



SMA Hastalığı Bilgi Notu

25 Kasım 2020

Temel Veriler

Ülkemizde 1300 civarında hasta olduğu SGK yetkililerince belirtilmekte; bunlardan hali hazırda 1000 civarında hastanın ilaç tedavisi gördüğü bilinmektedir. Güncel ve doğru istatistikler için Sağlık Bakanlığı'na bağlı Türkiye İlaç ve Tıbbi Cihaz Kurumu ile Sosyal Güvenlik Kurumu Genel Sağlık Sigortası Genel Müdürlüğü'ne başvurulmalıdır. Son olarak Aile ve Çalışma bakanı Selçuk da 6 Kasım tarihindeki Bütçe Komisyonu toplantısında bugüne kadar 1100 civarında hastaya ilaç için onay verildiğini belirtmiştir.

İlaçlar

Spinraza:

28 Aralık 2018 tarihinde yayınlanan Sağlıkta Uygulama Tebliği değişikliği ile 1. tip SMA hastalarının 4. dozdan sonra ilaca devam edebilmeleri için solunum cihazından asgari 4 saat ayrı kalma ve CHOP-INTEND skalasına göre 4 puan ilerlemeleri şartı aranmaktadır. Öte yandan 6. ve sonraki dozlarda birlikte her 4 ayda bir hastanın hem motor puanında hem solunumunda ilerleme beklenmektedir.

1. tip hastalarda 10. dozdan sonrası için bir düzenleme olmaması da problemlere yol açmaktadır. Halihazırda 10. dozuna ulaşan SMA hastalarının sonrasında bir yan etki görmemeleri halinde CHOP-INTEND değerlendirmeleri 1-2 puan düşse bile devamlarına onay verilmektedir. Bu, olumlu olmakla birlikte TİTCK ve SGK'dan görüş almasını gerektirdiği için gecikmelere neden olmaktadır.

Benzer şekilde 2. ve 3. tip hastaların 1 Şubat 2019 tarihinde yürürlüğe giren tebliğleri gereği 4. dozundan sonra devam edebilmek için başlangıca göre 3 puanlık artış göstermeleri gerekmektedir.

Talebimiz:

- Hem 1. tip hem diğer tiplerdeki hastalar için 4. dozdan sonraki "ilaca devam kriterleri"nin kaldırılması

- 1. tip hastalar için 5 ila 9. dozlar arasındaki "ilaca devam kriterleri"nin kaldırılması
- 1. tip hastalar için 10. dozdan sonrasının açıklığa kavuşturulması
- 2. ve 3. tip hastalar için ilave kurallar getirilmemesi; 5. dozdan sonra fizik puanını muhafaza etse de etmese de ilaca onay verilmesi
- Tedaviden zarar görmediği müddetçe bütün hastaların koşulsuz olarak ilaca devamının sağlanması.

Zolgensma: SMA hastalığı için geliştirilen ilk gen tedavisidir ve tek seferlik bir ilaçtır. Mayıs 2019'da ABD'de, Mayıs 2020'de ise Avrupa'da ticarileşme onayı almıştır. ABD'de hastalığın tipinden bağımsız olarak 2 yaşından küçük; Avrupa'da ise EMA herhangi bir kısıtlama koymamıştır.

EMA tarafından hazırlanan EPAR dosyasında ilacın 2 yaşından küçük ve 13,5 kilogramdan hafif hastalar için veri bulunduğu bunun dışındakilerde kullanımına dair bir veri bulunmadığı belirtilmiştir.

Fakat Avrupalı hekimlerin uzlaşısı ile azami 13,5 kg ağırlıktaki hastalara verilmektedir. Bu konuda Avrupalı hekimlerin ortak çalışma raporu okunabilir. Zolgensma, ülkemizde TITCK'nın Yurtdışı İlaç Listesi'nde yer almamaktadır.

Bu ilacın 5 yaşından küçük 2. tip hastalarındaki denemeleri sürmekte olup daha büyük yaştaki hastalar için planlanan klinik denemeleri henüz başlatılmamıştır. İlacın geçmişteki denemeleri ABD'de yürütülmüş olup Türkiye'den bir katılım olmamıştır.

