Готовность к клеточной и генной терапии в странах Персидского залива

HERMS · АНАЛИТИЧЕСКИЙ ДОКЛАД · НОЯБРЬ 2026

Готовность к клеточной и генной терапии в Персидском заливе от одобрения до инфузии пациента

HERMS Consultancy DMCC Dubai, Объединенные Арабские Эмираты | hermsglobal.com

Белые паперы / White Papers

HERMS WHITE PAPER | WP4 | Ноябрь 2026 Готовность к клеточной и генной терапии в Персидском заливе: от одобрения до инфузии пациентов Практическая основа для превращения авторизации продукта в безопасный, финансируемый и отслеживаемый доступ пациентов. Одобрение центрального документа является важной вехой в производстве продукции. Готовность — это способность на уровне пациента: правильное лечение, правильный центр, неповрежденный путь продукта, подтвержденное финансирование и подотчетное наблюдение.

HERMS Consultancy DMCC Dubai, United Arab Emirates Evidence review: 5 November 2026 For health system leaders, specialist providers, payers, manufacturers and market-access team. This white paper offers a strategic and operational framework, not a clinical protocol or a product-specific regulatory opinion.

Возможность клеточной и генной терапии в Персидском заливе должна оцениваться по завершенным, безопасным путям лечения пациентов, а не только по объявлениям об одобрении. В этой статье предлагается модель готовности, которая связывает нормативное разрешение, финансирование, клинические возможности, целостность продукта и последующее наблюдение через явные ворота принятия решений. Региональные вехи уже охватывают различные этапы: Бахрейн объявил об одобрении CASGEVY в декабре 2023 года. Саудовская Аравия сообщила об одобрении в январе 2024 года, а Абу-Даби объявил о введении терапии в марте 2025 года. NHRA [2] Саудовское агентство печати [1] DoH Abu Dhabi [3] Это важные события, но ни одно из них не является заменой текущей, специфической для пациента записи о разрешении и доставке.

Пять приоритетов для лиц, принимающих решения Отдельное разрешение от возможностей: сохранить авторизацию продукта, лицензирование объекта, квалификацию производителя, финансирование пациентов и клиническое право на получение различных разрешений. Дизайн вокруг модальности: аутологичные CAR-T, генно-отредактированные стволовые клетки ex vivo и генная терапия in vivo требуют различных операционных путей. В работе используются рекомендации по продуктам и международные стандарты, чтобы проиллюстрировать эти различия. FACT-JACIE [11] SFDA CASGEVY guide [12] EMA CASGEVY information [13] SFDA Zolgensma guide [14] Защитить необратимые решения: ни один график или коммерческое обязательство не должны отменять документально подтвержденные проверки готовности, необходимые до

предварительной обработки, размораживания продукта или введения. Финансирование полного эпизода: согласуйте, кто платит за диагностику, сбор, где это применимо, производство, лечение, осложнения, поездки и последующее наблюдение до совершения пациента. Измерение доступа и истощения: отслеживание интервалов направления к решению и принятия решения к инфузии вместе с пациентами, отложенными, отклоненными, потерянными для последующего наблюдения или неспособными продолжать. Пациент готов действовать только тогда, когда все соответствующие критически важные для безопасности ворота будут закрыты доказательствами и названы выписками. Не усредняйте неудавшиеся ворота в общий «зеленый» балл.

Региональные доказательства и различия в модальности устанавливают контекст. Затем основные разделы охватывают авторизацию и финансирование, готовность пациентов и центров, логистику продукции, последующую деятельность и операционную экономику; заключительные разделы обеспечивают 90-дневный план мобилизации и контрольный список практической готовности. Сфера охвата: Бахрейн, Кувейт, Оман, Катар, Саудовская Аравия и ОАЭ. Снимок страны - это выборочное доказательство, а не полный реестр продуктов или рейтинг национальной готовности. Международные руководящие указания четко отличаются от требований Персидского залива.

