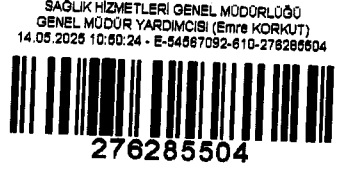




T.C.
SAĞLIK BAKANLIĞI
Sağlık Hizmetleri Genel Müdürlüğü

Sayı : 54567092-610
Konu : Yazılı Soru Önergesi Cevabı



TÜRKİYE BÜYÜK MİLLET MECLİSİ BAŞKANLIĞINA

7/19221
GK 47

İlgi : 19.11.2024 tarihli ve E-43452547-120.07.04-1532585 sayılı yazınız.

Sakarya Milletvekili Sayın Ümit DİKBAYIR tarafından verilen “*LGMD hastalığının tedavisi konusunda yapılan çalışmalara ilişkin*” 7/19221 sıra sayılı yazılı soru önergesinin cevabı ilâıkte sunulmaktadır.

Arz ederim.

Prof. Dr. Kemal MEMİŞOĞLU
Bakan

EKLER:
Ek-1 Önerge Cevabı



Sakarya Milletvekili Sayın Ümit DİKBAYIR tarafından verilen “LGMD hastalığının tedavisi konusunda yapılan çalışmalara ilişkin” 7/19221 sıra sayılı yazılı soru önergesinin cevabıdır:

Limb-Girdle Musküler Distrofi (LGMD), iskelet kaslarını etkileyen ve ilerleyici proksimal kas zayıflığı ile karakterize edilen genetik bir kas hastalığıdır. Bu hastalıkta, beta-sarkoglikan geninin mutasyonu, kas fonksiyonunun bozulmasına yol açmaktadır. Son yapılan araştırmalarda, beta- sarkoglikan geninin normal alelinin ekspresyonunun artırılmasının, kas fonksiyonunu %50 oranında iyileştirme potansiyeli taşıdığı belirtilmiştir.

Yurt dışında olan çalışmaların ülkemizdeki doktorlarımız aracılığıyla fırsatların verilerek ve destek olarak kendi ülkemizde başlatılmasına olanak sağlayarak kısa sürede tedavilere ulaşmak LGMD hastalarının en büyük isteklerinden biridir.

Genetik tedavi yöntemlerinin hızla devreye girmesi, FDA onaylı ilaçlar olan Duyvzat (Givinostat),Dantrolen ve Agamree (Vamorolan) gibi ilaçların erişilebilir hale gelmesi ve SGK kapsamına alınarak hastalarımıza ücretsiz veya düşük maliyetli olarak sunulması büyük bir önem taşımaktadır.

Buna göre;

Soru 1- Beta-sarkoglikan ifadesinin artırılmasının, LGMD tedavisindeki potansiyel faydaları hakkında bilimsel araştırmalar ve klinik çalışmalar Bakanlık tarafından desteklenmekte midir?

Soru 2- Bu tedavi yaklaşımının klinik pratiğe kazandırılması için herhangi bir biyoteknolojik geliştirme veya ilaç çalışması yürütülmekte midir?

Soru 3- Beta-sarkoglikan ekspresyonunu artırarak kas fonksiyonunu iyileştirmeye yönelik, mevcut tıbbi ve genetik tedavi yaklaşımlarının birleştirilmesi konusunda bir strateji oluşturulmakta mıdır?

Soru 4- Bakanlık, LGMD gibi genetik kas hastalıkları için daha geniş çaplı araştırma ve klinik testlerin yapılabilmesi adına gerekli finansal ve bilimsel destekleri sağlamayı planlamakta mıdır?

CEVAPLAR:1-4.

Bakanlığımızca nadir hastalıklar ve tedavileri hayati öneme sahip olduğu bilinciyle, ilgili alanda yürütülen akademik ve tıbbi gelişmeler yakından takip edilmektedir.

Ülkemizde, hastalık kayıtlarının tutulması amacıyla ICD-10 hastalık kodlama sistemi kullanılmaktadır. Limb girdle muscular dystrophy (LGMD) tanısı G71.0 Musküler distrofi genel kodu altında yer almaktadır.

Bakanlığımız bünyesinde faaliyet gösteren Türkiye Biyoteknoloji Enstitüsü tarafından Limb-Girdle Musküler Distrofi (LGMD) gibi nadir hastalıkların dahil olduğu nadir ve tanısız hastalıkların evlilik öncesi ve yeni doğan taramaları için oluşturulan kurullar ve alt çalışma grupları, çalışmalarına devam etmektedir. Ayrıca ex vivo gen tedavileri ve hücresel tedaviler alanında da çalışmalar yürütülmektedir.

LGMD hastalığına karşı tedavi geliştirilmesine yönelik halihazırda yürütülen proje üniversiteler, kamu kurum ve kuruluşları veya araştırma enstitüleri/merkezleri tarafından yürütülecek kısa süreli aşı, ilaç, tıbbi cihaz, tanı kiti vb. sağlık bilim ve teknolojileri ile ilgili alanlardaki projelerin desteklenmesi amacıyla Bakanlığımızca açılmış olan “A Grubu Acil Ar-

Ge Proje Destek Programı” kapsamında desteklenmektedir. Projenin genel ve nihai amacı, mutasyonlar sonucu ortaya çıkan otozomal resesif kalıtmılg LGMD Tip 2E (LGMD2E) hastalıđına karşı gen tedavisi yöntemlerini geliřtirmek olup, projenin bilimsel sonuçlandırma işlemleri devam etmektedir.

Konuya gösterilen ilgiye teşekkür ederim.