

İNSANİ AMAÇLI İLACA ERKEN ERİŞİM PROGRAMI KILAVUZU

“COMPASSIONATE USE”

1. Amaç

Bu program, ülkemizde Bakanlıkça ruhsatlandırılmış ve ulaşılabilir mevcut tıbbi ürünlerle tedavisi başarısız olmuş ciddi veya acil, hayatı tehdit edici bir hastalığı olan ve bu konuda düzenlenmiş klinik araştırmalar kapsamına alınamayan hastalara; ülkemizde ruhsatlı olmayıp, diğer ülkelerde ruhsatlı olan veya olmayan ilacın, ilacı geliştiren/temin eden firma tarafından insani gerekçelerle ücretsiz temin edilmesini amaçlayan bir düzenlemedir.

2. Programın Uygulanacağı Hastalar

“Amaç” kısmında da belirtildiği üzere, bu program ülkemizde mevcut tıbbi ürünlerle tedavisi başarısız olmuş, acil olarak hayatı tehdit eden ya da sekele yol açan bir hastalığa maruz kalmış olan ve bu konuda düzenlenmiş klinik araştırmalar kapsamına alınamayan, hastalığı hekim tarafından teşhis edilerek bu program dahilinde tedaviye alınması sorumluluğu yazılı olarak üstlenilmiş ve İlaç ve Eczacılık Genel Müdürlüğü’ne bildirilmiş olan hastalara uygulanır.

3. Programın Kapsamı

Bilimsel olarak izah edilebilir, çok nadir istisnai durumlar dışında, Dünyada en az Faz-II çalışmaları tamamlanmış ve Faz-III çalışmaları başlamış olan ilaçlar bu programa alınmaktadır. Bir ilacın bu programa alınabilmesi için ülkemiz dahilinde Faz çalışmaları yapılması şartı aranmaz.

Bu program klinik ilaç araştırması değildir. Programı yürüten hekim/hekimlere herhangi bir ad altında ödeme yapılamaz.

Bu programda ilacın etkililiği ile ilgili bilgi toplanılması amaçlanmaz ve bu tür bilgiler toplansa dahi, bu bilgiler Sağlık Bakanlığı tarafından ilacın ruhsatlandırılmasıyla ilgili prosedürlerde kullanılmaz.

4. İzin Alma Yöntemi

Söz konusu ilacın kullanılmasını öngören hekim Ek-1 de belirtilen dosya içeriği ile İlaç ve Eczacılık Genel Müdürlüğü’ne başvurur.

5. Programın Yürütülme Şekli

Bu program “hasta” bazında uygulanır.

Bu program eğitim ve araştırma hastanelerinin yanısıra, uygulama yapılacak yer yönünden yeterliliği onaylanmış devlet hastaneleri ile özel hastanelerde de uygulanabilir. Ancak polikliniklerde, özel muayenehanelerde, sağlık ocaklarında ve dispanserlerde uygulanamaz.

Tedavi sırasında ortaya çıkan advers etkiler, advers etki bildirim formu doldurularak yürürlükteki ilgili mevzuatta tanımlanan sürelerle uymak kaydı ile İlaç ve Eczacılık Genel Müdürlüğü’ne bildirilir. Uygulama sırasında ilacın kullanıldığı hastalarda ortaya çıkan ölümler (program ilacı ile ilgisi olsun veya olmasın) ve ciddi advers olaylar sekiz gün içinde İlaç ve Eczacılık Genel Müdürlüğü’ne bildirilir.

İlacın kullanımı sırasında yapılacak rutin tetkikler dışında hiçbir tetkik ücreti hastaya ya da geri ödeme kurumuna ödettirilemez. Bu husus Ek-2 de yer alan taahhünameye belirtilmek zorundadır.

Tedaviye alınan hastanın; tedaviden yarar görüp görmediği ve ortaya çıkan advers etkiler, sıralama listesi (Ek-3) halinde İlaç ve Eczacılık Genel Müdürlüğü’ne üç ayda bir bildirilir.

Ek-4’de yer alan formun altı ayda bir İlaç ve Eczacılık Genel Müdürlüğü’ne bildirilmesi gerekmektedir.

