



TÜRKİYE BÜYÜK MİLLET MECLİSİ BAŞKANLIĞINA

Aşağıdaki sorularımın **Sağlık Bakanı Fahrettin KOCA** tarafından Anayasa'nın 98'inci ve TBMM İçtüzüğü'nün 96'ıncı ve 99'uncu maddeleri gereğince yazılı olarak cevaplandırılmasını arz ederim.

Kemalbay

Serpil KEMALBAY PEKGÖZEGÜ

İzmir Milletvekili

Dünya genelinde yaklaşık 10 binde 1 kişide görülen SMA hastalığına, Türkiye'de yaklaşık 6.000 doğumda bir rastlanmaktadır. Her ne kadar Sağlık Bakanlığının verilerinde büyük kısmını bebek ve çocukların oluşturduğu toplam SMA hastası sayısının 1619 olduğu belirtilmiş olsa da birçok veride 4000'e yakın SMA hastasının olduğu tahmin edilmektedir. İzmir'de doğduktan üç ay sonra hastalığının teşhisi konan ve durumu gün geçtikçe kötüleşen Rüzgar Bebek gibi bir çok bebek ve çocuk solunum cihazlarında küçücük bedenleriyle yaşam mücadelesi verirken birçok SMA hastası bebek ve çocuk yaşamını yitirmektedir.

TBMM'de 08.05.2019 tarihinde kurulan "Als, Sma, Dmd, Ms Hastalıklarında ve Kesin Tedavisi Bilinmeyen Diğer Hastalıklarda Uygulanan Tedavi Ve Bakım Yöntemleri İle Bu Hastalıklara Sahip Kişiler Ve Yakınlarının Yaşadıkları Sorunların ve Çözümlerinin Belirlenmesi Amacıyla Kurulan Meclis Araştırması Komisyonu'nda tamamı bilim insanlarından oluşan kişilerin görüşlerine başvurulmuş ve nadir hastalıklarla ilgili çözüm önerileri görüşülmüş ve bu çözüm önerileri Mart 2020'de 298 sayfalık bir raporla

yayınlanmıştır. Ancak yetkili mercilerce aradan geçen bir buçuk yıla yakın bir süreçte raporda ifade edilen çözüm önerilerine dair olumlu sayılabilecek bir somut adım atılmamıştır.

Son yıllarda yapılan araştırmalarda bu nadir hastalıklara ilişkin yeni ilaçlarla özellikle ABD ve Avrupa'da uygulanan tedavilerde önemli oranda yol alındığı bilinmektedir. Dünyada hastalığın tedavisinde kullanılmak üzere geliştirilmiş ve onay almış üç farklı ilaç bulunmasına rağmen Türkiye'de yalnızca 2017 yılında SMA Tip 1 için onaylanan Spinraza adlı ilaç 2019'da SMA Tip II ve Tip III için de SGK tarafından karşılanmaktadır. SMA hastalarına, Spinraza tedavisinin başında ve tedavi süresince bir takım fizik hareketleri yaptırılarak testlere tabi tutulmaktadır. CHOP-INTEND skorlama mekanizması adı verilen bu testlerde, istenilen puanı alamayan hastaların tedaviye devam etmesine izin verilmemekte, tedaviden mahrum kalmaktadırlar. Ayrıca; aileler tarafından yapılan açıklamalar ve eylemlerde pandemi sürecinde birçok hastanın ilaca erişimde zorluklar yaşadığı, özellikle son dönemlerde SGK'daki bütçe sıkıntısı nedeniyle hastalara ilaç temin edilemediği ileri sürülmekte, pandemi koşullarında tedavi ile birlikte yürütülmesi gereken fizik tedavilerinin aksadığı, tedavi sürecinin ise fiziksel ve psikolojik olarak çok yıpratıcı olduğu dile getirilmektedir.

Türkiye'de sadece Spinraza adlı ilacın SGK tarafından ödendiğini ancak bu ilacın ömür boyu kullanılması gerektiğinden ailelerin bir kısmı SMA Tip I hastası olan çocuklarının yurt dışında hastalığın tedavisinde umut verici sonuçları bulunan gen tedavisini alması için hastane masrafları da dahil edildiğinde yaklaşık 2.3 milyon doları bulan meblağları bireysel kampanyalar üzerinden toplamaya çalışmaktadırlar. Amerikan Nöroloji Akademisi'nce yapılan ilaçların etkinlik karşılaştırmasında Zolgensma'nın %95, Risdiplam'ın %88, Spinraza'nın ise etkinliğinin %61 olduğu şeklinde bir açıklama yapılmıştır.

Zolgensma adlı ilaç 40'tan fazla ülkede hâlihazırda kullanılmaktadır. Ayrıca; bu ilaç tek seferde uygulanan bir ilaç olup, 2 yaşından önce uygulandığında SMN-1 geninin yerine geçerek, hastalığı ortadan kaldırma başarısı gösterdiği de yapılan birçok bilimsel çalışmalarla ifade edilmiştir. Dünyanın en büyük ilk beş ekonomisi içinde olan Japonya ise Zolgensma'yı genel sağlık sigortası kapsamında ihtiyaç duyan tüm vatandaşlarına ücretsiz sağlamaktadır.

Tarafınızca 03.01.2021 tarihli açıklamanızda '*gen tedavisinin etkinliğine dair bilimsel platformlarda yayınlanan kanıtların henüz yeterli düzeyde*' olmadığı ve '*hâlihazırda uygulanan tedaviye üstünlüğüne dair kanıt bulunmadığı*' belirtilmiştir. Bilimsel yeterliliği kanıtlanmamış ve gerekli deneyleri tamamlamamış bir ilacın FDA ve EMA onayını alamayacağı açıktır. Ayrıca; bu aşamalardan geçmemiş bir ilacın 22.12.2020 tarihinde TİTCK yurt dışı aktif ilaç listesinin en başına dâhil edilmesinin mümkün olmayacağı açıktır.

