

16.03.2023 Tarihli SUT	25.03.2023 Tarihli SUT
<b>MADDE 1</b>	
<p><b>4.2.49 – Spinal Musküler Atrofi hastalığında nusinersen sodium kullanım ilkeleri;</b></p> <p><b>4.2.49.A – Spinal Musküler Atrofi Tip-1 (SMA Tip-1) hastalığında;</b></p> <p>(1) SMA Tip-1 tedavisinde kullanılan ilaçlar çocuk nörolojisi uzman hekiminin yer aldığı ilk 4 uygulama için 3 ay süreli sonraki uygulamalar için 4 ay süreli Kurumca belirlenen üçüncü basamak resmi sağlık kurumlarında düzenlenen sağlık kurulu raporuna istinaden <del>“Sağlık Bakanlığı-Türkiye İlaç ve Tıbbi Cihaz Kurumu İlaçların Kişisel Tedavide Kullanılmalarını Değerlendirme Komisyonu” tarafından verilecek “İlaç Kullanım Onayı” ile</del> Kurumca belirlenen üçüncü basamak resmi sağlık kurumlarında çocuk nörolojisi uzman hekimi tarafından her bir uygulama için ayrı ayrı reçete edilir. <del>“İlaç Kullanım Onayı”nın; ilk 4 uygulama için tek seferde ve sonraki her bir uygulama için ise ayrı ayrı verilmesi</del> halinde Kurumca bedeli karşılanır.</p> <p>(2) Nusinersen Sodium <del>etken</del> maddesini içeren ilacın; tescili yapılmış yenidoğan ve çocuk yoğun bakım servisi bulunan, bünyesinde çocuk nörolojisi uzmanının da yer aldığı, beslenme ve diyetetik ile fizik tedavi ve rehabilitasyon hizmetlerinin multidisipliner bir yaklaşımla sunulabileceği Kurumca belirlenen üçüncü basamak resmi sağlık kurumlarında kullanılması halinde Kurumca bedeli karşılanır.</p> <p>(3) Hastalarda aşağıda yer alan kriterlerin tamamının sağlanması halinde Kurumca bedeli karşılanır.</p> <p>a) Genetik (5qSMA; homozigot gen delesyonu veya homozigot gen mutasyonu veya bileşik heterozigot gen mutasyonu olan ve SMN2 kopya sayısının en az 1 olduğunun gösterilmesi kaydıyla) ve klinik olarak SMA Tip-1 tanısı konmuş ve birisi çocuk nörolojisi uzmanı olmak üzere 3 uzman hekimden oluşan <del>konsey kararına istinaden yurt dışı ilaç kullanım başvurusu yapılarak “Sağlık Bakanlığı-Türkiye İlaç ve Tıbbi Cihaz Kurumu İlaçların Kişisel Tedavide Kullanılmalarını Değerlendirme</del></p>	<p><b>4.2.49 – Spinal Musküler Atrofi hastalığında nusinersen sodium kullanım ilkeleri;</b></p> <p><b>4.2.49.A – Spinal Musküler Atrofi Tip-1 (SMA Tip-1) hastalığında;</b></p> <p>(1) SMA Tip-1 tedavisinde kullanılan ilaçlar çocuk nörolojisi uzman hekiminin yer aldığı ilk 4 uygulama için 3 ay süreli, sonraki uygulamalar için 4 ay süreli Kurumca belirlenen üçüncü basamak resmi sağlık kurumlarında düzenlenen sağlık kurulu raporuna istinaden Kurumca belirlenen üçüncü basamak resmi sağlık kurumlarında çocuk nörolojisi uzman hekimi tarafından her bir uygulama için ayrı ayrı reçete edilmesi halinde Kurumca bedeli karşılanır.</p> <p>(2) Nusinersen sodium <del>etken</del> maddesini içeren ilacın; tescili yapılmış yenidoğan ve çocuk yoğun bakım servisi bulunan, bünyesinde çocuk nörolojisi uzmanının da yer aldığı, beslenme ve diyetetik ile fizik tedavi ve rehabilitasyon hizmetlerinin multidisipliner bir yaklaşımla sunulabileceği Kurumca belirlenen üçüncü basamak resmi sağlık kurumlarında kullanılması halinde Kurumca bedeli karşılanır.</p> <p>(3) Hastalarda aşağıda yer alan kriterlerin tamamının sağlanması halinde Kurumca bedeli karşılanır.</p> <p>a) Genetik (5qSMA; homozigot gen delesyonu veya homozigot gen mutasyonu veya bileşik heterozigot gen mutasyonu olan ve SMN2 kopya sayısının en az 1 olduğunun gösterilmesi kaydıyla) ve klinik olarak SMA Tip-1 tanısı konmuş ve <del>en az</del> birisi çocuk nörolojisi uzmanı olmak üzere 3 uzman hekimden oluşan <del>sağlık kurulu raporu bulunmalıdır.</del></p>

