



T.C.  
SAĞLIK BAKANLIĞI  
Sağlık Hizmetleri Genel Müdürlüğü

Sayı : 54567092-610  
Konu : Yazılı Soru Önergesi Cevabı

SAĞLIK HİZMETLERİ GENEL MÜDÜRLÜĞÜ  
GENEL MÜDÜR YARDIMCISI (E-İDARE - DİR.)  
06.12.2024 22:05:23 - E-54567092-610-261723512



261723512

MEVZUAT İŞLERİ DAİRESİ BAŞKANLIĞI

TÜRKİYE BÜYÜK MİLLET MECLİSİ BAŞKANLIĞINA

7/19096  
SK 43

İlgi : 13.11.2024 tarihli ve E-43452547-120.07.04-1529598 sayılı yazınız.

Ankara Milletvekili Sayın Deniz DEMİR tarafından verilen “DMD hastalığının tedavisiyle ilgili yapılan çalışmalara ilişkin” 7/19096 sıra sayılı yazılı soru önergesinin cevabı ilişikte sunulmaktadır.

Arz ederim.

Prof. Dr. Kemal MEMİŞOĞLU  
Bakan

EKLER:  
Ek-1 Önerge Cevabı

**Ankara Milletvekili Sayın Deniz DEMİR tarafından verilen “DMD hastalığının tedavisiyle ilgili yapılan çalışmalara ilişkin” 7/19096 sıra sayılı yazılı soru önergesinin cevabıdır:**

DMD hastalığı, kas yapısında bulunan distrofin proteinindeki genetik mutasyonlara bağlı olarak kasta dejenerasyon ve zayıflamaya yol açan ilerleyici bir rahatsızlıktır. Dmd kas hastalığı 3500 erkek çocuğun 1'inde görülürken bu oran kız çocuklarında 50.000.000'da 1'dir. Ülkemizde yaklaşık 5000 çocukta bu hastalığa rastlanmıştır. Ancak Duchenne Musküler Distrofi (DMD) hastası çocuklarımızın yaşamını sürdürebilmesi için hayati önem taşıyan ilaçların devlet tarafından karşılanmamaktadır. Özellikle "Agamree" ve "Givinostat" gibi yeni FDA ve EMA onaylı ilaçların Türkiye'de karşılanmaması ailelerde büyük bir hayal kırıklığına neden olmaktadır. Aileler “FDA onaylı gen terapisi 'ELEVIDYS', Haziran 2024'te genişletilmiş onay aldı, ama Türkiye'de bir adım atılmadı.” Diyerek ilaçların geri ödeme kapsamına alınmasını talep etmektedir. Mağdur çocuklar ve aileleri bu kapsamda Bakanlığa seslerini duyurmak için pek çok yol denemiştir.

Bu çerçevede;

**Soru 1-** Ülkemizde Duchenne Musküler Distrofi (DMD) tanılı kaç çocuk bulunmaktadır?

**Soru 2-** Bu hastalığa sahip çocuklarımıza nasıl bir tedavi uygulanmaktadır?

**Soru 3-** DMD hastalığının tedavisinde kullanılan Elevidys', "Agamree" ve "Givinostat" gibi ilaçlarının geri ödeme kapsamında olmamasının sebepleri nelerdir? FDA onaylı bu ilaçların Sağlık Uygulama Tebliği kapsamına alınmamasının gerekçesinedir?

### **CEVAPLAR:1-3.**

Bakanlığımız, nadir hastalıkların tedavilerinin hayati öneme sahip olduğu bilinciyle, ilgili alanda yürütülen akademik ve tıbbi gelişmeleri yakından takip etmektedir. Nadir hastalıkların geneli ile ortak özellikler sergileyen ve global düzeyde yaşanan, sorularda da bahsi geçen konulara ilişkin “Nadir Hastalıklar Sağlık Strateji Belgesi ve Eylem Planı (2023-2027)” oluşturularak; beş ana başlık, her başlığın amaçları, amaçları somutlaştıran 42 hedef ve bu hedeflere erişimi sağlayacak 44 faaliyet tanımlanmıştır. Anılan Sağlık Strateji Belgesi ve Eylem Planı ulusal ve uluslararası yapılan çalışmaların incelenmesi, ilgili kurumlar, meslek örgütleri ve STK'ların görüşleri de alınarak yayınlanmıştır. (<https://dosyamerkez.saglik.gov.tr/Eklenti/44497/0/nadir-hastaliklar-eylem-planii--011222pdf.pdf>). 30 Kasım 2023'te Nadir Hastalıklar Sağlık Belgesi ve Eylem Planı Uygulama ve İş Birliği Çalışmayı gerçekleştirilmiştir. Bu önemli etkinlikte, sorumlu ve paydaş kurumların, sektör temsilcileri ve sivil toplum kuruluşlarının katkılarıyla nadir hastalıklar konusunda çözümler ve stratejiler paylaşılmıştır.

01.01.2020–18.11.2024 tarihleri arasında, yapılan muayene sonucunda hekim tarafından kesin tanısı “Duchenne Musküler Distrofi” olarak belirtilen ve yaşayan 7.455 kişi bulunmaktadır.

Duchenne musküler distrofi hastalığının tedavisi için ülkemizde ruhsatlı olmayan Ataluren ve Eteplirsen etken maddeli ilaçlar için; hekimler tarafından yurt dışı ilaç temini

kapsamında Kurumumuza hasta bazlı başvuru yapılmaktadır. İlgili başvurular kurumumuz Kişisel Tedavileri Değerlendirme komisyonu tarafından değerlendirilmekte ve ilaç kullanımının uygun bulunması halinde ilacın yurt dışı ilaç tedarikçileri aracılığı ile yurt dışından ithalatı ve hastanın ilaca erişimi sağlanmaktadır.

Bu ilaçlar, bilim komisyonlarınca değerlendirilmekte ve ilaç üzerinde yapılan çalışma sonuçları, ilaç kullanım endikasyonları ve alınan uluslararası belgeler ışığında hangi hallerde kullanılacağına karar verilmektedir. Böylece ilacın gereksiz kullanımı ile hastaya zarar vermesi engellenmektedir. Tüm hastalıklarda olduğu gibi DMD hastalığında da tüm tedavi seçenekleri ve ilaçlar gelişmiş dünya uygulamaları çerçevesinde takip edilmekte ve klinik uygulamaya girmiş tüm ilaç ve tedavi seçenekleri Devletimizce karşılanmaktadır.

Multidisipliner ekip ihtiyacı olan nöromusküler hastalığa sahip vatandaşlarımıza kaliteli hizmet sunabilmeyi amaçlayan 04.06.2021 tarihli ve 31501 sayılı Resmi Gazete'de yayımlanan Nöromusküler Hastalıklar Birimi Hakkında Yönetmelik ile nöromusküler hastalıklar birimleri Bakanlığımızca bölge ve il düzeyinde planlanmıştır.

Ayrıca "Nöromusküler Hastalıklar Bilimsel Danışma Komisyonu" oluşturulmuş olup, nöromusküler hastalıklar birimlerimizle ilgili çalışmaların planlı, sistematik ve sürdürülebilir olarak devam etmesi sağlanmıştır.

Konuya gösterilen ilgiye teşekkür ederim.