Firma hekime yayın yasağı koyamaz. Ancak hekim yapılacak yayından bir ay önce firmayı bilgilendirir. İlacın etkililik ve/veya güvenliliği ile ilgili olarak yapılacak yayında;

verilerin insani amaçlı ilaca erken erişim programına ait veriler olduğu ve faz çalışması verilerini yansıtamayacağı ibaresi bariz şekilde eklenmelidir.

Hekim, insani amaçlı ilaca erken erişim programına dahil edilen hastanın ilacı ile ilgili olarak; bu program devam ettiği sürece, endikasyon dışı ilaç kullanımı çerçevesinde ve reçete bazında, İlaç ve Eczacılık Genel Müdürlüğü'nün başka bir birimine aynı zamanda başvuruda bulunamaz ve bunu taahhüt etmek zorundadır.

Başvuru ile ilgili yazışmalar, başvuru sahibi hekim veya firma ile yapılabilir.

6. Programın Sonunda Sunulacak Rapor

Program sonunda İlaç ve Eczacılık Genel Müdürlüğü'ne bir rapor sunulur. Rapor içeriğinde:

1. Programa alınan hasta ve hastalığıyla ilgili olarak:
 - Hastanın ad ve soyadının baş harfleri,
 - Yaşı,
 - Cinsiyeti,
 - Ağırlığı,
 - Teşhisi (hastaya konulan teşhis),
 - Hastalığın evresi,
 - Hastaya önceden uygulanmış tedaviler,
 - Kullanılan ilaçlar ve miktarları,
 - İlaça başlandığında hastalığın evresi,
 - İlaçtan yarar görüp görmediği (yarar; “laboratuar bulgularında düzelme, lezyonlarda küçülme, hasta yaşam kalitesinde göreceli iyileşme” gibi mümkünse anlaşılabilir klinik, radyolojik ve laboratuar parametreler ile ifade edilmelidir),
2. Advers olaylara ait sıralama listesi özet cetveli (Ek-3),
3. Programın yürütülmesinin hastaya fayda sağlanıp sağlanmadığı ile ilgili genel kanaat,
4. Programla ilgili olarak; sonuç, gözlem ve öneriler

bulunmalıdır.

7. Programın Sonlandırılması

Hekimi tarafından hastanın fayda gördüğü belirtilen tedavi programı, firma tarafından tek taraflı olarak sonlandırılmaz. Firma, Türkiye’de ruhsat alana kadar ilacı temin etmekle yükümlüdür. Firma, talep eder ve İlaç ve Eczacılık Genel Müdürlüğü uygun bulursa ilacı geri ödeme listesine girene kadar da temin edebilir.

İlacın güvenliliği ile ilgili risk/yarar profili yönünden olumsuz kanaat oluşması durumunda uygulama, hekim ve/veya İlaç ve Eczacılık Genel Müdürlüğü'nce sonlandırılır.

Firma, İlaç ve Eczacılık Genel Müdürlüğü'nce bu programdan fayda gördüğü tespit edilen hastaların ilacını tedavi bitene kadar temin eder.

8. Yürürlükten Kaldırılan Düzenlemeler

20.07.2006 tarihli ve 2006/86 sayılı İnsani Amaçlı İlaça Erken Erişim Programı Genelgesi yürürlükten kaldırılmıştır.

9. Yürürlük

Bu kılavuz 01.01.2009 tarihinde yürürlüğe girer.

EK - 1
İnsani Amaçlı İlaça Erken Erişim Programı Başvurusu Sırasında
Bulundurulması Gereken Bilgi ve Belgeler

