

Türkiye’de SMA’lı Çocukların Tedavisi ve Yabancı Ülke Örnekleri

Treatment of Children with SMA in Turkey and Examples from Other Countries

Arzu ARSLAN ERTÜRK* 

ÖZ

SMA hastalığı nadir görülen bir gen hastalığıdır. SMA için şu anda uygulanmakta olan bir ilaç tedavisi mevcuttur. Son dönemlerde yapılan bu ilaç tedavisine “Zolgensma” isimli yeni ve pahalı bir ilaç daha eklenmiştir. Söz konusu ilaç 2022 senesinden bu yana pek çok Avrupa Ülkesinde ve Amerikada kabul görmüş ve tedavi kapsamına alınmıştır. Ülkemizde Sosyal Güvenlik Kurumunun SMA hastaları için sağladığı tedavi spinraza tedavisidir. Zolgensmanın tedavi için kullanımı ise Sağlık Bakanlığı tarafından henüz kabul edilmemiştir. Bakanlık SMA Bilim Kurulu bu ilacın tedavi için kullanımına bazı gerekçelerle onay vermemektedir. Bu sebeple Zolgensma tedavisi, SGK tarafından Genel Sağlık Sigortası kapsamından karşılanmamaktadır. Ancak bu ilacın SMA tedavisinde önemli katkılar sağladığına yönelik birçok olumlu örnek mevcuttur. Bu sebeple, Zolgensma tedavisine ulaşabilmek için hasta çocukların aileleri tarafından yapılan yardım kampanyalarına sık sık rastlanmaktadır. Sağlık Bakanlığı, bu ilacın tedavi edici olduğu yönündeki şüpheleri sebebiyle, yardım kampanyalarına destek vermediğini açık bir şekilde ifade etmektedir. Bu çalışmada Sağlık Bakanlığı SMA Bilim Kurulunun SMA tedavisinde zolgensmanın kullanılmasına yönelik olumsuz yaklaşımının gerekçeleri, Bakanlığın bu gerekçelerine rağmen söz konusu ilacın Genel Sağlık Sigortası kapsamında, Anayasal “yaşam hakkı” ve “sağlık hakkı” uyarınca hasta aileleri tarafından talep edilip edilemeyeceği üzerinde durulmaktadır.

Anahtar Kelimeler: SMA, Spinal Müsküler Atrofi, Zolgensma, Risdiplam, SMA Bilim Kurulu, SMA tedavisi, SMA koruyucu tedbirler, Hukuki boyutuyla SMA

* Doç. Dr. Marmara Üniversitesi, Hukuk Fakültesi, İş ve Sosyal Güvenlik Hukuku Anabilim Dalı, ORCID: 0000-0002-7523-3605.

Sorumlu Yazar/Correspondence Author: Arzu ARSLAN ERTÜRK

E-posta/E-mail: aerturk@marmara.edu.tr

Geliş Tarihi/Received: 01.10.2024

Kabul Tarihi/Accepted: 21.11.2024

ABSTRACT

SMA is a rare genetic disease. There is currently a drug treatment for SMA. Recently, a new and expensive drug called ‘Zolgensma’ has been added to this drug treatment. This drug has been accepted and included in the treatment in many European countries and America since 2022. In our country, the treatment provided by the Social Security Institution (SGK) for SMA patients is the Spinraza treatment. The use of Zolgensma for treatment has not yet been accepted by the Ministry of Health. The SMA Scientific Committee of the Ministry does not approve the use of this drug for treatment for several reasons. For this reason, Zolgensma treatment is not covered by the SGK within the framework of the general health insurance. However, there are many positive examples of this drug making a significant contribution to the treatment of SMA. For this reason, fundraising campaigns are often organised by the families of sick children in order to gain access to Zolgensma treatment. The Ministry of Health clearly states that it does not support these fundraising campaigns due to its doubts about the therapeutic efficacy of this drug. This study focuses on the reasons for the Ministry of Health’s SMA Scientific Committee’s negative attitude towards the use of Zolgensma in the treatment of SMA, and whether the drug in question can be requested by the families of patients within the framework of the general health insurance, in accordance with the constitutional ‘right to life’ and ‘right to health’, despite the Ministry’s justifications.

Keywords: SMA, Spinal muskuler atrophy, Zolgensma, Risdiplam, SMA Scientific Committee, SMA treatment, SMA preventive precautions, Legal aspects of SMA

GİRİŞ

Açık adı “*spinal müsküler atrofi*” olan SMA hastalığı bireyin merkezi sinir sistemini, periferik sinir sistemini ve iskelet kas sisteminin kontrollü kas hareketlerini etkileyen, nadir görülen genetik bir hastalıktır. Bu hastalıkta, motor nöronu olarak bilinen ve istemli kas hareketlerini kontrol eden sinir hücreleri etkilemekte, kaslar giderek zayıflamaktadır. Kasların omurilikte bulunan sinir hücrelerinden gelen sinyalleri yanıtlayamaması, onların körelmesine ve buna bağlı olarak kasların küçülmesine ve zamanla yok olmasına (atrofi) neden olmaktadır¹.

SMA hastalığının; Tip 1 (şiddetli) SMA, Tip 2 (orta seviye) SMA, Tip 3 (hafif) SMA, Tip 4 (yetişkin) olarak 4 tipi görülmektedir. Tip 1 SMA hastalığına sahip olan bebekler ortalama olarak iki yaşına kadar hayatta kalabilmektedir. Tip 2 SMA hastaları ise yetişkinliğe kadar yaşayabilmektedir. Tip 3 ve tip 4 SMA hastaları normal bir yaşam süresi görmek mümkündür². Ancak Tip 1 ve Tip 2 bu hastalığının en yaygın şekilde görülen türleridir.

- 1 Acıbadem Web ve Yayın Kurulu, ‘SMA Hastalığı Nedir? SMA Belirtileri, Nedenleri, Tedavisi (26 Ağustos 2020) < [Erişim Tarihi 5 Temmuz 2024.](https://www.acıbadem.com.tr/ilgi-alani/sma-hastaligi/#:~:text=Spinal%20m%C3%BCsk%C3%BCler%20atrofi%2C%20yani%20k%C4%B1saca,kal%C4%B1tsal%20bir%20motor%20n%C3%B6ron%20hastal%C4%B1%C4%9F%C4%B1d%C4%B1r.> Erişim Tarihi 5 Temmuz 2024; Memorial Tıbbi Yayın Kurulu, ‘SMA Hastalığı Nedir? SMA Belirtileri, Nedenleri ve Tedavisi (21 Eylül 2023) <<a href=)
- 2 Ankara Genetik Tanı Dr. Cell ‘SMA Hastalığı Nasıl Anlaşılır?’ (24 Mart 2023) <[https://www.ankaragenetik.com/tr/blog/sma-hastaligi-nasil-anlasilir#:~:text=Son%20Y%C4%B1llarda%20OSMA%20Hastal%C4%B1%C4%9F%C4%B1%20Neden,ile%20g%C3%Bcndeme%20gelmesine%20neden%20olmaktad%C4%B1r.%20\(eri%C5%9Fim%20](https://www.ankaragenetik.com/tr/blog/sma-hastaligi-nasil-anlasilir#:~:text=Son%20Y%C4%B1llarda%20OSMA%20Hastal%C4%B1%C4%9F%C4%B1%20Neden,ile%20g%C3%Bcndeme%20gelmesine%20neden%20olmaktad%C4%B1r.%20(eri%C5%9Fim%20)

Tip 1 SMA, SMA'nın en şiddetli ve en yaygın şekilde görülen türü olup hızlı ilerleyen bir türdür. Genellikle doğumdan hemen sonra, 0-6 ay bebeklerde görülmektedir. İlk semptomları, bacaklarda gevşeklik ve zayıf gövde hareketidir. Tip 1 SMA'nın görüldüğü kişiler çoğunlukla çok sınırlı hareket kabiliyetine sahiptir. Tip 1 SMA hastası olan bebekler oturamazlar, beslenmekte ve yutmakta, başlarını dik tutmakta ve nefes almakta zorlanırlar³.

Tip 2 SMA, Tip 1'e göre daha hafif seyretmekte olup belirtileri çoğunlukla 7 ila 18 ay arasındaki bebeklerde görülmektedir. Tip 2 SMA, ayakta duramayan, yürüyemeyen ancak emekleyebilen çocuklarda ortaya çıkar, hastalığın ilerleme hızı da değişkendir. Tip 2 SMA hastalığı hasta çocuğun kollarından çok bacaklarını etkilemektedir. Ayrıca bu tür hastaların ellerinde titreme, skolyoz, güçsüzlük hali, kilo alamama da görülebilir. Tip 2 SMA'da yaşam beklentisi, hastanın durumunun şiddetine bağlı olarak erken çocukluktan yetişkinliğe kadar değişmektedir⁴.

Tip 3 SMA, hafif SMA olarak da adlandırılmakta olup bu tipte hastalığın semptomları 18. aydan sonra başlamaktadır. Bu döneme kadar gelişimleri normal olan bebeklerin, SMA belirtilerinin fark edilmesi ergenlik dönemini de bulabilmektedir. Tip 3 SMA hastaları ayakta durabilmekte ve yürüyebilmektedir. Ancak bu hastalar oturma pozisyonundan kalkmakta güçlük çekebilmektedir. Bu tipten etkilenen hastalar hareket etmek için tekerlekli sandalye kullanma ihtiyacı duyabilmektedirler⁵.

Tip 4 SMA, yetişkin SMA'sı olarak bilinmekte olup nadir görülmektedir. Bu SMA türünün semptomları yetişkin çağında ortaya çıkmaktadır. Tip 4 SMA hastalığının ilerlemesi yavaştır. Her türlü hareket gelişimi aşamasına ulaşabilen, çoğunlukla yaşam boyu hareket yetilerini koruyabilen Tip 4 SMA hastalarında hastalığın yol açtığı diğer komplikasyonlar nadir görülmektedir⁶.

tarihi:2005.07.2024);%20https://www.memorial.com.tr/hastaliklar/sma-hastaligi-nedir-belirti-ve-tedavi-yontemleri-nelerdir#:~:text=ise%20tamamen%20normaldir.-,SMA%20Hastal%C4%B1%20C4%209F%C4%B1%20Belirtileri%20Nelerdir%3Fay%20aras%C4%B1ndak i%20%C3%A7ocuklar%C4%B1%20etiklemeye%20ba%C5%9Flar>Erişim Tarihi 5 Temmuz 2024; Memorial Tıbbi Yayın Kurulu, 'SMA Hastalığı Nedir? SMA Belirtileri, Nedenleri ve Tedavisi (21 Eylül 2023)<https://www.memorial.com.tr/hastaliklar/sma-hastaligi-nedir-belirti-ve-tedavi-yontemleri-nelerdir#:~:text=ise%20tamamen%20normaldir.-,SMA%20Hastal%C4%B1%20C4%209F%C4%B1%20Belirtileri%20Nelerdir%3Fay%20aras%C4%B1ndaki%20%C3%A7ocuklar%C4%B1%20etiklemeye%20ba%C5%9Flar.> Erişim Tarihi 5 Temmuz 2024 ;T.C. Sağlık Bakanlığı Sağlık Hizmetleri Genel Müdürlüğü, 'Spinal Musküler Atrofi (SMA) Klinik Protokolü, Araştırma, Geliştirme ve Sağlık Teknolojisi Değerlendirme Dairesi Başkanlığı(Ankara 2022)1, 2; <https://dosyamerkez.saglik.gov.tr/Eklenti/43881/0/smakp190822.pdf.pdf> Erişim Tarihi 5 Temmuz 2024.

3 'SMA Klinik Protokolü' 5-6, <https://dosyamerkez.saglik.gov.tr/Eklenti/43881/0/ smakp190822pdf.pdf> Erişim Tarihi 5 Temmuz 2024.

4 'SMA Klinik Protokolü' 6, <https://dosyamerkez.saglik.gov.tr/Eklenti/43881/0/ smakp190822pdf.pdf> Erişim Tarihi 5 Temmuz 2024.

5 'SMA Klinik Protokolü' 6, < https://dosyamerkez.saglik.gov.tr/Eklenti/43881/0/ smakp190822pdf.pdf Erişim Tarihi 5 Temmuz 2024.

6 Acıbadem Web ve Yayın Kurulu, 'SMA Hastalığı Nedir? SMA Belirtileri, Nedenleri, Tedavisi (26 Ağustos 2020)<https://www.acibadem.com.tr/ilgi-alani/sma-hastaligi/#:~:text=Spinal%20m%C3%BCsk%C3%BCler%20atrofi%2C%20yani%20k%C4%B1saca,kal%C4%B1tsal%20bir%20motor%20n%C3%B6ron%20hastal%C4%B1%20C4%209F%C4%B1d%C4%B1r.> Erişim Tarihi 5 Temmuz 2024; Memorial Tıbbi Yayın Kurulu, 'SMA Hastalığı Nedir? SMA Belirtileri, Nedenleri ve Tedavisi (21 Eylül 2023) <https://www.memorial.com.tr/hastaliklar/sma-hastaligi-nedir-belirti-ve-tedavi-yontemleri-nelerdir#:~:text=ise%20tamamen%20normaldir.-,SMA%20Hastal%C4%B1%20C4%209F%C4%B1%20Belirtileri%20Nelerdir%3Fay%20aras%C4%B1ndaki%20%C3%A7ocuklar%C4%B1%20etiklemeye%20ba%C5%9Flar.> Erişim Tarihi 5 Temmuz 2024.

SMA hastalığı nadir görülen bir hastalık olmakla birlikte, Türkiye’de şu an SMA’dan etkilenen yaklaşık 3 bin kişi bulunmaktadır. Ülkemizde yılda ortalama 1 milyon 200 bin doğum gerçekleştiği dikkate alındığında SMA ile dünyaya gelen bebek sayısının 130-180 (ortalama 150) arasında olduğu tahmin edilmektedir⁷. Bu hastalığın dünyada görülme sıklığı 10 binde bir iken Türkiye’de görülme sıklığı 6 binde birdir⁸. SMA’nın avrupa ülkelerine göre Türkiye’de daha fazla görülmesinin temel sebebi ise Türkiye’de akraba evliliklerinin fazla yapılmasıdır⁹. SMA kalıtsal (genetik) bir hastalık olup akraba evlilikleri bu hastalık açısından ciddi risk yaratmaktadır. Zira, anne ve babanın her ikisinin de taşıyıcı olması durumunda yenidoğan bebek %25 ihtimalle SMA hastası olarak doğmaktadır. Ebeveynlerden sadece birinin taşıyıcı olması durumunda ise doğacak bebek %50 ihtimalle SMA hastalığını taşıyıcı olarak dünyaya gelmektedir. Bu sebeple, yeni evlenecek çiftlerde ve yenidoğan bebeklerde yapılacak SMA taramaları, taşıyıcılığın saptanması, bu durumdaki ebeveyn adaylarına uygun tedavi seçeneklerinin sunulması, bebeklerde ise erken dönemde tedaviye başlanabilmesi açısından son derece önemlidir¹⁰.

