

ORDU BAROSU BAŐKANLIĐI'NA

KONU: Yardım çağrısı talebimizin sunulması hk.

Smatip1 Hastası oğlumuz Demir Ali BAYRAKTAR adına başlattığımız kampanyaya destek olunması açısından,

-Ordu Barosu nezdinde pandemi şartlarına uygun olabildiđi müddetçe BİLET satılarak gelirinin kampanyaya aktarılması,

-Demir Ali adına tarafımızca bastırılacak doğumgünü tebrik kartlarının baro odalarında 100 TL karşılığında talepkarlara verilmek üzere bulundurulması,

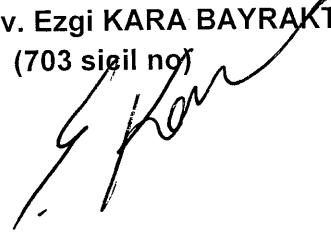
-Adliye'de baro odasına muhafazası baro personeline mümkün olan odaya Demir Ali'ye Umut Ol kumbarası konulması,tebrik kartlarının satış bedelinin de bu kumbarada bağış olarak biriktirilmesi

-STK'larla kurumsal görüşme ve temas sağlanıp ortak bir basın açıklaması yapılması

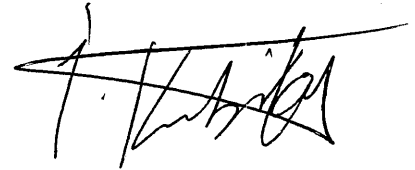
-Diğer barolara da kumbara gönderilmesi,

SONUÇ VE İSTEM: Arz olunan taleplerden uygun görülenlerin kampanyaya destek amaçlı yürürlüğe konmasını arz ve talep ederiz.

Av. Ezgi KARA BAYRAKTAR
(703 sicil no)



Av. İbrahim Kubilay BAYRAKTAR
(813 sicil no)



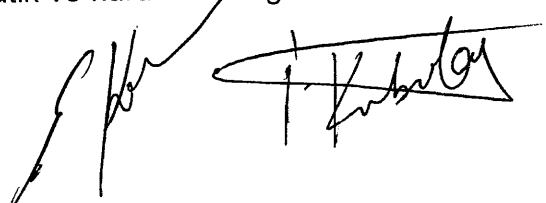
TÜM BARO BAŞKANLIKLARI'NA
Gönderilmek Üzere
ORDU BAROSU BAŞKANLIĞI'NA

KONU: Yardım çağrısı talebimizin sunulması hk.

Smatip1 hastası 17 aylık oğlumuz Demir Ali BAYRAKTAR adına yurtdışı menşeli bir site üzerinden 14.08.2020 tarihinde bir kampanya başlattık. Küçük çaplı yardımlar ile 170.000 Euro'ya ulaştığımız bu kampanya Hollanda üzerinden Mehmet ÖZTÜRK adlı akrabamız tarafından Demir Ali yararına başlatıldı. Kampanyanın amacı Demir Ali 24 aylık olmadan hastalığının kalıcı tedavisi olan ZOLGENSMA adlı gen terapisine ulaşmaktır. Bu tedavi Amerika'da ve Avrupa'da uluslararası hasta kabul eden hastanelerde yapılmaktadır. Toplanan paranın vergi kısıtlamasına uğramadan anlaşıcağımız hastanelere ulaşabilmesi için (ekte teklif evraklarını sunduk ve birçoğundan da davet mektubu aldık, hastaneler açısından halen karar ve araştırma aşamasındayız, karar verdiğimizde teklif formlarını imzalayıp göndereceğiz) Hollanda' da Demir Ali adına vakıf kurmaktayız. Söz konusu kampanyanın yurtdışında başlatılmasının sebebi Türkiye'de bu siteden kampanya başlatılamıyor olmasıdır. Bunun dışında ekte Genetik Test Raporu, Türkiye'de SMA hastalığı açısından klinik testler yapan kendi doktorumuz Prof. Dr. Haluk Aydın TOPALOĞLU'ndan aldığımız öneri/tavsiye yazısı ve hastanelerin tarafımıza sunduğu teklif mailleri mevcut olmakla birlikte bilgilerinize sunuyoruz.

Söz konusu hastalık ülke çapında nadir olsa da bundan 2 sene önce ciddi bir kamuoyu baskısıyla geri ödeme kapsamında olan bir ilaç tedavisine sahiptir. Bu ilacın adı SPİNRAZA olup normal şartlar 0-2 yaş aralığında ömür süresi olan bebekler bu ilaçla ömür sürelerini uzatıp, kaslarını kullanma kapasitelerini arttırmaya çalışıyorlar. Bu ilacın tek dozu 60.000 dolara ithal ediliyor. Ve bu bebekler 4 ayda bir belirli testlere tabi tutulup ilaçları almaya çalışıyor. Bu durum sağlık bakanlığının üzerinde bir yük olarak görüldüğünden kampanya konusu 2.100.000,00 EURO fiyatı olan FDA ve EMA onaylarını almış ZOLGENSMA adlı gen terapisinin geri ödeme kapsamına alınması açısından oluşabilecek kamuoyu ve baskılardan çekinildiğinden çeşitli nedenlerle söz konusu ilaç Türkiye'de ruhsatlandırılmıyor. Bunun sonucunda ise Valilik nezdinde yaptığımız yardım kampanyası başvurusu da Sağlık Bakanlığı'ndan olumsuz görüş verileceğinden nispetle sürüncemede bırakılıyor. Kısacası Sağlık Bakanlığı'nın bu ilaç açısından Demir Ali nezdinde olumlu görüş belirtmeyeceği bir tablo ortaya çıktığından gerek Türkiye Barolar Birliği nezdinde gerek Barolar nezdinde aktif katılım sağlayacak çözüm yollarına ihtiyaç duymaktayız.

