



**TÜRKİYE BÜYÜK MİLLET MECLİSİ BAŞKANLIĞI'NA**

Aşağıdaki sorularımın Sağlık Bakanı Sayın **Fahrettin Koca** tarafından yazılı olarak cevaplandırılmasını arz ederim.

Saygılarımla.

**Suzan Sahin**  
**Hatay Milletvekili**

Spinal Muskuler Atrofi (SMA) kas kaybı ve zayıflığına neden olan, ender rastalanan bir hastalıktır. Vücuttaki pek çok kası tutan ve hareket kabiliyetini etkileyen SMA, omurilikte bulunan ön boynuz motor sinir hücrelerini etkilemektedir. Ön boynuz hücrelerinde görülen dejenerasyon nedeni ile SMA geni, kas kontrolünü sağlayan sinirlerinin fonksiyonu için gerekli protein üretimi gerçekleştirilememekte, bu nedenle motor sinir hücrelerinin beslenememesine bağlı olarak istemli kaslar görevini yapamaz duruma gelmektedir. Sinir hücrelerinin işlevini yerine getirememesi, zayıflamaya ve genellikle ölümcül kas güçsüzlüğüne sebep olmaktadır. Görülme sıklığı dünya genelinde 10 bin doğumda bir iken, ülkemizde 6 bin doğumda bir olarak ortaya çıkmaktadır.

SMA hastalığı gösterdiği yaş ile doğru orantılı olmakla birlikte 4 tipi bulunmaktadır. 6 aylık ve daha küçük bebeklerde görülen Tip-1 SMA hastalığı, 6 ila 18 aylık bebeklerde görülen Tip-2 SMA hastalığı, 18. ay itibariyle başlayan Tip-3 SMA hastalığı, yetişkinlik döneminde ortaya çıkan Tip-4 SMA hastalığı olarak ortaya çıkmaktadır.

Net bir tedavisi bulunmayan SMA hastalığı ile son dönemde araştırmalar devam etmekte, bu anlamda hastalık belirtilerinin azaltılması ve yaşam kalitesinin yükseltilmesi için çeşitli tedaviler geliştirilmesi yönünde çalışmalar yürütülmektedir. Bu çalışmalardan birisi de özellikle Tip-1 SMA hastalığı için geliştirilen ZolgenSMA olarak bilinen gen terapisi. FDA tarafından 2019 yılında onaylanan gen terapisi ülkemizde çok yeni olmakla birlikte ilaç tedavisi tez doz olarak 2 yaş altındaki bebeklere verilmektedir. Uygulanan tedavilerde olumlu sonuçlar alınması SMA hastası çocukları olan aileler için umut vericidir. Ancak fiyatı 2.1 milyon dolar olan bu ilacın karşılanması SMA hastalarının aileleri için zorlayıcı olmaktadır.

Bu bilgiler ışığında;

1. SMA Tip-1 hastaları için uygulanan gen terapisinin SGK tarafından karşılanması konusunda çalışmanız var mıdır?
2. SMA hastalığının tedavisi için geliştirilen yöntemlerin desteklenmesi ve ülkemizde yapılması konusunda yapılan çalışmalar var mıdır? Varsa ne aşamada?