SMA tedavisinde önemli olan ilk husus, hastalığın olabildiğince erken teşhis edilmesidir. Özellikle yeni doğanlarda erken teşhis, hastalığın semptomlarının ortaya çıkmadan müdahale edilmesini ya da yaratacağı hasarın en aza indirgenmesini sağlayacaktır. Bu sayede hastalığın semptomları yönetilebilecek, komplikasyonları azaltılacak ve hastanın yaşam kalitesi sağlanabilecektir¹¹. SMA için şu anda uygulanmakta olan bir dizi ilaç tedavisi mevcuttur. Son dönemlerde yapılan bu ilaç tedavisine “Zolgensma” isimli yeni ve pahalı bir ilaç daha eklenmiştir. Söz konusu ilaç 2022 senesinden bu yana pek çok Avrupa ülkesinde ve ABD’de kabul görmüş olup tedavi listesine alınmıştır. Gerek ABD’deki gerekse Avrupa ülkelerindeki sağlık sigorta şirketleri bu ilacı, hastanın durumu için öngörülen bir takım tıbbi şartların uygun olması halinde ödeme kapsamına almış olup karşılamaktadır. Ancak Almanya’nın Kuzey Ren-Vestfalya (Nordrhein-Westfalen) eyaletinde ilacın SMA tedavisinde kullanımına daha temkinli yaklaşılmakta olup, hasta yakınları tarafından Zolgensma tedavisinin karşılanması istemiyle sağlık sigortası şirketlerine eyalet mahkemelerinde açılan bazı davalar, birtakım gerekçelerle reddedilmiştir. SMA hastalığının tedavisi için öngörülen Zolgensma isimli bu

- 7 ‘SMA Klinik Protokolü’, Önsöz, ii ve iii, <https://dosyamerkez.saglik.gov.tr/Eklenti/43881/0/smakp_190822pdf.pdf> Erişim Tarihi 5 Temmuz 2024; Ayrıca bkz Burcu Çalık Göçümlü, ‘Türkiye’de yılda ortalama 150 bebek SMA ile dünyaya geliyor’ *Anadolu Ajansı* (İstanbul 11 Haziran 2022) <https://www.aa.com.tr/tr/saglik/turkiyede-yilda-ortalama-150-bebek-sma-ile-dunyaya-geliyor/2611094>> Erişim Tarihi 5 Temmuz 2024.
- 8 Memorial Tıbbi Yayın Kurulu, ‘SMA Hastalığı Nedir? SMA Belirtileri, Nedenleri ve Tedavisi (21 Eylül 2023) <
- 10 Burcu Çalık Göçümlü, ‘Türkiye’de yılda ortalama 150 bebek SMA ile dünyaya geliyor’ *Anadolu Ajansı* (İstanbul 11 Haziran 2022) <https://www.aa.com.tr/tr/saglik/turkiyede-yilda-ortalama-150-bebek-sma-ile-dunyaya-geliyor/2611094>> Erişim Tarihi 5 Temmuz 2024.
- 11 Memorial Tıbbi Yayın Kurulu, ‘SMA Hastalığı Nedir? SMA Belirtileri, Nedenleri ve Tedavisi (21 Eylül 2023) <[816](https://www.memorial.com.tr/hastaliklar/sma-hastaligi-nedir-belirti-ve-tedavi-yontemleri-nelerdir#:~:text=ise%20tamamen%20normaldir,-SMA%20Hastal%C4%B1%C4%9F%C4%B1%20Belirtileri%20Nelerdir%3F,ay%20aras%C4%B1daki%20%C3%A7ocuklar%C4%B1%20etiklemeye%20ba%C5%9Flar.> Erişim Tarihi 5 Temmuz 2024.

</div>
<div data-bbox=)

ilaç ülkemizde Sağlık Bakanlığı tarafından kabul görmemiş olup, Bakanlık SMA Bilim Kurulu da bu ilacın tedavi için kullanımına bazı gerekçelerle onay vermemektedir. Bu sebeple Zolgensma tedavisi, SGK tarafından Genel Sağlık Sigortası kapsamında karşılanmamaktadır. Ancak yıllar içinde, bu ilacın SMA tedavisinde önemli katkılar sağladığına yönelik pek çok olumlu örnek de mevcuttur. Durum böyle olunca, çok pahalı da olsa Zolgensma tedavisine şahsi çabalarıyla ulaşabilmek adına, hasta çocukların aileleri tarafından açılmış olan yardım kampanyaları sık sık karşımıza çıkmaktadır¹². Sağlık Bakanlığı, bu ilacın tedavi edici olduğu yönündeki şüpheleri sebebiyle, söz konusu yardım kampanyalarına da destek vermediğini açık bir şekilde beyan etmektedir.

Bu çalışmamızda SMA tedavisi için Amerika'da ve Avrupa ülkelerinde hali hazırda uygulanan yöntemler ile ülkemizde genel sağlık sigortası kapsamında uygulanan tedavi yöntemlerine, Sağlık Bakanlığı SMA Bilim Kurulunun bu tedavide Zolgensma'nın kullanılmasına yönelik olumsuz yaklaşımının gerekçelerine, Bakanlığın bu gerekçelerine rağmen söz konusu ilacın genel sağlık sigortası kapsamında Anayasal “yaşam hakkı” ve “sağlık hakkı” uyarınca hasta aileleri tarafından talep edilebilirliğine ve konuya ilişkin görüşlerimize yer verilecektir.

I. GENEL SAĞLIK SİGORTASININ KİŞİLER AÇISINDAN KAPSAMI VE SMA HASTALARININ DURUMU

Tedaviye ve ilaca ulaşım hakkı açısından SMA'lı hastaların durumu diğer sigortalılardan farklı değildir. SMA hastalarının Sosyal Sigortalar ve Genel Sağlık Sigortası Kanununda (SSGSSK)¹³ mevcut tedavi ve sağlık yardımlarından yararlanabilmesi için bu Kanun kapsamında “genel sağlık sigortalısı” olmaları gerekmektedir. Zira genel sağlık sigortalısı sayılmayanlar, Sosyal Sigortalar ve Genel Sağlık Sigortası Kanunu (SSGSSK) kapsamında “sigortalı” sıfatına sahip olmadıklarından, bu Kanun uyarınca SGK'nın sağladığı herhangi bir tedaviden ve ilaçtan yararlanmaları mümkün değildir. Bu kişiler ancak ücretini kendileri karşılanmak kaydıyla gerek devlet hastaneleri gerekse özel sektör hastaneleri tarafından sunulan sağlık hizmetlerinden yararlanabilecek ve ilaçlarını temin edebileceklerdir.

5510 Sayılı Sosyal Sigortalar ve Genel Sağlık Sigortası Kanunu'nun “Genel sağlık sigortalısı sayılanlar” başlıklı m. 60 hükmü, ikametgahı Türkiye'de olup Genel Sağlık Sigortası kapsamında sigortalı olanları sayarak belirlemektedir¹⁴. Sosyal Sigortalar ve Genel Sağlık Sigortası Kanunu'nun m.60/1, c hükmüne göre, “gelir tespiti yapılmaksızın genel sağlık sigortalılığı ya da bakmakla yükümlü olduğu kişi bulunmayan Türk vatandaşlarından 18 yaşını doldurmamış çocuklar” Genel Sağlık Sigortası kapsamındadır. SMA hastalarının çoğunlukla bebekler ve çocuklar olduğu dikkate alındığında, bunların birçoğu “bakılmakla yükümlü olunan kişi” sıfatıyla, anne veya babalarından dolayı genel sağlık sigortalısı olup SSGSK kapsamında sigortalı sayılmaktadırlar. Ancak böyle olmasa dahi,

12 Ankara Genetik Tanı Dr. Cell ‘SMA Hastalığı Nasıl Anlaşılır?’ (24 Mart 2023) < [13 Kanun Numarası: 5510, Kabul Tarihi: 31.05.2006, RG 16.06.2006/26200.](https://www.ankaragenetik.com/tr/blog/sma-hastaligi-nasil-anlasilir#:~:text=Son%20Y%C4%B1llarda%20SMA%20Hastal%C4%B1%C4%9F%C4%B1%20Neden,ile%20g%C3%BCndeme%20gelmesine%20neden%20olmaktad%C4%B1r.> Erişim Tarihi 5 Temmuz 2024.</p>
</div>
<div data-bbox=)

14 Ali Güzel, Ali Rıza Okur ve Nurşen Canıklıoğlu, *Sosyal Güvenlik Hukuku* (19. Basi, Beta 2021) 802.

kanunkoyucu 18 yaşını doldurmamış olan tüm gençleri ve çocukları, genel sağlık sigortalısı olarak kabul etmektedir. Böylece bakılmakla yükümlü olan sıfatı taşımayan çocuk ve gençler de 18 yaşını doldurana kadar genel sağlık sigortası sayılmaktadır. Bu nedenle SMA hastası tüm bebeklerin ve çocukların Genel Sağlık Sigortası kapsamında SGK’nın sağladığı tüm tedavi ve yardımlardan yararlanacağını söylemek yanlış olmayacaktır¹⁵.

II. TÜRKİYE’DE SMA HASTALIĞINA UYGULANAN KORUYUCU VE TEDAVİ EDİCİ SAĞLIK HİZMETLERİ

A. GENEL OLARAK

Belirtmek gerekir ki SMA hastası çocukların ülkemiz sınırları içerisinde faydalanabilecekleri sağlık yardımları ve temin edebilecekleri ilaçlar ancak Sağlık Bakanlığı tarafından onaylanmış tedavi ve ilaçlardır. Zira Sağlık Bakanlığının onaylamadığı bir tedaviye ya da kullanım onayı vermediği bir ilaca kişilerin kendi olanakları ile dahi, ülke sınırları içerisinde ulaşması ya da böyle bir ilaç ile tedavi uygulanması mümkün değildir¹⁶.

Sosyal Sigortalar Kurumu, Genel Sağlık Sigortası kapsamında öncelikle, SMA hastalığının ve hasta çocuk sayısının artışı önlemeye yönelik birtakım koruyucu sağlık hizmetleri sunmaktadır. Ayrıca hastalığın görüldüğü çocukların iyileştirilmesine yönelik olarak da birtakım tedavi edici sağlık hizmetleri sunmaktadır.

B. SMA HASTALIĞINA İLİŞKİN KORUYUCU SAĞLIK HİZMETLERİ

Genel Sağlık Sigortasının temel amacı, hastalıklara engel olacak koruyucu sağlık hizmetlerinin sunulması ve bunların yaygınlaştırılmasıdır. Zira asıl olan kişilerin hastalanmamasıdır. Bu sebeple, hastalanmaya engel olacak tüm sağlık hizmetleri koruyucu sağlık hizmetlerinin kapsamındadır. Aslında koruyucu sağlık hizmetleri, Genel Sağlık Sigortası kapsamındaki hizmetlerin en önemlisi ve en ekonomik olanıdır¹⁷. Koruyucu sağlık hizmetleri, Sosyal Sigortalar ve Genel Sağlık Sigortası Kanunu m.63/f 1, a hükmünde “*kişilerin hastalanmalarına bakılmaksızın, kişiye yönelik koruyucu sağlık hizmetleri ile insan sağlığına zararlı madde bağımlılığını önlemeye yönelik hizmetler*” olarak tanımlanmaktadır. Madde hükmünde kanunkoyucu, bu tür sağlık hizmetlerinin kapsamını belirlemesi için SGK’ya takdir yetkisi tanımayı amaçlamış bu sebeple de oldukça geniş bir tanıma yer vermiştir¹⁸.

15 Arzu Arslan Ertürk, ‘Sosyal Güvenlik Hukuku Boyutuyla Sigortalının Tedavi ve İlaça Ulaşması İle SMA’lı Çocukların Durumu’ (15-16 Haziran 2023) İstanbul Barosu Sağlık Hukuku Merkezi SMA Çalıştay Raporu (İstanbul Barosu Yayınları 2024) 68. Metin için bkz <<https://www.istanbulbarosu.org.tr/files/docs/SMA-CALISTAYI-RAPORU-062023.pdf>>Erişim Tarihi 5 Temmuz 2024.

16 Arslan Ertürk (n 15) 68.

17 T.C. Çalışma ve Sosyal Güvenlik Bakanlığı, ‘Türkiye’de Yeni Bir Sosyal Güvenlik Sistemine Doğru’(Ankara 2006) 23; Güzel, Okur ve Caniklioğlu (n 14) 825.

18 Güzel, Okur ve Caniklioğlu (n 14) 825.

SMA hastalığı için de çocukların hasta doğmasını önlemek ve hasta doğmuş olan çocukların hastalıklarının erken dönemde teşhis etmek amacıyla alınmış birtakım önlemlerden bahsetmek mümkündür:

Sağlık Bakanlığı Sağlık Hizmetleri Genel Müdürlüğü, Araştırma, Geliştirme ve Sağlık Teknolojisi Değerlendirme Dairesi Başkanlığı tarafından Haziran 2022 yılında Spinal Musküler Atrofi (SMA) Klinik Protokolü¹⁹ yayınlanmıştır. Bu protokolda belirtildiği üzere, çiftlere uygulanacak olan tarama programları ile SMA taşıyıcısı olan çiftlerin tespit edilmesi, taşıyıcı olduğu tespit edilen çiftlerin bilinçlendirilerek hasta çocuk sahibi olmalarının engellenmesi hedeflenmektedir. Ayrıca protokolda, hastalığa ilişkin tarama süreçlerine ve hangi aşamaların takip edileceğine ilişkin bilgilere de yer verilmektedir. Buna göre, çiftlere yönelik taramalarda tek ebeveynde taşıyıcılığın saptanması halinde diğer eşe de test yapılmaktadır²⁰. Bu kapsamda, Aralık 2022'den itibaren mevzuat gereğince çiftlere, evlilik öncesinde SMA testi yapılması zorunluluğu getirilmiştir. Çiftlerin testi yaptırmaması durumunda nikah kısılanması mümkün değildir. Söz konusu test, Aile Sağlığı Merkezlerinde ve hastanelerde alınan kan örneğinin incelenmesi suretiyle yapılmaktadır. SMA taşıyıcısı olduğu tespit edilen ebeveyn adaylarına ise uygun tedavi seçenekleri sunulmaktadır. Her ikisinin de SMA taşıyıcısı olduğu tespit edilen çiftlere, tüp bebek (invitro fertilizasyon) yöntemi ile çocuk sahibi olması önerilmekte ve bu tedavinin giderleri, SGK aracılığı ile devlet tarafından karşılanmaktadır²¹.

Yine yenidoğan bebeklerde topuk kanı taramaları yapılarak bebeğin SMA hastası olup olmadığına bakılmaktadır. Bu şekilde SMA hastası olduğu tespit edilen bebeklerin tedaviye erken dönemde başlanması, böylece hastalığın etkilerinin hiç ortaya çıkmaması veya oluşturabileceği hasarın en aza indirilmesi mümkün olmaktadır. Ayrıca yenidoğan taramasında tanı almış bebeklerin ebeveynleri, daha önce değerlendirilmedikleri takdirde taşıyıcılık açısından tekrar değerlendirilmektedir²². SMA protokolüne göre yenidoğan taramasıyla, hasta çocukların hemen tanı alarak takip ve tedavi açısından hızla aksiyon alınması amaçlanmaktadır. Bu şekilde hastalığa hızlı müdahale edilmesi, olası motor nöron harabiyetini en aza indirecektir²³.

19 T.C. Sağlık Bakanlığı Sağlık Hizmetleri Genel Müdürlüğü, 'Spinal Musküler Atrofi (SMA) Klinik Protokolü', Araştırma, Geliştirme ve Sağlık Teknolojisi Değerlendirme Dairesi Başkanlığı (Ankara 2022)1, 85 vd; <<https://dosyamerkez.saglik.gov.tr/Eklenti/43881/0/smakp190822.pdf.pdf>> Erişim Tarihi 5 Temmuz 2024.

20 İbid 85vd; Burcu Çalık Göçümlü, 'Türkiye'de yılda ortalama 150 bebek SMA ile dünyaya geliyor' *Anadolu Ajansı* (İstanbul 11 Haziran 2022) <https://www.aa.com.tr/tr/saglik/turkiyede-yilda-ortalama-150-bebek-sma-ile-dunyaya-geliyor/2611094>> Erişim Tarihi 5 Temmuz 2024.

21 Burcu Çalık Göçümlü, 'Türkiye'de yılda ortalama 150 bebek SMA ile dünyaya geliyor' *Anadolu Ajansı* (İstanbul 11 Haziran 2022) <https://www.aa.com.tr/tr/saglik/turkiyede-yilda-ortalama-150-bebek-sma-ile-dunyaya-geliyor/2611094>> Erişim Tarihi 5 Temmuz 2024.

22 Burcu Çalık Göçümlü, 'Türkiye'de yılda ortalama 150 bebek SMA ile dünyaya geliyor' *Anadolu Ajansı* (İstanbul 11 Haziran 2022) <https://www.aa.com.tr/tr/saglik/turkiyede-yilda-ortalama-150-bebek-sma-ile-dunyaya-geliyor/2611094>> Erişim Tarihi 5 Temmuz 2024.

23 T.C. Sağlık Bakanlığı Sağlık Hizmetleri Genel Müdürlüğü, 'Spinal Musküler Atrofi (SMA) Klinik Protokolü', Araştırma, Geliştirme ve Sağlık Teknolojisi Değerlendirme Dairesi Başkanlığı (Ankara 2022)1, 85 vd; <<https://dosyamerkez.saglik.gov.tr/Eklenti/43881/0/smakp190822.pdf.pdf>> Erişim Tarihi 5 Temmuz 2024.

C. SMA HASTALIĞINA İLİŞKİN TEDAVİ EDİCİ SAĞLIK HİZMETLERİ

1. Genel Olarak

Günümüzde SMA hastalığı için birbirinden farklı etken maddeli üç değişik ilaç tedavisi kullanılmaktadır. Bunlardan ilki, “Nursinersen Sodyum” etken maddeli “Spinraza” isimli ilaç ile uygulanan tedavidir. İkincisi ise, “Risdiplam” etken maddeli “Evrysdi” isimli ilaç ile uygulanan tedavidir. SMA tedavisinde kullanılan üçüncü ilaç ise bir gen tedavisi olan “Zolgensma” tedavisidir. Türkiye’de Sağlık Bakanlığı, sadece Spinraza ilacı ile uygulanan tedaviyi kabul etmiş olup söz konusu tedaviyi Genel Sağlık Sigortası kapsamında SGK karşılamaktadır. Diğer iki ilaca ise Sağlık Bakanlığı tarafından henüz onay verilmemiş olup bu ilaçlar SGK tarafından tedavi sürecine dahil edilmemiştir.

Sosyal Güvenlik Kurumu tarafından SMA’lı çocuklara uygulanacak olan Spinraza tedavisi ve bu tedavinin kapsamına ilişkin düzenlemeler *Sosyal Güvenlik Kurumu Sağlık Uygulama Tebliği*’nde (SUT) mevcuttur. Tebliğde yer alan düzenlemeler sadece nursinersen etken maddeli ilacın kullanıldığı tedavinin ilkelerini kapsamakta olup risdiplam etken maddeli Evrysdi ile Zolgensam ilaçları Sağlık Bakanlığı tarafından henüz ruhsatlandırılmamış olduğundan bu ilaçlarla yapılan tedaviler ülkemizde uygulanmamaktadır. Bunun doğal bir sonucu olarak da SUT’da henüz bu iki ilaca ilişkin tedavi ilkeleri yer almamaktadır.

2. Nursinersen Sodyum Etken Maddeli Spinraza İsimli İlaç Tedavisi

Spinraza, 23 Aralık 2016 tarihinde Amerikan Gıda ve İlaç Dairesi (FDA) tarafından onaylanarak dünyada SMA hastalığının tedavisi için piyasaya sürülen ilk ilaçtır. Bu ilaç hastaya omurilik sıvısına enjekte edilmek suretiyle (intratekal yoldan) verilmektedir. Sağlık Bakanlığı tarafından onaylanmış ruhsatlı bir ilaç olan Spinraza ülkemizdeki bütün yaş ve tipteki SMA hastaları için uygulanan bir ilaç olup Sosyal Güvenlik Kurumu’nun ödemesi kapsamındadır. Sigortalı SMA hastaları herhangi bir ödeme yapmaksızın bu tedaviden yararlanabilmektedir²⁴.

Sosyal Güvenlik Kurumu tarafından SMA’lı çocuklara uygulanacak tedavi ve bu tedavinin kapsamına ilişkin düzenlemeler Sosyal Güvenlik Kurumu Sağlık Uygulama Tebliğinde (SUT) mevcuttur. Tebliğ 4.2.49 no’lu bölümünde Nursinersen etken maddeli ilacın kullanımına ilişkin ilkelere yer verilmiştir. Söz konusu düzenlemeler 03.07.2017 tarihli ve 30115 sayılı resmi gazetede yayınlanmak suretiyle yürürlüğe girmiş olup 06.07.2023, tarihinde değişikliğe uğramıştır²⁵.

SUT’da mevcut düzenleme uyarınca, bu tebliğde yer verilen farklı kriterlere uygun SMA tip 1 ile tip 2 ve tip 3 hastaları için SGK Spinraza’nın bedelini karşılamaktadır. Spinraza SMA Tip 1 hastaları için 2017 yılında, SMA tip 2 ve 3 hastaları için ise 2019 yılında SGK’nın ödeme kapsamına alınmıştır. Yine tebliğde SMA tip 4’e yer verilmemiş olup buna ilişkin uygulanacak tedavi kriterleri de mevcut değildir.

24 Emre Aytakin, ‘Türkiye’de SMA tedavisine devlet desteği gelişmiş ülkelerle aynı standartlarda uygulanıyor’ *Anadolu Ajansı* (İstanbul 12 Ocak 2021) <<https://www.aa.com.tr/tr/saglik/turkiyede-sma-tedavisine-devlet-destegi-gelismis-ulkelerle-ayni-standartlarda-uygulaniyor/2106855>> Erişim Tarihi 20 Ağustos 2024; Arslan Ertürk (n 15) 68.

25 Arslan Ertürk, (n 15) 69 vd; Sosyal Güvenlik Kurumu Sağlık Uygulama Tebliği, RG 25.06.2023/32232.

a. SMA Tip 1 Hastaları İçin Uygulanan Spinraza Tedavisi

Tebliğinin 4.2.49.A bendinde SMA Tip 1 hastaları için spinraza ilaç tedavisine ilişkin genel esaslara yer verilmiştir. Buna göre; Tedavide kullanılacak ilaçlara ilişkin olarak, ilk 4 uygulama için 3 ay süreli, sonraki uygulamalar için 4 ay süreli olarak, SGK tarafından belirlenen üçüncü basamak resmi sağlık kurumlarında düzenlenen sağlık kurulu raporuna ihtiyaç duyulmaktadır. Çocuk nörolojisi uzman hekimi ilacı her bir uygulama için ayrı ayrı reçete etmektedir. Söz konusu sağlık raporu, SGK tarafından belirlenen üçüncü basamak resmi sağlık kurumlarında düzenlenmektedir (SUT 4.2.49.A/1). SGK ancak bu şekilde ilaç bedelini karşılamaktadır.

SUT, ilacın hastaya hangi tür sağlık kurumları tarafından uygulanabileceğine ilişkin bir düzenlemeye de yer vermektedir. Buna göre ilaç hastaya, bünyesinde yeni doğan ve çocuk yoğun bakım servisinin, çocuk nörolojisi uzmanının bulunduğu, beslenme ve diyetetik ile fizik tedavisi ve rehabilitasyon hizmetlerinin multidisipliner bir yaklaşım ile bir arada sunulabileceği 3. basamak resmi sağlık kurumları tarafından uygulanacaktır. Söz konusu 3. basamak sağlık resmi kurumu SGK tarafından belirlenecektir (SUT 4.2.49.A/2)

Tebliğ yer alan 4.2.49.A/3 hükmünde ise Spinraza ilaç bedelinin SGK tarafından karşılanması için hastada bulunması gereken kriterlerden de bahsedilmektedir. Buna göre öncelikle;

- hastaya klinik olarak SMA Tip-1 tanısı konulmalı ve bu duruma ilişkin olarak içlerinde en az bir çocuk nörolojisi uzmanının da bulunduğu 3 uzman hekimden oluşan sağlık kurulu tarafından bir sağlık kurulu raporu düzenlenmiş olmalıdır.
- SMA Tip-1 ile uyumlu klinik belirti ve bulguların hasta 6 aylık(180 günlük) iken veya daha küçük iken ortaya çıkmış olması gerekmektedir.
- Uygun tedavi hastanın solunun desteğine ihtiyacı olup olmadığına bakılmaksızın başlatılacaktır. İlk dört doz ilaç kullanımı başlangıç tedavisi olarak kabul edilmektedir. Beşinci ve takip eden dozlar ise idame tedavisi olarak uygulanacaktır.
- Yine tedaviye başlamak için hastada herhangi bir travmaya bağlı olarak omurilik zedelenmesinin (spinal kord yaralanması) ya da beyin hastalığının bulunmuyor olması gerekmektedir.
- Hastanın beyin omurilik sıvısını (BOS) dışarıya boşaltarak kafa basıncını kontrol etmek için uygulanmış bir BOS kateteri bulunmamalıdır.
- Hasta bu tedavi öncesinde bakteriyel menenjit veya beyin iltihabı (viralensefalit hastalığı) geçirmemiş olmalıdır.
- Yine hastanın, beynin yeterince oksijen alamamasından kaynaklanan bir beyin hasarı yaşamamış olması (Hipoksik iskemik ensefalopati) ve hipoksik doğuma bağlı nörolojik doku bozukluklarının (nörolojik sekellerin) yaşanmaması gerekmektedir.

Ayrıca yenidoğan SMA taraması kapsamında hastalığı taşıdığı tespit edilen bebeklerde ise herhangi bir klinik araştırmaya gerek duyulmaksızın, raporlama ve reçeteleme koşullarını sağlayan hastaya yapılacak tedavi ve ilaç bedelleri SGK tarafından karşılanacaktır (4.2.49.A/4).

b. SMA Tip 2 ve Tip 3 Hastaları İçin Uygulanan Spinraza Tedavisi

Sosyal Güvenlik Kurumu Sağlık Uygulama Tebliği'nin 4.2.49.B bendinde SMA Tip-2 ve Tip-3 hastaları için spinraza ilaç tedavisine ilişkin genel esaslara yer verilmektedir. Buna göre, SUT'un 4.2.49.B bendinde yer verilen kriterlerin tamamını sağlayan Tip-2 ve Tip-3 hastaları için Sosyal Güvenlik Kurumu gerekli tedavi ve ilaç bedellerini sağlamaktadır. Tebliğde yer alan kriterlere göre;

- Hastanın SMA Tip-2 veya Tip-3 hastası olduğuna ilişkin olarak, en az biri çocuk beyin nörolojisi uzmanı, ortopedi, travmatoloji veya beyin ve sinir cerrahisi uzmanı olmak olmak şartıyla 3 uzman hekimden oluşan sağlık kurulu tarafından bir sağlık kurulu raporu düzenlenmiş olmalıdır
- hastalığa ilişkin klinin bulguların, hastada 6 aydan (180 günden) önce ortaya çıkmış olması,
- hastanın mekanik solunum desteğine ihtiyacı olmaması, normal yutma refleksine sahip olması ve ağız yoluyla (oral) beslenebilen bir hasta olması,
- hastada herhangi bir travmaya bağlı olarak omurilik zedelenmesinin (spinal kord yaralanması) ya da beyin hastalığının bulunmuyor olması,
- hastada beyin omurilik sıvısını (BOS) dışarıya boşaltarak kafa basıncını kontrol etmek için uygulanmış bir BOS kateteri bulunmaması,
- hastanın bu tedavi öncesinde bakteriyel menenjit veya beyin iltihabı (viralensefalit hastalığı) geçirmemiş olması,
- hastanın beyinin yeterince oksijen alamamasından kaynaklanan bir beyin hasarı (Hipoksik iskemik ensefalopati) ve hipoksik doğuma bağlı nörolojik doku bozuklukları (nörolojik sekellerin) yaşamamış olması,
- Hastanın lomber ponksiyon (özel bir iğneyle bel bölgesindeki omurların arasından subaraknoid boşluğa girilip beyin omurilik sıvısı alma) işlemine engel bir durumunun bulunmadığının sağlık kurulu raporunda belirtilmiş olması gerekmektedir.

SMA Tip-2 ve Tip-3 Hastalarına Spinraza tedavisi 0, 14, 28 ve 63 üncü günler olmak üzere 4 doz şeklinde uygulanmaktadır. 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 nörolojisi/nöroloji uzman hekimi tarafından herbir uygulamanın ayrı ayrı reçete edilmesi halinde bedelleri SG Kurumu tarafından karşılanmaktadır. Ayrıca yenidoğan SMA taraması kapsamında hastalığı taşıdığı tespit edilen bebeklerde ise herhangi bir klinik araştırmaya gerek duyulmaksızın, raporlama ve reçeteleme

koşullarını sağlayan hastaya yapılacak tedavi ve ilaç bedelleri SGK tarafından karşılanmaktadır (4.2.49.B/3).

III. SOSYAL GÜVENLİK KURUMUNUN HENÜZ SMA TEDAVİSİ KAPSAMINA ALMADIĞI İLAÇ TEDAVİLERİ

A. RISDIPLAM (EVRYSDI) TEDAVİSİ

SMA tedavisinde kullanılan diğer ilaç ise “Risdiplam” etken maddeli “Evrydsi” isimli ilaçtır. Bu ilaç, 08.08.2020 tarihinde Amerikan Gıda ve İlaç Dairesi (FDA) tarafından onay alarak 2 aydan büyük ve her tip SMA hastası için ABD’de kullanılmaya başlamıştır. Bu ilaç 30 Mart 2022 tarihinde de Avrupa Birliği bünyesindeki Avrupa İlaç Kurumu (EMA) tarafından 2 aydan büyük ve her tip SMA hastası için kullanılmak üzere onaylanmıştır. İlaç solüsyon şeklinde olup hastaya ağız yolu ile (oral yolla) verilmektedir. Özellikle Spinraza tedavisi uygulanmasına elverişli olmayan hastalar için risdiplam bir alternatif tedavi niteliği taşımaktadır²⁶.

İlacın denemeleri, geniş bir hasta grubu üzerinde yürütülmüş olup hala daha da devam etmektedir. Söz konusu ilaç, Tip 1 için 2 ila 6 ay arasındaki bebeklerde, Tip 2 ve Tip 3 için 2 ila 60 yaş arasındaki hastalarda uygulandığı gibi, anne karnında teşhisi konmuş SMA hastalarına da uygulanmıştır. Risdiplam tedavisinin, Tip 1 SMA hastalarındaki denemeleri oldukça başarılı sonuçlar vermiştir. Tip 2 ve Tip 3 SMA hastalarında yapılan denemelerde de hastaların motor puanlarında ciddi ilerlemeler görülmüştür. İlaçla sağlanan iyileşmenin görülmesi için ise ilacın sadece sinir sitemine değil tüm dokulara ulaşması gerekmektedir. Hastalar üzerinde yapılan denemelerde hem omurilik sıvısında hem de çevre dokularında SMN protein artışı gözlenmiştir²⁷.

Risdiplam henüz Sağlık Bakanlığı tarafından ruhsatlandırılmamış olup ülkemizde uygulanmamaktadır. Sağlık Bakanlığı, ruhsatlandırma sürecinin devam etmekte olduğunu hatta sona gelindiğini, önümüzdeki günlerde özellikle Spinraza tedavisinin uygulanmasında güçlük yaşayan hastaların kullanımına sunulacağını Ocak 2023 tarihinde ifade etmişse de²⁸ konuya ilişkin olarak bugüne kadar herhangi bir gelişme yaşanmamıştır. Diğer yandan, risdiplam etken maddesinin Türkiye İlaç ve Tıbbi Cihaz Kurumunun (TİTCK) “yurt dışı ilaç listesine” eklendiği ifade edilmektedir. Yurt dışı menşeli

26 SMA Benimle Yürü Derneği, ‘Evrydsi (Risdiplam) (2024) <<https://smabenimleyuru.org.tr/arastirmalar-ve-tedavi-risdiplam/>> Erişim Tarihi 20 Ağustos 2024 ; Emre Aytakin, ‘Türkiye’de SMA tedavisine devlet desteği gelişmiş ülkelerle aynı standartlarda uygulanıyor’ *Anadolu Ajansı* (İstanbul 12 Ocak 2021) <<https://www.aa.com.tr/tr/saglik/turkiyede-sma-tedavisine-devlet-destegi-gelisim-ulkelerle-ayni-standartlarda-uygulaniyor/2106855>> Erişim Tarihi 20 Ağustos 2024.

27 SMA Benimle Yürü Derneği, ‘Evrydsi (Risdiplam) (2024) <<https://smabenimleyuru.org.tr/arastirmalar-ve-ted-avi-risdiplam/>> Erişim Tarihi 20 Ağustos 2024.

28 Türkiye Cumhuriyeti Sağlık Bakanlığı ‘SMA Bilim Kurulu Fahrettin Koca Başkanlığında Toplandı’ (Ocak 2023) <<https://www.saglik.gov.tr/TR,94648/sma-bilim-kurulu-bakan-fahrettin-koca-baskanliginda-toplandi.html>> Erişim Tarihi 20 Ağustos 2024; Arslan Ertürk (n 15) 68 ve 69.

herhangi bir ilacın ruhsat veya geri ödeme süreçlerinin başlamasından önce etken maddelerinin bu listeye eklenmesi gerekmekte olup ilacın ancak TİTCK onayıyla ithal edilebileceği belirtilmektedir²⁹.

B. ZOLGENSMA TEDAVİSİ

1. Genel Olarak

SMA tedavisinde kullanılan bir diğer ilaç “Zolgensma” dır. Bu ilaca ilişkin denemeler bütün dünyada çok uzun zaman önce sonuçlanmış ve ilaç gerek Avrupa İlaç Ajansı (EMA) tarafından gerekse Amerika FDA Kurumu tarafından onaylanmıştır³⁰. Tarihte üretilmiş en pahalı ilaç olarak bilinen Zolgensma’nın fiyatı 2 ila 3 milyon dolar arasındadır. Bu ilaç ile SMN1 geninin çalışan bir versiyonuyla değiştirilmesi hedeflenmektedir. İlaç, eksik ya da kusurlu olan SMN1 genini içermekte olup bu gen, zararsız bir virüse yüklenmektedir. Bu virüs, vücutta genin yerine geçerek motor sinir hücrelerinin merkezine gitmektedir. Böylece sağlığına kavuşan motor sinir hücreleri, eksik olan ve kasların çalışması için mühim olan SMN proteinini üretmeye başlamaktadır³¹. Zolgensma, ABD’de 2 yaşından küçük çocuklarda, Avrupada ise 21 kilodan hafif çocuklarda kullanılmakta olup damar içi enjeksiyon yoluyla tek seferde uygulanan bir ilaçtır³².

Dünyadaki örneklerine rağmen zolgensma tedavisi Sağlık Bakanlığımız tarafından henüz ruhsatlandırılmamış olup ilacın iyileştirici etkisi konusunda ciddi şüphelerin olduğu ifade edilmektedir. Bu sebeple ülkemizde zolgensma tedavisi uygulanmamaktadır. Ancak dünyadaki gelişmelere paralel olarak, SMA hastası bebeklerin aileleri Zolgensma tedavisinin Türkiye’de uygulanmasını istemektedir³³. Her ne kadar Türkiye’de uygulanan tedaviyle hastalığın ilerleyişi yavaşlasa da, Sağlık Bakanlığı tarafından kabul edilmemiş olan bu ilaçla çocuklarını yurtdışından tedavi ettirmek isteyen pek çok aile girişimde bulunmaktadır. Ancak zolgensmanın çok pahalı olması sebebiyle, ilaca ulaşabilmek için hasta çocuğu olan aileler tarafından gerek sosyal medyada, gerekse sahada aktif para toplama kampanyaları yürütülmektedir. Söz konusu kampanyalar ancak Valiliklerden alınan izin ile başlatılıp sürdürülebilmektedir. Kampanyası biten bebekler yurt dışına tedaviye giderken, kampanya

29 Bkz Emre Aytakin, ‘Türkiye’de SMA tedavisine devlet desteği gelişmiş ülkelerle aynı standartlarda uygulanıyor’ *Anadolu Ajansı* (İstanbul 12 Ocak 2021) <<https://www.aa.com.tr/tr/saglik/turkiyede-sma-tedavisine-devlet-destegi-gelismis-ulkelerle-ayni-standartlarda-uygulaniyor/2106855>> Erişim Tarihi 20 Ağustos 2024.

30 Söz konusu ilaç, Mayıs 2019’da Amerika FDA Kurumu tarafından, Mayıs 2020’de ise gerek Avrupa İlaç Ajansı (EMA) tarafından onaylanmıştır. Bkz Emre Aytakin, ‘Türkiye’de SMA tedavisine devlet desteği gelişmiş ülkelerle aynı standartlarda uygulanıyor’ *Anadolu Ajansı* (İstanbul 12 Ocak 2021) <<https://www.aa.com.tr/tr/saglik/turkiyede-sma-tedavisine-devlet-destegi-gelismis-ulkelerle-ayni-standartlarda-uygulaniyor/2106855>> Erişim Tarihi 20 Ağustos 2024; Arslan Ertürk (n 15) 69.

31 Bkz Fergus Walsh, ‘SMA tedavisi: İngiltere dünyanın en pahalı ilacı Zolgensma’yı kullanmaya başladı’ *BBC News Türkçe* (1 Haziran 2021) <<https://www.bbc.com/turkce/haberler-dunya-57317131>> Erişim Tarihi 20 Temmuz 2024.

32 Rabia Çetin, ‘SMA nedir, tedavisi neden bu kadar pahalı, Türkiye’deki tartışmalar neler?’ *Euro News* (18.01.2023) <https://tr.euronews.com/saglik/2023/01/08/sma-nedir-tedavisi-neden-bu-kadar-pahali-turkiyedeki-tartismalar-neler> Erişim Tarihi 20 Temmuz 2024.

33 İbid

sırasında hayatını kaybeden bebeklerin hesabında toplanan para ise valilik izniyle başka bir bebeğin kampanyasına aktarılmaktadır³⁴.

2. Sağlık Bakanlığı'nın Zolgensma'yı Tedavi Kapsamına Almamasının Gerekçeleri

Sağlık Bakanlığı SMA Bilim Kurulu tarafından zolgensmanın onaylanmamasının ve SGK'nın bu ilacı tedavi kapsamına almamasının temelinde, ilacın ve dolayısıyla bu tedavinin çok pahalı olmasından kaynaklanan ekonomik sebeplerin yattığı ileri sürülmüştür. Ancak Sağlık Bakanlığı, SMA konusunda kesinlikle bir ödeme sorunu olmadığından bahisle bu iddiayı tamamen reddetmektedir. Bakanlık, halihazırda mevcut binden fazla SMA hastasının etkinliği ispat edilmiş olan spinraza ile tedavi edildiğini ve bu tedaviye ilişkin tüm masrafların Genel Sağlık Sigortası kapsamında devlet tarafından karşılandığını belirtmektedir. Bakanlık, devletin, ülkemizde toplam 250 hastası bulunan başka bir nadir hastalığın tedavisinde kullanılan iki enzim türü için yıllık 120 milyon euro harcadığını ve bu tedavinin SGK kapsamında yapıldığını, söz konusu harcamanın SMA hastaları için yapılacak olan 60 milyon euroluk harcamanın iki katına denk geldiğini ifade etmekte, tedavinin pahalı olmasının sebep olmadığına işaret etmektedir³⁵.

Sağlık Bakanlığının, önceleri zolgensma tedavisinin onaylanmamasına gösterdiği ana sebep, bu ilaç ile uygulanan tedavinin bilimsel olarak işe yaradığını gösteren somut bir verinin bulunmamış olması idi: Bakanlık öncelikle zolgensma tedavisinin etkinliğinin fakültelerde ve sahada özellikle hastaları tedavi eden öğretim üyelerinden ve bilim insanlarından oluşan SMA bilim kurulu tarafından değerlendirildiğini, ilacın kullanılmasına Sağlık Bakanlığının değil SMA Bilim Kurulunun karar vereceğini, ancak Bilim Kurulunun tedavinin etkinliği ile ilgili yeterli kanıt olmadığı gerekçesiyle şimdilik uygulamaya alınmasının bir gereklilik olmadığını belirtmekteydi. Buna ek olarak, zolgensmayı üreten şirketin de zaten belirtisi olmayan hastalara bu tedavilerin uygulanmasını önermediğini ifade etmekte idi³⁶.

Yine 11.12.2020 tarihinde SGK konuya ilişkin bir basın açıklamasında bulunmuştur. Söz konusu açıklamada; Türkiye Cumhuriyetinin, vatandaşların %99'unu kapsama alan Genel Sağlık Sigortası ile kaliteli sağlık hizmetlerini erişilebilir kıldığını, tüm dünyada SMA hastalığının tedavisinde yaygın olarak kullanılan ilacın, Sağlık Bakanlığı'nın yurt dışından getirilebilecek ilaçlar listesinde yer aldığını belirtmiştir. Kurumun burada bahsettiği ilaç spinrazadır. Kurum, spinrazanın yurt dışından özel izinle getirilerek, aracısız ve ücretsiz olarak hastalarımıza ulaştırıldığını, ilaçların yanı sıra bu kapsamdaki her türlü tetkik ve tedaviye erişimin de ücretsiz olarak sağlandığını belirtmekte, ayrıca

34 Rabia Çetin, 'SMA nedir, tedavisi neden bu kadar pahalı, Türkiye'deki tartışmalar neler?' *Euro News* (18.01.2023) <https://tr.euronews.com/saglik/2023/01/08/sma-nedir-tedavisi-neden-bu-kadar-pahali-turkiyedeki-tartismalar-neler> Erişim Tarihi 20 Temmuz 2024.

35 İbid.

36 Öykü Hüma Keskin, 'SMA hastalarında gen tedavisinin işe yaradığını gösteren kanıt olmadığı iddiası *Teyit* (5 Ocak 2021)<<https://teyit.org/analiz/sma-hastalarinda-gen-tedavisinin-ise-yaradigini-gosteren-kanit-olmadigi-iddiasi>> Erişim Tarihi 20 Temmuz 2024.

tüm hastalıklar için yeni çıkan ilaç, tetkik ve tedavi yöntemlerinin etkinliğinin ve yerindeliliğinin, ilgili komisyonlarca takip edilip gözlemlenmeye devam edileceğini ifade etmektedir³⁷.

Konuya ilişkin olarak yapılan son açıklama da bu ilacın SMA Bilim Kurulu tarafından henüz kabule değer görülmediği yolundadır. Bu ilaçla ilgili bilimsel verilerin ve hastalar üzerindeki uygulamaların değerlendirilmesinin ardından, ilacın uygulanması konusunda ciddi çekinceler olduğu ifade edilmektedir. ABD'de zolgensmanın ruhsatlandırılmasına esas deneylerin sonuçlarında tutarsızlıklar görülerek bu verilerin yer aldığı bilimsel yayının çok prestijli bir bilimsel dergiden kaldırılmak zorunda kalındığı, bu ilaçla yapılan tedavinin semptomlu hastalara fayda göstermediği, zolgensma tedavisi alan ancak yarar görmeyince tekrar nursinersen tedavisine devam etmek için Bakanlığa başvuru yapılan çok sayıda ailenin bulunduğu, ayrıca yakın zamanda, Avrupa İlaç Ajansı'nın Zolgensma tedavisinde ortaya çıkan yan etkiler nedeniyle 12 aydan büyük çocuklara tedavi için kısıtlama getirdiğini, son 5 ay içerisinde zolgensmanın 0-6 hafta yenidoğan taramasından gelen semptomu olmayan SMA Tip-1 bebekler üzerinde diğer ilaçlara benzer etkinliği olduğunu gösteren yayınlanan çalışmalar bulunduğu belirtilmektedir³⁸.

Bakanlık, bu tabloya rağmen hastalara ek bir fayda sağlayabileceği ihtimalini göz ardı etmemek için görüşmelerde bulunulduğunu, bilimsel kanıtlar temin edilerek Bilim Kuruluna yeniden sunulduğunu ifade etmiştir. Bilim Kurulunca yapılan değerlendirmede ise zolgensma tedavisinin, diğer tedavilere üstünlüğünü gösteren karşılaştırmalı bir bilimsel çalışmanın halen bulunmadığını, yeni bir inceleme yapılması için ilgili firmadan gerçek yaşam verileri talep edilerek yeni bir değerlendirme yapılmasının uygun olacağına karar verildiğini ve SMA Bilim Kurulunun en kısa sürede bu değerlendirmeyi de yapacağını belirtmiştir³⁹.

Ayrıca Bakanlık, ülkede doğan her SMA'lı bebeğin etkinliği bilinen tedaviyi aldığını, yapılan SMA yardım kampanyalarının hiçbirine Sağlık Bakanlığının onay vermediğini, ailelerin umutlarının ticari amaçlara alet edilmesine, çocukların ise denek olarak kullanılmasına izin verilmeyeceğini beyan etmektedir⁴⁰.

3. Bazı Avrupa Ülkelerinde Zolgensma Tedavi Uygulaması

a. Birleşik Krallık

Birleşik Krallıkta, SMA tedavisi için nursinersen (Spinraza) ve risdiplam (Evrysdi) ile birlikte Zolgensma tedavisi de uygulanmaktadır. Her üç tedavi de Ulusal Sağlık Hizmetleri (NHS) tarafından karşılanmaktadır. Ancak hangi tedavinin uygulanacağına hasta karar verememektedir. Uzman

37 Sosyal Güvenlik Kurumu 'Basın Açıklaması' (31 Ocak 2022) <<https://www.sgk.gov.tr/Duyuru/Detay/SMA-Hastaligi-Hakinda-Basin-Aciklama-miz-2022-10-31-10-21-54>> Erişim Tarihi 20 Ağustos 2024.

38 Türkiye Cumhuriyeti Sağlık Bakanlığı 'SMA Bilim Kurulu Fahrettin Koca Başkanlığında Toplandı' (Ocak 2023) <<https://www.saglik.gov.tr/TR,94648/sma-bilim-kurulu-bakan-fahrettin-koca-baskanliginda-toplandi.htm>> Erişim Tarihi 20 Ağustos 2024; Arslan Ertürk, (n 15) 69.

39 İbid

40 Türkiye Cumhuriyeti Sağlık Bakanlığı 'SMA Bilim Kurulu Fahrettin Koca Başkanlığında Toplandı' (Ocak 2023) <<https://www.saglik.gov.tr/TR,94648/sma-bilim-kurulu-bakan-fahrettin-koca-baskanliginda-toplandi.htm>> Erişim Tarihi 20 Ağustos 2024.

doktorlar tarafından yapılan muayene sonucunda çocuğun yaşına ve semptomlarına en uygun tedavi uygulanmaktadır⁴¹.

Zolgensma tedavisi Mart 2021 tarihinden beri İngiltere, Galler ve Kuzey İrlanda'da, hem semptomik hem de semptom öncesi SMA tedavilerinde NHS tarafından karşılanmaktadır⁴². Yine aynı tarihte İskoçya İlaç Konsorsiyumu tarafından NHS İskoçya kapsamında bu ilacın SMA Tip 1 hastaları için kısıtlı olarak kullanımı kabul edilmiştir⁴³.

İngiltere'de Ulusal Sağlık ve Bakım Hizmetleri Kurumunun (NICE) Temmuz 2021 tarihinde yayınladığı rehber göre; günde 16 saatten fazla mekanik solunuma ihtiyaç duymayan SMA Tip1 hastası 0 ila 6 ay arası bebeklere ve SMN2 geni kopyası 4'ten az olan, henüz hastalık belirtisi göstermemiş bebekler ile tedavi sonucunda en az %70 oranında bağımsız olarak oturabilme şansı vereceği düşünülen 6 ila 12 ay arası bebeklere Ulusal Multidisipliner Kurulun (NMDT)⁴⁴ da önerisi ile Zolgensma tedavisi uygulanabilecektir⁴⁵. Zolgensma tedavisi, 9 Ocak 2023 ile 28 Mart 2023 tarihleri arasında, önemli karaciğer problemleri yarattığı endişesi ile 12 aydan büyük ve 13,5 kilogramın daha ağır çocuklar için durdurulmuştur⁴⁶. Ancak bir hastanın yaşı veya kilosu ile yaşanan karaciğer hasarı arasındaki ilişkiyi belirlemek için yeterli kanıt bulunamamıştır. Zira karaciğer hasarının sebebi pek çok ilacın yan etkisi olarak karşımıza çıkabilmektedir. Konuya ilişkin vakıalar incelendiğinde, bunun hastanın kilosu veya yaşıyla ilişkili olmayan, kendine özgü, ilaca bağlı karaciğer hasarından kaynaklanmış olabileceği sonucuna varılmıştır⁴⁷. Bunun üzerine bu grup için de zolgensma tedavisinin devamı kararı alınmıştır.

41 National Health Service(NHS) 'Spinal muscular atrophy (SMA)' (23 August 2024) <[https://www.nhs.uk/conditions/spinal-muscular-atrophy-sma/#:~:text=The%20main%20treatment%20for%20SMA,riski%20\(E%20vrysi\)>](https://www.nhs.uk/conditions/spinal-muscular-atrophy-sma/#:~:text=The%20main%20treatment%20for%20SMA,riski%20(E%20vrysi)>) accessed 10 September 2024.

42 Spinal Muscular Dystrophy UK 'Zolgensma' (2023) <<https://www.musculardystrophyuk.org/get-involved/campaign/current-campaigns/access-to-treatments/zolgensma/#:~:text=It%20is%20available%20in%20England,pre%20symptomatic%20SMA%20in%20babies.>> accessed 10 September 2024.

43 NHS İskoçya'ya ilişkin kısıtlı kullanım kararı için bkz Health Improvement Scotland 'Onasemnogene abeparovvec (Zolgensma)' *Schottis Medicines Consortium* (8 March 2021) <<https://scottishmedicines.org.uk/medicines-advice/onasemnogene-abeparovvec-zolgensma-full-smc2311/>> accessed 10 September 2024.

44 National Multidisciplinary Team (NMDT) Ulusal Multidisipliner Kurul, Zolgensma tedavi programının işleyişi ve sunumu ile ilgili olarak ortak ve adil ulusal kararlar alan bir kuruldur. Bu kurul, infüzyon merkezlerinden gelen danışman, fizyoterapist, uzman eczacı, SMA uzmanı ve uzman nöromasküler danışmanından oluşmaktadır. Başlangıçta yeni ulusal program için çalışmış olan bu kurul haftada bir toplanarak, kendilerine yönlendirilen çocukları ele alarak incelemektedirler. Bkz Spinal Muscular Dystrophy UK 'Who May Access Zolgensma Treatment?' (29 March 2023) <<https://smauk.org.uk/treatments-research/zolgensma/england-access-zolgensma/england-access-zolgensma-treatment/>> accessed 10 September 2024.

45 ibid

46 Spinal Muscular Dystrophy UK 'Who May Access Zolgensma Treatment?' (29 March 2023) <<https://smauk.org.uk/treatments-research/zolgensma/england-access-zolgensma/england-access-zolgensma-treatment/>> accessed 10 September 2024.

47 Spinal Muscular Dystrophy 'Why the Pause was Lifted' (29 March 2023) <<https://smauk.org.uk/treatments-research/zolgensma/england-access-zolgensma/england-access-zolgensma-treatment/why-the-pause-was-lifted/>> accessed 10 September 2024.

b. İrlanda

İrlanda'da Zolgensma gen tedavisi, Kasım 2021'de Sağlık Hizmetleri Kurumu (HSE)⁴⁸ tarafından geri ödeme kapsamına alınmıştır. Bebeğe bu tedavinin uygulanabilmesi için; bebeğin SMA Tip 1 hastası olduğunun tespit edilmesi, Hastanın 2 yaşın altında ve vücut ağırlığının da 13,5 kilogramın altında olması gerekmektedir. Yine hastanın SMN1 genin 3 veya daha az kopyasını taşıyor olması gerekmektedir⁴⁹.

c. İtalya

İtalya'da 9 Mart 2021 tarihinden itibaren 13,5 kilogramın altındaki SMA Tip1 hastası tüm çocuklar için zolgensma gen tedavisi Ulusal Sağlık Hizmetleri (NHS) tarafından karşılanmaktadır⁵⁰. Ayrıca ilaç şirketi ile yapılan anlaşma sayesinde hastalardan etkin ve güvenli bir şekilde veri toplamak amacıyla, 16,5 kilogram ile 21 kilogram arasındaki klinik denemelerde, çocuklara bu ilaç ücretsiz sağlanmaktadır⁵¹.

d. İsviçre

İsviçre'de SMA tedavisinde Zolgensma 28.06.2021 tarihinde onaylanmış olup⁵² Bu ilaç İsviçre'de de sağlık sigortası kapsamında karşılanan en pahalı ilaçtır. Bu tedavi ancak 2 yaşın altında çocuklar için sağlık sigortası tarafından karşılanmaktadır. Tedavi görebilecek 2 yaşından küçük bu çocukların ya SMA Tip 1 hastası olduğunun klinik olarak tespit edilmesi ya da hastanın SMN2 geninin 3 veya daha az kopyasını taşıyor olması gerekmektedir⁵³.

e. Almanya

Almanya'da zolgensma gen tedavisi 01.07.2021 tarihinden bu yana uygulanmaktadır⁵⁴. Bu ilaç Almanya'da SMA TİP 1 hastalarına ve SMN2 geni 3 kopyaya kadar olan bebekler için yaş ve kilo

48 The Health Service Executive

49 Michael Barry, 'Medicines Management Programme' *Health Service Executive* (19 November 2023) 4, <<https://www.hse.ie/eng/about/who/cspd/medicines-management/managed-access-protocols/onasemnogene-abeparvec-zolgensma/managed-access-protocol-onasemnogene-abeparvec-zolgensma.pdf>> accessed 10 September 2024.

50 Italian Medicines Agency 'AIFA approves reimbursement of Zolgensma, gene therapy for children with SMA1' (10 March 2021) <<https://www.aifa.gov.it/en/web/guest/-/aifa-approva-rimborsabilita-zolgensma-terapia-genica-per-i-bambini-con-sma1>> accessed 10 September 2024.

51 International Medical University 'Zolgensma, the most expensive drug in the world for the SMA is now refundable' *Unicamillus* (Rome 2023) <<https://www.unicamillus.org/zolgensma-the-most-expensive-drug-in-the-world-for-the-sma-is-now-refundable/>> accessed 10 September 2024.

52 SMA Schweiz, 'Onasemnogene abeparvovec-xio' (Schweiz 2023) <<https://www.sma-schweiz.ch/zolgensma-onasemnogene-abeparvovec>> accessed 10 September 2024.

53 Michael Barry, 'Medicines Management Programme' *Health Service Executive* (19 November 2023) 4, <<https://www.hse.ie/eng/about/who/cspd/medicines-management/managed-access-protocols/onasemnogene-abeparvec-zolgensma/managed-access-protocol-onasemnogene-abeparvec-zolgensma.pdf>> Erişim Tarihi 10 September 2024); SMA Schweiz 'Zolgensma-Zulassung in der Schweiz' (30 June 2021) <<https://www.sma-schweiz.ch/hot-topics/zolgensma-zulassung-in-der-schweiz>> accessed 10 September 2024.

54 Gemeinsamer Bundesausschuss 'Anwendungsbegleitende Datenerhebung bei Onasemnogen-Abeparvovec (Zolgensma)' (1 January 2022) <[https://www.g-ba.de/studien/abd/zolgensma/#:~:text=Zolgensma%C2%AE%20kann%20in%20Deutschland,Muskelatrophie%20\(SMA\)%20eingesetzt%20werden](https://www.g-ba.de/studien/abd/zolgensma/#:~:text=Zolgensma%C2%AE%20kann%20in%20Deutschland,Muskelatrophie%20(SMA)%20eingesetzt%20werden)> accessed 10 September 2024.

sınırlaması olmaksızın onaylanmıştır. Alman sağlık sistemi zolgensma tedavisinin masraflarını karşılamaktadır. Ancak bunun için tedavi tıbbi olarak gerekli olmalı, söz konusu tedavi doktor tarafından öneriliyor ve planlanıyor olmalıdır. Tedavi eden hekim tarafından, zolgensmanın SMA'lı hasta için gerekli olduğuna ilişkin veriler belgelendirildiği takdirde tedavinin masrafları sağlık sigortası tarafından karşılanmaktadır. Ancak burada hastanın Alman Sağlık Sigortasının kapsamına giren bir hasta olması da gerekmektedir. Kural olarak, hastanın Almanya'da çalışıyor olması ve sosyal sigorta primlerinin ödeniyor olması ya da Almanya'da düzenli bir şekilde ikamet ediyor olması, onun sağlık sigortasından faydalanması için bir ön koşuldur⁵⁵.

Almanya'da özellikle Kuzey Ren-Vestfalya eyaletinde açılan zolgensma tedavi ücretinin sağlık sigortası tarafından karşılanması talepli davalarda Eyalet Mahkemesinin birbirinden farklı gerekçelerle, sağlık sigortasının zolgensma tedavisini karşılama yükümlülüğü olmadığına ilişkin kararları mevcuttur.

Eyalet Mahkemesinin 27.02.2020 tarihli bir kararına konu olayda⁵⁶ aile, sağlık sigortası kapsamında spinraza ile tedavi edilen SMA Tip 1 hastası 7 aylık bebeklerinin tedavisinin, sağlık sigortası ile karşılanmak suretiyle zolgensma ile devam etmesini talep etmiştir. Aile gerekçe olarak hasta bebeğin bu tedavi ile yaşamının ilk iki yılında solunum yetmezliği sebebiyle ölebileceğini, ayrıca zolgensma tedavisinin tek defada uygulanan bir tedavi olduğunu ileri sürmüştür. Eyalet Mahkemesi, davacının ciddi ve yaşamı tehdit eden bir hastalıktan muzdarip olduğunu kabul etmekle beraber, hastaya uygulanan spinraza tedavisinin doz yükseltme aşaması henüz tamamlanmadığından ve başarı ancak tedavinin başlamasından altı ila on iki ay sonra değerlendirilebildiğinden, tedavi sürecinin devam etmesi gerektiğini, ayrıca doktorların zolgensma tedavisini henüz gerekli görmediğini, bu durumda sağlık sigortasının zolgensmayı ödeme yükümlülüğü altında olmadığını ifade etmek suretiyle davacının talebini reddetmiştir.

Kuzey Ren-Vestfalya Eyalet Mahkemesi, 10.11.2020 tarihli kararına⁵⁷ konu olan bir başka olayda ise, Esnaf Sağlık sigortalısı olan davacı ailenin 13 aylık bebekleri SMA hastası olup bir süredir spinraza tedavisi görmektedir. Aile tıbbi açıdan daha iyi olduğu gerekçesi ile çocuğu için zolgensma tedavisi talep etmiş ancak sağlık sigortası zolgensma tedavisine onay vermeyerek ödemeyi reddemiş. Bunun üzerine aile; hastalığın seyrinin kötüye gitmekte olduğu, hastanın bu tedavi ile yaşamının ilk iki yılında solunum yetmezliği sebebiyle ölebileceği ya da hastanın tedavisinin yıllık yaklaşık 285 bin avroluk bir maliyetle ömür boyu sürebileceği gerekçeleri ile sigorta şirketine dava açmış, masraflarının sigorta şirketi tarafından karşılanması suretiyle çocuklarına Zolgensma tedavisinin uygulanmasını talep etmiştir. Alt Mahkeme, zolgensma tedavisinin tek defada uygulandığı ancak bu uygulamanın maliyetinin 2 bin avro olduğu gerekçesiyle davayı reddetmiş ve sigorta şirketi lehine karar vermiştir. Bunun üzerine

55 Initiative SMA 'Die Spinale Muskelatrophie' <<https://www.initiative-sma.de/therapie/haeufig-gestellte-fragen-und-antworten-zur-behandlung-mit-zolgensma-in-deutschland/#:~:text=Die%20gesetzliche%20Krankenversicherung%20%C3%BCbernimmt%20die,erforderlich%20und%20%C3%A4rztlich%20beabsichtigt%20ist.>> accessed 10 September 2024.

56 LSG Nordrhein-Westfalen 27.02.2020, <<https://beck-online.beck.de/Dokument?vpath=bibdata%2Freddok%2Fbecklink%2F2015733.htm&pos=2&hlwords=on&lasthit=True>> accessed 10 September 2024.

57 LSG Nordrhein-Westfalen 10.11.2020 <<https://beck-online.beck.de/Dokument?vpath=bibdata%2Freddok%2Fbecklink%2F2018006.htm&pos=3&hlwords=on>> accessed 10 September 2024.

davacı, ilk derece mahkemenin kararını temyiz etmiştir. Temyiz aşamasında davaya bakan Kuzey Ren-Vestfalya Eyalet Mahkemesi, davacı hasta ailesinin davasını kabul etmek suretiyle ilk derece mahkemesinin kararını bozmuş ve sağlık sigortası şirketinin zolgensma tedavisine ilişkin masrafları ödemesine karar vermiştir. Eyalet Mahkemesi öncelikle, hastanın tedaviden fayda sağlayabilmesi için tıbbi olarak öngörülen boy ve kilo sınırına ulaşmak üzere olduğuna işaret etmektedir. Bunun yanında hastaya tedavinin uygulanabilmesi için yapılması zorunlu olan anestezi işlemine ilişkin birtakım riskler taşıdığına da işaret ederek spinraza tedavisinin hasta için daha fazla sürdürülebilir olmadığına, hastanın acil olarak yasal koruma altına alınmasına karar vermiştir. Ayrıca tedaviyi yürüten doktordan sağlanan güvenilir tıbbi bilgiye göre, uygulanacak zolgensma tedavisinin hasta için daha uygun ve faydalı olacağı sonucuna varıldığını ifade etmiştir. Mahkeme, sigorta şirketinin, zolgensma tedavisinin spinraza tedavisine göre birtakım ek maliyetlere yol açacağına ve spinraza tedavisi ile öngörülen fayda-maliyet oranının daha lehe olduğuna ilişkin iddiasını da kanıtlayamadığını belirtmiş, Zolgensma ile sağlanacak fayda-maliyet oranının Spinraza ile sağlanacak fayda-maliyet oranından daha kötü olmadığını beyan ederek davacının davasının kabulüne karar vermiştir.

Niedersachsen-Bremen Eyalet Mahkemesinin, 06.07.2020 tarihli kararına⁵⁸ konu bir başka olayda, beş aylık iken SMA Tip 1 tanısı konan kız çocuğuna, doktorun uygun görmesi üzerine spinraza ilaç tedavisine başlanmıştır. Hasta bebeğin ailesi, tıbbi açıdan daha iyi olduğu gerekçesi ile zolgensma tedavisi talep etmiş ancak sağlık sigortası şirketi ailenin talebini reddetmiş ve zolgensma tedavisine onay vermemiştir. Aile, sağlık sigortasına dava açmak suretiyle zolgensma tedavisinin sigorta şirketi tarafından ödenmesini talep etmiştir. Eyalet Mahkemesi, hastaya spinraza ile yapılan tedavinin başarı bir şekilde devam ediyor olmasını ve doktorun zolgensma tedavisini gerekli görmemiş olmasını gerekçe göstererek, sağlık sigortası şirketinin zolgensma tedavisini ödeme yükümlülüğünün bulunmadığına karar vermiş ve davayı reddetmiştir. Mahkeme, doktorun “*uygun tedaviye karar verme serbestisi*” gereğince, zolgensma tedavisinin uygulanabileceğini ancak buna doktorun karar vereceğini, ailenin tek başına yaptığı tedavi talebinin ise sigorta şirketinin ödeme yükümlülüğüne esas teşkil etmeyeceğini ifade etmektedir.

4. Zolgensma Tedavisinin Sağlık Hakkı Kapsamında Talep Edilip Edilemeyeceği Meselesi

a. Genel Olarak

Zolgensma gen tedavisi ilk olarak ABD’de Mayıs 2019’da 24 aydan küçük çocuklar için onaylanmış olup bunu Avrupa Birliği, Japonya ve diğer ülkelerdeki onaylar izlemiştir⁵⁹. Hatta T.C. Sağlık Bakanlığı tarafından Ocak 2023 tarihinde ruhsatlanma sürecinin devam ettiği belirtilen ancak henüz bu konuda bir gelişme kaydedememiş olduğumuz Riskli Tedavi de 08.08.2020 tarihinde ABD Gıda ve İlaç Dairesi (FDA) tarafından, 30.03.2021 tarihinde ise Avrupa İlaç Kurumu (EMA) tarafından, bütün SMA tipleri için 2 ay ve daha büyük olan çocukların tedavisinde kullanılmak üzere onaylanmıştır⁶⁰.

58 LSG Niedersachsen-Bremen, 06.07.2020 – L 2 BA 6/20

59 U.S. Food&Drug ‘Zolgensma’ (26.07.2024) <<https://www.fda.gov/vaccines-blood-biologics/zolgensma>> accessed 10 Eylül 2024.

60 SMA Benimle Yürü Derneği ‘Evryydi (Riskli Tedavi)’ <<https://smabenimleyuru.org.tr/arastirmalar-ve-tedavi/riski-diplam/>>

Özellikle Zolgensma tedavisi, ABD ve Avrupa Ülkelerinde yaklaşık 6 yıldır uygulanmaktadır. Sağlık Bakanlığımızın SMA Bilim Kurulu söz konusu tedaviye hala tereddütle yaklaşmaktadır. Bakanlık, “*ülkede doğan her SMA’lı bebeğin etkinliği bilinen tedaviyi aldığı*”, “*ailelerin umutlarının ticari amaçlara alet edilmeyeceği*”, “*çocukların denek olarak kullanılmasına izin verilmeyeceği*” gibi gerekçelerle ilaca onay vermemektedir. Ancak yıllar içinde, bu ilacın SMA tedavisinde önemli katkılar sağladığı yönünde yadsınamaz pek çok olumlu örnek de mevcuttur. Durum böyle olunca, ülkemizde hasta çocukların aileleri, çok pahalı olan Zolgensma tedavisine şahsi çabalarıyla ulaşmaya çalışmakta ve bunun için buldukları ilin valiliğinin izni ile gerek sanal ortamlarda gerekse cadde ve sokaklarda ülke çapında kampanyalar yürütmektedir. Aileler, ilaç için gerekli paranın toplanması halinde tedavi için başta Dubai ve Amerika olmak üzere yurt dışında bazı ülkelerin sağlık sunucularından gerekli tedaviyi temin etmektedirler. Belirtmek gerekir ki Sağlık Bakanlığı, bu ilacın tedavi edici olduğu yönündeki şüpheleri sebebiyle, bu yardım kampanyalarına destek vermediğini açık bir şekilde beyan etmektedir.

Zolgensma tedavisinin Sağlık Bakanlığı tarafından prosedürel olarak onaylanmamasına rağmen içinde bulunulan fiili durum, bu ilaç bedelinin karşılanmasının anayasal “*sağlık hakkı*” ve “*yaşam hakkı*” kapsamında dava yoluyla SGK’dan talep edilip edilemeyeceği sorusunu akla getirmektedir. Bu sorunun cevabını verebilmek için öncelikle, ülkemizde sağlık hakkının kapsamını, devletin bu hakkı yerine getirme sorumluluğu ile bu sorumluluğunun sınırlarını ve sağlık hakkının dava edilebilir bir hak olup olmadığını açıklığa kavuşturmak gerekmektedir.

b. Sağlık Hakkı ve Bu Hakkın Sınırları

Sağlık hakkı, temel bir insan hakkı olup insanlık onuruna yaraşır asgari bir yaşam sürdürülebilmek üzere her insan için gerekli olan bir haktır. Bu hakkın kişinin hayatını sürdürübilmesi için vazgeçilmez bir hak olduğunu söylemek yanlış olmayacaktır. Zira sağlık hakkı, kişinin başta temel haklar olmak üzere diğer tüm hakların hayata geçirebilmesi için hayati öneme sahip temel bir haktır. Öyle ki kişiler sağlıklı olmadığında diğer haklarını da kullanamaz hale gelmektedir⁶¹.

Sağlık hakkına, 1982 Anayasasının üçüncü bölümünde, “*Sosyal ve Ekonomik Haklar ve Ödevler*” kısmında yer verilmiştir. Bu hak, AY m. 56 hükmünde “*sağlık hakkı*” başlığı altında bağımsız bir norm olarak değil, “*sağlıklı ve dengeli bir çevrede yaşama hakkı*” ile beraber düzenlenmiştir⁶². Madde hükmüne göre, “*Herkes, sağlıklı ve dengeli bir çevrede yaşama hakkına sahiptir. Çevreyi geliştirmek, çevre sağlığını korumak ve çevre kirlenmesini önlemek Devletin ve vatandaşların ödevidir. Devlet,*

10 Eylül 2024; Media ‘ FDA Approves Genentech’s Evrysdi (risdiplam) for Treatment Spinal Muscular Atrophy (SMA) in Adults and Children 2 Months and Older’ *Genentech* (7 August 2020) <https://www-gene-com.translate.google.com/media/press-releases/14866/2020-08-07/fda-approves-genentechs-evrysdi-risdipla?_x_tr_sl=en&_x_tr_tl=tr&_x_tr_hl=tr&_x_tr_pto=tc> accessed 10 Eylül 2024.

61 Ayhan Döner ve Mücahit Kelek, ‘Negatif Yükümlülükler Açısından Sağlık Hakkı’(2015) 19(1) Erzincan Üniversitesi Hukuk Fakültesi Dergisi 3, 3; Nurten Yaylacı, Uluslararası Hukukta Sosyal Hakların Dava Edilebilirliği Bağlamında Sağlık Hakkı (Doktora Tezi, Ankara Üniversitesi 2021), 133 vd.

62 Bkz Nurten Yaylacı, ‘Teoriden Pratiğe Türk Hukukunda Sağlık Hakkının Dava Edilebilirliği Üzerine Bir İnceleme’ (2020) 15(171) Terazi Hukuk Dergisi 2314, 2317.

herkesin hayatını, beden ve ruh sağlığı içinde sürdürmesini sağlamak; insan ve madde gücünde tasarruf ve verimi artırarak, işbirliğini gerçekleştirmek amacıyla sağlık kuruluşlarını tek elden planlayıp hizmet vermesini düzenler. Devlet, bu görevini kamu ve özel kesimlerdeki sağlık ve sosyal kurumlarından yararlanarak, onları denetleyerek yerine getirir. Sağlık hizmetlerinin yaygın bir şekilde yerine getirilmesi için kanunla genel sağlık sigortası kurulabilir.”

Söylemek gerekir ki; AY. m. 56 hükmünde “sağlık hakkı” ile “sağlıklı bir çevrede yaşama hakkı”nın bir arada düzenlenmesi doktrinde mevcut çoğunluk görüşü tarafından eleştirilmektedir. Aslında “sağlık hakkı” ile “sağlıklı bir çevrede yaşama hakkı” arasında sıkı bir ilişki mevcut ise de bu iki hak birbirinden farklı niteliklere sahiptir. Sağlık hakkı sosyal bir hak iken çevre hakkı dayanışma hakları içerisinde yer almaktadır. Sağlık hakkı pek çok hakla, özellikle de “yaşam hakkı” ile yakından ilgilidir. Bu sebeple önemli bir sosyal hak olan ve uluslararası insan hakları belgelerinde mutlaka düzenlenen, bir yandan *insanlık onuruyla* diğer yandan *yaşama hakkı* ile ilişkilendirilen sağlık hakkının, bağımsız bir norm olarak düzenlenmesi daha yerinde olacaktır⁶³.

Anayasa m. 65 hükmü ise devletin ekonomik ve sosyal haklar alanındaki sınırlarını belirlemektedir. Madde hükmüne göre, devlet, sosyal ve ekonomik alanlarda Anayasa ile belirlenen görevlerini, bu görevlerin amaçlarına uygun öncelikleri de gözeterek mali kaynaklarının yeterliliği ölçüsünde yerine getirmekle yükümlüdür. Aslında AY m. 65 hükmü, devletin sosyal hakları ne ölçüde gerçekleştireceğine ilişkin bir değerlendirme kriteridir. Anayasa m. 65 hükmünde yer alan, “*mali kaynakların yeterliliği*” ölçütü, her ne kadar sosyal haklar bakımından bir sınırlamayı ifade etse de, bu ölçüt devletin sosyal haklara ilişkin yükümlülüklerden tamamen kurtulduğu ya da devletin söz konusu sosyal yükümlülüklerini yerine getirip getirmeyeceği hususunun tartışmaya açıldığı anlamına gelmemektedir. Zira devlet, her hülükarda sosyal haklardan kişilerin faydalanmasını sağlamak amacıyla üstüne düşen yükümlülükleri yerine getirmek için, mali kaynakları ölçüsünde elinden geleni yapmakla yükümlüdür⁶⁴. Madde hükmü sosyal haklara ilişkin bir ölçülülük ilkesi oluşturmaktadır. Bu ölçülülük ilkesi kapsamında devletin, sosyal haklara ilişkin ödevlerini yerine getirirken bir yanda önceliklerini diğer yanda da sınırlı malî kaynakları dengelemesi amaçlanmaktadır. Ancak söz konusu denge gözetilirken devletin gözetmesi gereken öncelik ise “*insan onuru*” olmalıdır⁶⁵.

Diğer yandan, Anayasa m. 90 hükmünün son cümlesi uyarınca, usulüne uygun olarak yürürlüğe konulmuş temel hak ve özgürlüklere ilişkin uluslararası sözleşmelerle kanunların aynı konuda farklı hükümler içermesi durumunda çıkabilecek uyuşmazlıklarda, uluslararası sözleşmelerin

63 1982 Anayasasının m. 56 hükmünde yapılan düzenleme, doktrinde hem düzenlenme biçimi hem de normun içeriği bakımından eleştirilmektedir. Bu normun sadece sağlık hakkına özgülenmeyerek “sağlıklı ve dengeli bir çevrede yaşama hakkı” ile girift bir yapıda formüle edilmesi üzerinde durulmaktadır. Bkz. Yaylacı, (n 61) 219; Yaylacı, (n 62) 2317; Bülent Algan, *Sosyal ve Kültürel Hakların Korunması* (Seçkin 2007) 267; Nihat Bulut, *Sanayi Devriminden Küreselleşmeye Sosyal Haklar* (Oniki Levha 2009) 211; Dilşad Çiğdem Sever, ‘Sağlık Hakkının Tanımlanması ve Mahkemelerce Kullanılması’, iç Özge Yücel ve Gürkan Sert (edr), *Sağlık ve Tıp Hukukunda Sorumluluk ve İnsan Hakları*, (Yetkin 2018) 89; Aksi görüşler için bkz. Yaylacı, (n 62) dn 25, dn 26 ve dn 27’de adı geçen yazarlar; Kethüda Enes, ‘Sosyal Güvenlik Hakkının Bireysel Başvuru Yoluna Konu Edilebilirliği’ (2024)173 *Türkiye Barolar Birliği Dergisi* 109.

64 Mümtaz Sosyal, *100 Soruda Anayasanın Anlamı* (8. Baskı, Gerçek 1990) 240; Yaylacı, (n 62) 2320.

65 Sever (n 63) 94; Benzer diğer görüşler için bkz. Yaylacı, (n 62) 2320 ve dn. 48; Uluslararası Belgeler açısından bkz. Yaylacı, (n. 61) 217 vd.

ilgili hükümleri esas alınacaktır. Bu sebeple, söz konusu hüküm uyarınca artık insan haklarına ilişkin uluslararası sözleşmeler ile iç hukukta mevcut kanun hükümleri arasında çatışma olması hâlinde, uluslararası insan hakları normları uygulama üstünlüğüne sahiptir. Bu bağlamda, temel ve evrensel bir hak olan sağlık hakkı aynı zamanda Türkiye'nin taraf olduğu uluslararası insan hakları sözleşmelerinde de açıkça düzenlenmiş bir "insan hakkı"dır⁶⁶. Anayasa m. 90 hükmünün son cümlesinde yapılan düzenleme ise, bu hak açısından AY. m. 65 hükmündeki sınırlamayı uluslararası sözleşmelerin açık normlarıyla aşabilmenin imkanını sağlamaktadır⁶⁷.

Türkiye'nin 2003 yılında taraf olduğu Birleşmiş Milletler Ekonomik Sosyal ve Kültürel Haklar Uluslararası Sözleşmesinin m. 12/1 hükmü uyarınca, bu sözleşmeye taraf devletler, *herkesin, ulaşılabilecek en yüksek fiziksel ve zihinsel sağlık standardına sahip olma hakkını* kabul etmektedirler. Bu şekilde herkese "*ulaşılabilecek en yüksek sağlık standardına sahip olma hakkı*"nı tanıyan sözleşme hükmü, AY m.65 hükmü uyarınca devletin "*mali kaynakların yeterliliği*" ölçüsünde sağlanacak sağlık hakkını düzenleyen AY. m. 56 hükmünün çok daha ötesindedir. Öyleyse, Türk Hukuku açısından AY. m. 90 hükmünün son cümlesi uyarınca; bundan böyle, devletin sağlık hakkı sağlama yükümlülüğü için AY. m. 56 hükmü ile öngörülen sağlık hakkını sağlama yükümlülüğünün yerini Birleşmiş Milletler ESKHS'nin m.12 hükmünde yer alan ve herhangi bir sınıra tabi tutulmamış olan *ulaşılabilecek en yüksek sağlık standartını sağlama yükümlülüğünün* aldığı söylemek yanlış olmayacaktır.

c. Sağlık Hakkının Dava Edilebilirliği

Doktrinden sağlık hakkının dava edilebilirliği hususu devletin ekonomik ve sosyal haklar alanındaki sınırlarını belirleyen AY. m. 65 hükmü kapsamında tartışılmaktadır. Doktrinde ağırlıklı görüşe göre; AY m. 65 hükmü işin mahiyeti gereği bir düzenlemedir. Zira, aksi takdirde devletin eylemsizliği ya da yeterince katkı sağlayamama hallerinde devamlı olarak anayasa ihlali iddiaları ile karşı karşıya kalınacaktır. Yine, kullanımları devletin pozitif bir edimine bağlı olan hakların ilke olarak bireysel başvuru yoluna elverişli olmadığı, bu tür sosyal hakların genellikle doğrudan talep edilebilir nitelikte düzenlenmediğini belirtilmektedir. Diğer yandan, sağlık, eğitim, konut, çalışma ve sosyal güvenlik gibi sosyal hakların vücut bulması için devletin bu hakları anayasada tanıması yetmemektedir. Sosyal hakların sadece anayasada tanımlanmış olması, bireylere dava yoluyla talep edilecek subjektif bir hak vermeyecektir⁶⁸.

Belirtmek gerekir ki; Anayasa m. 65 hükmünü ölçü almak suretiyle sosyal haklar kısmında yer alan "*sağlık hakkı*"nın dava edilemeyeceğini söylemek isabetli görünmemektedir. Nitekim, günümüzde Birleşmiş Milletler de sosyal hakların dünyanın pek çok ülkesinde "*yargı yoluyla talep edilebilir*"

66 Yaylacı, (n 62) 2322; Özgür Temiz, 'Türk Hukukunda Bir Temel Hak Olarak Sağlık Hakkı' (2014), 69 (1) Ankara Üniversitesi Siyasal Bilgiler Fakültesi Dergisi 165, 172.

67 Yaylacı, (n 62) 2322; Murat Özveri, 'Türk Hukukunda Sosyal Hakların Dava Yoluyla Gerçekleştirilmesi', *Sosyal Haklar Uluslararası Sempozyumu*, III Bildiriler Kitabı (Petrol İş 2011) 150.

68 Bülent Tanör ve Necmi Yüzbaşıoğlu, *1982 Anayasasına Göre Türk Anayasa Hukuku*, (10. Baskı, Beta 2011) 185; Kemal Gözler, *Türk Anayasa Hukuku Dersleri* (18. Baskı, Ekin 2015) 77; Konuya ilişkin tüm görüşler için bkz. Yaylacı, (n 62) 2320-2321; Diğer gerekçeler için bkz. Engin Yıldırım, 'Sosyal Hakların Dava Edilebilirliği/Edilemezliği ve Anayasa Mahkemeleri: Türk Bakış Açısı'(2014) 31 Anayasa Yargısı Dergisi, 53.

olduğunu ifade etmektedir. Gerek Birleşmiş Milletler sisteminde yer alan insan hakları denetim organlarınınca gerekse doktrinde vurgulandığı üzere; sağlık hakkı, devlete pozitif edimler yükleyen haklardan olduğu gibi bu hakkın negatif edim yükleyen boyutu da mevcuttur. Sağlık hakkı bu yönüyle AY. m. 65 hükmündeki sınırlamalara hiçbir şekilde tâbi olmamalıdır⁶⁹. Yine yukarıda da bahsettiğimiz konu ile bağlantılı olarak, AY m. 90 hükmünün son cümlesi gereği, Türkiye tarafından onaylanmış bir sözleşme olan Birleşmiş Milletler ESKHS’nin m.12 hükmünde yer aldığı şekliyle, kişilerin gerektiğinde, “ulaşılabilecek en yüksek sağlık standartlarına kavuşmayı” yargı yoluyla talep etme hakları mevcut olmalıdır.

d. SMA Hastalarının Zolgensma Tedavisini SGK’dan Talep Edip Edemeyeceği Meselesi

Yukarıda açıklamaya çalıştığımız üzere, önemli bir kişilik hakkı olan sağlık hakkı, aynı zamanda mutlak bir hak olup herkese karşı ileri sürülebilecek bir haktır. Hem anayasa ile hem de uluslararası sözleşmelerle koruma altına alınmış olan bu hak, “yaşam hakkı”ndan ve “insanlık onuruna uygunluk” kriterinden ayrı düşünülmesi mümkün olmayan bir haktır. Zira “yaşamak” dediğimiz zaman aklımıza gelen ve yaşama hakkına anlam kazandıran iki önemli şey “sağlıklı yaşamak” ve “insanlık onuruna uygun” bir şekilde yaşamaktır. Sağlıktan ve insanlık onurundan yoksun olan bir yaşam sürmenin yaşama hakkı bağlamında bir değerinin olduğunu söylemek mümkün değildir.

SMA hastalığı, genellikle bebektikten başlayan ölümcül bir hastalıktır. Tip 1 SMA hastalığı olan çocuklar, solunum ve beslenmeye yardımcı olacak mekanik havalandırma ve besleme tüpleri yardımıyla birkaç yıl hayatta kalabilmektedirler. Tip 2 SMA hastalığı olan bireyler, sürekli bir takım solunum komplikasyonları tehdidi altında, genellikle yetişkinlik dönemine ulaşacak kadar yaşayabilmektedirler. SMA Tip 3 ve Tip 4 hastaları ise genellikle normal bir yaşam süresi yaşayabilmekle beraber tekerlekli sandalyeye bağlı olarak yaşamlarını sürdürmek zorunda kalabilirler⁷⁰. Bu nedenle söz konusu hastalığın anayasal “yaşama hakkı”nı, “insanlık onuruna uygun bir hayat sürme” hakkını ve “sağlık hakkı”nı ciddi olarak tehlikeye soktuğu görülmektedir.

Sosyal Güvenlik Kurumunun SMA hastaları için sağladığı tedavi spinraza tedavisidir. Bu hastalığın tedavisinde Spinraza 2016 yılından beri uygulanmaktadır. Zolgensma ise 2019 tarihi itibarıyla ABD’de ve sonrasında Avrupa Ülkelerinde SMA tedavisinde uygulanmakta olan bir ilaç olmasına rağmen ülkemizde Sağlık Bakanlığı tarafından güvenilirliğine ilişkin türlü gerekçelerle onaylanmamıştır. Zolgensma tedavisi, ülkemizde onaylanmamış olmasına rağmen, pekçok ülkede yaklaşık 6 senedir kullanılmakta olup tedavi ediciliği açısından pek çok kayda değer olumlu örnek mevcuttur. Ayrıca bu ilaç tedavisinin, hastaya tek seferde uygulanıyor olması sebebiyle SMA hastaları için daha konforlu olduğu ifade edilmektedir. Bu nedenle pek çok aile bu ilaca ulaşmaya çalışmakta tedavilerini de başta Dubai ve Amerika olmak üzere yurt dışındaki bazı ülkelerin sağlık sunucularında yaptırmaktadırlar.

69 Yaylacı, (n 62) 2321; Yaylacı, (n 61), 401; Sultan Tahmazoğlu Uzeltürk, *Anayasa Hukuku Açısından Sağlık Hakkı – Ulusal ve Uluslararası Boyutuyla*-(Legal 2012) 103; Yıldırım (n 68) 153 ve 154.

70 Acibadem Web ve Yayın Kurulu, ‘SMA Hastalığı Nedir? SMA Belirtileri, Nedenleri, Tedavisi (26 Ağustos 2020)<[834](https://www.acibadem.com.tr/ilgi-alani/sma-hastaligi/#:~:text=Spinal%20m%C3%BCsk%C3%BCler%20atrofi%2C%20yani%20k%C4%B1saca,kal%C4%B1tsal%20bir%20motor%20n%C3%B6ron%20hastal%C4%B1%C4%9F%C4%B1d%C4%B1r.> Erişim Tarihi 5 Temmuz 2024.</p>
</div>
<div data-bbox=)

Kanaatimizce herbiri önemli birer anayasal hak olan “yaşama hakkı, “insanlık onuruna uygun bir hayat sürme hakkı” ile “sağlık hakkı” bağlamında zolgensmanın bedelinin karşılanmasını SGK’dan talep edilmesi mümkündür. Bu talebin esaslı gerekçesi hastanın yaşamının tehlikede olmasıdır. Ancak bu tedavinin hasta aileleri tarafından kulaktan duyma birtakım örneklere binaen, hastayı tedavi eden hekimin tavsiyesine dayanmadan talep edilmesi mesnetsiz olup mümkün değildir. Tedaviyi yürüten hekim ya da hekimler tarafından, gerekçeleri ile beraber bir rapor düzenlemek suretiyle, zolgensmanın hasta için uygun bir tedavi olarak öngörüldüğü ve reçete edildiği durumlarda ise SGK’nın bu talebi değerlendirmesi gerekmektedir. Sosyal Güvenlik Kurumu’nun söz konusu tedaviyi reddetmesi ve ilaç bedelini ödememesi halinde ise konunun yargıya intikal ettirilmesi mümkündür. Yargı makamı olayı değerlendirirken, AY m. 90 hükmünün son fıkrasını esas almak suretiyle, SGK’nın sağlık hakkını sağlama yükümlülüğünü, AY m. 60 hükmü uyarınca devletin “mali kaynaklarının yeterliliği” ölçütüne göre değil Birleşmiş Milletler ESKHS’nin m.12 hükmü uyarınca “ulaşılabilirlik en yüksek sağlık standardını sağlama yükümlülüğü” ölçütüne göre değerlendirerek hüküm kurmalıdır.

Bugüne kadar elimizde Zolgensmanın ithali için gerekli olan ödemenin yapılması talebiyle Sosyal Güvenlik Kurumu’na karşı açılmış olan ancak SGK’nın talebi reddetmesi üzerine “yaşam hakkının ihlal edildiği” iddiası ile Anayasa Mahkemesine bireysel başvuruda bulunulmuş olan tek bir davaya⁷¹ rastlanmaktadır:

Dava konusu olayda davacı SMA Tip 1 hastalığı nedeniyle tedavi görmektedir. Ancak hastalığın tedavisinde kullanılan ilaçtan minimal fayda sağlandığı için tedaviyi uygulayan doktor tarafından “zolgensma” isimli ilacın tedavide kullanılmasının gerekli olduğuna dair bir rapor düzenlenmiştir. İlacın yurtdışı kullanımı için doktor tarafından yapılan talebin Türkiye İlaç ve Tıbbi Cihaz Kurumu tarafından uygun bulunmaması üzerine davacılar, hasta çocuklarına velayeten “Türkiye İlaç ve Tıbbi Cihaz Kurumunun işleminin reddi” talebiyle söz konusu işlemin iptali için Ankara 11. İdare Mahkemesinde dava açmıştır. İdare Mahkemesi, verdiği yürütmeyi durdurma kararının ardından 09.03.2021 tarihinde Türkiye İlaç ve Tıbbi Cihaz Kurumunun red işlemin iptaline karar vermiştir. Karara karşı SGK ve Türkiye İlaç ve Tıbbi Cihaz Kurumu tarafından istinaf talebinde bulunulmuştur.

Türkiye İlaç ve Tıbbi Cihaz Kurumu 22.12.2020 tarihinde yürütmeyi durdurma kararı gereğince “zolgensma” isimli ilacın kullanımını ve bu ilacın Türk Eczacılar Birliği aracılığıyla yurt dışından ithalini uygun görmüştür. Bunun üzerine davacılar ilaç bedelinin ödenmesi için SGK’dan talepte bulunmuşlar ancak bu talepleri SGK tarafından reddedilmiştir. Bunun üzerine davacılar, Ankara 5. İş Mahkemesinde ilacın finansmanının sağlanması ve ilacın yurt dışından ithali için gerekli ödemenin Türk Eczacılar Birliği Yurt Dışı İlaç Temin Birimine yapılması talebiyle SGK’ya dava açmıştır. Davacılar ayrıca bu davanın sonuçlanmasını beklemeksizin, 26.02.2021 tarihinde, hastalığın tedavisi için gerekli olan ilacın maliyetinin yüksek olduğunu, hayati önemi olan ilaç tedavisinin ilaç bedelinin ödenmesine dair tedbir kararının varlığına rağmen SGK tarafından ödeme yapılmaması nedeniyle gerçekleşemediğini, tedavisi geciken hastanın hayatının tehlikeye gireceğini belirterek yaşam hakkının ihlal edildiği gerekçesi ile Anayasa Mahkemesine Bireysel Başvuruda bulunmuştur. Anayasa Mahkemesi’nin, gerek başvuru formunda gerekse UYAP üzerinden yaptığı inceleme neticesinde,

71 Anayasa Mahkemesi Kararı, Başvuru No: 2021/7083, 22.02.2022.

başvurucuların Ankara 5. İş Mahkemesinde ilacın finansmanının sağlanması ve ilacın yurt dışından ithali için gerekli ödemenin Türk Eczacılar Birliği Yurt Dışı İlaç Temin Birimine yapılması talebiyle SGK’ya dava açtıklarını ve davanın derdest olduğu tespit etmiştir. Bunun üzerine AY Mahkemesi, “İhlale neden olduğu ileri sürülen işlem, eylem ya da ihmali için kanunda öngörülmüş idari ve yargısal başvuru yollarının tamamının bireysel başvuru yapılmadan önce tüketilmiş olması gerekir.” şeklindeki 6216 sayılı *Anayasa Mahkemesinin Kuruluşu ve Yargılama Usulleri Hakkında Kanun*’un “Bireysel başvuru hakkı” kenar başlıklı m. 45/f 2 hükmü uyarınca henüz “başvuru yollarının tüketilmemesi” nedeniyle herhangi bir incelemede bulunmaksızın söz konusu bireysel başvuruyu oybirliği ile reddetmiştir.

SONUÇ

SMA hastalarının çoğu bebekler ve çocuklardır. Bu grup, anne veya babalarından dolayı “bakılmakla yükümlü olunan kişi” sıfatıyla, genel sağlık sigortalısıdır. Ancak böyle olmasa dahi, kanunkoyucu 18 yaşını doldurmamış olan tüm gençleri ve çocukları, genel sağlık sigortalısı olarak kabul etmektedir. Böylece bakılmakla yükümlü olan sıfatı taşımayan çocuk ve gençler de 18 yaşını doldurana kadar genel sağlık sigortası sayılmaktadır. Bu nedenle SMA hastası tüm bebekler ve çocuklar Genel Sağlık Sigortası kapsamında SGK’nın sağladığı tüm tedavi ve yardımlardan yararlanabilmektedir.

SMA hastası çocukların ülkemiz sınırları içerisinde faydalanabilecekleri sağlık yardımları Sağlık Bakanlığı tarafından onaylanmış tedavi ve ilaçlardır. Zira Sağlık Bakanlığının onaylamadığı bir tedaviye ya da kullanım onayı vermediği bir ilaca kişilerin kendi olanakları ile dahi, ülke sınırları içerisinde ulaşması ya da böyle bir ilaç ile tedavi uygulanması mümkün değildir. Sosyal Sigortalar Kurumu, Genel Sağlık Sigortası kapsamında öncelikle, SMA hastalığının ve hasta çocuk sayısının artışı önlemeye yönelik birtakım koruyucu sağlık hizmetleri sunmaktadır. Çocukların hasta doğmasını önlemek ve hasta doğmuş olan çocukların hastalıklarını erken dönemde teşhis etmek amacıyla alınmış birtakım önlemler koruyucu tedbirler kapsamındadır. Öncelikle çiftlere uygulanacak olan tarama programları ile SMA taşıyıcısı olan çiftlerin tespit edilmesi, taşıyıcı olduğu tespit edilen çiftlerin bilinçlendirilerek hasta çocuk sahibi olmalarının engellenmesi hedeflenmektedir. Bu kapsamda, Aralık 2022’den itibaren yasal mevzuat gereğince çiftlere, evlilik öncesinde SMA testi yapılması zorunluluğu getirilmiştir. Çiftlerin testi yaptırmaması durumunda nikah kısılması mümkün değildir. Yine, yenidoğan bebeklerde ise topuk kanı taramaları içinde bebeğin SMA hastası olup olmadığına bakılmaktadır. Bu şekilde SMA hastası olduğu tespit edilen bebeklerin tedaviye en erken dönemde başlanması, böylece hastalığın etkilerinin hiç ortaya çıkmaması veya oluşturabileceği hasarın en aza indirilmesi mümkün olmaktadır.

Yine Ülkemizde SMA hastalığı için koruyucu sağlık hizmetleri daha etkin bir biçimde kullanılmalıdır. Bu konuda, görsel ve basılı medyada Sağlık Bakanlığı tarafından hazırlanan bilgilendirici kamu spotları yayınlanabileceği gibi, cadde ve bulvarlardaki reklam panolarında da bilgilendirici görseller paylaşılmalıdır. Ayrıca Aile Sağlık Merkezlerinde konuya ilişkin bilgilendirici görseller sergilenmeli, bu merkezlerde çalışan sağlık personeli de evlenmek için sağlık raporu almaya gelen çiftlere konuya ve

önemine ilişkin bilgilendirme yapmalıdır. Bilindiği üzere ülkemiz sadece büyük illerden değil küçük yerleşim birimlerinden de oluşmaktadır. Büyük illerden uzaklaşıp doğuya doğru gidildiğinde Aile Sağlık Merkezleri tarafından yapılacak söz konusu bilgilendirmeler, ilçeler ve köyler gibi merkezden uzak küçük yerleşim yerleri için etkisi açısından büyük önem taşımaktadır.

SMA hastalığı için farklı etken maddeli üç değişik ilaç tedavisi mevcuttur. Bunlar: “Nursinersen Sodyum” etken maddeli “Spinraza” tedavisi, “Risdiplam” etken maddeli “Evrysdi” ilaç tedavisi ve “Zolgensma” tedavisidir. Türkiye’de Sağlık Bakanlığı, sadece Spinraza ilacı ile uygulanan tedaviyi kabul etmiş olup Söz konusu tedaviyi Genel Sağlık Sigortası kapsamında SGK karşılamaktadır. Diğer iki ilaca ise Sağlık Bakanlığı tarafından henüz onay verilmemiştir.

SMA’lı çocuklara uygulanacak spinraza tedavisinin kapsamına ilişkin düzenlemelere “Sosyal Güvenlik Kurumu Sağlık Uygulama Tebliğinde” (SUT) yer verilmiştir. Sağlık Bakanlığı, risdiplam tedavisi için ruhsatlandırma sürecinin devam etmekte olduğunu hatta sona gelindiğini, önümüzdeki günlerde özellikle Spinraza tedavisinin uygulanmasında güçlük yaşayan hastaların kullanımına sunulacağını ifade etmişse de bugüne kadar konuya ilişkin herhangi bir gelişme yaşanmamıştır. Ancak risdiplam etken maddesi Türkiye İlaç ve Tıbbi Cihaz Kurumunun (TİTCK) “yurt dışı ilaç listesine” eklenmiştir.

Zogensma tedavisi dünyadaki örneklerine rağmen Sağlık Bakanlığımız tarafından henüz ruhsatlandırılmamış olup Bakanlık ilacın iyileştirici etkisi konusunda ciddi şüphelerinin olduğunu ifade edilmektedir. Ancak dünyadaki gelişmelere paralel olarak, SMA hastası bebeklerin aileleri Zolgensma tedavisinin Türkiye’de uygulanmasını istemektedir. İlacın çok pahalı olması sebebiyle de ilaca ulaşabilmek için hasta çocuğu olan aileler tarafından gerek sosyal medyada, gerekse sahada aktif para toplama kampanyaları yürütülmektedir. Söz konusu kampanyalar ancak valiliklerden alınan izin ile başlatılıp sürdürülmektedir. Kampanyası biten bebekler Dubayi ya da Amerika’ya tedaviye giderken, kampanya sırasında hayatını kaybeden bebeklerin hesabında toplanan para ise valilik izniyle başka bir bebeğin kampanyasına aktarılmaktadır.

Zolgensmanın SGK tarafından tedavi kapsamına almamasının temelinde, bu ilacın çok pahalı olmasından kaynaklanan ekonomik sebeplerin yattığı ileri sürülmektedir. Ancak Sağlık Bakanlığı, bu konuda kesinlikle bir ödeme sorunu olmadığını belirtmektedir. Bakanlık tedavinin

SMA bilim kurulu tarafından değerlendirildiğini, bilim kurulunun tedavinin etkinliği ile ilgili yeterli kanıt olmadığı kanaatinde olduğunu gerekçe olarak göstermektedir. Zolgensma tedavisinin Sağlık Bakanlığı tarafından prosedürel olarak onaylanmamasına rağmen içinde bulunulan fiili durum, bu ilaç bedelinin karşılanmasının anayasal “sağlık hakkı” ve “yaşam hakkı” kapsamında dava yoluyla SGK’dan talep edilip edilemeyeceği sorusunu akla getirmektedir.

Kanaatimizce herbiri önemli birer anayasal hak olan “yaşama hakkı”, “insanlık onuruna uygun bir hayat sürme hakkı” ile “sağlık hakkı” bağlamında zolgensmanın bedelinin karşılanmasını SGK’dan talep edilmesi mümkündür. Bu talebin esaslı gerekçesi hastanın yaşamının tehlikede olmasıdır. Ancak bu tedavinin talep edilebilmesi için tedaviyi yürüten hekim rapor düzenlemek suretiyle, zolgensmanın hasta için uygun bir tedavi olarak öngörüldüğü ve reçete etmesi gerekir. Böyle bir

durumda SGK’nın talebi değerlendirmesi gerekmektedir. Sosyal Güvenlik Kurumu’nun ilaç bedelini ödemeyi reddetmesi halinde ise konu dava açılmak suretiyle yargıya intikal ettirilmelidir. Yargı makamı karar verirken AY m. 90 hükmünün son fıkrasını esas almak suretiyle SGK’nın sağlık hakkını sağlama yükümlülüğünü, devletin “*mali kaynaklarının yeterliliği*” ölçütüne göre değil Birleşmiş Milletler ESKHS’nin m.12 hükmü uyarınca “*ulaşılacak en yüksek sağlık standardını sağlama yükümlülüğü*” ölçütüne göre değerlendirmelidir.

KAYNAKÇA

- Algan B, *Sosyal ve Kültürel Hakların Korunması* (Seçkin 2007).
- Arslan Ertürk A, ‘Sosyal Güvenlik Hukuku Boyutuyla Sigortalının Tedavi ve İlaça Ulaşması İle SMA’lı Çocukların Durumu’ (15-16 Haziran 2023) İstanbul Barosu Sağlık Hukuku Merkezi SMA Çalıştay Raporu (İstanbul Barosu Yayınları 2024) 63-73.
- Bulut N, *Sanayi Devriminden Küreselleşmeye Sosyal Haklar* (Oniki Levha 2009).
- Döner A ve Kelek M, ‘Negatif Yükümlülükler Açısından Sağlık Hakkı’(2015) 19(1) Erzincan Üniversitesi Hukuk Fakültesi Dergisi 3-21.
- Güzel A, Okur AR ve Caniklioğlu N, *Sosyal Güvenlik Hukuku* (19. Bası, Beta 2021).
- Gözler K, *Türk Anayasa Hukuku Dersleri* (18. Baskı, Ekin 2015).
- Kethüda E, ‘Sosyal Güvenlik Hakkının Bireysel Başvuru Yoluna Konu Edilebilirliği’ (2024)173 Türkiye Barolar Birliği Dergisi 95-155.
- Özveri M, ‘Türk Hukukunda Sosyal Hakların Dava Yoluyla Gerçekleştirilmesi’, *Sosyal Haklar Uluslararası Sempozyumu*, III Bildiriler Kitabı (Petrol İş 2011) 139-158.
- Sever D Ç, ‘Sağlık Hakkının Tanımlanması ve Mahkemelerce Kullanılması’, iç Özge Yücel ve Gürkan Sert (edr), *Sağlık ve Tıp Hukukunda Sorumluluk ve İnsan Hakları*, (Yetkin 2018). 73-102.
- Sosyal Mümtaz, *100 Soruda Anayasanın Anlamı* (8. Baskı, Gerçek 1990).
- Tahmazoğlu Uzeltürk S, *Anayasa Hukuku Açısından Sağlık Hakkı – Ulusal ve Uluslararası Boyutuyla*-(Legal 2012).
- Tanör B ve Yüzbaşıoğlu N, *1982 Anayasasına Göre Türk Anayasa Hukuku*, (10. Baskı, Beta 2011).
- Temiz Ö, ‘Türk Hukukunda Bir Temel Hak Olarak Sağlık Hakkı’ (2014), 69 (1) Ankara Üniversitesi Siyasal Bilgiler Fakültesi Dergisi 165-188.
- Yaylacı N, ‘Teoriden Pratiğe Türk Hukukunda Sağlık Hakkının Dava Edilebilirliği Üzerine Bir İnceleme’ (2020) 15 Terazi Hukuk Dergisi 2314-2334.
- Yaylacı N, *Uluslararası Hukukta Sosyal Hakların Dava Edilebilirliği Bağlamında Sağlık Hakkı* (Doktora Tezi, Ankara Üniversitesi 2021).
- Yıldırım E, ‘Sosyal Hakların Dava Edilebilirliği/Edilemezliği ve Anayasa Mahkemeleri: Türk Bakış Açısı’(2014) 31 Anayasa Yargısı Dergisi, 153-159.