HERMS WHITE PAPER | NOVEMBER 2026

Gotowość państw Zatoki do wdrażania terapii komórkowych i genowych

Od zatwierdzenia do infuzji u pacjenta

HERMS DMCC w zakresie doradztwa

Dubaj, Zjednoczone Emiraty Arabskie Birmingham 124; hermsglobal.com

HERMS PAPIER BIAŁY 124; WP 4 124; PAŹDZIERNIK 2026

Readiness Cell and Gene Therapy w Zatoce:

Od zatwierdzenia do infuzji u pacjenta

Praktyczne ramy dla przekształcenia autoryzacji produktu w bezpieczny, finansowany i identyfikowalny dostęp do pacjenta.

THE CENTRAL ARGUMENT

Zatwierdzenie jest kamieniem milowym produktu. Gotowość jest funkcją na poziomie pacjenta: odpowiednie leczenie, odpowiednie centrum, nieuszkodzona ścieżka produktu, potwierdzone finansowanie i odpowiedzialne monitorowanie.

HERMS DMCC w zakresie doradztwa

Dubaj, Zjednoczone Emiraty Arabskie

Przegląd dowodów: 5 Listopad 2026

Dla liderów systemów opieki zdrowotnej, dostawców specjalistycznych, płatników, producentów i zespołów dostępu do rynku. Ta biała księga oferuje ramy strategiczne i operacyjne, a nie protokół kliniczny lub opinii regulacyjnej specyficznej dla produktu.

Streszczenie

Możliwości terapii komórkowej i genetycznej w Zatoce Perskiej powinny być oceniane przez ukończone, bezpiecznie zarządzane ścieżki pacjentów, a nie tylko przez ogłoszenia zatwierdzające. Niniejszy dokument proponuje model gotowości, który łączy zezwolenia regulacyjne, finansowanie, zdolności kliniczne, integralność produktu i działania następcze poprzez wyraźne bramy decyzji.

Regionalne kamienie milowe obejmują już odrębne etapy: Bahrajn ogłosił zatwierdzenie CASGEVY w grudniu 2023; Arabia Saudyjska zgłosiła zgodę w styczniu 2024, a Abu Zabi ogłosił rozpoczęcie terapii w marcu 2025. NHRA [2] Saudi Press Agency [1] DoH Abu Dhabi [3] Są to znaczące zmiany, ale żaden z nich nie zastępuje obecnego, specyficznego dla pacjenta zezwolenia i dokumentacji dostawy.

Pięć priorytetów dla decydentów

Oddzielne zezwolenie od możliwości: zachować autoryzację produktu, licencjonowanie obiektu, kwalifikacje producenta, finansowanie pacjentów i kwalifikowalność kliniczna jako różne zatwierdzenia.

Projektowanie wokół modalności: autologiczne CAR-T, komórki macierzyste editowane ex vivo oraz terapie genowe in vivo wymagają różnych dróg działania. 11] Przewodnik po SFDA CASGEVY [12] EMA CASGEVY information [13]

Przewodnik SFDA Zolgensma [14]

Chronić nieodwracalne decyzje: żaden harmonogram lub zobowiązanie handlowe nie powinno naruszać udokumentowanych kontroli gotowości wymaganych przed przygotowaniem, rozmrażaniem produktu lub podaniem.

Sfinansować cały odcinek: uzgodnić, kto płaci za diagnostykę, zbieranie, w stosownych przypadkach, produkcja, leczenie, powikłania, podróż i monitorowanie przed popełnieniem pacjenta.

Mierz dostęp i podział: przedziały czasu między odsyłaniem do decyzji oraz przedziałem czasu na decyzję w sprawie wlewu wraz z pacjentami odroczonymi, zmniejszonymi, utraconymi w związku z kontynuacją leczenia lub niezdolnymi do kontynuowania leczenia.

PROPOSED READINESS RULE

Pacjent jest gotowy do działania tylko wtedy, gdy każda brama o krytycznym znaczeniu dla bezpieczeństwa jest zamknięta z dowodami i nazwana sygnałem. Nie należy średnią nieudaną bramą do ogólnego wyniku gigantycznego.

Przewodnik do czytania

Regionalne dowody i różnice modalności tworzą kontekst. Podstawowe sekcje obejmują następnie autoryzację i finansowanie, gotowość pacjenta i centrum, logistykę produktu, kontynuację i ekonomię operacyjną; sekcje końcowe stanowią 90-dniowy plan mobilizacji oraz listę kontrolną gotowości praktycznej.

Zakres: Bahrajn, Kuwejt, Oman, Katar, Arabia Saudyjska i Zjednoczone Emiraty Arabskie. Migawka kraju jest wybiórczym dowodem, nie kompletnym rejestrem produktów czy rankingiem gotowości krajowej.

Krajobraz Zatoki Perskiej: postęp nie jest jednakową gotowością

Przedstawione poniżej dowody wskazują na różne rodzaje postępu, a nie porównywalne wyniki krajowe. Daty publikacji są zatrzymywane w taki sposób, aby historyczna zgoda, program badawczy lub jeden leczony pacjent nie była przedstawiana jako dowód obecnej rutynowej dostępności.