Zolgensma'yı Ödeyen Ülkeler

Ülke	Açıklama
Amerika Birleşik Devletleri	2 yaşından küçük hastalar için ödeniyor
Almanya	EMA onayını takip ediyorlar. Teoride sınır olmamakla beraber çoğu doktor 13,5 kg altına olumlu bakıyor.
Avusturya	Almanya ile aynı.
Birleşik Krallık	2021'in ilk yarısında bir karar bekleniyor
Brezilya	2 yaş altına onaylandı ama ödeme kapsamında değil
Çek Cumhuriyeti	Almanya ile aynı.
Fransa	2 yaşın altı, yutabilen, solunum problemi olmayan hastalar onay için konseye giriyorlar
İsrail	2 yaşından küçük hastalar için ödeniyor
Japonya	2 yaşından küçük hastalar için ödeniyor
Polonya	Ödeme kapsamında değil
Portekiz	Ödeme kapsamına alma çalışmaları devam ediyor
Rusya	Sadece erken erişim (MAP) var
Slovakya	Ödeme kapsamına alma çalışmaları devam ediyor
Yunanistan	Ödeme kapsamına alma çalışmaları devam ediyor
Macaristan	Onaylı ama ödeme kapsamında değil. Bir hastane bedelini ödeyen hastalara ilacı uyguluyor.
Portekiz	Ödeme kapsamına alma çalışmaları devam ediyor. Özel bir programları var

Avustralya, İsviçre, Kanada,
Arjantin, Güney Kore,
Tayvan

2021'in ilk yarısında onay bekleniyor

Talebimiz:

- Zolgensma'nın Sağlık Bakanlığı tarafından Yurtdışı İlaç Listesi'ne dahil edilmesi
- SGK tarafından AB'deki en geniş kapsamla uyumlu olacak şekilde ödeme kapsamına alınması

Evrysdi: Roche tarafından geliştirilen bu ilaç 2020 yılının Ağustos ayında Amerikan FDA kurumundan 2 aydan büyük ve bütün tiplerdeki SMA hastaları için onay almıştır. 2021 yılının ilk aylarında Avrupa'da EMA'dan da onay alması beklenmektedir. SMA'nın şurup formunda olup evde alınabilecek olan ilk tedavisidir.

Bu ilacın Risdiplam adlı etken maddesi TİTCK'nın Yurtdışı İlaç Listesi'ne 21 Eylül 2020 tarihinde girmiştir, fakat ülkemizde henüz ödeme kapsamında değildir.

Talebimiz:

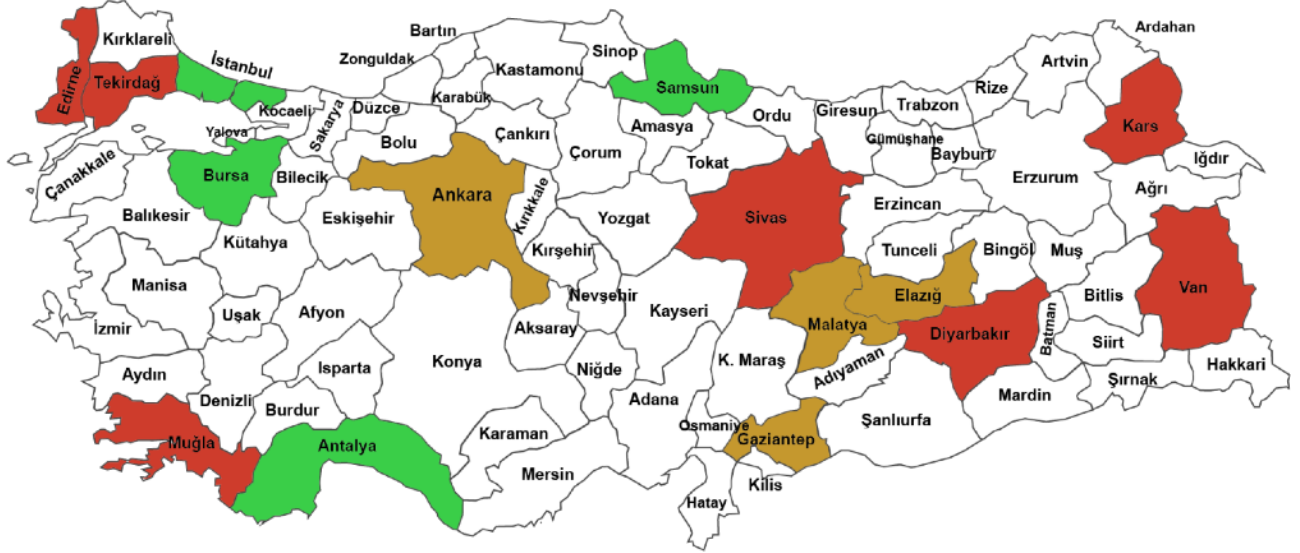
SGK tarafından gerekli çalışmaların tamamlanması ve Evrysdi'nin bütün SMA hastaları için ödeme kapsamına alınması

İlaçlara dair Genel Taleplerimiz

- Bütün SMA ilaçlarının Yurtdışı İlaç Listesi'ne eklenmesi
- Bütün SMA ilaçlarının geri ödeme kapsamına alınması ve hekimler tarafından uygun görülenlerin reçete edilmesinin sağlanması
- Dünyada da yeni olan kombinasyon tedavilerinin göz önüne alınması
 - Evrysdi + Spinraza kombinasyonuna yeni başlayan hastalar oldu.
 - Zolgensma sonrası bir başka tedaviye daha ihtiyaç duyabilen hastalar söz konusu.
 - Scholar Rock şirketinin TOPAZ isimli klinik çalışmasında deneysel olan SRK-015 ilacı, Spinraza tedavisiyle birlikte kullanılıyor.

İlacın Uygulandığı Hastaneler ve Kas Hastalıkları Merkezleri

Son olarak 25 Ağustos 2020 tarihinde Sağlık Bakanlığı Nadir Hastalıklar Dairesi ile yapılan toplantıda derneğimiz tarafından bu konudaki eksiklikler ve taleplerimiz iletilmiştir. Aşağıdaki haritada kırmızı ile gösterilenler uygulama merkezi açılması talep edilen şehirler olup; turuncu ile işaretlenenler çeşitli problemler yaşanan yerler, yeşil ile işaretlenenler ise ek merkezlerin açılmasını talep ettiğimiz şehirlerdir.



Talebimiz:

- Uygulama merkezlerinin sayısının artırılması ve eşitsizliklerin giderilmesi
- Her ilde bir kas hastalıkları mükemmeliyet merkezinin oluşturulması
- Kadro, teçhizat ve diğer imkânlar açısından yeterli hale getirilmesi

PGT, Genetik Tarama ve Yenidoğan Taraması

Yeni SMA hastalarının doğmasının önüne geçmek için bu ikisi önem taşımaktadır.

Evlilik öncesinde yapılan taramanın genişletilerek SMA ve diğer bazı genetik hastalıkların da buna eklenmesi yönünde çalışmalar birkaç senedir gündemdedir.

2018 yılının Aralık ayında Resmî Gazete’de yayınlanarak yürürlüğe giren SUT değişikliği ile kalıtsal hastalıklarda PGT uygulamasının ödenmesi sağlanmıştır. Fakat SMA özelinde bu konuda nasıl bir işleyiş olacağı o günden bu yana netleşmemiştir.

Yenidoğan taramasına SMA hastalığının eklenmesi hastalık belirtileri çıkmadan (pre-septomatik) olarak tedaviye başlanması özellikle 1. tip hastalar için oldukça önemlidir.

Talebimiz:

- Evlilik öncesindeki kalıtsal tarama testlerine SMA'nın da dahil edilmesi
- PGT yönteminin geri ödeme kapsamına alınması
- Yenidoğan taramasına SMA hastalığının eklenmesi ve taramada tespit edilen bebeklerin ivedilikle tedaviye başlaması

Medikal Cihaz ve Malzeme Sorunları

Bilhassa 1. tip SMA hastalarının kullanmak zorunda olduğu pek çok sarf malzemesi SGK tarafından kısmen ödenmektedir; bu da hastaların ailelerine maddi bir külfet yüklemektedir. Bunun dışında 2020 yılı itibariyle bedeli 25bin TL'yi geçen öksürtme cihazının SGK tarafından ödeme kapsamına alınması da diğer bir taleptir. Bütün bu cihaz ve sarf malzemelerinin ödeme tutarlarının arttırılması yönündeki taleplerimizi de ilgililere çeşitli vesilelerle iletmiş bulunuyoruz

Talebimiz:

- Öksürtme cihazının SMA hastaları için ödeme kapsamına alınması
- 1 yıldan uzun süredir güncellenmeyen sarf malzeme fiyatlarının güncellenmesi
- Hastaların ihtiyacı olan tüm medikal cihazların (özellikli tekerlekli sandalye, akülü sandalye, tilt table, ayakta durma sehpası, walker ve diğer yürüteç çeşitleri) ödeme kapsamına alınması

Sosyal Haklar ve Rehabilitasyon Taleplerimiz

- Ağır engelli çocuğu olup çalışamayan annelerin sigorta kapsamına alınması
- Fizyoterapi imkanlarının arttırılması. SMA'nın A grubu hastalıklar kapsamına girmeli.
- Gerekirse fark ücreti ödeyerek evde fizyoterapi imkânı sağlanması.
- Evde bakım ve engelli maaşlarında kriter aranmayacak şekilde bir düzenleme yapılması.

Not: Bazı merkezlerde hastalardan LP işlemi için ücret talep edildiğini, muayene başvuru ve rapor süreçlerinde mesai sonrası fatura kesildiğini, bunların hastaları maddi olarak sıkıntıya soktuğu bilgisini de paylaşmak gereği duyduk.