1. Programın Adı,
2. Söz Konusu Program Dahilinde İlacın Hastada Kullanılmasının Gerekçesi,
3. Hasta Epikrizi,
4. Kullanılacak İlacın Miktarı,
5. Hekime Ait Yeni Tarihli İmzalı Özgeçmiş (aslı),
6. İlaç Yurtdışında “Compassionate Use” Programında Kullanılıyorsa Buna Ait Bilgi,
7. Destekleyen Kuruluş/Firmanın Adı ve Ünvanı,
8. Firmaya Ait Noter Tasdikli İmza Sirküleri,
9. Programla İlgili Temas Kurulacak Kişi,
10. Öngörülen Program Süresi,
11. Programın Yapılacağı Yer,
12. Programın Yürütülme Şekli,
13. Hastaya Yapılacak Rutin Tetkiklerin Hekim Tarafından Onaylanmış/İmzalanmış Detaylı Listesi,
14. İlacın Formülü,
15. İlacın Etki Mekanizması,
16. İlacın Etiket Örneği,
17. İlaçla İlgili Şimdiye Kadar Yapılmış Preklinik ve Klinik Çalışmalar,
18. İlacın Öngörülen Dozu,
19. İlacın Muhafaza Şartları,
20. İlacın Diğer İlaç, Besin, Kimyasal Madde ve Laboratuvar Analiz Yöntemleri ile Etkileşimi,
21. İlacın Güvenliliğiyle İlgili Bilgiler,
22. Hasta Olur Formu Örneği (Ek-7),
23. Advers Etki İzleme Form Örneği,
24. Hekimin Sorumlulukları ve Uyacağı Kuralları Gösteren Taahhütname (Ek-2),
25. Destekleyen Kuruluş ile Hekim Arasında Sorumlulukların Paylaşılmasını Gösteren Belge,

Not: 6,7,8,14,15,16,17,19,20,21,23. maddelerde belirtilen hususlar sadece programa ait ilk başvuruda sunulacak olup, ancak bu bilgi ve belgelerde bir değişiklik olduğunda yeniden sunulacaktır ve bu değişikliklerin sunulacağı bilgisi firma tarafından taahhüt edilecektir.

EK - 2
İnsani Amaçlı İlaç Erken Erişim Programı ile İlgili
Taahhütname Örneği

..... adlı “İnsani Amaçlı İlaç Erken Erişim Programı”na katılmayı; bu çerçevede

1. Helsinki Bildirgesi'nin son metninin, İnsani Amaçlı İlaç Erken Erişim Programı'nın ve Hasta Hakları Yönetmeliği'nin gereklerini yapacağımı,
2. Programa dahil edilen hastaların kişisel bilgilerinin gizliliği esasına uyacağımı,
3. İlaçın kullanımı sırasında yapılacak rutin tetkikler dışında hiçbir tetkik ücretinin hastaya veya geri ödeme kurumlarına ödetilmeyeceğini,
4. Programa dahil edilen hastanın tedavisi süresince, endikasyon dışı ilaç kullanımı amacıyla ilgili ilaç için reçete onayı talep etmeyeceğimi

beyan ve taahhüt ederim.

Hekimin;

Adı/Soyadı/Ünvanı :

Kurumu :

Tarih :

İmzası :

EK - 3
Advers Olaylar Sıralama Listesi

Hastanın:

1. Yaşı,
2. Cinsiyeti,
3. Ülkesi,
4. Aldığı günlük doz (mg/gün),

Advers etkinin:

1. Başlangıç tarihi veya etkinin başlamasına kadar geçen süre,
2. Tedavi tarihleri veya tedavi süresi,
3. Etkinin tanımı,
4. Sonuç,
5. Sonuçla ilgili yorum.

Ek - 4

İnsani Amaçlı İlaç Erken Erişim Programı Altı Aylık Bildirim Formu

1. Programın Adı,
2. Programa Dahil Olan Hekimlerin Listesi (Sorumlu Hekimlerin Adı/Ünvanı, Bağlı Olduğu Sağlık Kuruluşunun Adı, Takip Ettiği Hastanın Ad ve Soyadlarının İlk İki Harfi),
3. Programa Dahil Edilen Sağlık Kuruluşlarının Listesi,
4. Programa Dahil Edilen Hasta Sayısı,
5. Hastaların Programa Dahil Edildiği Tarihler,
6. Programa Devam Eden Hasta Sayısı,
7. Programa Devam Eden Hastaların Mevcut Durumu Hakkında Bilgi,
8. Program Dahilinde İthal Edilen İlaç Miktarı.
9. Hastaların ilaçtan yarar görüp görmediği (yarar; “laboratuvar bulgularında düzelme, lezyonlarda küçülme, hasta yaşam kalitesinde göreceli iyileşme” gibi mümkünse anlaşılabilir klinik, radyolojik ve laboratuvar parametreler ile ifade edilmelidir),
10. Advers olaylar sıralama listesi özet cetveli
11. Programın yürütülmesinin hastaya fayda sağlanıp sağlanmadığı ile ilgili genel kanaat,
12. Programla ilgili olarak; gözlem ve öneriler

