HERMS WHITE PAPER | NOVEMBER 2026

# Hvor klare er Gulfstatene for celle- og genterapi?

Fra godkjenning til pasientinfusjon

**HERMS Konsultant DMCC**

Dubai, De forente arabiske emirater ® hermsglobal.com

HERMS WHITE PAPER ?? WP4 ?? NOVEMBER 2026

## Cell and Gene terapi Leslighet i Gulfen:

### Fra godkjenning til pasientinfusjon

Et praktisk rammeverk for å gjøre produktautorisasjon til trygg, finansiert og sporbar pasienttilgang.

**THE CENTRAL ARGUMENT**

Godkjenning er en produkt milepæl. Leslighet er en pasientnivå evne: den riktige behandlingen, det rette senteret, en intakt produktvei, bekreftet finansiering og ansvarlig oppfølging.

**HERMS Konsultant DMCC**

Dubai, De forente arabiske emirater

Anmeldelse av bevis: 5 november 2026

For helse-systemledere, spesialleverandører, betalere, produsenter og markedstilgjengelige lag. Denne whitepaper tilbyr en strategisk og operativ rammeverk, ikke en klinisk protokoll eller en produktspesifikk regulatorisk mening.

## Executive-sammendrag

Gulfs celle- og genterapimuligheter bør bedømmes ved fullførte, trygt styrede pasientveier i stedet for ved å godkjenne kunngjøringer. Dette dokumentet foreslår en beredskapsmodell som forbinder regulatorisk tillatelse, finansiering, klinisk evne, produktintegritet og oppfølging gjennom eksplisitte beslutningsporter.

Regionale milepæler som allerede spenner over forskjellige stadier: Bahrain kunngjorde CASGEVY-godkjenning i desember 2023; Saudi-Arabia rapporterte godkjenning i januar 2024; og Abu Dhabi annonserte innføring av behandlingen i mars 2025. NHRA [2] Saudi Press Agency [1] DoH Abu Dhabi [[3] Dette er meningsfull utvikling, men ingen er en erstatning for en nåværende, pasientspesifikk autorisasjon og leveringsrekord.

### Fem prioriteringer for beslutningstakere

Separat tillatelse fra evne: holde produktgodkjenning, anleggslisens, produsentkvalifisering, pasientfinansiering og klinisk kvalifiserthet som ulike godkjenninger.

Design rundt modaliteten: autolog CAR-T, ex vivo genredigerte stamceller og in vivo genterapier krever ulike operasjonelle veier. Papiret bruker produktveiledning og internasjonale standarder for å illustrere disse forskjellene. FACT-JACIE [11] SFDA CASGEVY guide [[12] EMA CASGEVY informasjon [13]
SFDA Zolgensma guide [14]

Beskytt irreversible beslutninger: Ingen tidsplan eller kommersiell forpliktelse bør overskride den dokumenterte beredskapskontrollen som kreves før preparativ behandling, produkttining eller administrering.

Fond den komplette episoden: avtaler hvem som betaler for diagnose, innsamling der det er aktuelt, produksjon, behandling, komplikasjoner, reise og oppfølging før pasienten begår det.

Mål tilgang og attrisjon: spor henvisning-til-beslutning og beslutning-til-infusjon intervaller sammen med pasienter utsettes, avbrutt, mistet å følge opp eller ikke i stand til å fortsette.

**PROPOSED READINESS RULE**

En pasient er klar til å gå videre bare når hver relevant sikkerhetskritisk port er lukket med bevis og navngitt avlogging. Ikke gjennomsnittlig en feilslått port i en total \"grønn\" score.

## Leseguide

Regionale bevis og modalitetsforskjell etablerer sammenhengen. Kjernen seksjonene dekker deretter autorisasjon og finansiering, pasient- og sentrumsberedskab, produktlogistikk, oppfølging og driftsøkonomi; de siste seksjonene gir en 90-daglig mobiliseringsplan og en praktisk beredskapskontrollliste.

Omfang: Bahrain, Kuwait, Oman, Qatar, Saudi-Arabia og UAE. Landet øyeblikksbilde er selektive bevis, ikke et komplett produktregister eller en rangering av nasjonal beredskap. Internasjonal veiledning er eksplisitt forskjellig fra Gulf krav.