Mesleki birlik ve beraberliğin her türlü tarafdırlığa kapalı halde ortak noktada buluşulması gereken bu günde, tüm Baroları iki Avukat meslektaşın hasta evladına kayıtsız kalmamaya, bürokratik ve kurumsal engelleri bahane



etmemeye ve anne baba olan tüm meslektaşlarımızı kendi evlatları olsa ne yapacaklarsa aynı şekilde elini taşın altına koymaya davet etmek zarureti hâsıl olmuştur.



Öncelikle son derece kalabalık mensubu olan ANKARA, İZMİR VE İSTANBUL Baroları'nın öncülük etmesi talebimizdir. Aşağıda tek tek sıralayacağım çözüm önerilerini yalnızca bir bebeğin hayatının kurtulması açısından değerlendirmenizi rica ediyorum.

Rüzgar ERDOĞAN adlı SMA tip1 hastası bebeğimiz @rüzgaryürüyecek adlı instagram hesabında yine bizim gibi "gofundme" sitesi üzerinden başlattığı kampanyada "hani bu kampanyanın valilik izni demeyen" meslektaşları tarafından yapılan dayanışma vesilesiyle istenilen meblağa ulaşılmıştır. Rüzgar bebeğin annesi ve babası LCW çalışanı olup LCW mağazalarının Türkiye'nin tüm bölgelerindeki "asgari ücretle" çalışan işçilerinden destek alarak kampanyayı tamamlamışlardır.

Böylesine bir durumda iki avukat meslektaşın ortak çocukları 17 aylık Demir Ali için elini taşın altına koymayacak bir meslektaşım olduğundan hiçbir şüphem olmasa da konuyu gündeme getirmek açısından BAROLARIN ve BAŞKANLIKLARIN ortak sesi bizler için zaruridir. Bu da ancak teknoloji çağında sosyal medya hesaplarıyla ve düzenli aralıklarla ortak atılacak SMS yolu ile olacaktır. Ayrıca ülkemizde 100.000'den fazla Avukat meslektaşımızın olduğu göz önüne alındığında her biri açısından 20 EURO'luk katkı ile kampanyanın çok kısa sürede tamamlanacağı aşikârdır.

7 ay gibi kısa bir vaktimiz olduğundan taleplerimizin ivedilikle olumlu bir neticeyle sonlandırılması için iş bu başvuruyu yapmak zaruretimiz hâsıl olmuştur. Burada gözetilmesi gereken bir bebeğin hayatı olup sonuç ve istemdeki taleplerimizin kurumsal yapı içerisinde hayata geçirilmesinin kurumsal kimlik açısından son derece önemli olduğunun altının çizilmesi gerekir. Barolar iki meslektaşının çocuğunun hayatı hususuna sessiz kalmayacaktır. Bu mesajların atılması için Baroların tüzel kişilikleri kapsamında kimseden icazet almasına ihtiyacı yoktur. Zira burada söz konusu olan hakların en kutsalı olan "Yaşam Hakkı"dır.

SONUÇ VE İSTEM: Arz olunan nedenlerle;

Konuyu ekseriyetle gündemde tutmak ve kampanyaya tüm meslektaşlarımızın dâhil edilmesi adına ivedilikle ve öncelikle;

Haftalık olarak tüm baroların kendi üyelerine aşağıda yazılı ortak metni zaman kaybetmeksizin ve düzenli aralıklarla SMS ve mail olarak atılması;

"Ordu Barosu mensubu Av.Ezgi &Av.İbrahim Bayraktar adlı meslektaşlarımızın oğlu minik Demir Ali yürümek için yardımlarınızı bekliyor. Ölümcül bir genetik kas hastalığı olan SMA Tip1 ile savaşında artık FDA ve EMA onaylı tedavi umudu var. İhtiyacı olan gen terapisini alabilmesi için çok az zamanı kaldı. Hep birlikte başarabiliriz. Demir Ali'ye umut olabiliriz.

Demir Ali adına kurulan Umut Kumbarası İşletme İbanından bir şeyler satın alarak bağış yapıp aşağıdaki iban ile ona destek olabileceğiniz gibi,

İBAN: ~~TR72 0001 2009 6490 0009 0095 82~~ IBAN NO TR72 0001 2009 6490 0009 0095 82

Azime Ece Kara

Halkbankası

İletişim:05436211293

www.behopefordemirali.com

Bağlantısına tıklayarak da bağışta bulunabilirsiniz. "

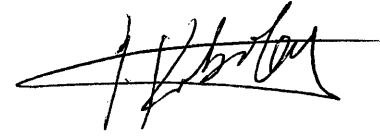
2- Her baroya konuyu açıklayıcı ve kamuoyunu harekete geçirecek bir afiş asılıp meslektaşları konudan haberdar etmek üzere çalışma yapılması (Talebin kabulü halinde tüm Barolar adına afiş hazırlanacaktır.)