Ek - 5
Hasta Epikrizi Örneđi

Hastanın Bař harfleri	XX.YY. řeklinde
-----------------------	-----------------

Cinsiyet:	<input type="checkbox"/> Erkek <input type="checkbox"/> Kadın
Dođum Tarihi:	XX/YY/ZZZZ řeklinde
Hastanın Yařı:	Hastanın Ađırlıđı:

Sorumlu Hekim Adı:	
Hekimin Grev Yaptıđı	
Kurumun/Hastanenin Adı:	
Adres (Sokak, řehir, lke)	

Gncel Teřhis:
İlk Teřhis Tarihi:
Hastada kullanılacak toplam ila sayısı:
Hastalıđın Evresi:

Hastaya daha nce uygulanmıř olan tedavi yntemleri:
--

Gemiř Tedaviler:				
Tedavi	Doz	Bařlangı Tarihi	Bitiř Tarihi	Advers Olaylar

Hastanın tıbbi yks, diđer mevcut rahatsızlıkları: (GI, bbrek, v.s. gibi organ rahatsızlıklarını belgelendiriniz)

Hastanın Kullanmakta Olduđu Diđer İlalar:
1.
2.
3.
4.
5.
Diđer:

Test Sonuları: AŐađıdaki testlerin en son sonularının belirtilmesi zorunludur. Sonular forma kaydedilebilir veya ayrı dokümanlar halinde eklenebilir.

Laboratuar Bulguları:

Hematolojik Testler:

Biyokimyasal Testler:

Tümör Markerları:

Sitogenetik Testler:

Kemik İliđi Biyopsisi:

BT:

MR:

Sintigrafi:

US:

Bcr-Abl Seviyeleri:

EKG:

Mutasyon Analizi :

- 1)En kısa sürede yanıt alabilmek için, tüm soruları cevapladığımızdan emin olunuz.
- 2)Hastanın mevcut tüm laboratuar sonularını bu forma eklemenizi rica ederiz.
- 3)Yukarıda belirtilen maddeler hastalığa göre modifiye edilebilir.
- 4)**Lütfen aŐađıda belirtilen bölüme sorumlu hekim isim, kaŐe ve imzasını atınız.**

Sorumlu Hekim:

İmza:

Tarih:

Ek - 6
Rutin Tetkiklerin Listesine Ait Örnek

- 1) Fizik Muayene; vital bulgular,
(Genel görünüm, cilt, tiroit dahil boyun, gözler, kulaklar, burun, boğaz, akciğerler, kalp, karın, sırt, lenf düğümleri, ekstremiteler, nörolojik inceleme, vücut sıcaklığı, ağırlık, nabız hızı, kan basıncı, boy ve vb.)
- 2) Hematolojik Testler
(Tam kan sayımı)
- 3) Biyokimyasal Testler
(Açlık kan şekeri, üre, BUN, kreatinin, LDH, total protein, fosfor, serum düzeltilmiş kalsiyumu, elektrolitler(sodyum, potasyum, magnezyum ,klorür ve vb.), total bilirubin, GGT, albümin, alkalen fosfataz, AST(SGOT), ALT(SGPT), ürik asit ve vb.)
- 4) İdrar Analizi
Mikroskopik inceleme (WBC/HPF, RBC HPF ve silendirler)
Makroskopik inceleme (özgül ağırlık, pH, protein, glukoz, bilirubin, ketonlar, kan hücreleri ve lökositler)
- 5) Koagülasyon Paneli
- 6) Elektrokardiyogram
(Standart 12 derivasyonlu EKG)
- 7) Radyolojik Testler:
 - Röntgen
 - BT
 - MR
 - US
 - Diğer
- 8) Sintigrafi:
- 9) Kemik İliği Analizi:
- 10) Sitogenetik İnceleme
- 11) Gebelik Testi:
(Çocuk doğurma potansiyeline sahip kadınlarda çalışma ilacının verilmesinden önceki 14 gün içerisinde bir serum gebelik testi yapılmalıdır.)