Bir diğerk husus ise bu açıklamanın ölkemizde Zolgensma'yı reçete eden ve bebek adına TİTCK'ya başvuran doktorların tedaviyi belirleme özgürlüğüne müdahale niteliğı taşımaktadır. Her SMA'lı bebek için ilacı reçete eden hekimin TİTCK'ya ayrı başvuru yapma zorunluluğı mevcuttur. TİTCK kendisine gelen her başvuruyu titizlikle ve ayrı ayrı değerlendirmekte ve gerçekten fayda görecekt bebek adına ilacın yurtdışından getirilmesi için ilgili onayı vermektedir. Bu onayın bir bebek için verilmiş olması da ilacın bilimsel etkinliğini tasdiklemektedir. Hal böyle iken tarafınızdan ailelerin umutlandığı bu tedaviye yönelik olarak başlatmış oldukları kampanyanın suistimal edilmesi, kirli kampanyaya dönüştürölmesi vicdanları yaralamıştır.

Yaşam hakkı, hem Anayasa ile hem de Avrupa İnsan Hakları Sözleşmesi ile garanti edilmiş, kişinin fiziksel varlığını sürdürebilmesinin güvencesini oluşturan en temel insan hakkıdır. Avrupa İnsan Hakları Mahkemesi içtihatları, devletlerin kendi yetki alanlarında bulunanların hayatını korumak yönünde pozitif yükümlölüğü olduğunu da hatırlatmaktadır.

Bu bağlamda;

- 1- Türkiye'deki SMA hasta sayısı tam olarak kaçtır? Bu hastaların bebek, çocuk ve yetişkin olarak tam sayıları nedir?
- 2- Türkiye'de son 5 yılda kaç hastaya SMA tanısı konmuştur? Bunların kağı 0-10 yaş aralığındadır?
- 3- Bakanlığınıza bağı Türkiye İlaç ve Tıbbi Cihaz Kurumu'ndan tedavi süreci için onay alan SMA hasta sayısı kaçtır?
- 4- Son 10 yılda SMA hastalığı kaç hasta yaşamını yitirmiştir?
- 5- Aileler tedavi esnasında gereken puana sahip olamayan hastaların tedavisinin kesildiğini üstelik bu aşamaları tespit eden testlerin hastalardaki her gelişmeyi doğru değerlendirmedini ifade etmektedirler. Tedavinin kesilmesinin sebebi olarak gözüken testlerin doğruluğunun kriterleri nelerdir?
- 6- Halihazırda 40' ın üzerinde ölkede uygulanan ve 20'nin üzerinde ölkede ödeme kapsamına alınmış olan, FDA ve EMA tarafından onay almış, doğru zamanda ve şekilde uygulandığı zaman yüzde 95 gibi ciddi bir etkililik oranı sağladığı Amerikan Nöroloji Demeğı tarafından tespit edilen Zolgensma adlı ilaca yönelik bakanlığınız tarafından bilimsel veri olmadığının öne sürölmesinin nedeni nedir? Bu ifadelerin bilimsel gerekçeleri nelerdir?
- 7- Hali hazırda 40'dan fazla ölkede uygulanan Zolgensma gen tedavisini talep eden ailelerin bu taleplerine cevap verilecek midir?

- 8- Çocuklarının yaşamları için adeta zamanla yarışan ailelerin yardım kampanyalarının Valilik iznine bağlanmasının gerekçesi nedir?
- 9- “Gen tedavisinin etkinliğine dair bilimsel platformlarda yayınlanan kanıtların henüz yeterli düzeyde olmadığı” yönündeki açıklamalarınızla TİTCK’nın Yurt Dışı ilaç Listesi’nin ilk başında olmasının açıklaması nedir?
- 10- Türkiye’den yurtdışına tedavi veya teşhis amacıyla gönderilen SMA hasta sayısı kaçtır?
- 11- SMA Tip I hastası çocukların sadece birkaçının bu tedaviye ulaşması ve çoğunluğun tedaviye erişememesinin eşitlik ilkesine aykırılık oluşturduğunu düşünüyor musunuz?
- 12- Gebelik öncesi SMA taşıyıcılık testinin yapıldığı tarafınızdan ifade edilmesine rağmen halen yapılmamasının nedeni nedir?
- 13- Özellikle Tip 1 hastalarının evde fizik tedavi hizmetinin SGK tarafından karşılanması yönünde Bakanlığınızın herhangi bir çalışması var mıdır?
- 14- Als, Sma, Dmd, Ms Hastalıklarında ve Kesin Tedavisi Bilinmeyen Diğer Hastalıklarda Uygulanan Tedavi Ve Bakım Yöntemleri İle Bu Hastalıklara Sahip Kişiler Ve Yakınlarının Yaşadıkları Sorunların ve Çözümlerinin Belirlenmesi Amacıyla Kurulan Meclis Araştırması Komisyonu’nun Raporunda yer alan çözüm önerilerinden hangileri uygulamaya konmuştur?
- 15- SMA hastalığı tedavisinde uygulanan kriterlerin kaldırılmasına yönelik Bakanlığınızca herhangi bir çalışma yapılacak mıdır?
- 16- SMA hastalarının bakımı için ailelere bakım hizmeti desteği verilmesi planlanmakta mıdır?
- 17- Türkiye genelinde kaç adet kas hastalıkları merkezi bulunmaktadır? Bulunan merkezler yeterli gelmekte midir? Arttırılmasına yönelik olarak Bakanlığınızca bir çalışma yapılacak mıdır?