Ландшафт Персидского залива: прогресс не является однородной готовностью Доказательства ниже фиксируют различные типы прогресса, не сопоставимые национальные показатели. Даты публикации сохраняются, так что историческое одобрение, исследовательская программа или один лечащий пациент не представлены в качестве доказательства текущей рутинной доступности.

Проверенные доказательства

Интерпретация готовности

Саудовская Аравия

Об утверждении SFDA CASGEVY сообщалось 8 января 2024 года. KFSHRC сообщил о более чем 200 пациентах с CAR-T, получавших лечение с 2020 года в октябре 2025 года. Saudi Press Agency [1] KFSHRC [4]

KFSHRC в явной форме описала свое первое местное производство CAR-T как часть первоначального клинического испытания. Не приравнивайте местное пробное производство к обычному коммерческому разрешению. KFSHRC [4]

Объединенные Арабские Эмираты

DoH объявила о введении CASGEVY через ADSCC 28 марта 2025 года, а первый пациент должен начаться в апреле. Объявление сообщает о разрешении рынка EDE. DoH Abu Dhabi [3]

В объявлении также упоминается страховое покрытие, подпадающее под действие правил и стандартов; в нем не устанавливается универсальное покрытие, одобрение конкретного пациента или завершенная инфузия на дату объявления.

Бахрейн

Выпуск NHRA от 2 декабря 2023 года объявил об одобрении CASGEVY для серповидноклеточной болезни (СКБ) и трансфузионно-зависимой бета-талассемии. NHRA [2]

В релизе не указаны возможности лечения, механизмы запуска или охват на уровне пациента. Эти пункты требуют отдельной проверки. NHRA [2]

Оман

Oman Observer, докладывая об ONA, описал подготовленный на месте и спроектированный CAR-T курс лечения в Университетском медицинском городе 12 мая 2026 года.

В докладе не указывается маршрут авторизации или то, было ли лечение исследовательской или обычной помощью. Не следует делать вывод о лицензированной коммерческой производственной платформе. Oman Observer / ONA [6]

Катар

На странице Института исследований рака HMC описывается доклиническая работа Т-клеток и NK-клеток, транслируемая CAR, и программа трансляционных исследований. - Hamad Medical Corporation [5]

Эта страница поддерживает исследовательские возможности, а не проверенный инвентарь коммерческих продуктов CAR-T или активных слотов для рутинного лечения.

Кувейт

5 июня 2024 года IU Health задокументировал кувейтского пациента, путешествующего для терапии CAR-T, включая поддержку путешествий и проживания.

Это свидетельствует об одном трансграничном пути, а не о том, что Кувейту не хватает внутреннего потенциала или заявления о текущем национальном охвате.

Доказательные пробелы не являются отрицательными выводами. Перед запуском или направлением получить текущий статус продукта, объем обслуживания, емкость, право плательщика и законный маршрут доступа непосредственно от соответствующих сторон.

HERMS Consultancy DMCC | hermsglobal.com

3

Белые паперы / White Papers

Три способа, три операционных пути Один контрольный список «клеточной и генной терапии» является недостаточным. Стандарты FACT-JACIE касаются сбора, обработки и введения клеточной терапии, в то время как приведенные материалы CASGEVY и Zolgensma показывают специфические требования к продукту, которые не могут быть переданы без разбора между модальностями. FACT-JACIE [11] SFDA CASGEVY Guide [12] SFDA Zolgensma Guide [14] Модальность

Путь и зависимость

Акцент на готовность

Автологический CAR-T

Сбор, изготовление, возврат продукта, подготовительное лечение, где указано, мониторинг инфузии и токсичности. KFSHRC описывает модель сбора, модификации и реинфузии. KFSHRC [4]

Подготовьтесь к синдрому высвобождения цитокинов и неврологическим токсикозам в соответствии с текущей этикеткой и местной программой. FACT-JACIE [11] FDA REMS анонс [15]