## Gulflandskapet: fremskritt er ikke ensartet beredskap

Bevisene nedenfor registrerer ulike typer fremgang, ikke sammenlignbare nasjonale resultater. Publikasjonsdatoer holdes slik at en historisk godkjenning, et forskningsprogram eller en enkelt behandlet pasient ikke presenteres som bevis på gjeldende rutinetilgjengelighet.

| Market | Bekreftet bevis | Leslighetstolkning |
|---|---|---|
| Saudi-Arabia | SFDA-godkjenning av CASGEVY ble rapportert på 8 januar 2024. KFSHRC rapporterte mer enn 200 CAR-T-pasienter behandlet siden 2020 i oktober 2025. Agentur [1] KFSHRC [4] | KFSHRC beskrev eksplisitt sin første lokalt fremstilte CAR-T-behandling som en del av en initial klinisk studie. 4 ] |
| De forente arabiske emirater | DoH annonserte CASGEVY introduksjon gjennom ADSCC den 28 mars 2025, med den første pasienten som var planlagt til å begynne i april. autorisasjon. DoH Abu Dhabi [3] | Kunngjøringen nevner også forsikringsdekning som er underlagt forskrifter og standarder; den etablerer ikke universell dekning, pasientspesifikk godkjenning eller fullført infusjon på kunngjøringsdatoen. DoH Abu Dhabi [3] |
| Bahrain | En NHRA-utgivelse datert 2 desember 2023 kunngjorde CASGEVY-godkjenning for sigdcellesykdom (SCD) og transfusjonsavhengig beta-thalassemi. NHRA [2] | Utgivelsen spesifiserer ikke behandlingskapasitet, lanseringsarrangement eller pasientnivådekning. Disse elementene krever separat verifisering. NHRA [2] |
| Oman | Oman Observer, rapportering ONA, beskrevet lokalt forberedt og utviklet CAR-T behandling ved University Medical City på 12 mai 2026. Oman Observer / ONA [6] | Rapporten identifiserer ikke autorisasjonsruten eller om behandlingen var forskning eller rutine. Ikke oppgi en lisensiert kommersiell produksjonsplattform. Oman Observer / ONA [6] |
| Qatar | HMCs Cancer Research Institute-side beskriver preklinisk CAR-transdusert T-celle- og NK-cellearbeid og et translasjonelt forskningsprogram. Konsernet [5] | Denne siden støtter forskningsevne, ikke en verifisert lager av kommersielle CAR-T-produkter eller aktive rutinebehandlingsspor. Hamad Medical Corporation [5] |
| Kuwait | IU Helse dokumentert en kuwaitisk pasient som reiser til CAR-T-terapi den 5 juni 2024, inkludert reise og overnatting støtte. IU Helse [7] | Dette er bevis på en grenseoverskridende vei, ikke bevis på at Kuwait mangler innenlandskapasitet eller en erklæring om gjeldende nasjonal dekning. IU Health [7] |

Forut lansering eller henvisning er det ikke negative hull. Før lansering eller referanse, får du gjeldende produktstatus, behandlingsområde, kapasitet, betalerkompetanse og rettslig adgangsrute direkte fra de relevante partene.

# Tre metoder, tre operasjonsveier

En enkelt \"celle- og genterapi\"-kontrollliste er utilstrekkelig. FACT-JACIE-standarder adresserer celleterapiinnsamling, behandling og administrering, mens de siterte CASGEVY- og Zolgensma-materialene viser produktspesifikke krav som ikke kan overføres uavsiktelig mellom metoder.

[ 11 ] SFDA CASGEVY guide [ 12 SFDA Zolgensma guide [ 14 ]

| Modalitet | Vei og avhengighet | Lese vekt |
|---|---|---|
| Autolog CAR-T | Pasienteinnsamling, produksjon, produktutbytte, preparativ behandling der spesifisert, infusjons- og toksisitetsovervåkning. KFSHRC beskriver oppsamlings-, modifikasjons- og refusjonsmodellen. KFSHRC [4] | Oppbevar pasientproduktbinding over alle avføringer. Forbered for cytokinfrigjøringssyndrom og nevrologiske toksisiteter i henhold til gjeldende etikett og lokal program. FACT-JACIE [11] FDA REMS kunngjøring [15] |
| Ex vivo genredigerte stamceller | Mobilisering og aferesis av hematopoetiske stam- og stamceller (HSPC), fremstilling, produktretur, myeloablativ kondisjonering og infusjon. CASGEVY er et eksempel, ikke et generisk protokoll. SFDA CASGEVY guide [12] EMA CASGEVY informasjon [13] | Bekreft transplantasjon egnethet, redningscelle tilgjengelighet og den komplette produktdosen før det relevante irreversible trinnet. EMA CASGEVY-informasjon [13] |
| In vivo genterapi | Produktet administreres direkte; den siterte Zolgensma-veien krever ikke pasientcelleinnsamling og retur. Dens guide spesifiserer forhåndsbehandlingsvurdering og etter infusjonsovervåkning. SFDA Zolgensma guide [14] | Produktspesifikk antistofftesting, organvurdering, medisiner, laboratorieovervåking og spesialisert eskalering kan forbli essensielt selv uten pasientspesifikk produksjonssløyfe. Zolgensma guide [14] |

## Hva skal være vanlig

Bruk en felles styringsstruktur for kvalifiserthet, samtykke, finansiering, produktkvittering, negativ eskalering og oppfølgingsansvar. Fest en kontrollert modalitet og produktadditiv i stedet for å tvinge alle behandlinger til samme tidspunkter, temperaturer, tester eller bemanningsmodell.