Rynek	Zweryfikowane dowody	Interpretacja czytelności
Arabia Saudyjska	Zatwierdzanie przez SFDA CASGEVY zostało zgłoszone w dniu 8 Styczeń 2024 . KFSHRC zgłaszane więcej niż 200 Pacjenci z CAR- T leczeni od 2020 w październiku 2025 . Saudi Press Agencja [1] KFSHRC [4]	KFSHRC wyraźnie opisał swoje pierwsze miejscowe leczenie CAR-T w ramach wstępnego badania klinicznego. Nie porównuj produkcji lokalnej badania z rutynowym zezwoleniem handlowym. KFSHRC [4]
Zjednoczone Emiraty Arabskie	DoH ogłosił wprowadzenie CASGEVY poprzez ADSCC w dniu 28 marca 2025, z pierwszym pacjentem zaplanowanym na rozpoczęcie w kwietniu. Ogłoszenie informuje EDE rynku autoryzacja. DoH Abu Dhabi [3]	W ogłoszeniu wymieniono również ubezpieczenie objęte przepisami i standardami; nie określono w nim powszechnego ubezpieczenia, zgody pacjenta ani uzupełnionego wlewu na dzień ogłoszenia. DoH Abu Dhabi [3]
Bahrajn	Wydanie NHRA z dnia 2 grudnia 2023 ogłosiło zatwierdzenie przez CASGEVY w odniesieniu do choroby sierpowatokrwinkowej (SCD) i betatalasemii zależnej od transfuzji. NHRA [2]	Wydanie nie określa zdolności leczenia, ustaleń dotyczących uruchomienia lub pokrycia na poziomie pacjenta. 2]
Oman Przewodniczący	Oman Observer, raport ONA, opisany lokalnie przygotowany i zmodyfikowany leczenia CAR-T w University Medical City w dniu 12 Maj 2026. Oman Observer / ONA [6]	Raport nie identyfikuje trasy autoryzacji lub czy leczenie było badania lub rutynowa opieka. Nie wywnioskować licencjonowanej komercyjnej platformy produkcyjnej. Oman Observer / ONA [6]
Katar	Strona Instytutu Badań nad Rakiem HMC opisuje przedklinicznych przedubojowych T-komórkowych i NK-komórkowych oraz translacyjny program badawczy. Hamad Medical Przedsiębiorstwo [5]	Ta strona wspiera możliwości badawcze, a nie zweryfikowany spis komercyjnych produktów CAR-T lub aktywnych rutynowych szczeliny leczenia. Hamad Medical Corporation [5]
Kuwejt	IU udokumentowano pacjenta z Kuwejtu podróżującego w celu leczenia CAR-T w dniu 5 czerwca 2024, w tym podróżowanie i zakwaterowanie (7]	Jest to dowód na jedną transgraniczną ścieżkę, a nie dowód, że Kuwejt nie posiada zdolności krajowych lub oświadczenie o aktualnym zasięgu krajowym. 7]

Luki dowodowe nie są negatywnymi ustaleniami. Przed uruchomieniem lub odesłaniem należy uzyskać aktualny status produktu, zakres leczenia, zdolność, kwalifikowalność płatnika i legalną drogę dostępu bezpośrednio od właściwych stron.

Trzy sposoby działania, trzy ścieżki operacyjne

Nie wystarczy jedna lista kontrolna terapii komórkowej i genowej. Standardy FACT-JACIE odnoszą się do gromadzenia, przetwarzania i podawania terapii komórkowej, podczas gdy cytowane materiały CASGEVY i Zolgensma wykazują specyficzne dla danego produktu wymagania, które nie mogą być przenoszone w sposób niedyskryminujący pomiędzy różnymi formami. FACT-JACIE [11] Przewodnik SFDA CASGEVY 12 Przewodnik SFDA Zolgensma [14]

Modalność	Przejście i zależność	Nacisk na czystość
Autologiczne CAR-T	KFSHRC opisuje model zbierania, modyfikacji i ponownego wlewu. KFSHRC [4]	Utrzymywać połączenia między pacjentem a produktem w każdym przekazie. Przygotuj się na zespół uwalniania cytokin i neurologiczne toksyczności zgodnie z obecną etykietą i lokalnymi program. FACT-JACIE [11] Ogłoszenie FDA REMS [15]
Komórki macierzyste eg-vivo	Mobilizacja i afereza krwiotwórczych komórek macierzystych i komórek progenitorowych (HSPC), produkcja, zwrot produktu, kondycjonowanie mieloablacyjne i infuzja. CASGEVY jest przykładem, nie rodzajowym protokół. Przewodnik SFDA CASGEVY [12] EMA CASGEVY [13]	Potwierdzić przydatność do przeszczepu, dostępność komórek ratunkowych i pełną dawkę produktu przed odpowiednim nieodwracalnym etapem. Informacje EMA CASGEVY [13]
Terapia genowa in vivo	Produkt jest podawany bezpośrednio; cytowany szlak Zolgensma nie wymaga pobierania i powrotu komórek pacjenta. Przewodnik [14]	Badanie przeciwciał swoistych dla danego produktu, ocena organów, leki, monitorowanie laboratoryjne i eskalacja specjalistyczna mogą pozostać niezbędne nawet bez pętli produkcyjnej specyficznej dla danego pacjenta. Przewodnik po Zolgensma [14]

Co powinno być często

Użyj wspólnej struktury zarządzania w zakresie kwalifikowalności, zgody, finansowania, odbioru produktów, eskalacji zdarzeń niepożądanych i odpowiedzialności następczej. Dołącz kontrolowaną modalność i addendum produktu zamiast zmuszania wszystkich terapii do tego samego czasu, temperatury, testów lub modelu kadrowego.