3- Kamuoyu oluşturulması için tüm Baroların sosyal medya hesaplarında ve internet sitelerinde duyurular yapılmasını arz ve talep ederiz.
07.09.2020

Av. Ezgi KARA BAYRAKTAR
(Ordu Barosu 703 sicil no)



Av. İbrahim Kubilay BAYRAKTAR
(Ordu Barosu 813 sicil no)



Eki:

Genetik tanı testi örneği

Prof. Dr. Haluk TOPALOĞLU'nun tavsiye yazısı

Hastanelerden alınan davet mektupları örneği

GENETİK TANI MERKEZİ
MOLEKÜLERGENETİK LABORATUVARI

Hasta Adı: Demir Ali BAYRAKTAR
TC: 66040079192
Doğum Tarih: 03/05/2019

Endikasyon: SMA? Analiz Yöntemi: DNA Dizileme
Numune: Periferik Kan

SONUÇ: HOMOZİGOT SMN1 DELESYONU SAPTANMIŞTIR

Periferik kandan izole edilen gDNA örneği kullanılarak SMN geninin telomerik (SMN1, tel SLM) ve sentromerik (SMN2, cenSMN) kopyalarına ait ekson 7 ve ekson 8 bölgeleri PCR ile çoğaltılıp DNA dizileme yöntemi ile analiz edilmiştir.

Sonuç olarak **Homozigot SMN1 delesyonu saptanmıştır.** SMN2 geninde Homozigot delesyon saptanmamıştır.

SMN1 kopya sayısı 0, SMN2 kopya sayısı 2'dir.

NOT: Bu rapor delesyon analizini kapsamaktadır. Farklı eksonlardaki nokta mutasyonları ve gen amplifikasyonları araştırılmamıştır.

***Bu raporun klinik belirtiler ile birlikte değerlendirilmesi ve genetik danışma alınması önerilir.**

Saygılarımla.

Yrd.Doç. Dr. Murat BÜYÜKDOĞAN
Genetik Tanı Merkezi Sorumlusu
Dip. Tescil No:48823 SGK Kurum Kodu
12345138



Statement on data accuracy issues with recently approved gene therapy

For Immediate Release:

August 06, 2019

Statement From:

Director - Center for Biologics Evaluation and Research (CBER)

Peter Marks M.D., PhD.

As a public health agency, we believe that it is critical to facilitate the development of innovative safe and effective medical products, like the cellular and gene therapy products that have shown enormous potential to treat previously untreatable diseases. As part of the approval process for biological products, the agency reviews extensive information submitted by manufacturers, including details of how the product is made in a reproducible manner, how it has been tested in animals, and how it has been investigated in human clinical trials to demonstrate its safety and efficacy.

It is the manufacturer's responsibility to submit complete and accurate information in marketing applications for evaluation by the FDA. If we become aware of a concern with data submitted to the agency as part of our review of a product application, it is in the best interest of patients, their caregivers, and the public that we disclose such information, to the extent permitted by law.

On May 24, the FDA approved Zolgensma, a gene therapy product intended to treat children less than two years of age with spinal muscular atrophy (SMA) with bi-allelic mutations in the survival motor neuron 1 gene — the most severe form of SMA. SMA is a leading genetic cause of infant mortality. Subsequently, on June 28, following the FDA's approval of the product, the agency was informed by AveXis Inc., the product's manufacturer, about a data manipulation issue that impacts the accuracy of certain data from product testing performed in animals submitted in the biologics license application (BLA) and reviewed by the FDA.

The FDA is carefully assessing this situation and remains confident that Zolgensma should remain on the market. Out of the large amount of submitted information reviewed by the agency, our concerns at this time are limited to only a small portion of the product testing data that was contained in the marketing application. This product testing data was used by the manufacturer to support the development of its production process for the product. These data do not change the agency's positive assessment of the information from the human clinical trials that were conducted as part of the development program. The totality of the evidence demonstrating the product's effectiveness and its safety profile continues to provide compelling evidence supporting an overall favorable benefit-risk profile. However, the integrity of the product testing data used in the development of the product's manufacturing process is still a matter that we are continuing to evaluate and take very seriously.

Ensuring truthful, complete and accurate data in product applications is a critical component of industry's responsibility as they work to demonstrate the safety, purity, and potency of biological products. The submission of such truthful, complete and accurate data is also critical for the FDA to be able to protect the public health, and the law requires it. We are carefully assessing the issue of the manipulation of the product testing data used in the production process and are conducting a thorough assessment of the

information from a recently completed inspection. In part, this will allow us to determine the implications for the FDA's scientific review of the information in the BLA and will allow us to amend our publicly posted BLA reviews, as appropriate.

We are also aware that AveXis became aware of the issue of the data manipulation that created inaccuracies in their BLA before the FDA approved the product, yet did not inform the FDA until after the product was approved. The agency will use its full authorities to take action, if appropriate, which may include civil or criminal penalties.

We recognize that parents of, and health care professionals for, children with SMA may have questions or concerns about this information. Parents and health care professionals may contact the FDA at (800) 835-4709 or AveXis for more information. The FDA will continue to provide updates related to this statement as we learn more.

As with all biological products, health care professionals and patients (or for Zolgensma, their caregivers) should be aware of both the product's benefits and risks. The most common side effects of Zolgensma are elevated liver enzymes and vomiting. Zolgensma has a boxed warning that acute serious liver injury can occur. Health care professionals and caregivers should refer to the product package insert for additional risk information.

The FDA, an agency within the U.S. Department of Health and Human Services, protects the public health by assuring the safety, effectiveness, and security of human and veterinary drugs, vaccines and other biological products for human use, and medical devices. The agency also is responsible for the safety and security of our nation's food supply, cosmetics, dietary supplements, products that give off electronic radiation, and for regulating tobacco products.

TÜRKÇE ÇEVİRİ METNİ

Yakın zamanda onaylanan gen terapisi ile veri doğruluğu sorunları hakkında açıklama

Anında Yayınlanmak İçin:

06 Ağustos 2019

Gönderen ifade:

Direktör - Biyolojik Değerlendirme ve Araştırma Merkezi (CBER)

Peter Marks MD, PhD.

Bir halk sağlığı kurumu olarak, daha önce tedavi edilemeyen hastalıkları tedavi etmek için muazzam potansiyel gösteren hücresel ve gen terapisi ürünleri gibi yenilikçi, güvenli ve etkili tıbbi ürünlerin geliştirilmesini kolaylaştırmanın kritik olduğuna inanıyoruz. Ajans, biyolojik ürünler için onay sürecinin bir parçası olarak, ürünün tekrarlanabilir bir şekilde nasıl üretildiği, hayvanlarda nasıl test edildiği ve insan klinik deneylerinde nasıl

araştırıldığı gibi üreticiler tarafından sunulan kapsamlı bilgileri inceler. güvenliğini ve etkinliğini göstermek için.

Pazarlama uygulamalarında FDA tarafından değerlendirilmek üzere eksiksiz ve doğru bilgiler sunmak üreticinin sorumluluğundadır. Bir ürün başvurusunu incelememizin bir parçası olarak ajansa gönderilen verilerle ilgili bir endişenin farkına varırsak, yasaların izin verdiği ölçüde bu bilgileri ifşa etmemiz hastaların, bakıcılarının ve halkın yararına.

24 Mayıs'ta FDA , iki yaşından küçük çocukları spinal kaslar atrofi (SMA) ile tedavi etmeyi amaçlayan bir gen terapisi ürünü olan Zolgensma'yı , SMA'nın en şiddetli formu olan hayatta kalma motor nöron 1 genindeki bi-allel mutasyonlarla onayladı . SMA, bebek ölümlerinin önde gelen genetik nedenidir. Daha sonra 28 Haziran'da, FDA'nın ürünü onaylamasının ardından, ürünün üreticisi AveXis Inc. tarafından ajansa biyolojik lisans kapsamında sunulan hayvanlarda gerçekleştirilen ürün testlerinden elde edilen belirli verilerin doğruluğunu etkileyen bir veri işleme sorunu hakkında bilgi verildi. başvuru (BLA) ve FDA tarafından gözden geçirildi.

FDA dikkatle değerlendiriyorbu durum ve Zolgensma'nın piyasada kalması gerektiğinden emin. Ajans tarafından incelenen büyük miktardaki gönderilmiş bilgilerden şu anda endişelerimiz, pazarlama uygulamasında bulunan ürün test verilerinin yalnızca küçük bir kısmı ile sınırlıdır. Bu ürün test verileri, üretici tarafından ürün için üretim sürecinin geliştirilmesini desteklemek için kullanıldı. Bu veriler, ajansın geliştirme programının bir parçası olarak yürütülen klinik insan deneylerinden elde edilen bilgilere ilişkin olumlu değerlendirmesini değiştirmez. Ürünün etkililiğini ve güvenlik profilini gösteren kanıtların tamamı, genel bir olumlu fayda-risk profilini destekleyen ikna edici kanıtlar sağlamaya devam etmektedir. Ancak,

Ürün uygulamalarında doğru, tam ve doğru verilerin sağlanması, biyolojik ürünlerin güvenliğini, saflığını ve gücünü göstermeye çalışırken, endüstrinin sorumluluğunun kritik bir bileşenidir. Bu tür doğru, eksiksiz ve doğru verilerin sunulması, FDA'nın halk sağlığını koruyabilmesi için de kritiktir ve yasalar bunu gerektirir. Üretim sürecinde kullanılan ürün test verilerinin manipülasyonu konusunu dikkatlice değerlendiriyoruz ve yakın zamanda tamamlanmış bir incelemeden elde edilen bilgilerin kapsamlı bir değerlendirmesini yapıyoruz . Kısmen, bu, FDA'nın BLA'daki bilgilerin bilimsel incelemesinin sonuçlarını belirlememize izin verecek ve kamuya açık olarak yayınlanan BLA incelemelerimizi uygun şekilde değiştirmemize izin verecektir.

AveXis'in, FDA ürünü onaylamadan önce BLA'larında yanlışlıklara neden olan veri manipülasyonu sorunundan haberdar olduğunu, ancak ürün onaylanıncaya kadar FDA'yı bilgilendirmediğini de biliyoruz. Ajans, uygunsa, hukuki veya cezai cezalar içerebilecek önlem almak için tüm yetkilerini kullanacaktır.