### Hva som skal forbli separat

Allogene celleprodukter, etterforskningskonstruksjoner og lokalt produserte produkter trenger sin egen donor, produksjon, frigjøring og autorisasjon vurderinger. En vellykket behandling eller en akkreditert klinisk tjeneste bør ikke behandles som bevis på at en annen konstruksjon, indikasjon eller produksjonsplass er autorisert.

**OPERATING IMPLICATION**

Velg den første tjenesten med sine komplette veikrav og tilgjengelig evne, ikke ved at produktet er attraktivt. Et importert kommersiell terapiprogram og et lokalt produksjonsprogram er ulike investeringer.

## Godkjenning og finansiering: Lukk riktige porter

UAE illustrerer behovet for å skille ut produkt- og servicerettigheter: EDE gir en markedsføringsautorisasjonsvei for farmasøytiske og biologiske produkter, mens DHAs HSCT-standard separat setter tjenestelisens- og akkrediteringskrav innenfor sitt virkeområde. EDE [8] DHA [9] Den operasjonelle anbefalingen er å opprettholde et produkt ?? indikasjon ?? site-authorization matrise i stedet for et enkelt \"godkjent\" felt.

### En jurisdiksjonspesifikt autorisasjonsrekord

Produktrute: registrere den autoriserte indikasjonen, gjeldende lokal etikett, alder og andre kvalifikasjonsgrenser, markedsføringsautoriseringsinnehaver og enhver lovlig spesialtilgang eller prøverute.

Tjenestevei: dokumentere anleggslisensen, omfanget av praksis, kreves akkrediteringer, spesialiteter og produktspesifikk produsentkvalifikasjon. Ikke anta én erstatning for en annen.

Import- og frigjøringsrute: fastsette gjeldende tillatelser til utgangsmateriale, ferdig produkt, tollklarering og frigjøring eller akseptering.

Forskningsrute: Hold etikkgodkjenning, sponsoransvar, etterforskningsforsyning, samtykke og rapportering separert fra kommersiell tilgang. En prøve blir ikke rutinemessig omsorg fordi behandling forekommer på et etablert sykehus.

**SCOPE CHECK THAT MATTERS**

DoHs januar 2026 regenerativ-medisin standard ekskluderer eksplisitt genterapier og mer enn minimelt manipulerte cellebehandlinger. Ikke bruk det dokumentet alene som autorisasjonsgrunnlag for CAR-T eller gen-redigert celleterapi. DoH Abu Dhabi [10

#### En fullstendig finansieringsbeslutning, ikke en bare narkotikagodkjenning

Anbefalt økonomisk autorisasjon bør dekke medisinen og omsorgsepisoden, inkludert diagnostikk, innsamling der det er relevant, preparativ behandling, sykehusinnleggelse, komplikasjoner og oppfølging. Det bør identifisere dekningsunntak, utløpsdatoer, pasientbidrag, kanselleringsvilkår og som bærer kostnadene for innsamling eller produksjon hvis infusjonen ikke kan fortsette.

DoHs CASGEVY kunngjøring nevner forsikringsdekning i henhold til gjeldende forskrifter og standarder, men publiserer ikke universelle rettighet eller individuelle policyvilkår. DoH Abu Dhabi [3] Et program bør derfor verifisere pasienten, produktet, leverandøren og finansieringsveien sammen før akseptert et finansiert behandlingsslot.

Dette papiret etablerer ikke en GCC-videre refusjonsrett, en felles autorisasjonsvei eller en regulatorisk gjennomgangstidsgaranti. Hver live sak krever gjeldende lokal bekreftelse.

## Pasiente og senter beredskap: gjøre ansvarsfrihet eksplisitt

For CASGEVY, krever EU-produktinformasjon et autorisert senter og leger som har erfaring med transplantasjon og beta-hemoglobinopater, og identifiserer fruktbarhetskonsekvenser av myeloablativ kondisjonering. EMA CASGEVY informasjon [13] Dette er nyttige produktspesifikke benchmarks; gjeldende Gulf-etikett og lokale servicekrav forblir kontrollerende.

