



T.D.P.M.
HALKLARIN DEMOKRATİK PARTİSİ
Grup Başkanlığı

Sayı : 14.544
Tarih : 27.09.2021

TÜRKİYE BÜYÜK MİLLET MECLİSİ BAŞKANLIĞINA

14/5/1928 tarihli ve 1262 sayılı İspençiyari ve Tıbbi Müstahzarlar Kanununa geçici madde eklenmesine ilişkin kanun teklifim gerekçesiyle birlikte ekte sunulmuştur.

Gereğini saygılarımızla arz ederim. 26.07.2021

Hüda KAYA

İstanbul Milletvekili

TBMM BAŞKANLIĞI	
Tali Komisyon	Plan ve Bütçe
Esas Komisyon	Sağlık, Aile, Çalışma ve Sosyal İşler
Tarih :	01 Ekim 2021
Esas No.	2/3847

TBMM KANUNLAR ve KARARLAR BŞK.LİĞİ
27 Eylül 2021
Numara:

TBMM GENEL EVRAK
27 Eylül 2021
No. 884028
EBYS'ye AKTARILMIŞTIR

GENEL GEREKÇE

Spinal Musküler Atrofi (SMA), omurilikteki motor sinir hücrelerini etkileyerek yürüme, yemek yeme ve nefes alma gibi temel kabiliyetini ortadan kaldıran doğuştan genetik defekt olan kişilerde görülen bir hastalıktır. Vücudun hareket etmesini sağlayan motor sinirleri etkileyen hastalığın, dünya genelinde görülme sıklığı 10 binde 1 iken ülkemizde bu rakam yaklaşık 6 binde 1'dir. Türkiye'de Sosyal Güvenlik Kurumu'nun verilerine göre 2020 yılı itibariyle 1300 civarında SMA hastası bulunmaktadır. SMA'nın tedavisi için şimdiye kadar geliştirilen ve Amerikan Gıda ve İlaç Dairesi (FDA) tarafından onay alan üç tip ilaç var: Zolgensma, Risdiplam ve Türkiye'de kullanılan Spinraza.

Türkiye'de de SGK kapsamında olan tek SMA ilacı Spinraza adlı ilaç destekleyici tedavi özelliği taşıyan, ömür boyu birkaç ayda bir omurilikten enjekte edilmesi gereken bir ilaç. Spinraza, hastalığı kalıcı olarak tedavi etmiyor sadece belli ölçülerde gerilemeyi durduruyor. Sağlık Bakanlığı'nın Bilim Kurulu tarafından alınan kararlar gereği Spinraza çocuklara belirli kriterlerin karşılanması takdirinde uygulanıyor. Spinraza'nın ilk dozları hiçbir kriter talep edilmeden çocuklara verilse de sonraki aşamalarda nörolojik ve fizik tedavi testleri sonucunda CHOP-INTEND skor tablosuyla değerlendirilerek ilaca devam edilip edilmeyeceğine karar veriliyor. Hastada ilacı her aldığı anda mutlaka fiziksel olarak bir gelişim göstermesini bekliyorlar. İlacın doğrudan bir etki göstermemesi durumunda yani hasta bir gelişim gösteremezse ilaç kesiliyor.

ABD'de FDA'nın (ABD Gıda ve İlaç Dairesi) 2019'da, Avrupa'da EMA'nın (Avrupa İlaç Ajansı) geçtiğimiz aylarda onayladığı Zolgensma adlı ilaçla yapılan gen tedavisi ise kalıcı, tamamen iyileşmeye varan sonuçlar alınmasını sağlıyor. Amerikan Nöroloji Akademisi'ne göre SMA ilaçlarının etkililik karşılaştırması Zolgensma % 95, Risdiplam % 88, Spinraza % 61 şeklinde. Bunlardan en pahalısı ise 2019 yılında piyasaya çıkan ve 2,4 milyon dolarlık bedelle ABD tarihinin hatta dünya tarihinin en pahalı ilacı olarak bilinen Zolgensma. Zolgensma'nın damardan bir sefer uygulanması ömür boyu yeterli oluyor. Hastalar ilacı bir sefer, bir saatlik bir uygulamayla damardan alıyor. Sonrasında yürüme, yutkunma hatta normale yakın bir yaşam sürme şansı oluyor. Türkiye'de çoğu aile çocuklarını bu ilaç ile tedavi ettirebilmek için yurtdışı

yolunu seiyor. Aileler Zolgensma'ya ulaşmak istiyor ünkü bu ilaç mr boyu kullanılmak zorunda olan Spinraza'nın aksine tek seferlik. Trkiye'de bulunmayan ve uygulanabilmesi iin ocuėun 2 yaşından kk veya 21 kilodan az olması gereken Zolgensma'ya ulaşmak iin aileler kendi imknlarıyla kampanya dzenliyor.

Bahse konu olan bu Kanun Teklifi, Zolgensma adlı ilacın yurtdışından getirilerek SGK kapsamında cretsiz ve koşılsuz olarak, 2 yaşından kk veya 21 kilodan az olan tm tip Spinal Mskler Atrofi hastalığıının tedavisinde kullanılmasını amalamaktadır.

MADDE GEREKÇELERİ

MADDE 1- Zolgensma adlı ilacın yurtdışından getirilerek SGK kapsamında ücretsiz ve koşulsuz olarak, 2 yaşından küçük veya 21 kilodan az olan tüm tip Spinal Müsküler Atrofi hastalığının tedavisinde kullanılmasını amaçlamaktadır.

MADDE 2- Yürürlük maddesidir.

MADDE 3- Yürütme maddesidir.

**İSPENÇİYARİ VE TIBBİ MÜSTAHZARLAR KANUNUNDA DEĞİŞİKLİK
YAPILMASINA İLİŞKİN KANUN TEKLİFİ**

MADDE 1- 14/5/1928 tarihli ve 1262 sayılı İспенçiyari ve Tıbbi Müstahzarlar Kanununa aşağıdaki geçici madde eklenmiştir.

“GEÇİCİ MADDE 2- Yurt içi muadil ilacı üretilene kadar, Spinal Müsküler Atrofi hastalığının tedavisinde kullanılan Zolgensma adlı ilacın ithalatı serbesttir. Bu ilaç, usule uygun olarak yurt dışı ilaç kullanım başvurusunda bulunan hastalara, koşulsuz ve ücretsiz olarak sağlanır.”

MADDE 2- Bu Kanun yayımı tarihinde yürürlüğe girer

MADDE 3- Bu Kanun hükümlerini Cumhurbaşkanı yürütür.