heart”, <http://guardheart.ern-net.eu/> (11.10.2018).

European Reference Networks. “ERN ITHACA”, <https://ern-ithaca.eu/> (11.10.2018).

European Reference Networks. “ERN on Congenital Malformations and rare Intellectual disability”, https://ec.europa.eu/health/sites/health/files/ern/docs/ernithaca_factsheet_en.pdf (11.10.2018).

European Reference Networks. “ERN PaedCan”, <http://paedcan.ern-net.eu/> (16.12.2018).

European Reference Networks. “ERN RARE-LIVER”, <https://www.rare-liver.eu/> (09.11.2018).

European Reference Networks. “ERN RITA”, <http://rita.ern-net.eu/> (24.08.2019).

European Reference Networks. “ERN VASCERN”, <https://vascern.eu/> (06.08.2019).

European Reference Networks. “ERN-BOND”, <https://oife.org/what-we-do/ern-bond/> (08.10.2018).

European Reference Networks. “ERN-Genturis”, <https://www.genturis.eu/l=en-g/ERN-GENTURIS-Home.html> (11.10.2018).

European Reference Networks. “ERNICA”, <https://ern-ernica.eu/> (21.05.2019).

European Reference Networks. “ERN-LUNG”, <https://ern-lung.eu/> (21.05.2019).

European Reference Networks. “ERN-RND”, <http://www.ern-rnd.eu/> (09.11.2018).

European Reference Networks. “ERN-Skin”, <http://skin.ern-net.eu/> (21.05.2019).

European Reference Networks. “EuroBloodNet”, <https://www.eurobloodnet.eu/> (21.05.2019).

European Reference Networks. “EURO-NMD”, <https://ern-euro-nmd.eu/> (09.11.2018).

European Reference Networks. “European Reference Network on Transplantation in Children”, https://www.transplantchild.eu/images/Documents/TRANSPLANTCHILD_v2.pdf (23.07.2019).

European Reference Networks. “MetabERN”, <https://metab.ern-net.eu/> (16.12.2018).

European Reference Networks. “ReCONNET”, <http://reconnet.ern-net.eu/> (09.11.2018).

European Reference Networks. “TransplantChild”, <https://www.transplantchild.eu/en/> (23.07.2019).

European Union Committee of Experts on Rare Diseases. “Recommendations on quality criteria for centres of expertise for rare diseases in Member States”, 2011, http://www.eucerd.eu/?post_type=document&p=1224 (10.07.2017).

European Union. “Treaty of Lisbon: Amending the Treaty on European Union and the Treaty Establishing the European Community”, **Office for Official Publications of the European Community**, Cilt: 50, 2007, ss. 1-229.

European Union. “Maastricht Treaty”, **EU Treaties**, https://europa.eu/european-union/sites/europaeu/files/docs/body/treaty_on_european_union_en.pdf. (20.10.2016).

European Union. “Single European Act”, **EU Treaties**, https://europa.eu/europeanunion/sites/europaeu/files/docs/body/treaties_establishing_the_european_communities_single_european_act_en.pdf (20.10.2016).

Eurordis. “2013 Eurordis Policy Fact Sheet”, **Rare Disease Patient Registries**, https://www.eurordis.org/sites/default/files/publications/Factsheet_registries.pdf (10.07.2017).

Eurordis. “A Rare Barometer survey. Juggling Care and Daily Life”, http://download2.eurordis.org.s3.amazonaws.com/rbv/2017_05_09_Social%20survey%20leaflet%20final.pdf (10.07.2017).

Eurordis. “EPIRARE”, <https://www.eurordis.org/content/epirare> (10.06.2018).

Eurordis. “Eurodis Care 2: Survey of Diagnostic Delays, 8 Diseases, Europe 2004”, http://www.eurordis.org/sites/default/files/publications/Fact_Sheet_Eurordiscare2.pdf (10.07.2017).

Eurordis. <http://www.eurordis.org/about-eurordis> (10.07.2017).