Генно-отредактированные стволовые клетки Ex vivo

Мобилизация и аферез гемопоэтических стволовых и прогениторных клеток (HSPC), производство, возврат продукта, миелоаблятивное кондиционирование и инфузия. CASGEVY является примером, а не общим протоколом. SFDA CASGEVY Руководство [12] EMA CASGEVY информация [13]

Подтвердить пригодность для трансплантации, наличие спасательных клеток и полную дозу продукта до соответствующего необратимого шага. Обратиться к фертильности и долгосрочному наблюдению. Информация о EMA CASGEVY [13]

Генная терапия in vivo

Продукт вводится непосредственно; цитируемый путь Золгенсма не требует сбора и возврата клеток пациента. В его руководстве указана оценка предварительной обработки и мониторинг после инфузии. Руководство SFDA Zolgensma [14]

Тестирование специфических антител к продукту, оценка органов, лекарственные средства, лабораторный мониторинг и эскалация специалиста могут оставаться необходимыми даже без производственного цикла для конкретного пациента. [14]

Что должно быть общим: использовать общую структуру управления для получения права, согласия, финансирования, получения продукта, эскалации неблагоприятных событий и последующей отчетности. Приложить контролируемый метод и дополнение к продукту вместо того, чтобы заставлять все методы лечения в одни и те же сроки, температуры, тесты или модель укомплектования штатов.

То, что должно оставаться отдельными аллогенными клеточными продуктами, исследовательскими конструкциями и продуктами местного производства, нуждается в собственных оценках донора, производства, выпуска и авторизации. Успешное лечение или аккредитованная клиническая служба не должны рассматриваться как доказательство того, что другая конструкция, индикация или производственная площадка разрешены. Выберите первую услугу по ее полным требованиям и доступным возможностям, а не по привлекательности объявления продукта. Импортная программа коммерческой терапии и местная производственная программа - это разные инвестиции.

Разрешение и финансирование: закрытие правильных ворот ОАЭ иллюстрирует необходимость различать разрешения на продукцию и услуги: EDE обеспечивает маршрут авторизации маркетинга для фармацевтических и биологических продуктов, в то время как стандарт HSCT DHA отдельно устанавливает требования к лицензированию услуг и аккредитации в своей области. EDE [8] DHA [9] Оперативная рекомендация заключается в поддержании матрицы разрешений продукта-индикации-сайта, а не одного «утвержденного» поля.

Конкретный для юрисдикции маршрут регистрации разрешений: записывайте авторизованное указание, текущую местную этикетку, возраст и другие ограничения приемлемости, владельца разрешения на маркетинг и любой законный путь специального доступа или пробного маршрута. Записывайте эффективную версию и кто ее проверял. Маршрут обслуживания: документировать лицензию на объект, объем практики, необходимые аккредитации, привилегии специалиста и любую квалификацию производителя для конкретной продукции. Не принимайте одну замену другой. Маршрут импорта и выпуска: установить применимые разрешения на исходный материал, готовую продукцию, таможенное оформление и выпуск или приемку. Назначьте ответственность за каждую передачу перед планированием отгрузки. Маршрут исследования: сохранить одобрение этики, обязанности спонсора, исследовательскую поставку, согласие и отчетность отдельно от коммерческого доступа. Испытание не становится обычным лечением, потому что лечение происходит в стационаре. Стандарт регенеративной медицины SCOPE CHECK THAT MATTERS DoH от января 2026 года явно исключает генную терапию и клеточную терапию с минимальным манипулированием. Не используйте этот документ в качестве авторизационного основания для CAR-T или генно-отредактированной клеточной терапии. Абу-Даби [10]

Полное решение о финансировании, а не только одобрение препарата Рекомендуемое финансовое разрешение должно охватывать лекарство и эпизод ухода, включая диагностику, сбор, где это применимо, предварительное лечение, госпитализацию, осложнения и последующее наблюдение. В нем должны быть указаны исключения из охвата, даты истечения срока действия, взносы пациентов, условия отмены и расходы на сбор или изготовление, если инфузия не может продолжаться. В объявлении DoH CASGEVY упоминается страховое покрытие в соответствии с применимыми правилами и стандартами, но не публикуются универсальные права или индивидуальные условия полиса. Поэтому программа должна проверять пациента, продукт, поставщика и маршрут финансирования вместе, прежде чем принимать финансируемый курс лечения. Настоящий документ не устанавливает права на возмещение в рамках всего ССАГПЗ, общий путь авторизации или нормативную гарантию времени рассмотрения. Каждый живой случай требует текущего местного подтверждения.

Готовность пациента и центра: четко сформулируйте ответственность за CASGEVY, информация о продукте ЕС требует авторизованного центра и врачей, имеющих опыт в трансплантации и бета-гемоглобинопатии, и выявит последствия фертильности миелоаблятивной обусловленности. Информация EMA CASGEVY [13] Это полезные критерии для конкретных продуктов; применимые этикетки Gulf и местные требования к обслуживанию по-прежнему контролируются.

Прежде чем резервировать необратимый шаг лечения, многопрофильная команда должна документировать диагностику и показания, альтернативы, ожидаемую пользу и неопределенность, текущую оценку органов и инфекции, клиническую пригодность, согласие и механизмы ухода. Для педиатрических пациентов программа должна охватывать соответствующие возрасту сообщения и соответствующий процесс согласия или согласия. Рекомендуемое консультирование должно объяснять весь путь, возможные неудачи в производстве или планировании, связанные с лечением риски, соображения

фертильности, где это уместно, возможность отсутствия долгосрочной выгоды и последующего бремени. Предоставьте понятные арабские или другие материалы на предпочтительном языке и именуемый маршрут для вопросов, а не рассматривайте подпись как доказательство понимания.

HERMS Consultancy DMCC | hermsglobal.com

5

Белые паперы / White Papers

Подотчетная функция

Минимальное доказательство закрытия ворот

Ведущая клиническая программа

Право на участие и решение о пригодности; текущая оценка пациента; назначение и владение эскалацией; документально подтвержденная причина для продолжения или отсрочки.

Сборник/лабораторный свинец

Квалифицированный путь сбора, где это необходимо; проверка личности; компетентность в обращении с продуктом; проверенные механизмы хранения и непредвиденные обстоятельства.

Сестринское дело / аптечный свинец

Обучение по конкретным продуктам; рабочий процесс администрирования; проверенная доступность необходимых лекарств, расходных материалов и возможности мониторинга.

Критическая помощь / специализированные услуги

Задокументированный путь эскалации и передачи; соответствующее по вызову прикрытие; доказательства того, что аварийное моделирование было завершено.

Управляющий делами/связь с плательщиком

Разрешение на финансирование; план поездок и ухода; маршрут контакта с пациентом; назначения после выписки и механизмы получения медицинской помощи.

Аккредитация является доказательством того, что стандарт HSCT DHA требует аккредитации больницы и лаборатории до начала обслуживания и FACT или эквивалентной аккредитации клинической службы HSCT в течение 24 месяцев после активации лицензии. DHA [9] FACT-JACIE также отличает программы трансплантации от программ, предназначенных только для клеток с иммунным эффектом, с различными применимыми механизмами аккредитации. FACT-JACIE [11] Это не универсальный график или правило аккредитации для каждой службы генной терапии в Заливе. Проверить точную юрисдикцию, лицензию, клинический охват и текущий стандарт перед их применением.

Целостность продукта: подключение производства к прикроватной FACT-JACIE определяет цепочку идентификации как устойчивую ассоциацию идентификаторов продукта на протяжении всего жизненного цикла, а цепь хранения как проверяемую документацию опекунства от происхождения до окончательного распоряжения. FACT-JACIE [11] Оба

необходимы; одна только запись о местоположении отгрузки не устанавливает идентичность продукта пациента.

Предложенная запись связывает идентификаторы пациентов, идентификаторы сбора, где это применимо, заказ производителя, партию или партию, документацию о выпуске, курьерские передачи, температурные доказательства, квитанцию сайта, местоположение хранения, администрирование и окончательное распоряжение. Каждое несоответствие нуждается в владельце, расположении и документальном закрытии, а не в неформальном объяснении. Контрольная точка

Доказательства и решение

Перед сбором / заказом

Согласовать личность пациента и порядок; установить авторизованный маршрут, место и финансирование; подтвердить право собственности на случай непредвиденных обстоятельств.

Подготовка груза

Используйте упаковку для конкретного продукта и квалифицированные транспортные средства; проверьте документы, получая доступ и процедуры сбоя.

Сайт квитанции

Согласование идентичности, количества, целостности, условий транспортировки, выпуска документов и возможности хранения; карантин неразрешенных расхождений.

HERMS Consultancy DMCC | hermsglobal.com

6

Белые паперы / White Papers

Контрольная точка

Доказательства и решение

Перед подготовительным лечением

Проверяйте все специфические требования к продукту, текущую пригодность и емкость пациента.Примените местную этикетку; не делайте вывод о готовности с ожидаемой даты доставки.

Перед оттаиванием / администрированием

Проверять соответствие продукта пациенту, порядок, полную дозу, где это применимо, истечение срока действия и обученный персонал; документировать принятие продукта и клиническое разрешение отдельно.

Важная информация о зависимости продукта от EC CASGEVY гласит, что кондиционирование не должно начинаться до тех пор, пока полная доза не будет доставлена в уполномоченный центр лечения и не подтвердится наличие резервных спасательных клеток. Информация об EMA CASGEVY [13] Руководство по обращению с Саудовской Аравией требует согласования идентификатора пациента и проверки у постели двух человек перед каждым флаконом, а также контроля криохранилища и оттепели до инфузии. Руководство SFDA CASGEVY [12] Эти примеры показывают, почему

общее соглашение об логистических услугах является недостаточным. План готовности должен переводить текущую местную этикетку в контролируемые контрольно-пропускные пункты без копирования температур, сроков или критериев выпуска из одного продукта в другой. Неразрешенное несоответствие идентичности, проблема целостности продукта или отсутствие критических предпосылок должны вызвать задержку и эскалацию. Ни стоимость, ни забронированная кровать не являются доказательством того, что продукт можно безопасно вводить.

Вливание - это переход, а не конец службы Удаление FDA REMS за июнь 2025 года для шести перечисленных BCMA- и CD19-направленных аутологичных продуктов CAR-T не устранило отчетность о неблагоприятных событиях или исследования безопасности после маркетинга производителя. Объявление FDA REMS [15] Это действие США, а не полное ослабление обязательств по безопасности завода в Персидском заливе, производителя или продукта.

Программы CAR-T должны интерпретировать текущие предупреждения о токсичности продукта и местные требования к уходу, а не полагаться на исторические правила сертификации США; в объявлении FDA по-прежнему выявляются синдром высвобождения цитокинов и неврологические токсичности при маркировке продукта. Рекомендуемые локальные доказательства готовности - это отработанный путь реагирования, соответствующая специализированная защита и подтвержденная доступность требуемого спасательного лечения в соответствии с применимым протоколом. Руководство по минимизации риска в Саудовской Аравии иллюстрирует другое бремя: оно определяет оценку предварительной обработки и клинический и лабораторный мониторинг в течение как минимум трех месяцев после инфузии, включая мониторинг безопасности печени. Руководство по SFDA Zolgensma [14] Программа не должна описывать терапию in vivo как функционально простую только потому, что афереза и производство клеток для конкретного пациента отсутствуют.

Построить последующее наблюдение перед принятием пациента Клиническое владение: определить лечащего свинца, долгосрочного принимающего клинициста и маршрут эскалации для подозрения на задержку токсичности. Непрерывность: согласовать, где происходят тесты, кто рассматривает результаты, как пропущенные посещения обостряются и как педиатрические пациенты переходят к уходу за взрослыми.