Co powinno pozostać osobne

Allogeniczne produkty komórkowe, konstrukcje badawcze i produkty wytwarzane lokalnie potrzebują własnych ocen dawców, producentów, uwalniania i autoryzacji. Udane leczenie lub akredytowana służba kliniczna nie powinny być traktowane jako dowód, że inna konstrukcja, wskazanie lub zakład produkcyjny jest upoważniony.

OPERATING IMPLICATION

Wybierz pierwszą usługę przez jej pełne wymagania ścieżki i dostępnych możliwości, a nie przez atrakcyjność ogłoszenia produktu. Importowany program terapii handlowej i lokalny program produkcji są różne inwestycje.

Autoryzacja i finansowanie: zamknąć odpowiednie bramy

ZEA ilustruje potrzebę rozróżnienia pozwoleń na produkty i usługi: EDE zapewnia drogę udzielania pozwoleń na dopuszczenie do obrotu produktów farmaceutycznych i biologicznych, podczas gdy standard DHA HSCT oddzielnie określa wymogi w zakresie licencjonowania usług i akredytacji w zakresie jego zakresu. EDE [8] DHA [9] Zalecenie operacyjne polega na utrzymywaniu wskaźnika produktu, wskazującego matrycę pozwolenia na miejscu, a nie pojedynczego zatwierdzonego pola.

Rejestr zezwoleń właściwych dla danej jurysdykcji

Trasa produktu: rejestrować autoryzowane wskazanie, aktualne lokalne etykiety, wiek i inne limity kwalifikowalności, posiadacz pozwolenia na dopuszczenie do obrotu i wszelkie legalne specjalne-dostęp lub trasy próbne. Nagrać skuteczną wersję i kto ją zweryfikował.

Trasa obsługi: udokumentować licencję obiektu, zakres praktyki, wymagane akredytacje, przywileje specjalistyczne i wszelkie kwalifikacje producenta specyficzne dla danego produktu. Nie zakładać jednego substytutu dla innego.

Trasa importu i zwolnienia: ustalić odpowiednie uprawnienia dla materiału wyjściowego, gotowego produktu, odprawy celnej i zwolnienia lub akceptacji. Przypisz odpowiedzialność za każde przekazanie przed planowaniem wysyłki.

Trasa badawcza: zachować aprobatę etyczną, obowiązki sponsora, dostarczanie informacji, zgoda i sprawozdawczość oddzielona od dostępu komercyjnego. Próba nie staje się rutynową opieką, ponieważ leczenie odbywa się w utrwalonym szpitalu.

SCOPE CHECK THAT MATTERS

DoH Guys January 2026 Standard regeneracyjny-medycyna wyraźnie wyklucza terapii genowych i bardziej niż minimalnie manipulowane terapie komórkowe. Nie używać tego dokumentu sam jako podstawy autoryzacji dla CAR-T lub terapii komórkowej edited genem. DoH Abu Dhabi [10]

Kompletna decyzja o finansowaniu, a nie tylko o zatwierdzeniu narkotyków

Zalecane zezwolenie finansowe powinno obejmować lek i epizod leczenia, w tym diagnostykę, w stosownych przypadkach kolekcję, leczenie przygotowawcze, hospitalizację, powikłania i działania następcze. Powinna ona określać wyłączenia z zakresu, terminy wygaśnięcia, składki pacjentów, warunki anulowania i kto ponosi koszty zbierania lub produkcji, jeżeli wlew nie może być kontynuowany.

W ogłoszeniu DoH Guides CASGEVY wymieniono ubezpieczenie na podstawie obowiązujących przepisów i norm, ale nie publikuje uniwersalnych uprawnień ani indywidualnych warunków polisy. DoH Abu Dhabi [[3] Program powinien zatem zweryfikować pacjenta, produkt, usługodawcę i trasę finansowania razem przed zaakceptowaniem slot leczenia finansowanego.

Niniejszy dokument nie ustanawia uprawnień do zwrotu kosztów w skali GCC, wspólnej ścieżki udzielania zezwoleń lub regulacyjnej gwarancji czasu przeglądu. Każdy przypadek na żywo wymaga aktualnego potwierdzenia lokalnego.

Gotowość pacjenta i centrum: wyraźnie określić odpowiedzialność

W przypadku CASGEVY informacje o produkcie UE wymagają autoryzowanego ośrodka i lekarzy doświadczonych w transplantacji i beta-hemoglobinopatii oraz identyfikują wpływ kondycjonowania mieloablacyjnego na płodność. Informacje EMA CASGEVY [13] Są to użyteczne kryteria specyficzne dla danego produktu; mające zastosowanie etykiety z Zatoki Perskiej i lokalne wymagania dotyczące usług pozostają pod kontrolą.