### Patientberedskapskonferansen

Før man forbeholder seg et irreversibel behandlingstrinn, bør tverrfaglig team dokumentere diagnose og indikasjon, alternativer, forventet fordel og usikkerhet, nåværende organ- og infeksjonsvurdering, klinisk egnethet, samtykke og omsorgspersonell. For barn bør programmet adressere aldersmessig kommunikasjon og gjeldende samtykke eller godkjenningsprosess.

Anbefalt rådgivning bør forklare hele reisen, mulig produksjons- eller planleggingssvikt, behandlingsrelaterte risikoer, fruktbarhetshensyn der det er relevant, muligheten for ingen varig fordel og oppfølgingsbyrden. Gi forståelige arabiske eller andre foretrukket språklige materialer og en navngitt vei for spørsmål, i stedet for å behandle en signatur som bevis på forståelse.

| Regnbare funksjoner | Minimum bevis for å lukke porten |
|---|---|
| Klinisk program lead | Vurdering av pasienten, forskrivning og eskalering av eierskap; dokumentert grunn til å fortsette eller utsettes. |
| Innsamling/laboratorium lead | Kvalifisert innsamlingsvei der det kreves; identitetskontroll; produkthåndteringskompetanse; validert lagrings- og beredskapsordninger. |
| Sykepleier / apotek lead | Produktspesifikk opplæring; administrasjonsarbeid; bekreftet tilgjengelighet av nødvendige medisiner, forsyninger og overvåkingsevne. |
| Kritisk omsorg / spesialisttjenester | Dokumentert eskalering og overføringsvei; relevant omringningsdeksel; bevis for at nødsimuleringer er fullført. |
| Case manager / payer connection | Finansieringsgodkjenning; reise- og omsorgsplan; pasientkontaktrute; postavgiftsavtaler og mottaksordninger. |

### Akkreditering er omfattende bevis

DHAs HSCT-standard krever sykehus- og laboratorieakkreditering før tjenestestart og FACT eller ekvivalent akkreditering av den kliniske HSCT-tjenesten innen 24 måneder etter autorisasjonsaktivering. DHA [9 FACT-JACIE skiller også transplantasjonsprogrammer fra immun-effector-celle-bare programmer, med forskjellige gjeldende akkrediteringsveier. FACT-JACIE [11]

Dette er ikke en universell tidsplan eller akkrediteringsregel for hver Gulf-genterapitjeneste. Kontroller nøyaktig jurisdiksjon, lisens, klinisk omfang og gjeldende standard før du bruker dem.

## Produktintegritet: Koble produksjon til sengesiden

FACT-JACIE definerer identifikasjonskjeden som den varige foreningen av produktidentifikatorer gjennom hele livssyklusen, og vareholdskjeden som revisjonsbar dokumentasjon av verge fra opprinnelse til endelig disposisjon. FACT-JACIE [11 Begge er nødvendig; en forsendelseslokaliseringsrekord alene etablerer ikke pasientproduktidentitet.

### En sporbar slutt-til-ende-rekord

De foreslåtte registerlinks pasientidentifikatorer, innsamlingsidentifikatorer der det er aktuelt, produsentbestilling, parti eller parti, utgivelsesdokumentasjon, kureravleveringer, temperaturbevis, mottak av sted, lagringsplass, administrasjon og endelig disposisjon. Hver diskrepanse trenger eier, disposisjon og dokumentert stenging i stedet for en uformell forklaring.

| Kontrollpunkt | Bevis og beslutning |
|---|---|
| Før samling/bestilling | Reconcile pasientidentitet og ordre; etablere den autoriserte ruten, spilleautomaten og finansiering forpliktelse; bekrefte beredskap eierskap. |
| Forberedelse av forsendelser | Bruk produktspesifikke emballasje- og kvalifiserte transportordninger; verifisere dokumenter, motta prosedyrer for tilgjengelighet og forstyrrelse. |
| Nettstedskvittering | Reconcile identitet, mengde, integritet, transportbetingelser, frigjøringsdokumenter og lagringsevne; karantæne uløste ulikheter. |

| Kontrollpunkt | Bevis og beslutning |
|---|---|
| Før preparativ behandling | Kontroller alle produktspesifikke forutsetninger, nåværende pasientens egnethet og kapasitet. Bruk den lokale etiketten; ikke oppsummering fra en forventet leveringsdato. |
| Før tining/administrasjon | Kontrollere pasientprodukt-match, bestilling, full dose hvor det er relevant, utløp og utdannet personale; dokumentvareaksept og klinisk godkjenning separat. |