Eurordis. “Eurordis-Nord-Cord Joint Declaration of 10 Key Principles for Rare Disease Patient Registries”, http://download.eurordis.org/documents/pdf/-EURORDIS_NORD_CORD_JointDec_Registries_FINAL.pdf (10.07.2017).

Feltmate, Karen, Peter M. Janiszewski, Sheena Gingerich ve Michael Cloutier. “Delayed access to treatments for rare diseases: who’s to blame?”, **Respirology**, Cilt: 20, Sayı: 3, 2015, ss. 361-369.

Franco, Pedro. “Orphan drugs: the Regulatory Environment”, **Drug Discovery Today**, Cilt: 18, Sayı: 3-4, 2013, ss. 163-172.

Green Paper on mobile Health. “mHealth”, <https://gateway.euro.who.int/en/green-paper-on-mobile-health-mhealth/> (08.09.2017).

Greer, SL. TK. Hervey, JP. Mackenbach ve M. McKee. “Health law and policy in the European Union”, **Lancet**, Cilt:381, Sayı:98726, 2013, ss.1135-1144.

Gülhan, İbrahim. “A unique e-health and telemedicine implementation: European Reference Networks for rare diseases”, **Journal of Public Health (Berl.)**, 2019, <https://doi.org/10.1007/s10389-019-01052w> (15.10.2019).

Gülhan, İbrahim. “Avrupa Birliği’nde Bir İnovasyon Alanı Olarak E-Sağlık”, **Türkiye Klinikleri Tıp Etiği-Hukuku Tarihi Dergisi**, Cilt:24, Sayı: 3, 2016, ss. 105-110.

Gülhan, İbrahim. “Nadir Hastalıklar ve Avrupa Birliği Sağlık Politikasında Derinleşme: Avrupa Referans Ağları”, **Çalışma ve Toplum**, Cilt: 58, Sayı: 3, 2018, ss. 1287-1306.

Gülhan, İbrahim. “Gestational Trophoblastic Diseases, National Registry System and European Reference Networks”, **Türkiye Klinikleri Journal of Gynecology and Obstetrics**, Cilt: 27, Sayı: 4, 2015, ss. 211-2.

Harms, Erik ve Bernhard Olgemöller. “Neonatal Screening for Metabolic and Endocrine disorders”, **Deutsches Ärzteblatt International**, Cilt: 108, Sayı: 1-2, 2011, ss. 11-22.

Hedley, Victoria, Hannah Murray, Charlotte Rodwell ve Segolene Ayme. “2018 Report on the State of the Art of Rare Disease Activities in Europe”, July 2018, <http://www.rd-action.eu/wp-content/uploads/2018/09/Final-Overview-Report-State-of-the-Art2018version.pdf> (15.10.2019).

Hodgson, John. “The Impact of European Union Law on Public Health”, **British Journal of Nursing**, Cilt:18, Sayı:6, 2009, ss.378-379.

Horizon Europe. “The Next Research And Innovation Framework Programme”, https://ec.europa.eu/info/sites/info/files/research_and_innovation/ec_rtd_hepresentation_062019_en.pdf (11.05.2019).

International Rare Diseases Research Consortium (IRDiRC). www.irdirc.org (10.07.2017).

IRDiRC. “The 3rd IRDiRC Conference: working towards new rare disease research goals for the next decade”, <http://www.irdirc.org/the-3rd-irdirc-conference-working-towards-new-rare-disease-research-goals-for-the-next-decade/> (21.11.2018).

Kodra, Yllka, Jérôme Weinbach ve Manuel Posada-de-la-Paz. “Recommendations for Improving the Quality of Rare Disease Registries”, **International Journal of Environmental Research and Public Health**, Cilt: 15, Sayı: 8, 2018, ss.1-22.

Koivusalo, Meri Tuulikki. “The future of European health policies”, **International Journal of Health Services**, Cilt:35, Sayı:2, 2005, ss.325-342.

Kurtar, Adem ve Çağdaş Cengiz. **Avrupa Birliği 2021-2027 Bütçesi ve Türkiye**, İmaj Yayınevi, Ankara, 2019.

Luisetti, Maurizio, Ilaria Campo, Roberta Scabini, Michele Zorzetto, Zamir Kadija, Francesca Mariani ve Ilaria Ferrarotti. “The Problems of Clinical Trials and Registries in Rare Diseases”, **Respiratory Medicine**, Cilt: 104, 2010, ss.42-44.

Mars, Maurice ve Richard E. Scott. “Global E-Health Policy: A Work In Progress”, **Health Affairs**, Cilt: 29, Sayı: 2, 2010, ss. 237-243.

Meijer C, B. Wouterse, J. Polder ve M. Koopmanschap. “The Effect of Population Aging on Health Expenditure Growth: A Critical Review”, **European Journal of Ageing**, Cilt:10, Sayı:4, 2013, ss.353-361.

Moritz, Dirk. “Rare Disease Centers of Excellence”, 2018, <https://bluematterconsulting.com/rare-disease-centers-of-excellence/> (24.10.2019).

Nadir Hastalıklar Ağı. <http://www.nadirhastaliklaragi.org.tr/uyeler> (11.07.2019).

Newborn Screening Program: Disordered Screened. Perinatal Services BC. “An agency of the Provincial Health Services Authority”, 2016, <http://www.perinatal-servicesbc.ca/ourservices/screeningprograms/newbornscreeningprogram/disorders-screened> (10.07.2017).

OECD. “European Union and the OECD”, <https://www.oecd.org/eu/european-union-and-oecd.htm> (02.07.2019).

Official Journal of the European Communities. “Regulation (Ec) No 141/2000 of The European Parliament and of The Council, on orphan medicinal products”, Cilt: 22, Sayı: 1, 2000, <http://eurlex.europa.eu/legalcontent/EN/TXT/PDF/?uri=CELEX:32000R0141> (10.07.2017).

Official Journal of the European Communities. “Regulation (EU) No 282/2014 of the European Parliament and of the Council of 11 March 2014 on the establishment of a third Programme for the Union's action in the field of health (2014-2020) and repealing Decision No 1350/2007/EC Text with EEA relevance”, Cilt: 86, 21.3.2014, ss. 1-13.

Official Journal of the European Union. “Commission Decision (2004/192/EC) of 25 February 2004 adopting the work plan for 2004 for the implementation of the programme of Community action in the field of public health (2003 to 2008), including the annual work programme for grants (Text with EEA relevance)”, Cilt:60, 27.2.2004, ss. 58-70.

Official Journal of the European Union. “Commission Decision of 17 July 2018 setting up a Commission expert group ‘Steering Group on Health Promotion, Disease Prevention and Management of Non-Communicable Diseases’ and repealing the

Decision setting up a Commission expert group on rare diseases and the Decision establishing a Commission expert group on Cancer Control (Text with EEA relevance.) C/2018/4492”, Cilt:251, 18.7.2018, ss.9-13.

Official Journal of the European Union. “Commission Decision of 30 July 2013 setting up a Commission expert group on rare diseases and repealing Decision 2009/872/EC”, Cilt:219, 31.7.2013, ss. 4–7.

Official Journal of the European Union. “Commission Decision of 30 November 2009 establishing a European Union Committee of Experts on Rare Diseases (2009/872/EC)”, Cilt: 315, 2.12.2009, ss. 18-21.

Official Journal of the European Union. “Commission Delegated Decision 2014/286/EU of 10 March 2014 setting out criteria and conditions that European Reference Networks and healthcare providers wishing to join a European Reference Network must fulfil”, Cilt:147, 17.05.2014, ss.71-78.

Official Journal of the European Union. “Commission Implementing Decision of 10 March 2014 setting out criteria for establishing and evaluating European Reference Networks and their Members and for facilitating the exchange of information and expertise on establishing and evaluating such Networks (Text with EEA relevance) (2014/287/EU)”, Cilt:147, 17.05.2014, ss.79-87.

Orphanet Report Series. “Rare Disease Registries in Europe”, Mayıs 2018, <http://www.orpha.net/orphacom/cahiers/docs/GB/Registries.pdf> (10.07.2017).

ORPHANET. www.orpha.net/ (10.07.2017).

Peeters, Miek. “Free movement of patients: Directive 2011/24 on the application of patients' rights in cross-border healthcare”, **European Journal of Health Law**, Cilt:19, Sayı:1, 2012, ss. 29-60.

RARECARE. “Surveillance of Rare Cancers in Europe”, www.rarecare.eu/ (10.07.2017).

RD-Connect. “About RD-Connect”, <https://rd-connect.eu/about-rd-connect/> (08.09.2017).

RDTF. “RDTF Report on Patient registries the field of rare diseases: Overview of the issues surrounding the establishment, Governance and Financing of Academic Registries”, Haziran 2011, <http://www.eucerd.eu/EUCERD/upload/file/RDTFReportRegistriesJuly2011.pdf> (10.07.2017).

RDTF. “RDTF Report: Centres of Reference for Rare Diseases in Europe – State-of-the-art in 2006 and Recommendations of the Rare Diseases Task Force”, Eylül 2006, <http://www.eucerd.eu/upload/file/Publication/RDTFECDR2006.pdf> (10.07.2017).

Richter, Trevor ve diğerleri. “Rare Disease Terminology and Definitions-A Systematic Global Review: Report of the ISPOR Rare Disease Special Interest Group”, **Value Health**, Cilt: 18, Sayı: 6, 2015, ss. 906-14.

Special Eurobarometer 361. “European Awareness of Rare Diseases”, http://ec.europa.eu/health/rare_diseases/docs/ebs_361_en.pdf. (erişim 10.07.2017)

The Current Situation. “The Challenges and the Expectations on Patient Registries and Databases”, **In -Activities and Needs of Existing rd Registries**, http://www.epirare.eu/_down/del/EPIR-AREsurveyreport.pdf (10.07.2017).

The Fibrous Dysplasia Foundation. “3 Huge Ways Registries Can Benefit Rare Disease Patients”, <https://fibrousdysplasia.org/3hugewaysregistriescanbenefitrare-diseasepatients/> (10.07.2017).

Todd, Gammie, Y. Lu Christine ve Zaheer Ud-Din Babar. “Access to Orphan Drugs: A Comprehensive Review of Legislations, Regulations and Policies in 35 Countries”, <https://dash.harvard.edu/bitstream/handle/1/23473978/4599885.pdf?sequence=1&isAllowed=y>. (12.02.2019).

United Nations. “Sustainable Development Goals”, https://www.undp.org/content/dam/undp/library/corporate/brochure/SDGs_Booklet_Web_En.pdf (14.01.2018).

VASCERN. “European Platform on Rare Disease Registration (EU RD Platform) launched”, <https://vascern.eu/european-platform-on-rare-disease-registration-eu-rd-platform-launched/> (12.05.2019).

Wendt, C. ve T. Thompson. “Social austerity versus structural reform in European health systems: a four-country comparison of health reforms”, **International Journal of Health Services**, Cilt:34, Sayı:3, 2004, ss. 415-433.

White Paper. “Together for Health: A Strategic Approach for the EU 2008-2013”, https://ec.europa.eu/health/ph_overview/Documents/strategy_wp_en.pdf (06.07.2017).

WHO Report. “Background Paper 6.19 Rare Diseases, Update on 2004 Background Paper”, 2013, http://www.who.int/medicines/areas/priority_medicines/BP6_1-9Rare.pdf, (10.07.2017).

World Health Organization. “About Partnerships”, <http://www.euro.who.int/en/about-us/partners/about-partnerships> (02.07.2019).

World Health Organization. “Classifications”, www.who.int/classifications/icd/en/index.html (10.07.2017).

Yıldırım, Hasan Hüseyin ve Türkan Yıldırım. **Avrupa Birlięi Saęlık Politikaları ve Saęlık Sistemleri**, Güncellenmiş ve Genişletilmiş 3. Baskı, ABSAM Yayınları, Ankara, 2015.