Konferencja gotowości pacjenta

Przed zastrzeżeniem nieodwracalnego etapu leczenia zespół multidyscyplinarny powinien udokumentować diagnozę i wskazanie, alternatywy, spodziewane korzyści i niepewność, aktualną ocenę narządu i zakażenia, kondycję kliniczną, zgodę i ustalenia opiekunów. W przypadku pacjentów pediatrycznych program powinien dotyczyć komunikacji dostosowanej do wieku oraz odpowiedniego procesu wyrażania zgody lub zgody.

Zalecane doradztwo powinno wyjaśniać pełną podróż, ewentualne niepowodzenie produkcji lub planowania, zagrożenia związane z leczeniem, w stosownych przypadkach kwestie dotyczące płodności, możliwość braku trwałych korzyści i obciążenie następcze. Dostarczanie zrozumiałych arabskich lub innych preferowanych materiałów językowych i nazwy trasy pytań, a nie traktowanie podpisu jako dowodu zrozumienia.

Funkcja księgowa	Minimalny dowód zamknięcia bramy
Prowadzenie programu klinicznego	Decyzja w sprawie kwalifikowalności i sprawności; obecna ocena pacjentów; przepisanie i eskalacja własności; udokumentowany powód postępowania lub odroczenia.
Kolekcja / ołów laboratoryjny	Kwalifikowana ścieżka zbierania, w stosownych przypadkach; kontrole tożsamości; kompetencje w zakresie obsługi produktów; zatwierdzone ustalenia dotyczące przechowywania i awaryjne.
Pielęgniarka / ołów apteczny	Szkolenia specyficzne dla danego produktu; przepływ pracy administracyjnej; sprawdzona dostępność wymaganych leków, możliwości zaopatrzenia i monitorowania.
Opieka krytyczna / usługi specjalistyczne	udokumentowana ścieżka eskalacji i transferu; odpowiednie pokrycie dyżuru; dowody na zakończenie symulacji awaryjnych.
Kontaktowanie się z menedżerem spraw / płatnikiem	Zatwierdzenie finansowania; plan podróży i opiekuna; droga kontaktu z pacjentem; spotkania po zakończeniu służby i ustalenia dotyczące opieki.

Akredytacja jest wynikiem oceny

DHA Yes HSCT standard wymaga akredytacji szpitalnej i laboratoryjnej przed rozpoczęciem służby i FACT lub równoważnej akredytacji klinicznej HSCT w ciągu 24 miesięcy od aktywacji licencji. DHA [9] FACT-JACIE również rozróżnia programy transplantacyjne od programów tylko immunoefektorowych z różnymi stosownymi ścieżkami akredytacji. FACT-JACIE [11]]

Nie są to uniwersalne zasady dotyczące harmonogramu ani akredytacji dla każdej usługi terapii genowej w Zatoce Perskiej. Przed ich zastosowaniem należy sprawdzić dokładną jurysdykcję, licencję, zakres kliniczny i aktualny standard.

Integralność produktu: podłączyć produkcję do łóżka

FACT-JACIE definiuje łańcuch tożsamości jako trwałe powiązanie identyfikatorów produktów w całym cyklu życia, a łańcuch opieki jako kontrolowaną dokumentację opieki od miejsca pochodzenia do ostatecznego usposobienia. FACT-JACIE [[11] Obie są potrzebne; sam rejestr lokalizacji przesyłki nie określa tożsamości pacjenta-produktu.

Namierzalny rekord od końca do końca

Proponowany zapis łączy identyfikatory pacjentów, identyfikatory kolekcji, w stosownych przypadkach, zamówienie producenta, partia lub partia, dokumentację wydania, przekazy kurierskie, dowody na temperaturę, odbiór miejsca, miejsce przechowywania, administracja i ostateczne usposobienie. Każda rozbieżność wymaga właściciela, dyspozycji i udokumentowane zamknięcie, a nie nieformalne wyjaśnienie.

Punkt kontroli	Dowody i decyzja
Przed zebraniem / zamówieniem	Uzgodnić tożsamość i porządek pacjenta; ustalić autoryzowaną trasę, czas na start lub lądowanie i zobowiązania finansowe; potwierdzić własność awaryjną.
Przygotowanie przesyłki	Należy stosować opakowania specyficzne dla danego produktu i odpowiednie rozwiązania transportowe; weryfikować dokumenty, otrzymywać procedury dostępności i zakłócania.
Potwierdzenie odbioru strony	Tożsamość, ilość, integralność, warunki transportu, dokumenty wydania i zdolność do przechowywania; nierozwiązane rozbieżności w kwarantannie.

Punkt kontroli	Dowody i decyzja
Przed leczeniem przygotowawczym	Sprawdzić wszystkie specyficzne dla produktu warunki wstępne, aktualną sprawność pacjenta i pojemność. Zastosuj lokalną etykietę; nie wywnioskować gotowości od przewidywanego terminu dostawy.
Przed rozmrażaniem / podaniem	Sprawdzić zgodność produktu z produktem, kolejność, pełną dawkę, w stosownych przypadkach, okres ważności i przeszkolony personel; dokumentować akceptację produktu i pozwolenie kliniczne oddzielnie.

