



CUMHURİYETİMİZİN

100.  
yılı



# 11. Ulusal Kistik Fibrozis Sempozyumu

ve

Kistik Fibrozisli Birey ve Aile Toplantısı

**25-26 Mart 2023**

[www.kistikfibrozis2023.com](http://www.kistikfibrozis2023.com)

LIVE Çevrim içi

**BİLDİRİ  
KİTABI**



**S-06 Ulusal Kf Kayıt Sistemine Kayıtlı Hastaların Kftr Modülâtör Tedavi  
Uygunluğunun Belirlenmesi**

**Meltem Akgül Erdal**<sup>1</sup>, Halime Nayır Büyükaşahin<sup>1</sup>, Velat Şen<sup>2</sup>, Ayşe Ayzıt Kılınc<sup>3</sup>, Haluk Çokuğraş<sup>3</sup>, Ayşegül Doğan Demir<sup>4</sup>, Güzide Doğan<sup>4</sup>, Aslı İmran Yılmaz<sup>5</sup>, Gökçen Ünal<sup>6</sup>, Mahir Serbes<sup>7</sup>, Derya Ufuk Altıntaş<sup>7</sup>, Özlem Keskin<sup>8</sup>, Mehmet Mustafa Özasan<sup>9</sup>, Oğuz Karcioğlu<sup>10</sup>, Mehmet Köse<sup>11</sup>, Abdurrahman Erdem Başaran<sup>12</sup>, Eylül Pınar Çakır<sup>13</sup>, Yakup Canitez<sup>14</sup>, Ali Özdemir<sup>15</sup>, Koray Harmancı<sup>16</sup>, Salih Uytun<sup>17</sup>, Sanem Eryılmaz Polat<sup>17</sup>, Melih Hangül<sup>18</sup>, Hasan Yüksel<sup>19</sup>, Gizem Özcan<sup>20</sup>, Pervin Korkmaz<sup>21</sup>, Mehmet Kılıç<sup>22</sup>, Zeynep Gökçe Gayretli Aydın<sup>23</sup>, Gönül Çaltepe<sup>24</sup>, Demet Can<sup>25</sup>, Sibel Doğru<sup>26</sup>, Gökçen Kartal Öztürk<sup>27</sup>, Ayşe Süleyman<sup>28</sup>, Erdem Topal<sup>29</sup>, Beste Özsezen<sup>30</sup>, Mina Hızal<sup>31</sup>, Ezgi Demirdöğen<sup>32</sup>, Hamza Ogun<sup>33</sup>, Şermin Börekçi<sup>34</sup>, Hakan Yazan<sup>35</sup>, Hadice Selimoğlu Şen<sup>36</sup>, Erkan Çakır<sup>4</sup>, Tuğba Şişmanlar Eyüboğlu<sup>13</sup>, Nagehan Emiralioğlu<sup>1</sup>, Sevgi Pekcan<sup>5</sup>, Uğur Özçelik<sup>1</sup>, Deniz Doğru<sup>1</sup>

1 Hacettepe Üniversitesi Tıp Fakültesi, Çocuk Göğüs Hastalıkları

2 Dicle Üniversitesi Tıp Fakültesi, Çocuk Göğüs Hastalıkları

3 İstanbul Üniversitesi Cerrahpaşa Tıp Fakültesi, Çocuk Göğüs Hastalıkları

4 Bezmialem Vakıf Üniversitesi Tıp Fakültesi, Çocuk Göğüs Hastalıkları

5 Necmettin Erbakan Üniversitesi Tıp Fakültesi, Çocuk Göğüs Hastalıkları

6 Necmettin Erbakan Üniversitesi Tıp Fakültesi, Çocuk Göğüs Hastalıkları

7 Çukurova Üniversitesi Tıp Fakültesi, Çocuk Alerji Ve İmmünoloji

8 Gaziantep Üniversitesi Tıp Fakültesi, Çocuk Alerji Ve İmmünoloji

9 Ege Üniversitesi Tıp Fakültesi, Çocuk Göğüs Hastalıkları

10 Hacettepe Üniversitesi Tıp Fakültesi, Göğüs Hastalıkları

11 Erciyes Üniversitesi Tıp Fakültesi, Çocuk Göğüs Hastalıkları

12 Akdeniz Üniversitesi Tıp Fakültesi, Çocuk Göğüs Hastalıkları

13 Gazi Üniversitesi Tıp Fakültesi, Çocuk Göğüs Hastalıkları

14 Bursa Uludağ Üniversitesi Tıp Fakültesi, Çocuk Göğüs Hastalıkları

15 Mersin Şehir Hastanesi, Çocuk Göğüs Hastalıkları

16 Eskişehir Osmangazi Üniversitesi Tıp Fakültesi, Çocuk Alerji Ve İmmünoloji

17 Ankara Şehir Hastanesi, Çocuk Göğüs Hastalıkları

18 Gaziantep Cengiz Gökçek Kadın Doğum Ve Çocuk Hastalıkları Hastanesi, Çocuk Göğüs Hastalıkları

19 Celal Bayar Üniversitesi Tıp Fakültesi, Çocuk Göğüs Hastalıkları

20 Ankara Üniversitesi Tıp Fakültesi, Çocuk Göğüs Hastalıkları

21 Ege Üniversitesi Tıp Fakültesi, Göğüs Hastalıkları

22 Fırat Üniversitesi Tıp Fakültesi, Çocuk Alerji Ve İmmünoloji

23 Karadeniz Teknik Üniversitesi Tıp Fakültesi, Çocuk Enfeksiyon Hastalıkları

24 Ondokuz Mayıs Üniversitesi Tıp Fakültesi, Çocuk Gastroenteroloji

25 Balıkesir Üniversitesi Tıp Fakültesi, Çocuk Göğüs Hastalıkları

26 Gaziantep Üniversitesi Tıp Fakültesi, Göğüs Hastalıkları

27 Dr. Behçet Uz Çocuk Hastanesi, Çocuk Göğüs Hastalıkları

28 İstanbul Üniversitesi İstanbul Tıp Fakültesi, Çocuk Alerji Ve İmmünoloji

29 İnönü Üniversitesi Tıp Fakültesi, Çocuk Alerji Ve İmmünoloji

30 Şanlıurfa Eğitim Ve Araştırma Hastanesi, Çocuk Göğüs Hastalıkları

31 Ankara Dr. Sami Ulus Çocuk Sağlığı Ve Hastalıkları Hastanesi, Çocuk Göğüs Hastalıkları

32 Bursa Uludağ Üniversitesi Tıp Fakültesi, Göğüs Hastalıkları

33 Bezmialem Vakıf Üniversitesi Tıp Fakültesi, Göğüs Hastalıkları

34 İstanbul Üniversitesi Tıp Fakültesi, Göğüs Hastalıkları  
35 Ümraniye Eğitim Ve Araştırma Hastanesi, Çocuk Göğüs Hastalıkları  
36 Dicle Üniversitesi Tıp Fakültesi, Göğüs Hastalıkları

**GİRİŞ** Kistik fibrozis (KF) hastalığında kullanıma giren KF transmembran regülatör (KFTR) modülatör tedavileri ile hastaların pulmoner alevlenme sıklığında azalma, hayat kalitesinde artış ve yaşam süresinde uzama kaydedilmektedir. Ülkemizde bu tedavilerin geri ödeme kapsamında olmaması nedeniyle tedavi endikasyonu olan hastalar ilaca erişim sağlayamamaktadır. Bu çalışmada, Türkiye’de Ulusal Kistik Fibrozis Kayıt Sistemi’ne (UKKS) kayıtlı hastaların KFTR modülatör tedavi uygunluğunun belirlenmesi amaçlanmıştır. **YÖNTEM** 2021 yılında UKKS’ye kayıtlı 35 merkeze ait KF’li hastaların yaş, cinsiyet, KFTR mutasyonu, takip edildiği merkeze ait veriler toplanmıştır. Her bir hasta için KFTR mutasyonuna uygun KFTR modülatör ilaçları Vertex® veri tabanı aracılığı ile belirlenmiştir. **SONUÇLAR** 2021 yılında UKKS’ye kayıtlı toplam 1948 hastanın 1930’nun hayatta olduğu tespit edildi. Yaşayan hastaların %84,4’ünün (1629 hasta) 18 yaş altında olduğu, tüm yaş gruplarında hastaların %95,4’ünün (1841 hasta) KFTR genetik analizinin yapıldığı saptandı. Genetik analizi yapılanların %10,7’sinde tek allelde, %79’unda her iki allelde de mutasyon saptandı. Genetik analiz yapılan hastaların %46,4’ünde (855 hasta) modülatör ilaç endikasyonu olduğu saptandı. Modülatör endikasyonu olan hastaların 678’i çocuk, 177’si erişkin hastalardır. İlaç endikasyonu olan hastaların %51,7’sinde en az bir allelde mutasyonu olduğu belirlendi. Bir ya da daha fazla ilaç endikasyonu tüm hastalar değerlendirildiğinde, yaşayan hastaların %34,38’inde (633) Elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor, %26,18’inde (482) tezacaftor/ivacaftor, %20,42’inde (375) ivacaftor, %10,59’unda (195) lumacaftor/ivacaftor endikasyonu olduğu saptandı. Her bir hastada bir ilaç seçilecek olursa, hastaların %26,4’ünde Elexacaftor/tezacaftor/ ivacaftor, %17,7’si ivacaftor, %2’sinde lumacaftor/ivacaftor kullanımının uygun olduğu saptanmıştır. **SONUÇ** Türkiye’de UKKS’ye kayıtlı hastaların yarıya yakınında KFTR modülatör tedaviler için endikasyonu bulunmaktadır. Bu ilaçların geri ödeme kapsamına alınarak, ilaca ulaşımının kolaylaştırılması ile hastaların hayat kalitesinde artış ve yaşam sürelerinde uzama sağlanmış olacaktır. Modülatör endikasyonu olmayan diğer hastalar için yeni tedavilerin geliştirilmesine ihtiyaç duyulmaktadır.

**Anahtar Kelimeler:** Kistik fibrozis, modülatör, UKKS