SMA'lı çocukların ebeveynlerinin ve bu çocuklara yönelik sağlık uzmanlarının bu bilgilerle ilgili soruları veya endişeleri olabileceğini kabul ediyoruz. Ebeveynler ve sağlık uzmanları, daha fazla bilgi için (800) 835-4709 numaralı telefondan FDA veya AveXis ile iletişime geçebilir. Daha fazla bilgi edindikçe FDA bu beyanla ilgili güncellemeler sağlamaya devam edecektir.

Tüm biyolojik ürünlerde olduğu gibi, sağlık uzmanları ve hastalar (veya Zolgensma için bakıcıları) hem ürünün yararlarının hem de risklerinin farkında olmalıdır. Zolgensma'nın en yaygın yan etkileri, karaciğer enzimlerinin yükselmesi ve kusmadır. Zolgensma, akut ciddi karaciğer hasarının meydana gelebileceğine dair kutulu bir uyarıya sahiptir. Sağlık uzmanları ve bakıcılar, ek risk bilgileri için ürün paketi yazısına bakmalıdır.

ABD Sağlık ve İnsan Hizmetleri Bakanlığı bünyesindeki bir kurum olan FDA, beşeri ve veteriner ilaçlarının, aşıların ve beşeri kullanıma yönelik diğer biyolojik ürünlerin ve tıbbi

cihazların güvenliğini, etkinliğini ve güvenliğini temin ederek halk sađlığını korur. Ajans ayrıca ÷lkemizin gıda tedarikinin, kozmetiklerin, diyet takviyelerinin, elektronik radyasyon yayan ürünlerin güvenliğinden ve güvenliğinden ve tütün ürünlerinin düzenlenmesinden sorumludur.

8/05/2020 Zolgensma - EMEA/H/C/004750 -

[List item](#)

[Zolgensma : EPAR - Product information \(PDF/454.44 KB\)](#)

[First published: 27/05/2020](#)

Available languages (24)

Contents

Annex I - [Summary of product characteristics](#)

Annex IIA - Manufacturing-authorisation holder responsible for batch release

Annex IIB - Conditions of the [marketing authorisation](#)

Annex IIIA - [Labelling](#)

Annex IIIB - [Package leaflet](#)

Please note that the size of the above document can exceed 50 pages.

You are therefore advised to be selective about which sections or pages you wish to print.

[List item](#)

[Zolgensma : EPAR - All authorised presentations \(PDF/84.84 KB\)](#)

[First published: 27/05/2020](#)

Available languages (24)

Pharmacotherapeutic group

Other drugs for disorders of the musculo-skeletal system

Therapeutic indication

Zolgensma is indicated for the treatment of:

patients with 5q spinal muscular atrophy (SMA) with a bi-allelic mutation in the SMN1 gene and a clinical diagnosis of SMA Type 1, or

patients with 5q SMA with a bi-allelic mutation in the SMN1 gene and up to 3 copies of the SMN2 gene.

Assessment history

Initial marketing-authorisation documents

[List item](#)

[Zolgensma : Orphan maintenance assessment report \(initial authorisation\) \(PDF/389.96 KB\)](#)

[Adopted](#)

[First published: 27/05/2020](#)

[EMADOC-2005359794-17637](#)

[List item](#)

[Zolgensma : EPAR - Public assessment report \(PDF/3.5 MB\)](#)

[Adopted](#)

[First published: 27/05/2020](#)

[EMA/200482/2020](#)

[List item](#)

[CHMP summary of positive opinion for Zolgensma \(PDF/133.25 KB\)](#)

Adopted

First published: 27/03/2020

EMA/106773/2020

News

Meeting highlights from the Committee for Medicinal Products for Human Use (CHMP) 23-26 March 2020 (updated)

27/03/2020

New gene therapy to treat spinal muscular atrophy (corrected)

27/03/2020

TÜRKÇE ÇEVİRİSİ

Liste ögesi

Zolgensma: EPAR - Ürün bilgileri (PDF / 454.44 KB)

İlk yayınlanma tarihi: 27/05/2020

Mevcut diller (24)

İçindekiler

Ek I - Ürün özelliklerinin özeti

Ek IIA - Seri serbest bırakmadan sorumlu üretim yetkisi sahibi

Ek IIB - Pazarlama ruhsatının koşulları

Ek IIIA - Etiketleme

Ek IIIB - Paket broşürü

Lütfen yukarıdaki belgenin boyutunun 50 sayfayı geçebileceğini unutmayın.

Bu nedenle, hangi bölümleri veya sayfaları yazdırmak istediğiniz konusunda seçici olmanız tavsiye edilir.

Liste ögesi

Zolgensma: EPAR - Tüm yetkili sunumlar (PDF / 84,84 KB)

İlk yayınlanma tarihi: 27/05/2020

Mevcut diller (24)

Farmakoterapötik grup

Kas-iskelet sistemi bozuklukları için diğer ilaçlar

Terapötik endikasyon

Zolgensma aşağıdakilerin tedavisi için endikedir:

SMN1 geninde bi-allelilik mutasyonu olan ve SMA Tip 1 klinik tanısı olan 5q spinal musküler atrofi

(SMA) olan hastalar veya

SMN1 geninde bi-allelilik mutasyonlu 5q SMA ve SMN2 geninin 3 kopyasına kadar olan hastalar.