### En viktig produktspesifikk avhengighet

EU CASGEVY-informasjonen sier at kondisjonering ikke må begynne før den fullstendige dosen er kommet til det autoriserte behandlingssenteret og sikkerhetskopieringscelle-tilgjengeligheten er bekreftet. EMA CASGEVY informasjon [13] Den saudiarabiske håndteringsguiden krever pasientidentifisering og to-persons sengesidekontroll før hvert hetteglass, samt produktspesifikke kryostorage- og tine-til-infusjonskontroller. SFDA CASGEVY guide [12]

Disse eksemplene viser hvorfor en generell logistikktjenesteavtale er utilstrekkelig. Klarhetsplanen bør oversette den lokale etiketten til kontrollerte kontrollpunkter uten kopiering av temperaturer, tidsgrenser eller frigjøringskriterier fra et produkt til et annet.

**HARD STOP**

En uløst identitetsfeil, produktintergritetsproblemer eller manglende kritisk forutsetning bør utløse et grep og eskalering. Verken senk kostnader eller et booket seng er bevis på at produktet trygt kan administreres.

## Infusjon er en overgang, ikke slutten på tjenesten

FDA’s juni 2025 fjerning av REMS for seks listede BCMA- og CD19-styrte autologe CAR-T-produkter fjernet ikke negativ-event rapportering eller produsent etter markedsføring sikkerhetsstudier. FDA RMS kunngjøring [15] Det er en amerikansk handling, ikke en teppe avslapning av Gulf anlegg, produsent eller produktspesifikke sikkerhetsforpliktelser.

#### Oppbevar produktspesifikk akutt sikkerhetskapasitet

CAR-T-programmer må tolke dagens toksisitetsvarsler og lokale omsorgskrav i stedet for å stole på historiske amerikanske sertifiseringsregler; FDA-erklæringen identifiserer fortsatt cytokinutgivelsessyndrom og nevrologiske toksisiteter i produktmerking. FDA REMS kunngjøring [15] Den anbefalte lokale beredskapsbevis er en praktisert responsvei, passende spesialistdeksel og bekreftet tilgjengelighet av nødvendig redningsbehandling i henhold til den aktuelle protokollen.

Den saudiarabiske Zolgensma risikominimiseringsguiden illustrerer en annen byrde: den spesifiserer pre-behandling vurdering og klinisk og laboratorie overvåking i minst tre måneder etter infusjon, inkludert leverrelatert sikkerhetsovervåkning. SFDA Zolgensma-guide [14] Et program bør ikke beskrive in vivo-terapi som operasjonelt enkelt bare fordi aferesis og pasientspesifikk cellefremstilling er fraværende.

### Bygg oppfølging før pasienten aksepteres

Klinisk eierskap: identifisere behandlingslederen, den langsiktige mottakerklinikken og eskaleringsveien for mistenkt forsinket toksisitet.

Kontinuitet: avtaler hvor tester forekommer, som vurderer resultatene, hvor manglende besøk eskaleres og hvordan barn overføres til voksenpleie.

Overgrensende omsorg: bekrefte lovmessig datadeling, reisegjennomførlighet, nødtilgang, betalingsansvar og overleveringsaksept før pasienten kommer hjem.

Pasientestøtte: gi en behandlingsoppsummering, produktidentifikator, nødkontakt og forståelige sikkerhetsinstruksjoner, med en gjenoppretting og omsorgspersonellsplan.

### Ikke implementer en oppfølgingsvarighet på alle produkter

FDA veiledning anbefaler en risikobasert tilnærming og uttrykkelig sier at ikke alle genterapier krever langsiktig oppfølgingsobservasjoner. FDA LTFU veiledning [16] EU CASGEVY-informasjonen spesifiserer årlig overvåking for 15 år, og illustrerer et produktspesifikk engasjement i stedet for en universell GCC-regel.
CASGEVY-informasjon [13]

**GOVERNED EVIDENCE, NOT AUTOMATED CLINICAL AUTHORITY**

Digitale systemer kan forene dokumenter, flagg som mangler bevis og støtte planlegging eller påminnelser. Patientkompetanse, produktaksept, frigjøringsbeslutninger og klinisk behandling forblir med tilstrekkelig autoriserte menneskelige beslutningstakere.

## Økonomi og kapasitet: finansiere hele veien

Dette papiret anbefaler en episodebasert planleggingsmodell i stedet for et budsjett for narkotikapris. Det anslår ikke en regional markedsstørrelse, behandlingspris, avkastning på investering eller besparelser; de krever produkt-, betaler- og befolkningsspesifikke data.