~~Komisyonu” tarafından verilecek “İlaç Kullanım Onayı” bulunmalıdır.~~

b) Klinik belirti ve bulgular, SMA Tip-1 ile uyumlu olarak  $\leq 6$  ay (180 gün) iken başlamış olmalıdır.

c) Bu maddenin 3 üncü fıkrasının (a) ve (b) bentlerinde belirtilen kriterlere uyan hastalarda invaziv/non invaziv mekanik solunum desteği ihtiyacı olup olmadığına bakılmaksızın tedaviye başlanır. İlk 4 doz ilaç kullanımı başlangıç tedavisi olarak kabul edilir ve ilk 4 doz ilaç kullanımı sürecinde SMA’dan kaynaklı invaziv mekanik solunum desteği ihtiyacı ve süreleri değerlendirmelerde dikkate alınmaz. 5 inci ve takip eden dozlar idame tedavilerdir.

ç) Lomber ponksiyon prosedürleri, BOS sirkülasyonu veya güvenilirlik değerlendirmelerini engelleyebilecek bir beyin veya spinal kord hastalığı veya öyküsü olmamalıdır.

d) BOS drenajı için implant edilmiş bir şant veya implante edilmiş bir BOS kateteri bulunmaması gerekmektedir.

e) Bakteriyel menenjit veya viral ensefalit hastalığı veya öyküsü olmamalıdır.

f) Hipoksik iskemik ensefalopati tanısı almamış olmalı ve hipoksik doğuma bağlı nörolojik sekelleri bulunmamalıdır.

**4.2.49.B – Spinal Musküler Atrofi Tip-2 (SMA Tip-2) ve Spinal Musküler Atrofi Tip-3 (SMA Tip-3) hastalığında;**

(1) Hastalarda aşağıda yer alan kriterlerin tamamının sağlanması halinde Kurumca bedeli karşılanır.

a) Genetik (5qSMA; homozigot gen delesyonu veya homozigot gen mutasyonu veya bileşik heterozigot gen mutasyonu olan ve SMN2 kopya sayısının en az 2 olduğunun

b) Klinik belirti ve bulgular, SMA Tip-1 ile uyumlu olarak  $\leq 6$  ay (180 gün) iken başlamış olmalıdır.

c) Bu maddenin 3 üncü fıkrasının (a) ve (b) bentlerinde belirtilen kriterlere uyan hastalarda invaziv/non invaziv mekanik solunum desteği ihtiyacı olup olmadığına bakılmaksızın tedaviye başlanır. İlk 4 doz ilaç kullanımı başlangıç tedavisi olarak kabul edilir ve ilk 4 doz ilaç kullanımı sürecinde SMA’dan kaynaklı invaziv mekanik solunum desteği ihtiyacı ve süreleri değerlendirmelerde dikkate alınmaz. 5 inci ve takip eden dozlar idame tedavilerdir.

ç) Lomber ponksiyon prosedürleri, BOS sirkülasyonu veya güvenilirlik değerlendirmelerini engelleyebilecek bir beyin veya spinal kord hastalığı veya öyküsü olmamalıdır.

d) BOS drenajı için implant edilmiş bir şant veya implante edilmiş bir BOS kateteri bulunmaması gerekmektedir.

e) Bakteriyel menenjit veya viral ensefalit hastalığı veya öyküsü olmamalıdır.

f) Hipoksik iskemik ensefalopati tanısı almamış olmalı ve hipoksik doğuma bağlı nörolojik sekelleri bulunmamalıdır.

(4) Yenidoğan SMA taraması kapsamında, tarama sonucu genetik analizi (5qSMA; homozigot gen delesyonu veya homozigot gen mutasyonu veya bileşik heterozigot gen mutasyonu olan ve SMN2 kopya sayısının en az 1 olduğunun gösterilmesi kaydıyla) pozitif olan hastalarda klinik tiplendirmeye bakılmaksızın, raporlama ve reçeteleme koşulları yukarıda belirtildiği şekliyle ilacın bedelleri kurumca karşılanır.

**4.2.49.B – Spinal Musküler Atrofi Tip-2 (SMA Tip-2) ve Spinal Musküler Atrofi Tip-3 (SMA Tip-3) hastalığında;**

(1) Hastalarda aşağıda yer alan kriterlerin tamamının sağlanması halinde Kurumca bedeli karşılanır.

a) Genetik (5qSMA; homozigot gen delesyonu veya homozigot gen mutasyonu veya bileşik heterozigot gen mutasyonu olan

gösterilmesi kaydıyla) ve klinik olarak SMA Tip-2 veya SMA Tip-3 tanısı konmuş ve Kurumca belirlenen üçüncü basamak resmi sağlık kurumlarında en az birisi çocuk nörologisi/nöroloji uzmanı ve ortopedi ve travmatoloji veya beyin ve sinir cerrahisi uzmanı olmak üzere 3 uzman hekimden oluşan sağlık kurulu raporuna istinaden yurt dışı ilaç kullanım başvurusu yapılarak “Sağlık Bakanlığı Türkiye İlaç ve Tıbbi Cihaz Kurumu İlaçların Kişisel Tedavide Kullanılmalarını Değerlendirme Komisyonu” tarafından verilecek “İlaç Kullanım Onayı” bulunmalıdır.

b) Klinik belirti ve bulgular, SMA Tip-2 veya SMA Tip-3 ile uyumlu olarak  $\geq 6$  ay (180 gün) iken başlamış olmalıdır.

c) İnvaziv/non invaziv mekanik solunum desteği ihtiyacı olmayan ve normal yutma refleksine sahip ve oral beslenebilen hastalarda tedaviye başlanır.

ç) Lomber ponksiyon prosedürleri, BOS sirkülasyonu veya güvenlik değerlendirmelerini engelleyebilecek bir beyin veya spinal kord hastalığı veya öyküsü olmamalıdır.

d) BOS drenajı için implante edilmiş bir şant veya implante edilmiş bir BOS kateteri bulunmaması gerekmektedir.

e) Bakteriyel menenjit veya viral ensefalit hastalığı veya öyküsü olmamalıdır.

f) Hipoksik iskemik ensefalopati tanısı almamış olmalı ve hipoksik doğuma bağlı nörolojik sekelleri bulunmamalıdır.

g) Lomber ponksiyon uygulanmasına engel bir durum olmadığının “İlaç Kullanım Onayı”nda belirtilmiş olması gerekmektedir.

(2) “Nusinersen Sodium” pozolojisi SMA Tip-2 veya SMA Tip-3 hastalarında 0, 14, 28 ve 63 üncü günler olmak üzere 4 doz yükleme dozu şeklindedir. İdame dozlar da 4 ayda bir uygulanır. İlk 4 doz için tek sağlık kurulu raporu, idame tedavilerde ise her bir uygulama için ayrı ayrı sağlık kurulu raporuna istinaden “Sağlık Bakanlığı Türkiye İlaç ve Tıbbi Cihaz Kurumu İlaçların Kişisel Tedavide Kullanılmalarını Değerlendirme Komisyonu” tarafından verilecek “İlaç Kullanım Onayı” ile çocuk nörologisi/nöroloji uzman hekim tarafından

ve SMN2 kopya sayısının en az 2 olduğunun gösterilmesi kaydıyla) ve klinik olarak SMA Tip-2 veya SMA Tip-3 tanısı konmuş ve Kurumca belirlenen üçüncü basamak resmi sağlık kurumlarında en az birisi çocuk nörologisi/nöroloji uzmanı ve ortopedi ve travmatoloji veya beyin ve sinir cerrahisi uzmanı olmak üzere 3 uzman hekim tarafından düzenlenen sağlık kurulu raporu bulunmalıdır.

b) Klinik belirti ve bulgular, SMA Tip-2 veya SMA Tip-3 ile uyumlu olarak  $\geq 6$  ay (180 gün) iken başlamış olmalıdır.

c) İnvaziv/non invaziv mekanik solunum desteği ihtiyacı olmayan ve normal yutma refleksine sahip ve oral beslenebilen hastalarda tedaviye başlanır.

ç) Lomber ponksiyon prosedürleri, BOS sirkülasyonu veya güvenlik değerlendirmelerini engelleyebilecek bir beyin veya spinal kord hastalığı veya öyküsü olmamalıdır.

d) BOS drenajı için implante edilmiş bir şant veya implante edilmiş bir BOS kateteri bulunmaması gerekmektedir.

e) Bakteriyel menenjit veya viral ensefalit hastalığı veya öyküsü olmamalıdır.

f) Hipoksik iskemik ensefalopati tanısı almamış olmalı ve hipoksik doğuma bağlı nörolojik sekelleri bulunmamalıdır.

g) Lomber ponksiyon uygulanmasına engel bir durum olmadığının sağlık kurulu raporunda belirtilmiş olması gerekmektedir.

(2) “Nusinersen Sodium” pozolojisi SMA Tip-2 veya SMA Tip-3 hastalarında 0, 14, 28 ve 63 üncü günler olmak üzere 4 doz yükleme dozu şeklindedir. İdame dozlar da 4 ayda bir uygulanır. İlk 4 uygulama için 3 ay süreli, sonraki uygulamalar için ise 4 ay süreli sağlık kurulu raporuna istinaden çocuk nörologisi/nöroloji uzman hekim tarafından her bir uygulama için ayrı ayrı reçete edilmesi halinde bedelleri Kurumca karşılanır.

her bir uygulama için ayrı ayrı reçete edilmesi halinde bedelleri Kurumca karşılanır.	(3) Yenidoğan SMA taraması kapsamında, tarama sonucu genetik analizi (5qSMA; homozigot gen delesyonu veya homozigot gen mutasyonu veya bileşik heterozigot gen mutasyonu olan ve SMN2 kopya sayısının en az 2 olduğunun gösterilmesi kaydıyla) pozitif olan hastalarda klinik tiplendirmeye bakılmaksızın, raporlama ve reçeteleme koşulları yukarıda belirtildiği şekliyle ilacın bedelleri kurumca karşılanır.
<b>MADDE-3</b>	
<b>HASTA KATILIM PAYINDAN MUAF İLAÇLAR LİSTESİ (EK-4/D)</b>	
10.2.3. <b>İnfanfil</b> Spinal Müsküler Atrofi, <b>Tip I (G 12.0)</b>	10.2.3. Spinal müsküler atrofi ve ilgili sendromlar (G 12.0, G12.1, G12.1.2, G12.1.3, G12.1.4, G12.1.5, G12.9)
G 12.0   İnfantil SMA, Tip I	G 12.0   İnfantil Spinal Müsküler Atrofi, Tip I Werdnig-Hoffman
10.2.3.1 Nusinersen	G12.1   Kalıtsal Spinal Müsküler Atrofi, Diğer
	G12.1.2   Spinal Müsküler Atrofi, Yetişkin Formu
	G12.1.3   Spinal Müsküler Atrofi, Çocukluk Formu, Tip Iı
	G12.1.4   Spinal Müsküler Atrofi, Distal
	G12.1.5   Spinal Müsküler Atrofi, Juvenil Form, Tip Iıı (Kugelberg-Welander)
	G12.9   Spinal Müsküler Atrofi, Tanımlanmamış
	10.2.3.1 Nusinersen sodyum
<b>MADDE 4</b>	
<b>SADECE YATARAK TEDAVİLERDE KULLANIMI HALİNDE BEDELLERİ ÖDENECEK İLAÇLAR LİSTESİ (EK-4/G)</b>	
<b>YENİ EKLENDİ.</b>	
	85. Nusinersen sodyum

**MADDE 2-** Aynı tebliğ eki;

- a) “Bedeli ödenecek ilaçlar Listesi (Ek-4/A)” Ek-1’deki şekilde, Değiştirilmiştir.

**MADDE 5-** Bu tebliğin;

- a) 1 inci, 3 üncü ve 4 üncü maddeleri yayımı tarihinden 5 iş günü sonra,  
b) 2 nci maddesinin (a) bendinde düzenlenen ekli listede; listeye giriş tarihi, aktiflenme tarihi veya pasiflenme tarihi bulunan ilaçlar belirtilen tarihlerde, listeye giriş tarihi, aktiflenme tarihi veya pasiflenme tarihi bulunmayan ilaçlar yayımları tarihinde, listeye giriş tarihinde (\*) işareti bulunan ilaçlar yayımı tarihinden 5 iş günü sonra, ilaç isminin yanında (\*\*) işareti bulunan ilaçta yapılan düzenlemeler ise yayımı tarihinden 10 iş günü sonra,  
ç) Diğer hükümleri yayımı tarihinde, yürürlüğe girer.