

Sayı : 47399948-610-
Konu : Yazılı Soru Önergesi Cevabı

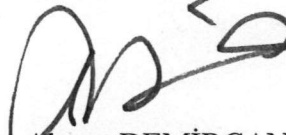
7/11997
64.120

TÜRKİYE BÜYÜK MİLLET MECLİSİ BAŞKANLIĞINA

İlgi : 3/3/2017 tarihli ve 43452547-120.07-86476 sayılı yazınız.

Manisa Milletvekili Sayın Özgür ÖZEL tarafından verilen “SMA hastalarının tedavisine yönelik çalışmalara ve spinraza adlı ilacın ithalatına ilişkin” 7/11997 sıra sayılı yazılı soru önergesinin cevabı ilişikte sunulmaktadır.

Arz ederim.



Dr. Ahmet DEMİRCAN
Bakan

Ek: Yazılı Soru Önergesi Cevabı (4 sayfa)



**T.C.
SAĞLIK BAKANLIĞI
TBMM SORU CEVAP FORMU**

**SORU SAHİBİ MİLLETVEKİLİ
ÖNERGENİN KONUSU**

: Özgür ÖZEL
: SMA hastalarının tedavisine yönelik çalışmalara
ve spinraza adlı ilacın ithalatına ilişkin
: Dr. Ahmet DEMİRCAN

CEVAP VEREN

Spinal muskuler atrofi (SMA), bir grup kalıtsal nöromusküler (sinir kası tutan) hastalığa verilen isimdir. Omurilikte yer alan ve kasların hareketinden sorumlu olan bazı hücrelerin hastalanması ve görevlerini yapamamaları sonucu bu hastalık ortaya çıkar. Bu hücreler beyinden gelen hareket emrini kaslara iletmekten sorumludur. Kasların hareket emrini alamadıklarından çalışamazlar ve zayıflarlar.

SMA hastalığının Tip 1 türü de öldürücü kas hastalıkları içerisinde yer almaktadır. Tip 1'in yakın zamana kadar tedavisi yoktu. Yakın zamanda ABD'de üretilen Spinraza (Nusinersen) adlı ilaçla Tip 1 SMA hastası olan insanların hayata tutunmaları sağlanmıştır. Ülkemizde bu ilacı bulmak mümkün olmadığı gibi yurtdışından getirmek de yüksek maliyetli bir iştir. Buna göre;

SORU 1 – Bakanlığınız SMA (Spinal muskuler atrofi) hastaların tedavisiyle ilgili ne tür çalışmalar yapmaktadır?

CEVAP 1 – Spinal Muskuler Atrofi (SMA) hastalığının bilinen bir tedavisi bulunmamakla birlikte fizik tedavi, enfeksiyon tedavileri, mekanik ventilatör gibi destekleyici ve yardımcı tedaviler ile hastalarımız rahatlatılmaya çalışılmaktadır. “Nusinersen” etkin maddeli “Spinraza” isimli ilaç, SMA tanısında dünyada onay alan ilk ilaç olup, şu anda klinik çalışmaları devam eden başka çalışmalar da bulunmaktadır.

Bu ilaç, 23/12/2016 tarihinde Food and Drug Administration (FDA) onayını almış olup European Medicines Agency (EMA) ruhsatlandırma süreci devam etmektedir. EMA onayı ise 2017 yılı içinde beklenmektedir. Nusinersen etkin maddeli ilaçla yürütülen klinik araştırmalara ülkemizden de 6 (altı) SMA Tip 1 tanılı hasta dâhil edilmiştir. Mevcut durumda yeni hasta alımı yapılmamakta olup uzatma çalışması devam etmektedir. Ülkemizde yürütülen klinik araştırmadan sorumlu sözleşmeli araştırma kuruluşu olan INC Research Klinik Araştırma Ltd. Şti. ile temasa geçilerek insani amaçlı ilaca erken erişim programının başlatılması yönünde talebimiz bu kuruluşa iletilmiştir. Programın açılabilmesi konusunda Bakanlığım tarafından Bio-Gen İlaç Sanayi Tic. Ltd. Şti. Avrupa Genel Müdürlüğü'ne 2016 yılı içerisinde resmi olarak müracaatta bulunulmuş ve elektronik olarak da iletişime geçilmiştir.