Ważna zależność specyficzna dla produktu

Informacje o UE CASGEVY stanowią, że kondycjonowanie nie może się rozpocząć, dopóki całkowita dawka nie dotrze do autoryzowanego ośrodka leczenia i potwierdzona zostanie dostępność zapasowych komórek ratunkowych. Informacje EMA CASGEVY [[13] Saudyjski przewodnik obsługi wymaga uzgodnienia identyfikatorów pacjenta i dwuosobowej kontroli przy łóżku przed każdą fiolką, jak również kontroli kryoprzechowywania produktu i rozmrażania do infuzji. Przewodnik SFDA CASGEVY [12]

Przykłady te pokazują, dlaczego ogólna umowa na poziomie usług logistycznych jest niewystarczająca. Plan gotowości powinien przetłumaczyć obecną lokalną etykietę na kontrolowane punkty kontrolne bez kopiowania temperatury, terminów lub kryteriów wydania z jednego produktu do drugiego.

HARD STOP

Nierozwiązane niedopasowanie tożsamości, obawy o integralność produktu lub brak krytycznych warunków wstępnych powinny wywołać wstrzymanie i eskalację. Ani koszty zatonięcia, ani zarezerwowane łóżko nie jest dowodem na to, że produkt może być bezpiecznie podawany.

Infuzja jest przejściem, a nie zakończeniem służby.

FDA Remiss June 2025 usunięcie REMS dla sześciu wymienionych BCMA- i CD 19 - autologiczne produkty CAR-T nie usunął zgłaszania zdarzeń niepożądanych lub producenta po wprowadzeniu do obrotu badania bezpieczeństwa. Ogłoszenie FDA REMS [15 To działanie w USA, a nie ukośne rozluźnienie obiektu, producenta lub specyficzne dla produktu zobowiązania bezpieczeństwa.

Utrzymanie ostrej zdolności w zakresie bezpieczeństwa specyficznego dla danego produktu

Programy CAR-T muszą interpretować obecny produkt, zamiast opierać się na historycznych zasadach certyfikacji w USA, ostrzeganie o toksyczności i wymagania dotyczące miejscowej opieki nad nim, a nie opierać się na tym, że w ogłoszeniu FDA nadal wskazuje się na zespół uwalniania cytokin i toksyczność neurologiczną w oznakowaniu produktu. Zawiadomienie FDA REMS [[15] Zalecane lokalne dowody gotowości są praktyczną ścieżką reagowania, odpowiednią specjalistyczną osłoną i potwierdzoną dostępnością wymaganego leczenia ratunkowego zgodnie z obowiązującym protokołem.

Przewodnik dotyczący minimalizacji ryzyka w Saudi Zolgensma ilustruje różne obciążenia: określa on ocenę przed rozpoczęciem leczenia oraz monitorowanie kliniczne i laboratoryjne przez co najmniej trzy miesiące po infuzji, w tym monitorowanie bezpieczeństwa związane z wątrobą. Wytyczne SFDA Zolgensma [14] Program nie powinien opisywać terapii in vivo jako prostego pod względem operacyjnym jedynie dlatego, że brak jest aferezy i wytwarzania komórek specyficznych dla pacjenta.

Zbuduj kontynuację przed przyjęciem pacjenta

Własność kliniczna: zidentyfikować ołów leczenia, długookresowy lekarz otrzymujący lek oraz drogę eskalacji w przypadku podejrzenia opóźnionej toksyczności.

Ciągłość: uzgodnić, gdzie przeprowadzane są badania, kto dokonuje przeglądu wyników, jak nasila się liczba brakujących wizyt oraz jak pacjenci pediatryczni przechodzą do opieki nad dorosłymi.

Opieka transgraniczna: potwierdzenie zgodnego z prawem wymiany danych, wykonalności podróży, dostępu w nagłych wypadkach, obowiązków płatniczych i przekazania akceptacji przed powrotem pacjenta do domu.

Wsparcie dla pacjenta: podać podsumowanie leczenia, identyfikator produktu, kontakt w nagłych wypadkach i zrozumiałe instrukcje bezpieczeństwa, z planem odzyskiwania i opiekuna.

Nie nakładaj jednego okresu obserwacji na wszystkie produkty

Wytyczne FDA zalecają podejście oparte na analizie ryzyka i wyraźnie stwierdza, że nie wszystkie terapie genowe wymagają długoterminowych obserwacji następczych. Wytyczne FDA LTFU [[16] Informacje UE w sprawie CASGEVY określają coroczne monitorowanie przez 15 lat, ilustrujące zobowiązanie specyficzne dla produktu, a nie powszechną zasadę GCC. EMA
Informacje o CASGEVY [13]

GOVERNED EVIDENCE, NOT AUTOMATED CLINICAL AUTHORITY

Systemy cyfrowe mogą godzić dokumenty, flagi brak dowodów i wsparcia harmonogramów lub przypomnienia. Kwalifikowalność pacjenta, akceptacji produktu, decyzji wydania i leczenia klinicznego pozostają z odpowiednio autoryzowanych ludzi decydentów.

Ekonomia i potencjał: sfinansowanie całej ścieżki

W niniejszym dokumencie zaleca się raczej model planowania oparty na odcinkach, a nie na budżecie uwzględniającym wyłącznie ceny narkotykowe. Nie ocenia się w nim regionalnej wielkości rynku, ceny leczenia, zwrotu z inwestycji lub roszczeń oszczędnościowych; wymaga się danych dotyczących produktów, płatników i ludności.