1) Hastanın mevcut tüm laboratuvar sonuçlarını (son bir ay içindeki) bu forma eklemenizi rica ederiz.

2) Yukarıda belirtilen maddeler hastalığa göre modifiye edilebilir.

3) Lütfen aşağıda belirtilen bölüme sorumlu hekim isim, kaşe ve imzasını atınız.

Sorumlu Hekim:

İmza:

Tarih:

İnsani Amaçlı İlaç Erken Erişim Programı Hasta Olur Formu Örneği**Programın Adı:****Program Kodu:****Sorumlu Hekimin;** (Bu bölüm hekim tarafından doldurulacaktır)**Adı- Soyadı****İmzası****Tarih****Lütfen Dikkatlice Okuyunuz!**

Bu programa katılmak üzere davet edilmiş bulunmaktasınız. Bu programda yer almayı kabul etmeden önce programın ne amaçla yapılmak istendiğini anlamanız ve kararınızı bu bilgilendirme sonrası özgürce vermeniz gerekmektedir. Size özel hazırlanmış bu bilgilendirmeyi lütfen dikkatlice okuyunuz.

- **Programın Amacı nedir?**
- **Katılma Koşulları nedir?**
- **Nasıl bir uygulama yapılacaktır?**
(İlaç hangi dozda günde kaç kere kullanılacağı, yapılacak olan tetkiklerin (kan, idrar, görüntüleme yöntemleri gerekirse biyopsi vb.) neler olacağı konusunda hasta bilgilendirilecektir)
- **Sorumluluklarım nedir?**
(Ziyaret aralıkları v.b.)
- **Katılımcı sayısı nedir?**
- **Katılımım ne kadar sürecektir?**
- **Programa katılma ile beklenen olası yarar nedir?**
- **Programa katılma ile beklenen olası riskler ve rahatsızlıkları nelerdir?**
(Söz konusu ilacın olası zararlarından en yaygından başlamak üzere en seyrek görülen zararına kadar açıkça belirtilmeli, söz konusu maddeye ya da diğer bileşenlerinden herhangi birine duyarlılığı olan hastalarda kullanılmaması ve varsa hayvan çalışmalarının sonuçlarının da belirtilmesi gerekmektedir.)
- **Alternatif tedavi yöntemleri nelerdir?**
(Hasta için uygun/avantajlı olabilecek tüm alternatif işlemler ya da tedavi kürleri, bunların önemli olası yararları ve riskleri hastaya sorumlu hekim tarafından açıklanmalıdır.)
- **Gebelik ve Emzirme Dönemindeki Kullanımına İlişkin bilgiler**
- **Program süresince birlikte kullanılmasının sakıncalı olduğu bilinen ilaçlar/besinler nedir?**
- **İlacın saklama koşulları nelerdir?**
- **Hangi koşullarda program dışı bırakılabilirim?**
- **Yeni bulgular**
(Program süresince yapılan tedavi/uygulamaya yönelik hastayı ilgilendirecek herhangi bir gelişme olduğunda hastanın bilgilendirileceği belirtilmelidir.)
- **Program süresince çıkabilecek sorunlar için kimi aramalıyım?**
(Hastanın 24 saat ulaşabileceği bir cep telefonunun verilmesi gerekmektedir.)
- **Programı destekleyen kurum/kuruluş var mıdır?**
- **Programa katılmam nedeniyle herhangi bir ödeme yapılacak mıdır?**
(Hiçbir ödeme yapılmayacağı belirtilmelidir.)

- **Programa katılmayı kabul etmemem veya programdan ayrılmam durumunda ne yapmam gerekir?**
- **Gizlilik**

Hastanın;

Adı-soyadı:

İmzası:

Tarih:

Adresi:

Telefon:

Velayet veya veraset altında bulunanlar için veli veya vasisinin;

Adı-soyadı:

İmzası:

Tarih:

Adresi:

Telefon:

Olur alma işlemine başından sonuna kadar tanıklık eden ve söz konusu programa dahil olan ekip dışında yer alan kişinin;

Adı-soyadı:

İmzası:

Görevi:

Tarih: