HERMS WHITE PAPER | NOVEMBER 2026

La preparazione dei Paesi del Golfo alle terapie cellulari e geniche

Dall'approvazione all'infusione del paziente

HERMS Consulenza DMCC

Dubai, Emirati Arabi Uniti | hermsglobal.com

HERMS BIANCO PAPER | WP4 | NOVEMBRE 2026

Prontezza della Terapia Cellulare e Gene nel Golfo:

Dall'approvazione all'infusione del paziente

Un quadro pratico per trasformare l'autorizzazione del prodotto in un accesso sicuro, finanziato e tracciabile ai pazienti.

THE CENTRAL ARGUMENT

L'approvazione è una pietra miliare del prodotto. La disponibilità è una capacità di livello del paziente: il giusto trattamento, il centro giusto, un percorso di prodotto intatto, un finanziamento confermato e un follow-up responsabile.

HERMS Consulenza DMCC

Dubai, Emirati Arabi Uniti

Recensione delle prove: 5 November 2026

Per i leader del sistema sanitario, i fornitori specializzati, i pagatori, i produttori e i team di accesso al mercato, questo white paper offre un quadro strategico e operativo, non un protocollo clinico o un parere normativo specifico per il prodotto.

Riepilogo esecutivo

L’opportunità di terapia cellulare e genica del Golfo dovrebbe essere giudicata da percorsi pazienti completati e regolati in modo sicuro, piuttosto che da annunci di approvazione da soli.Questo documento propone un modello di prontezza che collega il permesso di regolazione, il finanziamento, la capacità clinica, l’integrità del prodotto e il follow-up attraverso cancelli decisionali espliciti.

Le pietre miliari regionali già abbracciano fasi distinte: il Bahrain ha annunciato l'approvazione CASGEVY nel mese di dicembre 2023; L'Arabia Saudita ha segnalato l'approvazione a gennaio 2024; e Abu Dhabi ha annunciato l'introduzione della terapia a marzo 2025. NHRA [2 Saudi Press Agency [1] DoH Abu Dhabi [3] Questi sono sviluppi significativi, ma nessuno è un sostituto per un'autorizzazione e un record di consegna specifici per i pazienti.

Cinque priorità per i decisori

Autorizzazione separata dalla capacità: mantenere l'autorizzazione del prodotto, la licenza di stabilimento, la qualificazione del produttore, il finanziamento del paziente e l'ammissibilità clinica come approvazioni diverse.

Design intorno alla modalità: autologo CAR-T, cellule staminali ex vivo gene-edited e terapie geniche in vivo richiedono diverse vie operative. La carta utilizza la guida del prodotto e gli standard internazionali per illustrare queste differenze. 11 SFDA CASGEVY guida [12] Informazioni sull'EMA CASGEVY [13]
SFDA Zolgensma guida [14]

Proteggi le decisioni irreversibili: nessun programma o impegno commerciale deve superare i controlli documentati di prontezza richiesti prima del trattamento preparatorio, del disgelo o dell'amministrazione.

Finanziate l'episodio completo: concordate chi paga per la diagnostica, la raccolta ove applicabile, la produzione, il trattamento, le complicazioni, il viaggio e il follow-up prima di commettere il paziente.

Misurare l'accesso e l'attrizione: tracciare gli intervalli di riferimento-decisione e decisione-infusione insieme ai pazienti differiti, declinati, persi di follow-up o incapace di procedere.

PROPOSED READINESS RULE

Un paziente è pronto a procedere solo quando ogni cancello critico di sicurezza applicabile è chiuso con le prove e chiamato sign-off. Non media un cancello fallito in un punteggio complessivo “verde”.

Guida alla lettura

Le principali sezioni riguardano poi l'autorizzazione e il finanziamento, la prontezza del paziente e del centro, la logistica dei prodotti, il follow-up e l'economia operativa; le sezioni finali prevedono un piano di mobilitazione 90-day e una pratica lista di controllo della disponibilità.

Scopo: Bahrain, Kuwait, Oman, Qatar, Arabia Saudita e Emirati Arabi Uniti. L'istantanea di campagna è una prova selettiva, non un registro completo del prodotto o una classifica di prontezza nazionale.

Il paesaggio del Golfo: il progresso non è una disponibilità uniforme

Le prove riportate di seguito riportano diversi tipi di progresso, non comparabili a livello nazionale. Le date di pubblicazione sono mantenute in modo che un'approvazione storica, un programma di ricerca o un singolo paziente trattato non siano presentate come prova della disponibilità di routine attuale.

Mercato	Evidenze verificate	Interpretazione di lettura
Arabia Saudita	L'approvazione di SFDA di CASGEVY è stata segnalata il 8 gennaio 2024. KFSHRC ha riferito più di 200 pazienti affetti da CAR-T da 2020 nel mese di ottobre 2025. Agenzia [1 KFSHRC [4]	KFSHRC ha esplicitamente descritto il suo primo trattamento CAR-T prodotto localmente come parte di un primo trial clinico. Non equate la produzione di prova locale con autorizzazione commerciale di routine. 4]
Emirati Arabi Uniti	DoH ha annunciato l'introduzione di CASGEVY attraverso ADSCC il 28 marzo 2025, con il primo paziente in programma di iniziare in aprile. autorizzazione. DoH Abu Dhabi [3]	L'annuncio menziona anche la copertura assicurativa soggetta a regolamenti e norme; non stabilisce copertura universale, approvazione specifica del paziente o infusione completata alla data di annuncio. 3]
Bahrain	Un rilascio NHRA datato 2 dicembre 2023 ha annunciato l'approvazione CASGEVY per la malattia delle cellule solletiche (SCD) e la beta-thalassemia dipendente dalla trasfusione. [2]	Il rilascio non specifica la capacità di trattamento, le modalità di lancio o la copertura a livello di paziente. Tali elementi richiedono una verifica separata. 2]
Oman	Oman Observer, segnalazione ONA, descritto localmente preparato e ingegnere CAR-T trattamento a University Medical City su 12 Maggio 2026 . Oman Osservatore / ONA [6]	Il rapporto non identifica il percorso di autorizzazione o se il trattamento è stato di ricerca o assistenza di routine. Non dedurre una piattaforma di produzione commerciale autorizzata. [6
Qatar	La pagina dell'Istituto di Ricerca del Cancro di HMC descrive il lavoro preclinico di T-cell e NK-cell e un programma di ricerca traduttiva. [5	Questa pagina supporta la capacità di ricerca, non un inventario verificato di prodotti commerciali CAR-T o slot di trattamento di routine attivi. Hamad Medical Corporation [5
Kuwait	IU Health ha documentato un paziente kuwaita che viaggia per la terapia CAR-T su 5 giugno 2024, compresi i viaggi e le sistemazioni supporto. IU Health [7	Questa è la prova di un percorso transfrontaliero, non prova che il Kuwait non ha capacità domestiche o una dichiarazione di copertura nazionale corrente. 7]

Prima del lancio o del rinvio, ottenere lo stato attuale del prodotto, il campo di applicazione del trattamento, la capacità, l'ammissibilità del pagamento e la via di accesso legale direttamente dalle parti interessate.

Tre modalità, tre percorsi operativi

Una singola lista di controllo “cellula e terapia genica” è insufficiente. Gli standard FACT-JACIE affrontano la raccolta, l’elaborazione e l’amministrazione cellulare, mentre i materiali CASGEVY e Zolgensma citati mostrano requisiti specifici del prodotto che non possono essere trasferiti indiscriminatamente tra modalità.
[11] Guida SFDA CASGEVY [12] Guida SFDA Zolgensma [14]

Modulazione	Pathway e dipendenza	L'enfasi sulla prontezza
Autologo CAR-T	Raccolta, fabbricazione, restituzione del prodotto, trattamento preparatorio, dove specificato, monitoraggio infuso e tossicità. KFSHRC descrive il modello di raccolta, modifica e reinfusione. [4]	Mantenere il collegamento del prodotto paziente attraverso ogni handoff. Preparare per la sindrome del rilascio di citokine e le tossicità neurologiche secondo l'etichetta attuale e locale programma. FACT-JACIE [11] Annuncio REMS della FDA [15
Cellule staminali ad esito gene vivo	Mobilitazione e apheresi di cellule staminali ematopoietiche e progenitori (HSPC), fabbricazione, restituzione del prodotto, condizionamento e infusione mieloablativo. CASGEVY è un esempio, non generico protocollo. SFDA CASGEVY guida [12] Informazioni EMA CASGEVY [13	Confermare l'idoneità al trapianto, la disponibilità delle celle di soccorso e la dose completa del prodotto prima del passo irreversibile. EMA CASGEVY informazioni [13]
terapia genica in vivo	Il prodotto viene somministrato direttamente; il percorso citato di Zolgensma non richiede la raccolta e il ritorno delle cellule del paziente. La sua guida specifica la valutazione pretrattamento e il monitoraggio post-infusione. guida [14	I test anticorpo specifici per il prodotto, la valutazione degli organi, i medicinali, il monitoraggio del laboratorio e l'escalation specialistica possono rimanere essenziali anche senza un ciclo di produzione specifico per il paziente. Guida di Zolgensma [14]

Che cosa dovrebbe essere comune

Utilizzare una struttura di governance comune per l'ammissibilità, il consenso, il finanziamento, la ricevuta del prodotto, l'escalation di eventi avversi e la responsabilità del follow-up.Attaccare una modalità controllata e un addendum del prodotto piuttosto che costringere tutte le terapie negli stessi tempi, temperature, test o modello di personale.

Ciò che dovrebbe rimanere separato

I prodotti a cellule Allogeneiche, i costrutti investigativi e i prodotti fabbricati localmente hanno bisogno di una propria valutazione di donatore, produzione, rilascio e autorizzazione. Un trattamento di successo o un servizio clinico accreditato non devono essere trattati come prova che un diverso edificio, l'indicazione o il sito di produzione è autorizzato.

OPERATING IMPLICATION

Scegli il primo servizio con i suoi requisiti di percorso completi e la capacità disponibile, non per l'attrattiva dell'annuncio del prodotto. Un programma di terapia commerciale importato e un programma di produzione locale sono investimenti diversi.

Autorizzazione e finanziamento: chiudere le porte corrette

L'UAE illustra la necessità di distinguere i permessi di prodotto e di servizio: EDE fornisce un percorso di marketing-autorizzazione per prodotti farmaceutici e biologici, mentre lo standard HSCT di DHA stabilisce separatamente i requisiti di licenza di servizio e di accreditamento all'interno del suo ambito. EDE [8 DHA [[9]] La raccomandazione operativa è quella di mantenere una matrice di autorizzazione del prodotto-indicazione-sito piuttosto che un singolo campo “approvato”.

Un record di autorizzazioni specifico per la giurisdizione

Percorso prodotto: registrare l'indicazione autorizzata, l'etichetta locale corrente, l'età e altri limiti di ammissibilità, il titolare dell'autorizzazione di marketing e qualsiasi via legale speciale di accesso o di prova.

Percorso di servizio: documentare la licenza di stabilimento, il campo di applicazione della pratica, gli accreditamenti richiesti, i privilegi specialistici e qualsiasi qualificazione del produttore specifico del prodotto.

Percorso di importazione e rilascio: stabilire le autorizzazioni applicabili per materiale di partenza, prodotto finito, sdoganamento e rilascio o accettazione.

Percorso di ricerca: mantenere l'approvazione etica, le responsabilità dello sponsor, l'offerta investigativa, il consenso e la segnalazione separati dall'accesso commerciale.

SCOPE CHECK THAT MATTERS

DoH's gennaio 2026 Lo standard rigenerativo-medicina esclude esplicitamente le terapie geniche e le terapie cellulari più-minimo-manipolate. Non usare quel documento da solo come base di autorizzazione per la terapia cellulare con CAR-T o con gene-edited. 10]

Una decisione di finanziamento completa, non un'approvazione di sola droga

L'autorizzazione finanziaria raccomandata dovrebbe coprire la medicina e l'episodio di cura, tra cui diagnostica, raccolta ove applicabile, trattamento preparatorio, ricovero, complicazioni e follow-up. Essa dovrebbe identificare le esclusioni di copertura, le date di scadenza, i contributi dei pazienti, i termini di cancellazione e che comporta il costo della raccolta o della fabbricazione se l'infusione non può procedere.

L'annuncio di DoH CASGEVY menziona la copertura assicurativa in base alle normative e agli standard applicabili, ma non pubblica i diritti universali o i termini politici individuali. DoH Abu Dhabi [3] Un programma dovrebbe quindi verificare il percorso paziente, prodotto, fornitore e finanziamento insieme prima di accettare una slot di trattamento finanziato.

Questo documento non stabilisce un diritto di rimborso a livello GCC, un percorso di autorizzazione comune o una garanzia di revisione legale.

Prontezza del paziente e del centro: rendere esplicita la responsabilità

Per CASGEVY, le informazioni sui prodotti dell'UE richiedono un centro autorizzato e medici esperti nel trapianto e nelle beta-emoglobinopatie, e identificano le implicazioni di fertilità del condizionamento mieloablativo. 13] Questi sono utili parametri specifici per il prodotto; l'etichetta del Golfo applicabile e i requisiti di servizio locale rimangono controllanti.

La conferenza sulla prontezza del paziente

Prima di riservare un passo di trattamento irreversibile, il team multidisciplinare dovrebbe documentare la diagnosi e l'indicazione, le alternative, i benefici attesi e l'incertezza, la valutazione attuale dell'organo e dell'infezione, il fitness clinico, il consenso e le modalità di caregiver. Per i pazienti paediatrici, il programma deve affrontare la comunicazione appropriata all'età e il processo di consenso o di assenso applicabile.

La consulenza consigliata dovrebbe spiegare il viaggio completo, il possibile fallimento di produzione o pianificazione, i rischi legati al trattamento, le considerazioni di fertilità, laddove pertinenti, la possibilità di nessun beneficio durevole e il peso di follow-up. Fornire materiale arabo comprensibile o di altra lingua preferita e un percorso chiamato per le domande, piuttosto che trattare una firma come prova di comprensione.

Funzione contabile	Prove minime per chiudere il cancello
Guida del programma clinico	Decisione di idoneità e di idoneità; valutazione attuale del paziente; prescrizione e possesso di escalation; ragione documentata per procedere o differire.
Collezione / laboratorio di piombo	percorso di raccolta qualificato, ove necessario; controlli di identità; competenza di gestione del prodotto; modalità di stoccaggio e contingenza convalidate.
Infermieristica / farmacia piombo	Formazione specifica del prodotto; flusso di lavoro amministrativo; disponibilità verificata di medicinali, forniture e capacità di monitoraggio richiesti.
Servizi di Critical-care / specialisti	Escalation documentato e percorso di trasferimento; copertura relativa in-call; prova che le simulazioni di emergenza sono state completate.
Case manager / payer liaison	Approvazione del finanziamento; piano di viaggio e di assistenza; percorso di contatto paziente; appuntamenti post-scarica e accordi di accoglienza.

L'accreditamento è prove di portata

Lo standard HSCT di DHA richiede l'accreditamento ospedaliero e di laboratorio prima dell'inizio del servizio e dell'accreditamento FACT o equivalente del servizio HSCT clinico all'interno 24 mesi di attivazione della licenza. DHA [9] FACT-JACIE distingue anche i programmi di trapianto da programmi immuno-effetto-cellula-solo, con diversi percorsi di accreditamento applicabili. 11]

Non si tratta di una regola di calendario o di accreditamento universale per ogni servizio di terapia genica del Golfo. Verificare l'esatta giurisdizione, la licenza, la portata clinica e lo standard attuale prima di applicarli.

IntegritÃ del prodotto: collegare la fabbricazione al lato del letto

FACT-JACIE definisce la catena di identità come l'associazione permanente di identificatori di prodotto durante il ciclo di vita, e la catena di custodia come documentazione verificabile di tutela dall'origine alla disposizione finale. 11] Entrambi sono necessari; un record di trasferimento di spedizione da solo non stabilisce l'identità del prodotto paziente.

Un record tracciabile end-to end

Identificazione dei pazienti, identificativi di raccolta, ove applicabile, ordine del produttore, lotto o lotto, documentazione di rilascio, corrieri, prove di temperatura, ricevuta del sito, posizione di archiviazione, amministrazione e disposizione finale.

Punto di controllo	Prove e decisione
Prima della raccolta / ordinazione	Riconciliare l'identità e l'ordine del paziente; stabilire il percorso autorizzato, lo slot e l'impegno di finanziamento; confermare la proprietà di contingenza.
Preparazione della spedizione	Utilizzare imballaggi specifici per prodotti e modalità di trasporto qualificate; verificare documenti, ricevere procedure di disponibilità e disgregazione.
Ricevuta del sito	IdentitÃ riconciliabile, quantitÃ, integrità, condizioni di trasporto, documenti di rilascio e capacitÃ di archiviazione; discrepanze non risolte in quarantena.

Punto di controllo	Prove e decisione
Prima del trattamento dei preparati	Verificare tutti i prerequisiti specifici per il prodotto, l'attuale idoneità del paziente e la capacità. Applicare l'etichetta locale; non differire la disponibilità da una data di consegna prevista.
Prima di scongelare / amministrazione	Verificare la corrispondenza del prodotto del paziente, l'ordine, la dose completa, se applicabile, la scadenza e il personale addestrato; l'accettazione del prodotto di documento e l'autorizzazione clinica separatamente.

Un'importante dipendenza specifica del prodotto

Le informazioni UE CASGEVY affermano che il condizionamento non deve iniziare fino a quando la dose completa è arrivata al centro di trattamento autorizzato e la disponibilità di celle di salvataggio di backup è confermata. Informazioni EMA CASGEVY [13] La guida per la gestione saudita richiede la riconciliazione dei pazienti-identificatori e i controlli a due persone prima di ogni fiala, così come i controlli di criostorage e di thaw-to-infusione specifici del prodotto. Guida SFDA CASGEVY [12]

Questi esempi dimostrano perché un accordo generale di logistica a livello di servizio è insufficiente: il piano di disponibilità dovrebbe tradurre l'attuale etichetta locale in checkpoint controllati senza copiare temperature, limiti di tempo o criteri di rilascio da un prodotto all'altro.

HARD STOP

Un'identità irrisolta errata, la preoccupazione di integrità del prodotto o il prerequisito critico mancante dovrebbe innescare una presa e un'escalation. Né il costo del affondamento né un letto prenotato è la prova che il prodotto può essere gestito in modo sicuro.

Infusione è una transizione, non la fine del servizio

Il giugno della FDA 2025 rimozione di REMS per sei BCMA- e CD elencati 19 -diretti autologous prodotti CAR-T non ha rimosso segnalazione avverso evento o produttore postmarketing studi di sicurezza. 15] Si tratta di un'azione degli Stati Uniti, non di un rilassamento di coperta della struttura del Golfo, del produttore o degli obblighi di sicurezza specifici per il prodotto.

Mantenere la capacità di sicurezza acuta specifica del prodotto

I programmi CAR-T devono interpretare le avvertenze di tossicità del prodotto attuale e i requisiti di assistenza locale piuttosto che affidarsi alle norme di certificazione degli Stati Uniti storiche; l’annuncio della FDA identifica ancora la sindrome di rilascio di citokine e le tossicità neurologiche nell’etichettatura dei prodotti. Annuncio REMS della FDA [15] La prova di disponibilità locale consigliata è un percorso di risposta praticato, una copertura specialistica appropriata e la disponibilità confermata del trattamento di salvataggio richiesto in base al protocollo applicabile.

La guida saudita Zolgensma per la riduzione del rischio illustra un peso diverso: specifica la valutazione pretrattamento e il monitoraggio clinico e di laboratorio per almeno tre mesi dopo l'infusione, incluso il monitoraggio della sicurezza legata al fegato. SFDA Zolgensma guide [[14]] Un programma non deve descrivere la terapia in vivo come semplice operativamente solo perché l'afesi e la produzione di cellule specifiche del paziente sono assenti.

Costruire il follow-up prima di accettare il paziente

Proprietà clinica: identificare il piombo del trattamento, il clinico ricevente a lungo termine e il percorso di escalation per la tossicità ritardata sospetta.

Continuità: concordare dove si verificano i test, chi valuta i risultati, come le visite mancanti sono escalate e come i pazienti pedofiliali si trasferiscono alla cura degli adulti.

Assistenza transfrontaliera: conferma la condivisione dei dati leciti, la fattibilità dei viaggi, l'accesso alle emergenze, le responsabilità di pagamento e l'accettazione delle consegne prima che il paziente ritorni a casa.

Supporto del paziente: dare un riepilogo del trattamento, identificativo del prodotto, contatto di emergenza e istruzioni di sicurezza comprensibili, con un piano di recupero e caregiver.

Non imporre una durata di follow-up su tutti i prodotti

La guida della FDA raccomanda un approccio basato sul rischio e afferma esplicitamente che non tutte le terapie geniche richiedono osservazioni di follow-up a lungo termine. La guida della FDA LTFU [16] L'informazione dell'UE CASGEVY specifica il monitoraggio annuale per gli anni 15, illustrando un impegno specifico del prodotto piuttosto che una regola GCC universale.
Informazioni sul CASGEVY [13]

GOVERNED EVIDENCE, NOT AUTOMATED CLINICAL AUTHORITY

I sistemi digitali possono conciliare documenti, prove mancanti e promemoria di supporto. L'ammissibilità del paziente, l'accettazione del prodotto, le decisioni di rilascio e il trattamento clinico rimangono con i decisori umani adeguatamente autorizzati.

Economia e capacità: finanziare l'intero percorso

Questo documento raccomanda un modello di pianificazione basato su episodi piuttosto che un bilancio solo per il consumo di droga, non stima una dimensione regionale del mercato, il prezzo del trattamento, il ritorno sull'investimento o il rimborso; ciò richiede dati specifici per il prodotto, il payer e la popolazione.

Costruire il denominatore prima del bilancio

Inizia con i candidati valutati clinicamente, non la prevalenza di malattia o una previsione di mercato promozionale. Modello di quanti pazienti sono suscettibili di essere idonei, finanziati, in grado di subire la raccolta dove pertinente, fornito con successo, clinicamente adatta alla data prevista e infine infuso; consentire l'ordine di queste fasi di variare a seconda del prodotto.

Componenti di bilancio	Decisione che dovrebbe essere esplicita
Valutazione e preparazione	Chi finanzia la conferma diagnostica, la valutazione specialistica, la consulenza, la conservazione della fertilità, dove test rilevanti e ripetuti?
Raccolta e fabbricazione	Chi paga per la raccolta ripetuta, la fabbricazione fallita, la cancellazione, la riprogrammazione e il prodotto specifico del paziente inutilizzato?
Trattamento e complicazioni	Quali costi di assistenza, assistenza critica, laboratorio e assistenza sono inclusi, esclusi o bloccati?
Viaggi e recupero	Chi copre i visti dove necessario, alloggio, assistenza sanitaria, trasporto locale e un soggiorno prolungato?
Seguito e prove	Chi finanzia il monitoraggio clinico a lungo termine, l'ingresso dei dati, la partecipazione del registro di sistema e la cura dopo un paziente cambia paga o paese?

Contratti di progettazione intorno a eventi misurabili

Se legalmente e commercialmente opportuno, le pietre miliari di pagamento possono essere collegate a eventi verificabili come l'accettazione dell'offerta, l'infusione o un risultato clinico concordato. Un contratto collegato ai risultati dovrebbe definire la popolazione, l'endpoint, la finestra di misura, le regole mancanti dei dati, l'adjudicatore e le conseguenze finanziarie prima del trattamento; il giudizio clinico deve rimanere indipendente dagli incentivi di pagamento.

Un fallimento di produzione, un paziente che non si adatta prima dell'infusione, una valutazione dei risultati mancanti e una non risposta verificata non devono essere trattati come lo stesso evento contrattuale.

La capacità è un vincolo del percorso

A fini di pianificazione, la capacità del modello come minimo dei colli di bottiglia applicabili: pazienti finanziati, work-up diagnostico, slot di raccolta, allocazione di produzione, letti di trattamento, copertura specialistica e capacità di follow-up.

INVESTMENT PRINCIPLE

La produzione locale dovrebbe essere valutata come un caso di business e normativo separato. Dimostrare la capacità di consegna clinica non di per sé stabilisce la comparabilità dei processi, l'approvazione commerciale della produzione o l'economia di produzione sostenibile.

Un piano di mobilitazione 90-giorni

Di seguito è proposta una cadenza di pianificazione, non una promessa di licensure o prima infusione entro 90 giorni. Lo scopo è quello di produrre una prova-backed andare, tenere o riprogettare la decisione per un determinato prodotto, indicazione, sito e payer route.

Periodo di programmazione	Pacchetto di lavoro	Prove di uscita
Giorni 1–30	Definire il primo percorso; confermare la portata legale e del prodotto; mappare la domanda e la capacità del paziente; nominare i proprietari clinici, di qualità, di accesso e di logistica.	Campo d'applicazione approvato; matrice di autorizzazione controllata dalla fonte; lacune di base; titolari di decisioni nominati e presupposti di finanziamento.
Giorni 31–60	SOP prioritario, formazione, payer, fornitore, storage, data e gap di riferimento.	Competenza documentata; accordi eseguibili; flussi di lavoro controllati; piano di bonifica finanziato per lacune irrisolte.
Giorni 61–90	Esegui simulazioni end-to-end, tra cui ritardo, errore, deterioramento del paziente e aumento di emergenza.	Rapporto di simulazione firmato; deviazioni critiche chiuse; capacità approvate; revisione di disponibilità indipendente e record di decisione.

Un piccolo cruscotto con definizioni defensibili

Misura	Definizione e interpretazione consigliate
Tempo di riferimento alla decisione	Giorni dal ricevimento di un rinvio completo alla decisione multidisciplinare documentata. Rapporto mediano, 90th percentile e referrals incompleto separatamente.
Tempo di decisione-infusione	Giorni dalla decisione documentata di idoneità all'infusione, segnalata per prodotto e per percorso.
Conversione di infusione	I pazienti infusi divisi da pazienti giudicati idonei in una coorte di ingresso definita; finestra di follow-up dello stato e mostrare i casi in sospeso separatamente.
Attrizione preinfusione	I pazienti idonei che non raggiungono infusione, classificati per finanziamento, deterioramento clinico, fornitura, ritiro o altro motivo documentato.
Tracciabilità e follow-up	Identità critica/sfidenze commesse; deviazioni non risolte; valutazioni di follow-up completate divise da valutazioni dovute, con decessi e trasferimenti identificati.

Utilizzare la revisione operativa settimanale e la revisione mensile di governance inizialmente. Gli obiettivi dovrebbero essere impostati dalla linea di base locale e gli obblighi applicabili, non inventati benchmark regionali; preservare i tempi di trasporto necessari indipendentemente dai cicli di dashboard.

La guida Jawda di Abu Dhabi richiede già una segnalazione di qualità HSCT definita per i fornitori di circuiti integrati, illustrando perché un cruscotto di programma deve coesistere con la segnalazione incaricata piuttosto che sostituirla.
Guida di Jawda [17

Lista di controllo e agenda di leadership

Questa lista di controllo è uno strumento di gestione proposto, non uno strumento di accreditamento o un punteggio di disponibilità convalidato. Valuta ogni articolo come completo, incompleto o non applicabile con una razionalità documentata, riferimento di prova, proprietario e data di revisione.

Cancello	Prova necessaria per una decisione “completa”
Accesso legittimo	Percorso verificato/indicazione del prodotto; autorizzazioni applicabili; campo di applicazione della struttura; obblighi attuali di etichetta e di gestione del rischio.
Ammissibilità del paziente	Decisione multidisciplinare; idoneità aggiornata; consenso informato; alternative discusse; considerazioni di caregiver e fertilità, se applicabile.
Finanziamento dell'episodio	L'approvazione e le responsabilità di pagamento specifiche del paziente, comprese le complicanze, la cancellazione, il viaggio e il follow-up.
Capacità del centro	Squadra qualificata; privilegi attuali; accreditamento rilevante; formazione del prodotto; prontezza dell'attrezzatura e copertura di emergenza.
Fornitura e identità	Confermato percorso di produzione o di fornitura; identificatori riconciliati; trasporto qualificato; accettazione della ricevuta e dell'archiviazione; controlli di discrepanza.

Cancello	Prova necessaria per una decisione “completa”
Trattamento preparatorio	Tutti i prerequisiti specifici del prodotto sono soddisfatti; il paziente rivalutato; le disposizioni necessarie per il prodotto e il salvataggio verificate; il segnale-off clinico.
Infusione ed escalation	Il paziente corretto e il prodotto; l'ordine corrente; il team addestrato; i farmaci richiesti e il monitoraggio; l'autorità di escalation documentata.
continuità a lungo termine	Denominato proprietario clinico; piano di monitoraggio finanziato; contatti dei pazienti; dazi di registro/ riportamento; erogazione transfrontaliera accettata se pertinente.

Quale leadership dovrebbe commissionare il prossimo

Richiedere una decisione non-go documentata ogni volta che un prerequisito critico della sicurezza è irrisolto, e mantenere le ragioni in modo che l'organizzazione possa distinguere il ritardo correttivo dal trattamento inadeguato.

Per un team di consulenza specialistica come HERMS, il ruolo appropriato è quello di strutturare la verifica della fonte, la mappatura dei requisiti, l'allineamento delle parti interessate e le prove di disponibilità. Non è quello di sostituire il regolatore, la funzione di rilascio del produttore, la decisione del payer o il team di trattamento, e questo documento non sostiene che HERMS gestisce servizi clinici o ha convalidato i risultati del paziente.

Conclusione

La prossima misura di progresso del Golfo dovrebbe essere la capacità di fornire un percorso responsabile del paziente: accesso lecito, selezione appropriata, finanziamento completo, gestione affidabile del prodotto, amministrazione sicura e continuità della cura. Approvazione apre il percorso; la disponibilità lo rende utilizzabile.

Riferimenti e note di prova

Fonti riesaminate su 5 novembre 2026. I link numerati per i nomi sorgente appaiono accanto a reclami di fatto. Le norme e i materiali di prodotto ufficiali prevalgono sugli annunci per le decisioni operative; i documenti internazionali sono dei benchmark, non automaticamente applicabili alla legge del Golfo.

1. Agenzia di stampa saudita. SFDA approva la prima droga genetica per l'anemia cellulare solletica e la talasemia. 8 gennaio 2024.

https://www.spa.gov.sa/N2026057

2. NHRA. CASGEVY ottiene l'approvazione del Bahrain per il trattamento. NHRA rilascio, 2 dicembre 2023, distribuito da GlobeNewswire.

https://www.globenewswire.com/news-release/2023/12/02/2789644/0/en/casgevy-gets-bahrain-approval-for-treatment-marking-it-second-country-in-the-world.html

3. DoH Abu Dhabi. Introduzione di CASGEVY attraverso Abu Dhabi Stem Cells Center. 28 Marzo 2025.

https://www.doh.gov.ae/en/news/doh-and-ascc-introduces-therapy-for-scd-and-thalassemia

4 . KFSHRC. Trattamenti KFSHRC 200 I pazienti con Terapia CAR-T e lancia la produzione locale. 29 Ottobre 2025 .

https://www.kfshrc.edu.sa/en/news/2025/10/kfshrc-treats-200-patients-with-cart-therapy-and-launches-local-manufacturing

5. Hamad Medical Corporation. Cancro Research Institute. Pagina istituzionale non datata; accesso 5 Novembre 2026.

https://hamad.qa/EN/Education-and-research/Academic-Health/Pages/cancer-Research-Institute.aspx

6. Oman Observer / ONA. UMC conduce la prima terapia con le cellule immunitarie locali. 12 Maggio 2026.

https://www.omanobserver.om/article/1189533/oman/umc-conducts-first-therapy-with-local-immune-cells

7. IU Health. Il paziente viaggia in IU Health dal Kuwait per il trattamento del cancro. 5 June 2024.

https://iuhealth.org/thrive/patient-travels-to-iu-health-from-kuwait-for-cancer-treatment

8. EDE. Emissione di Marketing Authorization for a Drug or Biopharmaceutical Product. Accessed 5 November 2026.

https://www.ede.gov.ae/en/w/issuance-of-marketing-authorization-for-a-drug-or-biopharmaceutical-product

9. DHA. Standard per i servizi di trapianto cellulare ematopoietico clinico. Versione 1.0; emesso 27 novembre 2024, efficace 27 gennaio 2025.

https://dha.gov.ae/uploads/122024/Standards%20for%20Clinical%20Hematopoientic%20Stem%20Cell%20Transplant%20Services%202024120398.pdf

Riferimenti proseguiti

10. DoH Abu Dhabi. Standard per le terapie in cellule umane, tessuto-basato, e medicina rigenerativa. V2; gennaio 2026.

https://www.doh.gov.ae/-/media/Feature/Resources/Standards/2026/Standard-for-Therapies-in-Human-Cell-Based-Tissue-Based-and-Regenerative-Medicine.ashx

11. FACT-JACIE. Norme internazionali per terapia cellulare ematopoietica. Nona edizione, Versione 9.1; pubblicato 17 Dicembre 2025, efficace 2 Febbraio 2026.

https://www.ebmt.org/sites/default/files/2025-12/FACT-JACIE%20HCT%20Standards%209th%20Ed_V9-1.pdf

12. SFDA CASGEVY guida. Guida alla gestione e all'amministrazione. Versione 1.0; preparato e approvato da SFDA maggio 2024. Leggi accanto alle attuali informazioni di prescrizione locale.

https://www.sfda.gov.sa/sites/default/files/2025-01/KSA%20Casgevy%20Handling%20and%20Administration%20Guide_v1.0_EN.pdf

13. EMA CASGEVY informazioni. Casgevy: informazioni sui prodotti UE. Acceso 5 Novembre 2026. benchmark internazionale dei prodotti, non diritto del Golfo.

https://www.ema.europa.eu/en/documents/product-information/casgevy-epar-product-information_en.pdf

14. Guida di SFDA Zolgensma. Guida di un professionista sanitario per minimizzare i rischi con Zolgensma. Versione 4.0, Settembre 2025.

https://www.sfda.gov.sa/sites/default/files/2026-03/RMP%20HCP%20Guide%20SEPT%202025_V14%20(002).pdf

15. FDA REMS annuncio. FDA Elimina REMS per Autologous CAR T-cell Immunotherapies. 27 Giugno 2025. Azione normativa statunitense, non una regola del Golfo.

https://www.fda.gov/news-events/press-announcements/fda-eliminates-risk-evaluation-and-mitigation-strategies-rems-autologous-chimeric-antigen-receptor

16. Guida FDA LTFU. Seguito a lungo termine dopo l'amministrazione dei prodotti di terapia genetica umana. Guida per l'industria; Gennaio 2020.

https://www.fda.gov/regulatory-information/search-fda-guidance-documents/long-term-follow-after-administration-human-gene-therapy-products

17. Guida DoH Jawda. Indicatori di prestazioni di qualità HSCT. Versione 3.1; Novembre 2025.

https://www.doh.gov.ae/-/media/Feature/Muashir/Jawda/2026/HSCT-Jawda-GuidanceV312025.ashx

Metodo e limitazioni

Si tratta di una rassegna di risorse pubbliche mirata e di una sintesi operativa, non di una revisione clinica sistematica, di audit incentrato sul trattamento dal vivo o di un esaustivo inventario di autorizzazione nazionale. Le fonti sono state selezionate per importanza per l'approvazione del prodotto, le pietre miliari regionali di consegna, gli standard clinici e i controlli di sicurezza. Gli annunci storici stabiliscono ciò che è stato segnalato nelle loro date di pubblicazione, non capacità o ammissibilità di oggi.

Le raccomandazioni, i cancelli di prontezza, i periodi di pianificazione, le domande economiche e le definizioni del cruscotto sono proposte analitiche. Non è stato avviato alcun dataset a livello di paziente, i prezzi proprietari, l'analisi dei risultati clinici o la validazione quantitativa della disponibilità.

© 2026 HERMS Consultancy DMCC. Per informazioni e pianificazione strategica. Non consulenza medica, consulenza legale o un sostituto per le attuali informazioni approvate prescriventi e requisiti di autorità competenti.

Indice del soggetto

Selezionare un argomento per andare alla sua sezione in questo white paper.

Autorizzazione e finanziamento

Pianificazione delle capacità

Prontezza della cellula del Golfo e della terapia genica

Seguito post-infusione

integrità del prodotto

Prontezza del centro di trattamento

Modalità di trattamento

Risorse correlate HERMS

Prontezza della terapia cellulare e genica nel GCC

GCC obblighi di farmacovigilanza per i titolari di autorizzazione all'immissione in commercio

GCC farmaceutica prezzi e strategia di accesso al mercato

Registrazione del prodotto farmaceutico UAE

Contatto HERMS

Riferimenti collegati e lettura

https://dha.gov.ae/uploads/122024/Standards%20for%20Clinical%20Hematopoientic%20Stem%20Cell%20Transplant%20Services%202024120398.pdf

https://hamad.qa/EN/Education-and-research/Academic-Health/Pages/cancer-Research-Institute.aspx

https://iuhealth.org/thrive/patient-travels-to-iu-health-from-kuwait-for-cancer-treatment

https://www.doh.gov.ae/-/media/Feature/Muashir/Jawda/2026/HSCT-Jawda-GuidanceV312025.ashx

https://www.doh.gov.ae/-/media/Feature/Resources/Standards/2026/Standard-for-Therapies-in-Human-Cell-Based-Tissue-Based-and-Regenerative-Medicine.ashx

https://www.doh.gov.ae/en/news/doh-and-ascc-introduces-therapy-for-scd-and-thalassemia

https://www.ebmt.org/sites/default/files/2025-12/FACT-JACIE%20HCT%20Standards%209th%20Ed_V9-1.pdf

https://www.ede.gov.ae/en/w/issuance-of-marketing-authorization-for-a-drug-or-biopharmaceutical-product

https://www.ema.europa.eu/en/documents/product-information/casgevy-epar-product-information_en.pdf

https://www.fda.gov/news-events/press-announcements/fda-eliminates-risk-evaluation-and-mitigation-strategies-rems-autologous-chimeric-antigen-receptor

https://www.fda.gov/regulatory-information/search-fda-guidance-documents/long-term-follow-after-administration-human-gene-therapy-products

https://www.globenewswire.com/news-release/2023/12/02/2789644/0/en/casgevy-gets-bahrain-approval-for-treatment-marking-it-second-country-in-the-world.html

https://www.hermsglobal.com/cell-gene-therapy-gcc-readiness

https://www.hermsglobal.com/contact-us

https://www.hermsglobal.com/gcc-pricing-market-access-strategy

https://www.hermsglobal.com/pharmaceutical-product-registration-uae

https://www.hermsglobal.com/pharmacovigilance-obligations-gcc-mah

https://www.kfshrc.edu.sa/en/news/2025/10/kfshrc-treats-200-patients-with-cart-therapy-and-launches-local-manufacturing

https://www.omanobserver.om/article/1189533/oman/umc-conducts-first-therapy-with-local-immune-cells

https://www.sfda.gov.sa/sites/default/files/2025-01/KSA%20Casgevy%20Handling%20and%20Administration%20Guide_v1.0_EN.pdf

https://www.sfda.gov.sa/sites/default/files/2026-03/RMP%20HCP%20Guide%20SEPT%202025_V14%20(002).pdf

https://www.spa.gov.sa/N2026057