19/01/2017 tarihinde ilgili firmadan 10 (on) SMA Tip 1 hastamız için İnsani Amaçlı İlaça Erken Erişimi Programı açılacağı yönünde bilgi alınmıştır. Bio-Gen İlaç Sanayi Tic. Ltd. Şti.'nin ülkemizde yetkilendirdiği Gen İlaç ve Sağlık Ürünleri A.Ş. tarafından 25/01/2017 tarihinde Bakanlığımıza ilgili program için resmi başvuru yapılmıştır. Bu firmanın 10 (on) hasta için açtığını belirttiği bu program için firmaya uygunluk bildirilmiştir. Başvuruda firma tarafından, ülkemizde açılması talep edilen erken erişim programına hasta dâhil edilme kriterleri olarak ilacın Avrupa'da ve Amerika'da yürütülen erken erişim programı koşulları (clinical trials web sayfasında erken erişim programı için yayımlanmış olan koşullar) aynı şekilde iletilmiş ve Bakanlığım tarafından uygun bulunmuştur. Güncel durumda başka moleküller için de SMA

tanısında klinik araştırma programı için Bakanlığımıza başvurusu yapılmış olup, değerlendirme aşamasındadır.

Ülkemizde SMA hastalığının tedavisinde kullanılmak üzere “Nusinersen (ISIS 396443)” etken maddesini içeren üç adet klinik araştırma mevcuttur. İlgili klinik araştırmalar; “Genetik olarak tanımlanmış ve presemptomatik Spinal Musküler Atrofi hastalarına intratekal uygulanan ISIS 396443'ün çoklu dozlarının etkililiğini, güvenliliğini, tolerabilitesini ve farmakokinetiğini değerlendirme amaçlı açık etiketli çalışma (Protokol No: ISIS 396443-CS3B)” adlı faz II çalışma, “İnfanıl Başlangıçlı Spinal Müsküler Atrofi Hastalarında Intratekal Olarak Uygulanan ISIS 396443'ün Klinik Etkililiği ve Güvenliliğinin Değerlendirildiği Bir Faz 3, Randomize, Çift Kör, Sham Prosedür Kontrollü Çalışma (Protokol No: 232SM201)” ve “Daha önce ISIS 396443 Araştırma Çalışmalarına Katılmış olan Spinal Müsküler Atrofi Hastalarına Yönelik Açık Etiketli Bir Uzatma çalışması (Protokol No: ISIS 396443-CS11)” adlı Faz III çalışmalardır. “Nusinersen” ile yapılan klinik araştırmalar Hacettepe Üniversitesi Tıp Fakültesi merkezli olup sorumlu araştırmacısı Prof. Dr. Haluk Topaloğlu'dur. Bu çalışmalara ülkemizden toplam 7 gönüllü dâhil edilmiş olup 6 gönüllü araştırmalarda yer almaya devam etmektedir. Bu araştırmalardan ISIS 396443-CS3B protokol numaralı araştırma Kasım 2016'da sonlanmış olup bu araştırma kapsamında çalışmaya dâhil edilen gönüllüler uzatma çalışması olan ISIS 396443-CS11 protokol numaralı araştırmaya dâhil edilmiştir. Söz konusu uzatma çalışması halen 5 gönüllü ile devam etmektedir. 232SM201 Protokol numaralı çalışma ise halen 1 gönüllü ile devam etmektedir.

Ülkemizde, SMA hastalığı tedavisinde kullanılmak üzere Nusinersen ile yürütülen klinik araştırmalar dışında başka bir ilaç firmasının geliştirmiş olduğu bir etken madde için de klinik araştırma başvurusunda bulunulmuştur. İlgili etken madde için iki ayrı klinik araştırma başvurusu yapılmış olup çalışmalardan bir tanesi Tip 1 diğeri Tip 2 ve 3 SMA hastaları üzerinde yürütülmesi planlanan Faz II klinik araştırmalardır. Hâlihazırda bu çalışmalardan Tip 1 SMA hastaları ile yürütülmesi planlanan klinik araştırma Mart 2017'de Bakanlığımıza bağlı Türkiye İlaç ve Tıbbi Cihaz Kurumu (TİTCK) onay sürecini tamamlamıştır. Diğer çalışma ise değerlendirme aşamasındadır. Ülkemizden ilgili çalışmalara dâhil edilmesi planlanan gönüllü sayıları Tip 1 SMA çalışması için dört, Tip 2 ve 3 SMA çalışması için ise yedi gönüllü kişidir.

SORU 2 – Ülkemizde SMA (Spinal muskuler atrofi) hastalığında kullanılmak üzere hangi ilaçlar bulunmaktadır? Bu ilaçlar geri ödeme listesinde midir?

CEVAP 2 – Spinal Muskuler Atrofi (SMA) hastalığının bilinen bir tedavisi bulunmamakla birlikte fizik tedavi, enfeksiyon tedavileri, mekanik ventilatör gibi destekleyici ve yardımcı tedaviler ile hastalarımız rahatlatılmaya çalışılmaktadır. Ancak SMA'nın genetiğindeki çok özel durum tedavisinin mümkün olabileceğinin ipuçlarını vermektedir. Normal şartlarda, motor nöronların iyi çalışması için SMN1 geninden en az bir adet bulunması gerekir, böylece bu genin kodladığı protein normal miktarda yapılabilir. SMA hastalarında SMN1 hiç yoktur ama az miktarda normal protein yapabilen SMN2 mevcuttur. Bu kopya genden ne kadar çok varsa o kadar çok normal protein yapılabilir. Genellikle ağır SMA tiplerinde bu kopyadan daha az, hafif seyirlielerde ise daha çok bulunduğu anlaşılmıştır. İşte tedavide bu bilgiden yararlanılmaya çalışılmaktadır. Amaç, SMN2'yi bir şekilde etkileyerek daha fazla normal protein yapmasını sağlamaktır. Bu yöntem diğer tedavi seçeneklerine göre daha çok ümit vaat etmektedir. Güncel ilaçlar bu mekanizma üzerinden etki etmek üzere geliştirilmektedir. 23/12/2016 tarihinde Food and Drug Administration (FDA) onayı alan “Nusinersen” etkin maddeli ilaç için Bakanlığımıza yapılan yurtdışı ilaç kullanım başvuruları ilgili ilacın klinik araştırma protokolü çerçevesinde bilimsel komisyon tarafından değerlendirilmektedir.

Bu deęerlendirme sonucunda 17/04/2017 tarihi itibarı ile 21 SMA Tip 1 hastamıza ilgili ilacın yurtdışından temin edilmesi için onay verilmiş olup, geri ödeme süreci Sosyal Güvenlik Kurumu (SGK) tarafından deęerlendirilmektedir.

SORU 3 - Spinraza (Nusinersen) adlı ilacın Türkiye'ye ithalatı için bugüne kadar Bakanlık tarafından herhangi bir başvuru yapılmış mıdır?

SORU 4 – İthalat başvurusu yapıldı ise ithalat izni ve Türkiye'de ruhsatlaşma süreci ne aşamada mıdır?

CEVAP 3 ve 4 – Ülkemizdeki SMA tanılı hastalarımız için yurtdışındaki Bio-Gen İlaç Sanayi Tic. Ltd. Şti. ülkemizde distribütörlük anlaşmasına sahip olduęu Gen İlaç ve Sağlık Ürünleri A.Ş. ile görüşülerek konu aktarılmıştır. Ülkemizde yürütölen klinik araştırmadan sorumlu sözleşmeli araştırma kuruluşu olan INC Research Klinik Araştırma Ltd. Şti. ile de temasa geçilerek insani amaçlı ilaca erken erişim programının başlatılması konusundaki talebimiz iletilmiştir. Programın açılabilmesi konusunda Bio-Gen İlaç Sanayi Tic. Ltd. Şti. Avrupa Genel Müdürlüğü'ne 2016 yılı içerisinde resmi olarak müracaatta bulunulmuş ve mail vasıtası ile de iletişime geçilmiştir. 19/01/2017 tarihinde söz konusu firmadan 10 (on) SMA Tip 1 hastamız için insani amaçlı ilaca erken erişim programı açılacağı bilgisi alınmıştır. "Nusinersen" etkin maddeli ilacın ruhsat sahibi firması Bio-Gen İlaç Sanayi Tic. Ltd. Şti.'nin ülkemizdeki bazı ürünlerinin distribütörlüğünün bulunduęu Gen İlaç ve Sağlık Ürünleri A.Ş. tarafından yapılan İnsani Amaçlı İlaça Erken Erişimi Programı açılma başvurusu incelenerek kabul edilmiştir. Firmanın 10 (on) hasta için açtığını belirttiğı bu program için uygunluk yazımız Ocak ayı içerisinde firmaya iletilmiştir. Başvuruda firma tarafından, ülkemizde açılması talep edilen erken erişim programına hasta dâhil edilme kriterleri olarak ilacın Avrupa'da ve Amerika'da yürütölen erken erişim programı koşulları (clinical trials web sayfasında erken erişim programı için yayımlanmış olan koşullar) aynı şekilde iletilmiş ve Bakanlığım tarafından uygun bulunmuştur.

İnsani Amaçlı İlaça Erken Erişim Programına, Bakanlığımıza hekimler tarafından yapılan yurt dışı ilaç kullanımı başvuruları doğrultusunda, uygun kriterleri taşıyan 10 (on) hasta yönlendirilmiş ve yönlendirilen hastalarımız için başvuruyu yapan doktorlar firmaya erken erişim başvurusunda bulunmaları konusunda bilgilendirilmiştir.

İnsani amaçlı ilaca erken erişim programına dâhil edilen hastalarımız için söz konusu ilacın ithalatına Bakanlığım tarafından onay verilmiş olup, Gen İlaç ve Sağlık Ürünleri A.Ş. tarafından 7 (yedi) hastamız için ithalat işlemleri tamamlanmış ve hastalarımızın tedavilerine başlanmıştır. Kalan 3 (üç) hastamızın tedavilerine başlanması için ise ithalat işlemlerinin tamamlanması beklenmektedir.

Ayrıca burada önemle belirtilmelidir ki, ilaç firmaları ve Türk Eczacıları Birliğı tarafından ithalat başvuruları Bakanlığımıza yapılır. Yurt dışından ilaç ithalatı için Bakanlığım onay mercii konumundadır. Nusinersen etkin maddeli ilaç Bakanlığımıza bağı Türkiye İlaç ve Tıbbi Cihaz Kurumu (TİTCK) tarafından yayımlanan Yurt Dışı İlaç Listesi'ne 23/01/2017 tarihinde eklenmiştir. Bu tarihten itibaren ilgili ilacın kullanımı için hekimler tarafından yapılan yurt dışı ilaç kullanım başvuruları Kurumun "İlaçların Şahsi Tedavide Kullanımlarını Deęerlendirme Komisyonu" tarafından deęerlendirilerek 17/04/2017 tarihine kadar 21 (yirmi bir) hasta için ilgili ilacın yurt dışından ithali ve kullanımına yönelik uygunluk verilmiştir. Yurtdışı ilaç kullanım onayı verilen hastaların doktorlarına cevap resmi olarak iletilmiş olup; ilaçlar, hasta bazında Türk Eczacıları Birliğı tarafından ithal edilmektedir. Nusinersen etkin maddeli ilacın

ithalatı ise henüz yapılmamakla birlikte gerekli prosedürler Türk Eczacıları Birliği (TEB) tarafından yürütülmektedir.

SORU 5 – Söz konusu ilacın yurtdışından getirilmesi durumunda geri ödemesi yapılmakta mıdır?

CEVAP 5 - Yurtdışından temin edilen ilaçların geri ödemesi Sosyal Güvenlik Kurumu (SGK) bünyesindeki “Yurtdışı İlaç Tıbbi ve Ekonomik Değerlendirme Komisyonu” ve “Alternatif Geri Ödeme Komisyonu” tarafından değerlendirilmektedir. Bu Komisyonunda Bakanlığım, SGK, Hazine Müsteşarlığı, Kalkınma Bakanlığı ve Maliye Bakanlığı temsilcileri bulunmaktadır. Komisyonunda alınan tavsiye kararları, yine SGK bünyesinde ve yine aynı Kurumların temsilcilerinin üye olduğu Sağlık Hizmetleri Fiyatlandırma Komisyonu tarafından değerlendirilerek karara bağlanmaktadır. Alternatif Geri Ödeme Komisyonu gündeminde bahse konu ilacın global firmasına ilacın tüm SMA tanıli hastalarımızda kullanımını sağlamak üzere iletilen fiyat teklifi değerlendirilme sürecindedir.

SORU 6 – Bu ilaç Türkiye’de ruhsatlaşma durumunda geri ödeme kapsamına alınacak mıdır?

CEVAP 6 - Ülkemizde ilacın ruhsatlandırılma aşamasını takiben geri ödeme kapsamına alınması hususu 5. sorunun cevabında belirtildiği üzere Sosyal Güvenlik Kurumu (SGK) bünyesindeki komisyon tarafından değerlendirilecektir. Bakanlığımız tarafından, ülkemizde bahse konu ilacın en kısa sürede ruhsatlandırılması için ilgili firma ile iletişime geçilmiş ve en kısa zamanda ülkemizde ruhsatlandırılması için başvuru yapılması istenmiştir.

Göstermiş olduğunuz ilgiye teşekkür ederim