Zbuduj mianownik przed budżetem

Zacznij od kandydatów ocenianych klinicznie, a nie rozpowszechnienia choroby lub prognozy rynku promocyjnego. Model, jak wielu pacjentów mogą być kwalifikowalne, finansowane, w stanie przejść zbieranie, w stosownych przypadkach, z powodzeniem dostarczone, klinicznie dopasowane w zaplanowanym terminie i ostatecznie podane; pozwolić kolejność tych etapów do zróżnicowania w zależności od produktu.

Komponent budżetowy	Decyzja, która powinna być jednoznaczna
Ocena i przygotowanie	Kto finansuje potwierdzenie diagnostyczne, ocenę specjalistyczną, doradztwo, ochronę płodności, w stosownych przypadkach i powtórne badania?
Gromadzenie i produkcja	Kto płaci za powtórną kolekcję, nieudaną produkcję, anulowanie, zmianę harmonogramu i niewykorzystany produkt specyficzny dla pacjenta?
Leczenie i powikłania	Jakie koszty leczenia szpitalnego, krytycznego, laboratoryjnego i wspomagającego są wliczane w cenę, wykluczone lub ograniczone?
Podróże i odbudowa	Kto obejmuje wizy tam, gdzie jest to konieczne, zakwaterowanie, wsparcie opiekunów, transport lokalny i dłuższy pobyt?
Działania następcze i dowody	Kto finansuje długoterminowe monitorowanie kliniczne, wprowadzanie danych, uczestnictwo w rejestrze i opiekę po zmianie płatnika lub kraju przez pacjenta?

Kontrakty projektowe wokół wymiernych zdarzeń

W przypadkach, w których jest to właściwe z prawnego i handlowego punktu widzenia, kamienie milowe płatności mogą być powiązane z weryfikowalnymi zdarzeniami, takimi jak akceptacja dostaw, wlew lub uzgodniony wynik kliniczny. Umowa związana z wynikami powinna określać populację, punkt końcowy, okienko pomiarowe, zasady dotyczące brakujących danych, sędziego i konsekwencje finansowe przed rozpoczęciem leczenia; ocena kliniczna musi pozostać niezależna od zachęt do płatności.

Niewydolność produkcyjna, niesprawność pacjenta przed infuzją, brak oceny wyników i potwierdzona brak odpowiedzi nie powinny być traktowane jako to samo zdarzenie umowne.

Zdolność jest ograniczeniem szlaku

Do celów planowania, zdolność modelowa jako minimum odpowiednich wąskich gardeł: pacjenci finansowani, badania diagnostyczne, przydziały czasu na zbiórkę, przydział produkcji, miejsca leczenia, specjalistyczna zdolność do przykrywania i monitorowania. Przed dodaniem nowych wskazań lub miejsc należy potwierdzić prognozę dotyczącą rzeczywistych okresów zakończenia i scenariuszy zakłóceń.

INVESTMENT PRINCIPLE

Lokalna produkcja powinna być oceniana jako odrębna sprawa biznesowa i regulacyjna. Wykazanie zdolności klinicznej w zakresie dostarczania nie stanowi samo w sobie porównywalności procesu, komercyjnego zatwierdzania produkcji lub zrównoważonej ekonomii produkcji.

A 90 - plan gotowości do mobilizacji

Poniżej przedstawiono propozycję kadencji planowania, a nie obietnicę licencjonowania lub pierwszego wlewu w ciągu 90 dni. Celem jest przygotowanie popartych dowodami decyzji o przejściu, utrzymaniu lub przeprojektowaniu dla określonego produktu, wskazania, strony i płatnika.

Okres planowania	Pakiet prac	Dowody wyjścia
Dni 1 Dni 30	Zdefiniować pierwszą ścieżkę; potwierdzić zakres prawny i produktowy; mapować zapotrzebowanie pacjenta i pojemność; wyznaczyć właścicieli klinicznych, jakości, dostępu i logistyki.	Zatwierdzony zakres; matryca zezwoleń kontrolowana przez źródło; luki bazowe; wskazani właściciele decyzji i założenia finansowania.
Dni 31 Dni 60	Szczebel priorytetowy SOP, szkolenie, płatnik, dostawca, przechowywanie, dane i odesłanie. Realizuj warunki specyficzne dla produktu i długoterminowe prawo własności.	Kompetencje udokumentowane; umowy o wykonanie; kontrolowane przepływy pracy; finansowany plan naprawy nierozwiązanych luk.
Dni 61 Dni 90	Przeprowadź symulacje od końca do końca, w tym opóźnienie, niedopasowanie, pogorszenie stanu pacjenta i eskalację awaryjną.	Podpisane sprawozdanie z symulacji; zamknięte odchylenia krytyczne; zatwierdzona zdolność; niezależny przegląd gotowości i rejestr decyzji.