Değerlendirme geçmişi

İlk pazarlama izni belgeleri

Liste ögesi

Zolgensma: Yetim bakım değerlendirme raporu (ilk yetkilendirme) (PDF / 389,96 KB)

Kabul Edilen

İlk yayın tarihi: 27/05/2020
EMADOC-2005359794-17637

Liste ögesi

Zolgensma: EPAR - Genel değerlendirme raporu (PDF / 3.5 MB)

Kabul Edilen

İlk yayınlanma tarihi: 27/05/2020
EMA / 200482/2020

Liste ögesi

Zolgensma için olumlu görüşün CHMP özeti (PDF / 133,25 KB)

Kabul Edilen

İlk yayınlanma tarihi: 27/03/2020
EMA / 106773/2020

Haberler

23-26 Mart 2020 Beşeri Tıbbi Ürünler Komitesi (CHMP) toplantısı özeti (güncellendi)

27/03/2020

Spinal kaslar atrofiyi tedavi etmek için yeni gen tedavisi (düzeltildi)

27/03/2020



HALUK TOPALOGLU

22.08.2020

Kime: Ezgi KARA >

Sizin için şöyle bir metin hazırladım.

İlgili makama,

Zolgensma SMA hastalığı için Amerika ve Avrupa ilaç idareleri tarafından kabul edilmiş bir gen tedavisidir. 2 yaşın altındaki çocuklarda damar yolu ile verilebilir. İlk araştırmalar bu tedavi yönteminin etkin olabileceğini göstermektedir. Vaka bazında farklı olma üzere giderek artan bir şekilde kullanımı tavsiye edilmektedir. Demir Ali Bayraktar için de bu yönetemin denenmesini (halihazırda almakta olduğu nisinersen'e ek olarak) önermekteyim. Prof. Haluk Topaloğlu

DESTEK VE YARDIM KAMPANYASI İLE İLGİLİ YURT GENELİNDE YER ALMIŞ HABER BAŞLIKLARI

<https://www.google.com.tr/amp/s/www.trthaber.com/haber/turkiye/16-aylik-sma-hastasi-demir-ali-yardimseverlerin-destegini-bekliyor-509850.html/amp>

<https://m.youtube.com/watch?v=pnYfwpNAPZ0>

<https://m.youtube.com/watch?v=M60iYwknmf4>

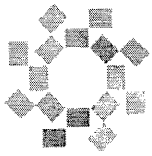
<https://www.ihha.com.tr/video-sma-hastasi-16-aylik-demir-ali-hayata-tutunmaya-calisiyor-142527/>

<https://www.google.com.tr/amp/s/www.hurriyet.com.tr/amp/gundem/tedavisi-icin-kampanya-duzenlenen-16-aylik-demir-ali-yardim-bekliyor-41591498>

<https://eksisozluk.com/sma-hastasi-demir-ali-bebek-icin-umut-ol-kampanyas--6634428>

<https://www.cumhuriyet.com.tr/haber/sma-hastasi-demir-ali-icin-210-bin-kisi-araniyor-1760358>

<https://newsbeezer.com/turkeyeng/the-16-month-old-demir-ali-who-is-committed-to-his-treatment-is-waiting-for-help/>



Hackensack Meridian Children's Health at Joseph M. Sanzari Children's Hospital

International Patient Services

Hackensack Meridian Children's Health at Joseph M. Sanzari Children's Hospital. Welcomes patients from around the world.

Ranked among the top 50 Best Children's Hospitals by US News and World Report 2019-20 in both Cancer and Neurology and Neuro-surgery, Joseph M. Sanzari Children's Hospital is a leader in the field of pediatric medicine using outstanding diagnostic skills, advanced technologies, and breakthrough treatments to change lives of both domestic and international patients. We understand the difficulties of managing your health care alone, especially in a foreign setting. Our team is committed to providing international patients, and their families, with the best health care experience.

Medical Coordination

Patients and their families will have direct access and open communication with our care team, comprised of dedicated professionals, who assist prospective patients with information regarding treatment expectations, duration and answer any questions you may prior to your visit.

Spinal Muscular Atrophy (SMA)

ZOLGENSMA® (onasemnogene abeparvovec-xioi) is a one-time infusion that is used to treat children under 2 years old diagnosed with SMA. Prior to your first appointment, our financial team will work to confirm insurance benefits, if applicable. For self-pay patients, you will be provided with a comprehensive estimate of charges to provide patients with a better understanding of financial expectations. Our team will also assist patients in researching alternative payment options.

Patient Support

Our patient support services begin the moment you contact us and continue throughout your stay. We are committed to accommodating the needs of our patients and their families, while providing a comfortable, healing environment. Some ways we can help support patients include:

- Coordination of Treatment
- List of Hotel Partners
- Transportation information
- Religious and Chaplain Services information

Interpretation Services

We have interpreters on staff to ensure families and doctors can easily communicate. Our network of language service providers have been able to successfully provide interpreters in even the rarest languages. Our team provides immediate access to interpreters through a combination of in-person, video or telephonic interpretation.

Telemedicine

Telemedicine currently provides immediate, interactive access via videoconferencing to virtually any of Joseph M. Sanzari Children's Hospital's pediatric specialists. This technology has been used around the world to help facilitate care and treat critically ill children.

How to Begin

Step 1: Prepare your child's medical history and information

Please fill out, sign and email our release of information consent and email with your child's available medical records to our email: jmschneuro@hackensackmeridian.org. Please be sure all documents are translated prior to emailing. Once our team receives this documentation, they will reach out to discuss next steps.