### Bygg opp nevneren før budsjettet

Begynn med klinisk vurderte kandidater, ikke sykdomsprevalens eller en kampanje markedsprognose. Modell hvor mange pasienter er sannsynlig å være kvalifisert, finansiert, i stand til å gjennomgå innsamling der relevant, vellykket levert, klinisk passe på den planlagte datoen og til slutt infusert; tillate ordren på disse stadiene å variere etter produkt.

| Budsjettkomponent | Beslutning som skal være eksplisitt |
|---|---|
| Vurdering og forberedelse | Hvem finansierer diagnostisk bekreftelse, spesialisering, rådgivning, fertilitetsbevaring der det er relevant og gjentatt testing? |
| Innsamling og produksjon | Hvem betaler for gjentatt samling, mislykket produksjon, kansellering, rescheduling og ubrukt pasientspesifikk produkt? |
| Behandling og komplikasjoner | Hvilken inpatient, kritisk omsorg, laboratorium og støttende omsorgskostnader er inkludert, ekskludert eller dekket? |
| Reise og gjenoppretting | Hvem dekker visum der det er nødvendig, overnatting, omsorgspersonvern, lokal transport og forlenget opphold? |
| Oppfølging og bevis | Hvem finansierer langsiktig klinisk overvåking, datainngang, registerdeltakelse og omsorg etter pasienten endrer betaler eller land? |

### Designkontrakter rundt målbare hendelser

Dersom det er lovlig og kommersielt hensiktsmessig, kan betalingsmålene knyttes til kontrollerbare hendelser som leveringsaksept, infusjon eller et avtalt klinisk utfall. En utfallsbunden kontrakt bør definere populasjonen, endepunktet, målevinduet, manglende dataregler, addicator og økonomisk konsekvens før behandling; klinisk vurdering må være uavhengig av betalingsincitament.

Separat operativ svikt fra mangel på klinisk respons. En produksjonssvikt, en pasient som blir uegnet før infusjon, en manglende resultatvurdering og en verifisert ikke-respons bør ikke behandles som samme kontraktsmessige hendelse.

### Kapasiteten er en veibegrensning

For planleggingsformål, modellkapasitet som minimum av gjeldende flaskehalser: finansierte pasienter, diagnostisk arbeid, innsamlingsspor, produksjonstildeling, behandlingssenger, spesialdekning og oppfølgingskapasitet. Valider prognosen mot faktiske ferdigstillelsestider og forstyrrelser scenarier før du legger til nye indikasjoner eller steder.

**INVESTMENT PRINCIPLE**

Lokal produksjon bør vurderes som et separat forretnings- og reguleringstilfelle. Demonstratering av klinisk leveringskapasitet etablerer ikke i seg selv prosesssammenligning, kommersiell produksjonsgodkjenning eller bærekraftig produksjonsøkonomi.

## En 90-dagers beredskapsmobiliseringsplan

Følgende er en foreslått planlegging cadence, ikke et løfte om lisensiering eller første infusjon innen 90 dager. Formålet er å produsere en bevisstøttet go, holde eller redesign avgjørelse for et definert produkt, indikasjon, sted og payer rute.

| Planleggingsperiode | Arbeidspakke | Utgangsbevis |
|---|---|---|
| Dager 1 ?? 30 | Definere den første veien; bekrefte lovlig og produktomfang; kart pasientens etterspørsel og kapasitet; utpeke klinisk, kvalitet, tilgang og logistikk eiere. | Godkjent omfang; kildestyrt autorisasjonsmatrise; baseline hull; navngitte beslutningseiere og finansiering antagelser. |
| Dager 31 ?? 60 | Nær prioritet SOP, opplæring, betaler, leverandør, lagring, data og referanseåpninger. Reconcile produktspesifikke forutsetninger og langsiktig eierskap. | Dokumentert kompetanse; kjørbare avtaler; kontrollerte arbeidsflyter; finansiert løsningsplan for uløste hull. |
| Dager 61 ?? 90 | Kjør end-to-end simuleringer, inkludert forsinkelse, mislykkes, pasientens forverring og nødopptrapping. Gjennomgang bevis før du aksepterer det første levende tilfellet. | Signert simuleringsrapport; avsluttede kritiske avvik; godkjent kapasitet; uavhengig gjennomgang av beredskap og beslutningsrekord. |

### Et lite dashboard med defensible definisjoner

| Måling | Anbefalt definisjon og tolkning |
|---|---|
| Henvisning til beslutningstid | Dager fra mottak av en fullstendig henvisning til dokumentert tverrfaglig beslutning. Rapporter median, 90. percentil og ufullstendige henvisninger separat. |
| Beslutnings-til-infusjonstid | Dager fra dokumentert valgbarhetsbeslutning til infusjon, rapportert etter produkt og rute. Separat betaler, produksjon og klinisk forsinkelse grunner. |
| Infusjonskonvertering | Infunderte pasienter fordelt på pasienter som er vurdert kvalifisert i en definert inngangskohort; tilstandsoppfølgingsvinduet og viser avventende tilfeller separat. |
| Pre-infusjon attrisjon | kvalifiserte pasienter som ikke når infusjon, klassifisert ved finansiering, klinisk forverring, forsyning, uttak eller annen dokumentert grunn. |
| Sporbarhet og oppfølging | Kritiske identitets-/kustodiavvik; uløste avvik; fullførte oppfølgingsvurderinger fordelt på grunn av vurderinger, med dødsfall og overføringer identifisert. |

Bruk ukentlig operasjonell gjennomgang og månedlig styring gjennomgang i utgangspunktet. Målene bør settes fra den lokale grunnlinjen og gjeldende forpliktelser, ikke oppfunnet regionale benchmarks; bevare nødvendige sikkerhetsrapporterende tidslinjer uavhengig av dashboardsykluser.

Abu Dhabis Jawda-veiledning krever allerede definert HSCT-kvalitetsrapportering for in-scope-leverandører, som illustrerer hvorfor et program dashboard må samarbeide med autorisert rapportering i stedet for å erstatte det. DoH

Jawda-veiledning [17]

## Leselighetskontrolliste og lederagenda

Denne sjekklisten er et foreslått styringsverktøy, ikke et akkrediteringsinstrument eller validert beredskapsscore. Vurdering av hver gjenstand som komplett, ufullstendig eller ikke relevant med en dokumentert rasjonal, bevisreferanse, eier og vurderingsdato.

| Gate | Bevis som trengs for en «fullstendig» beslutning |
|---|---|
| Lovlig tilgang | Bekreftet produkt-/utleierute; gjeldende tillatelser; anleggsramme; gjeldende etikett- og risikostyringsforpliktelser. |
| Pasienters kvalifiserthet | Tverrfaglig avgjørelse; oppdatert egnethet; informert samtykke; alternativer som diskuteres; omsorgsperson og fruktbarhetshensyn der det er relevant. |
| Episodefinansiering | Patientspesifikke godkjennings- og betalingsansvar, inkludert komplikasjoner, kansellering, reise og oppfølging. |
| Senterfunksjonalitet | Kvalifisert team; nåværende privilegier; relevant akkreditering; produkttrening; utstyrsberedskap og nøddeksel. |
| Forsyning og identitet | Bekreftet produksjons- eller forsyningsvei; forente identifikatorer; kvalifisert transport; mottaks- og lagringsaksept; diskrepansekontroller. |

| Gate | Bevis som trengs for en «fullstendig» beslutning |
|---|---|
| Preparativ behandling | Alle produktspesifikke forutsetninger oppfylt; pasienten revurdert; kreves produkt- og redningsordninger verifisert; klinisk avmelding. |
| Infusjon og eskalering | Korrekt pasient og produkt; nåværende ordre; utdannet team; nødvendig medisiner og overvåking; dokumentert eskalering myndighet. |
| Langsiktig kontinuitet | Navngitt klinisk eier; finansiert overvåkningsplan; pasientkontakter; register-/rapporteringsplikt; akseptert overlevering på tvers av landegrenser om nødvendig. |

## Hvilket lederskap bør ha neste

Kommisjonen en integrert beredskapsdokumentasjon for den første prioritetsveien, med klinisk, regulatorisk, kvalitet, økonomi og leverandørkjede eierskap. Kreve en dokumentert no-go-beslutning når en sikkerhetskritisk forutsetning er uoppklart, og behold grunnene slik at organisasjonen kan skille ut løselig forsinkelse fra upassende behandling.

For et spesialistrådgiverteam som HERMS er det riktig å strukturere kildeverifisering, kravkartlegging, interessenters tilpasning og beredskapsbevis. Det er ikke å erstatte regulatoren, produsentens utgivelsesfunksjon, betalingstak eller behandlingsteam, og dette dokumentet hevder ikke at HERMS opererer kliniske tjenester eller har validert pasientresultater.

**Konklusjon**

Det neste målet med Gulf-framgangen bør være evnen til å levere en ansvarlig pasientvei: lovlig tilgang, passende utvalg, fullstendig finansiering, pålitelig produkthåndtering, trygg administrasjon og kontinuitet av omsorg. Godkjenning åpner banen; beredskap gjør det brukbart.

## Referanser og evidensnotater

Kilder som gjennomgås på 5 november 2026. Nummererte kildenavn-koblinger vises ved siden av faktiske krav. Offisielle standarder og produktmaterialer har forrang over kunngjøringer for operasjonelle beslutninger; internasjonale dokumenter er referanser, ikke automatisk gjeldende Gulf-lov.

1. Saudi Pressebyrå. SFDA Approverer første generisk medisin for sigdcelleanemi og Thalassemia. 8 Januar 2024.

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

2. NHRA. CASGEVY får Bahrain-godkjenning for behandling. NHRA-utgivelse, 2 desember 2023, distribuert av 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. Introduksjon av CASGEVY gjennom Abu Dhabi Stem Cells Center. 28 March 2025.

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

4. KFSHRC. KFSHRC behandler 200 pasienter med CAR-T-terapi og lanserer lokal produksjon. 29 Oktober 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. Kreftforskningsinstitutt. Undated institusjonell side; tilgang til 5 november 2026.

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

6. Oman Observer / ONA. UMC utfører første behandling med lokale immunceller. 12 mai 2026.

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

7. IU Health. Pasienten reiser til IU Health fra Kuwait for kreftbehandling. 5 Juni 2024.

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

8. EDE. Inneholder markedsføringstillatelse for et legemiddel eller et biofarmasøytisk produkt. Tilgang 5 november 2026.

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

9 . DHA. Standarder for klinisk hematopoietisk stamcelletransplantattjenester. Versjon 1.0 Utgitt 27 november 2024 , effektiv 27 Januar 2025 .

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

## Referanser fortsatte

10. DoH Abu Dhabi. Standard for Therapies i human Cell-basert, utgavebasert og regenerativ medisin. V2; Januar 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. Internasjonale standarder for hematopoietisk cellulær terapi. Ninth Edition, versjon 9.1 ; publisert 17 Desember 2025 , effektiv 2 Februar 2026 .

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

12. SFDA CASGEVY guide. Håndtering og administrasjonsguide. Versjon 1.0; forberedt og SFDA-godkjent mai 2024. Les sammen med den aktuelle lokale forskriftsinformasjon.

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

13. EMA CASGEVY informasjon. Casgevy: EU produktinformasjon. Adressed 5 November 2026. Internasjonal produkt benchmark, ikke Gulf lov.

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

14. SFDA Zolgensma guide. En helsepersonells guide til å minimere risikoer med Zolgensma. Versjon 4.0, september 2025.

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

15. FDA REMS kunngjøring. FDA Eliminerer REMS for Autologe CAR T-celle Immunotherapies. 27 Juni 2025. USAs reguleringstiltak, ikke en Gulf-regel.

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

16. FDA LTFU veiledning. Langvarig oppfølging etter administrasjon av humane genterapiprodukter. Veiledning for bransjen; Januar 2020.

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

17. DoH Jawda veiledning. HSCT kvalitet ytelse indikatorer. versjon 3.1; November 2025.

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

**Metode og begrensninger**

Dette er en målrettet offentlig kildeoversikt og en operasjonell syntese, ikke en systematisk klinisk gjennomgang, livebehandlingssenter-revisjon eller uttømmende nasjonal autorisasjonsoversikt. Kilder ble valgt ut for relevans for produktgodkjenning, regionale leveringspro milepæler, standarder for klinisk service og sikkerhetskontroll. Historiske kunngjøringer fastslår hva som ble rapportert på deres datoer for publisering, ikke dagens kapasitet eller kvalifiserthet.

Anbefalinger, beredskapsporter, planleggingsperioder, økonomiske spørsmål og dashboarddefinisjoner er analytiske forslag. Ingen pasientnivådatasett, proprietære priser, klinisk resultatanalyse eller kvantitativ beredskapsvalidering ble utført. Kontrollere aktuelle lokale dokumenter og få kvalifisert klinisk, regulatorisk og juridisk gjennomgang før implementering.

© 2026 HERMS Konsulent DMCC. For informasjon og strategisk planlegging bare. Ikke medisinsk rådgivning, juridisk råd eller en erstatning for gjeldende godkjente forskriftsopplysninger og kompetent autorisasjonskrav.

**Emneindeks**

Velg et emne for å gå til sin del i dette hvite papiret.

Godkjenning og finansiering

Kapasitetsplanlegging

Gulf celle og genterapi beredskap

Etter infusjonsoppfølging

Produktintegritet

Behandlingssenter klarhet

Behandlingsmetoder

**Relaterte HERMS ressurser**

Cell- og genterapiberedskab i GCC

Farmasøytiske forpliktelser for markedsføringstillatelsesinnehavere

GCC farmasøytisk pris og markedstilgangsstrategi

UAE farmasøytisk produktregistrering

Kontakt HERMS

## Koblede referanser og videre lesing

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