Mała deska rozdzielcza z chronionymi definicjami

Środek	Zalecana definicja i interpretacja
Termin przekazania decyzji	Dni od otrzymania kompletnego odesłania do udokumentowanej decyzji wielodyscyplinarnej. 90 cz rot percentyl i niepełne wnioski oddzielnie.
Czas podejmowania decyzji o wlewie	Dni od udokumentowanej decyzji kwalifikacyjnej do infuzji, zgłaszane według produktu i trasy.
Konwersja infuzyjna	Pacjenci po wlewie podzieleni przez pacjentów uznanych za kwalifikujących się do leczenia w określonej kohorcie wprowadzającej; stan okienka kontrolnego i wykazanie spraw w toku oddzielnie.
Atrition przed infuzją	Kwalifikujący się pacjenci, którzy nie osiągają infuzji, sklasyfikowani według finansowania, pogorszenia stanu klinicznego, podaży, wycofania lub innego udokumentowanego powodu.
Identyfikowalność i monitorowanie	Krytyczne odchylenia dotyczące tożsamości / opieki nad dzieckiem; nierozwiązane odchylenia; ukończone oceny następcze podzielone przez oceny należne, wraz ze zidentyfikowanymi zgonami i przeniesieniami.

Początkowo należy korzystać z cotygodniowego przeglądu operacyjnego i miesięcznego przeglądu zarządzania. Cele powinny być ustalane na podstawie lokalnego poziomu odniesienia i mających zastosowanie obowiązków, a nie wymyślonych regionalnych poziomów odniesienia; należy zachować wymagane terminy sprawozdawczości w zakresie bezpieczeństwa niezależnie od cykli tablic rozdzielczych.

Abu Dhabi Guidelines Jawda wymaga już zdefiniowanej sprawozdawczości jakości HSCT dla dostawców w zakresie, co pokazuje, dlaczego deska rozdzielcza programu musi współistnieć z upoważnioną sprawozdawczością, a nie ją zastępować.
Wytyczne Jawda [17]

Lista kontrolna gotowości i program przywództwa

Niniejsza lista kontrolna jest proponowanym narzędziem zarządzania, a nie instrumentem akredytacyjnym lub zatwierdzonym wynikiem gotowości. Ocena każdego elementu jako kompletnego, niekompletnego lub nie ma zastosowania z udokumentowanym uzasadnieniem, referencją dowodową, właścicielem i datą przeglądu.

Brama	Dowody potrzebne do podjęcia decyzji w sprawie kompletnego rozstrzygnięcia
Niebezpieczny dostęp	Zweryfikowane trasy produktu / wskazania; odpowiednie zezwolenia; zakres obiektu; obecna etykieta i obowiązki zarządzania ryzykiem.
Kwalifikowalność pacjentów	Decyzja wielodyscyplinarna; zaktualizowana kondycja, świadoma zgoda; omówione alternatywne rozwiązania; w stosownych przypadkach kwestia opiekuna i płodności.
Finansowanie odcinków	Zatwierdzenie dla danego pacjenta i obowiązki w zakresie płatności, w tym komplikacje, anulowanie, podróż i działania następcze.
Zdolność centrum	Kwalifikowany zespół; aktualne przywileje; odpowiednia akredytacja; szkolenie w zakresie produktów; gotowość sprzętu i ochrona awaryjna.
Dostawy i tożsamość	Potwierdzona ścieżka produkcji lub dostaw; zgodne identyfikatory; kwalifikowany transport; odbiór i odbiór odbioru; kontrola rozbieżności.

Brama	Dowody potrzebne do podjęcia decyzji w sprawie kompletnego rozstrzygnięcia
Leczenie przygotowawcze	Spełnione zostały wszystkie warunki wstępne specyficzne dla produktu; pacjent ponownie oceniony; zweryfikowane wymagane ustalenia dotyczące produktu i ratowania; zaświadczenie kliniczne.
Infuzja i eskalacja	Prawidłowy pacjent i produkt; aktualny porządek; wyszkolony zespół; wymagane leki i monitorowanie; udokumentowany organ eskalacji.
Długoterminowa ciągłość	Nazwa właściciela klinicznego; sfinansowany plan monitorowania; kontakty pacjentów; obowiązki w zakresie rejestru / sprawozdawczości; akceptowane transgraniczne przekazanie, w stosownych przypadkach.

Jakie przywództwo powinno zostać przyjęte

W przypadku gdy nie zostanie rozwiązany kluczowy warunek bezpieczeństwa, Komisja będzie musiała podjąć jedną zintegrowaną dokumentację gotowości dla pierwszej ścieżki priorytetowej, obejmującą kliniczne, regulacyjne, jakościowe, finansowe i dotyczące łańcucha dostaw.

W przypadku specjalistycznego zespołu doradczego, takiego jak HERMS, właściwą rolą jest struktura weryfikacji źródeł, mapowanie wymogów, dostosowanie zainteresowanych stron i dowody gotowości. Nie ma ona zastępować regulatora, funkcji zwalniania producenta, decyzji płatnika ani zespołu zajmującego się leczeniem, a niniejszy dokument nie twierdzi, że HERMS działa w zakresie usług klinicznych ani nie potwierdza wyników leczenia.

Wniosek

Kolejnym środkiem postępu w Zatoce Perskiej powinna być zdolność do zapewnienia odpowiedzialnej ścieżki pacjentów: legalny dostęp, odpowiedni wybór, pełne finansowanie, niezawodne postępowanie z produktem, bezpieczna administracja i ciągłość opieki. Zatwierdzenie otwiera ścieżkę; gotowość sprawia, że jest ona przydatna.

Odniesienia i dokumenty dowodowe

Źródła poddane przeglądowi w dniu 5 listopada 2026. Numeracja odnośników nazwy źródłowej pojawia się poza twierdzeniami faktycznymi. Oficjalne normy i materiały produktowe mają pierwszeństwo przed ogłoszeniami o decyzjach operacyjnych; dokumenty międzynarodowe są wskaźnikami referencyjnymi, nie automatycznie stosowane prawo Zatoki Perskiej.

1. Saudi Press Agency. SFDA zatwierdza pierwszy narkotyk genowy na niedokrwistość sierpowatokrwinkową i thalassemię. 8 Styczeń 2024.

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

2. NHRA. CASGEVY otrzymuje zgodę Bahrajnu na leczenie. NHRA wydania, 2 grudnia 2023, dystrybuowane przez GlobbeNewswire.

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. Wprowadzenie CASGEVY przez Abu Dhabi Stem Cells Center. 28 Marzec 2025.

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

4. KFSHRC. KFSHRC Treats 200 Pacjenci z CAR-T Therapy i uruchamia lokalne wytwarzanie. 29 Październik 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. Cancer Research Institute. Niedatowana strona instytucjonalna; dostęp 5 listopada 2026.

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

6. Oman Observer / ONA. UMC prowadzi pierwszą terapię z lokalnych komórek immunologicznych. 12 Maj 2026.

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

7. IU Zdrowie. Pacjent podróżuje do IU Zdrowie z Kuwejtu w leczeniu raka. 5 Czerwiec 2024.

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

8. EDE. Wydawanie pozwoleń na dopuszczenie do obrotu dla produktu leczniczego lub biofarmaceutycznego. Dostęp 5 Listopad 2026.

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

9. DHA. Standardy dla Klinicznych Przeszczepów Komórki Hematopoetycznej. Wersja 1.0; wydane 27 listopada 2024, skuteczne 27 stycznia 2025.

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

Kontynuowano odniesienia

10. DoH Abu Dhabi. Standard dla terapii w komórkach ludzkich, na tkankach i medycynie regeneracyjnej. V 2; styczeń 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. Międzynarodowe standardy hematopoetycznej terapii komórkowej. Dziewiąta edycja, wersja 9.1; opublikowana 17 grudnia 2025, skuteczna 2 lutego 2026.

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

12. Przewodnik SFDA CASGEVY. Przewodnik po obsłudze i administracji. Wersja 1.0; przygotowany i zatwierdzony przez SFDA maj 2024. Przeczytaj wraz z aktualnymi lokalnymi informacjami na temat recepty.

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

13. Informacje EMA CASGEVY. Casgevy: Informacje o produkcie UE. Dostęp 5 Listopad 2026. Międzynarodowy wskaźnik produktu, nie prawo Zatoki Perskiej.

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

14. Przewodnik SFDA Zolgensma. Przewodnik dla pracowników służby zdrowia zapewnia minimalizację ryzyka związanego z Zolgensma. Wersja 4.0, wrzesień 2025.

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

15. Ogłoszenie FDA REMS. FDA eliminuje REMS dla autologicznych T-cell immunoterapii Car. 27 Czerwiec 2025. Amerykańskie działania regulacyjne, a nie zasada Zatoki Perskiej.

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

16. Wytyczne FDA LTFU. Długoterminowe monitorowanie po administrowaniu produktami terapii genowej. Wytyczne dla przemysłu; styczeń 2020.

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

17. Wytyczne DoH Jawda. Wskaźniki jakości HSCT. Wersja 3.1; listopad 2025.

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

Metoda i ograniczenia

Jest to ukierunkowany przegląd źródeł publicznych i synteza operacyjna, a nie systematyczny przegląd kliniczny, audyt live treatment-center lub wyczerpujący krajowy wykaz zezwoleń. Wybrano źródła, które mają znaczenie dla zatwierdzania produktów, regionalnych etapów realizacji, norm dotyczących usług klinicznych i kontroli bezpieczeństwa. Ogłoszenia historyczne określają, co zostało zgłoszone w ich datach publikacji, a nie aktualna zdolność produkcyjna lub kwalifikowalność.

Zalecenia, bramki gotowości, okresy planowania, pytania ekonomiczne i definicje desek rozdzielczych są propozycjami analitycznymi. Przed wdrożeniem nie podjęto żadnych działań w zakresie zbioru danych na poziomie pacjenta, cen zastrzeżonych, analizy wyników klinicznych czy weryfikacji gotowości ilościowej.

© 2026 HERMS DMCC. Informacje i planowanie strategiczne. Nie porady medycznej, porady prawnej lub zastępstwo dla aktualnych zatwierdzonych informacji przepisujących i wymagań właściwych organów.

Wskaźnik tematu

Wybierz temat, aby przejść do jego sekcji w tym białym papierze.

Zezwolenie i finansowanie

Planowanie zdolności produkcyjnych

Gotowość do leczenia komórek i genów w Zatoce Perskiej

Po zakończeniu infuzji

Integralność produktu

Gotowość ośrodka leczenia

Warunki leczenia

Powiązane zasoby HERMS

Gotowość do terapii komórkowej i genowej w GCC

Obowiązki GCC w zakresie nadzoru nad bezpieczeństwem farmakoterapii dla posiadaczy pozwolenia na dopuszczenie do obrotu

GCC ustalanie cen leków i strategia dostępu do rynku

Rejestracja produktów farmaceutycznych ZEA

Kontakt HERMS

Powiązane odniesienia i dalsze czytanie

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