Step 2: Medical record review

Our medical services support team will review your child's medical information and will schedule appointments with both our pediatric neurology and pediatric genetics departments.

Step 3: Financial review

The financial estimate range is between \$2.15 - \$2.2 million. You must provide full payment before treatment begins at Joseph M. Sanzari Children's Hospital. In order to proceed with treatment, we require a wire transfer of funds to our bank in the amount of \$2,152,069.25 five business days before your planned visit. Our Financial Counselors will provide bank information and wire instructions in a separate email.

Step 4: Your arrival

At your first visit with our care team, they will arrange for the AAV9 and SMA testing to be done as it is necessary in order to confirm treatment qualification. This is no additional cost to the family as it is a requirement prior to approving treatment.

Step 5: Treatment initiation

Once steps 1 through 4 are completed, treatment is scheduled approximately 10 days after treatment qualifications are met.

Contact Us

If you'd like to learn more about our services or have questions, please contact us by emailing jmschneuro@hackensackmeridian.org. Our care team is ready to help you navigate all aspects of your/your child's care.

Diagnosis SMA
DRG 056
DX G12.1

Description	Rev Code Description	CPT/HCPCS	Self- Pay International Patient Rate	Qty	Total Due
			\$ -	8	\$ -
PDAR 15 MIN TIME CHARGE	PATIENT CONVENIENCE ITEMS - OTHER	G0378	\$ 350.00	8	\$ 2,800.00
OBSERVATION SERVICE PER HR	SPECIALTY ROOM - TREATMENT/OBSERVATION ROOM - OBSERVATION ROOM (A)		\$ 26.00	1	\$ 10,488.00
SENSOR OSM OXMX NEO/ADLT ADH	PATIENT CONVENIENCE ITEMS - OTHER	J7512	\$ 2.97	12	\$ 35.63
Prednisone 5 MG/5ML Soln	PHARMACY - EXTENSTION OF 025X	J7512	\$ 2,125,000.00	1	\$ 2,125,000.00
ONASEMNOGENE ABEPARVOVEC-XIOI 8X8.3 ML KIT	PHARMACY - EXTENSTION OF 025X	90403	\$ 1,357.00	1	\$ 1,357.00
VENTILATION ASSIST & MGMT INPATIENT EA SUBSQ DAY	RESPIRATORY SERVICES - GENERAL CLASS	96365	\$ 873.00	1	\$ 873.00
IV INFUSION THERAPY/PROPHYLAXIS/DX 1ST TO 1 HR	IV THERAPY - GENERAL CLASS		\$ 52.00	1	\$ 52.00
FLUID DELIVERY SYSTEM	MEDICAL/SURGICAL SUPPLIES AND DEVICES - STERILE SUPPLY		\$ 24.00	1	\$ 24.00
TUBING 96IN SINGLE PACK	MEDICAL/SURGICAL SUPPLIES AND DEVICES - STERILE SUPPLY		\$ 2.42	1	\$ 2.42
ONADANSETRON 4MG/5ML SOLN	PHARMACY - GENERAL CLASS		\$ 0.25	1	\$ 0.25
RANITIDINE 15 MG/ML SYRP	PHARMACY - GENERAL CLASS		\$ 0.65	3	\$ 1.95
LEVETIRACETAM 100 MG/ML SOLN	PHARMACY - GENERAL CLASS	15001	\$ 43.00	10	\$ 430.00
COLLECTION VENOUS BLOOD VENIPUNCTURE	LABORATORY	80053	\$ 275.00	10	\$ 2,750.00
COMPREHENSIVE METABOLIC PANEL	LABORATORY - CHEMISTRY	84484	\$ 146.00	10	\$ 1,460.00
TROPONIN LEVEL	LABORATORY - CHEMISTRY	85025	\$ 135.00	10	\$ 1,350.00
CBC AUTO W/DIFF	LABORATORY - HEMATOLOGY	85610	\$ 88.00	10	\$ 880.00
PROTHROMBIN TIME (PT)	LABORATORY - HEMATOLOGY	85730	\$ 104.00	10	\$ 1,040.00
ACTIVATED PARTIAL THROMBOPLASTIN TIME (PTT)	LABORATORY - HEMATOLOGY				
					Subtotal \$ 2,148,544.25

Professional Charges	CPT	Prompt Pay Amt	Qty	Total
Outpatient New	99205	\$ 345.00	2	\$ 690.00
Established Patient	99215	\$ 245.00	10	\$ 2,450.00
PR IV Infusion Therap/Proph/Diag/Initia 1st hr	96365	\$ 125.00	1	\$ 125.00
PR IV Infusion Therap/Proph/Diag/ea add hr	96366	\$ 75.00	1	\$ 75.00
PR IV Infusion Therap/Proph/Diag/add seq. hr	96367	\$ 110.00	1	\$ 110.00
PR IV Infusion	96368	\$ 75.00	1	\$ 75.00
				Subtotal \$ 3,525.00
				Grand Total \$ 2,152,069.25



MRE BETHESDA GYERMEKKÓRHÁZA
H-1146 Budapest Bethesda u. 3.

WWW.BETHESDA.HU
BETHESDA@BETHESDA.HU

TEL.: (06 1) 920 6000, FAX: (06 1) 364 90 70

Dear Parents

We would like to thank you for your enquiry regarding the opportunity of having your child undergo ZOLGENSMA® gene therapy.

At Bethesda Children's Hospital of the Reformed Church in Hungary we have been delivering chargeable gene replacement therapy to treat spinal muscular atrophy (corrected) at the official request of parents since October 2019. Eligibility for treatment does, of course, depend on your child meeting the necessary criteria and their medical test results not suggesting treatment to be contraindicated.

Below we have summarised for you all the most important details to ensure that, as parents, you are fully informed about the entire treatment process.

The primary conditions for admission to the programme are the following ZOLGENSMA® gene therapy indications:

Either

5q spinal muscular atrophy (SMA) with biallelic SMN1 gene mutation and the underlying clinical diagnosis is SMA-1

Or

5q SMA with biallelic SMN-1 gene mutation with at most 3 copies of the SMN2 gene

Additional medical criteria to be met in order for the treatment to be carried out:

Your child:

1. does not require invasive ventilation
2. has no acute or uncontrolled infection
3. does not take medication for neuromuscular disorders (exception for Nusinersen) or diabetes
4. has not undergone immunosuppressive therapy (steroids, cytostatica, immunoglobulin) within the 3 months prior to the proposed date of undergoing ZOLGENSMA® gene therapy
5. in the event your child was born prematurely, their present age is not less than the full-term pregnancy

You must provide the necessary certified medical documents in English to verify your child meets all these criteria

What is ZOLGENSMA® gene therapy?

ZOLGENSMA® (onasemnogene abeparvovec-xioi) is a gene therapy used in the treatment of muscular dystrophy (spinal muscular atrophy (SMA)) in children under a weight of 21kg, which was granted valid marketing authorisation as a registered drug treatment across the entire territory of the European Union on 18 May 2020.

ZOLGENSMA® is administered as a single-dose intravenous infusion, which is then followed by medical monitoring and at least 3 months of treatment and care in the country where the medicine was administered.

Costs involved in delivering the entire gene therapy treatment

- cost of the ZOLGENSMA® medicine
- cost of 3 months' follow-up treatment and care

Total cost of the entire gene therapy treatment: 2,132,000 EUR

Gene therapy treatment includes the following health services, and supplementary and related services:

- carrying out the preparatory work for the treatment itself
- ensuring the proper hygiene standards of the hospital
- procuring and properly storing the medicine
- providing, preparing and administering the medicine
- hospitalisation for the time the medicine is administered
- 3 months' treatment delivered as outpatient care
- conducting on-going physical examinations and laboratory tests
- calibrating medication doses
- delivering supplementary immunosuppressive drug therapy
- dealing with complications, if necessary through hospitalisation
- conducting additional examinations depending on your child's actual condition (imaging examinations, consultation with specialists etc.)
- calibrating medical devices in the event of non-invasive ventilation
- repairing or replacing medical devices in the event of failure
- providing dietary advice,
- optimising nutrition
- tube feeding if necessary and regular tube replacement.

A 3-month period of treatment takes place once the medicine has been administered, which will require you moving to Budapest, Hungary

Cost of delivering the entire gene therapy treatment does NOT include:

- travel to and from Hungary, accommodation and living costs during your stay in Hungary
- patient care beyond the specified 3-month treatment period

Bethesda Children's Hospital can upon request help in booking suitable accommodation for the duration of your stay in Hungary.

At your request Bethesda Children's Hospital can provide you with a quotation for your child's entire gene therapy treatment. However, in order for us to be able to prepare your quotation, we will need you to provide us with the following details:

- the full name of the foundation / insurance provider / private individual covering the cost of the treatment
- their registered address or, in the case of a private individual, their permanent residential address
- tax number
- bank account number.

Further important information regarding the procedure

1. You take the decision as parents to have your child undergo gene therapy at Bethesda Children's Hospital in Budapest, Hungary, and prepare and forward a **Parental Letter of Intent** (based on a sample statement provided by Bethesda Children's Hospital) to this effect
2. **You provide documented proof** that sufficient funds are available to cover the entire cost of the treatment
3. You provide us with the contact details for your child's local treating doctor
4. Bethesda Children's Hospital sends important documents relating to the gene therapy to you and your child's local treating doctor requesting information from you both
5. Bethesda Children's Hospital contacts your child's local treating doctor to request an official English language translation of your child's health records and a video recording of your child
6. Bethesda Children's Hospital requests certain examinations be carried out and an official English language translation of the results be sent to us
7. The requested examinations are carried out in your country of residence and Bethesda Children's Hospital evaluates the examination results in order to facilitate decision-making in your child's case and assess whether your child meets the gene therapy indications
8. Local treating doctor **provides an official statement** to the effect that they will undertake aftercare of your child at the local SMA Centre in your country of residence upon your return home
9. Once our doctors have studied your child's complete medical records, Bethesda Children's Hospital will make a decision on your child's suitability for gene therapy and, provided there are no contraindications, on undertaking your child's treatment
10. Bethesda Children's Hospital plans the gene therapy and draws up a treatment schedule
11. You will need to move to Budapest, Hungary 2 weeks prior to the proposed date of the gene therapy being administered
12. We meet you in person at Bethesda Children's Hospital for a detailed briefing and to answer any further questions you may have, to sign the necessary legal documents and to examine your child
13. The total cost of the entire gene therapy treatment is credited to Bethesda Children's Hospital bank account upon which the medicine will be ordered