HERMS Consultancy DMCC | hermsglobal.com

7

Белые паперы / White Papers

Трансграничный уход: подтверждение законного обмена данными, возможности поездки, доступа к чрезвычайным ситуациям, обязанностей по оплате и приему передачи до возвращения пациента домой. Поддержка пациентов: предоставление резюме лечения, идентификатор продукта, экстренный контакт и понятные инструкции по безопасности с планом восстановления и ухода.

Не накладывайте одну продолжительность наблюдения на все продукты, руководство FDA рекомендует подход, основанный на риске, и явно заявляет, что не все генные терапии требуют долгосрочных наблюдений. Руководство FDA LTFU [16] Информация EC CASGEVY указывает на ежегодный мониторинг в течение 15 лет, иллюстрируя приверженность конкретным продуктам, а не универсальное правило GCC. EMA CASGEVY

Information [13] GOVERNED EVIDENCE, NOT AUTOMATED CLINICAL AUTHORITY Цифровые системы могут согласовывать документы, отсутствующие доказательства и поддерживать планирование или напоминания. Право пациента, принятие продукта, решение о выпуске и клиническое лечение остаются у надлежащим образом уполномоченных лиц, принимающих решения.

Экономика и потенциал: финансирование всего пути Этот документ рекомендует модель планирования на основе эпизодов, а не бюджет только для цен на лекарства. Он не оценивает размер регионального рынка, цену лечения, доходность инвестиций или сбережений; те требуют данных о продукте, плательщике и населении.

Начните с клинически оцененных кандидатов, а не с распространенности заболевания или прогноза рекламного рынка. Моделируйте, сколько пациентов, вероятно, будут иметь право на участие, финансироваться, иметь возможность проходить сбор, где это уместно, успешно поставляться, клинически соответствовать запланированной дате и в конечном итоге вводиться; позвольте порядку этих стадий изменяться в зависимости от продукта. Бюджетный компонент

Решение, которое должно быть четким

Оценка и подготовка

Кто финансирует диагностическое подтверждение, экспертизу, консультирование, сохранение фертильности там, где это уместно и повторное тестирование?

Сбор и изготовление

Кто платит за повторный сбор, неудачное производство, отмену, перенос и неиспользованный продукт для конкретного пациента?

Лечение и осложнения

Какие стационарные, критические, лабораторные и вспомогательные расходы включены, исключены или ограничены?

Путешествия и восстановление

Кто покрывает визы там, где это необходимо, проживание, помощь по уходу, местный транспорт и длительное пребывание?

Последующие меры и доказательства

Кто финансирует долгосрочный клинический мониторинг, ввод данных, участие в реестре и уход после того, как пациент меняет плательщика или страну?

Контракты на проектирование в отношении измеримых событий Там, где это юридически и коммерчески целесообразно, этапы оплаты могут быть связаны с проверяемыми событиями, такими как прием поставок, инфузия или согласованный клинический результат. Контракт, связанный с результатами, должен определять население, конечную точку, окно измерения, правила недостающих данных, судебное решение и финансовые последствия до лечения; клиническое суждение должно оставаться независимым от стимулов к оплате.

HERMS Consultancy DMCC | hermsglobal.com

Белые паперы / White Papers

Отдельный оперативный сбой от отсутствия клинического ответа. Неудачный производственный процесс, пациент становится непригодным перед инфузией, недостающая оценка результатов и проверенное отсутствие ответа не должны рассматриваться как одно и то же договорное событие.

Мощность является ограничением пути для целей планирования, емкость модели как минимум применимых узких мест: финансируемые пациенты, диагностическая работа, слоты для сбора, распределение производства, лечебные кровати, специализированное покрытие и последующая емкость. Проверяйте прогноз относительно фактического времени завершения и сценариев сбоев, прежде чем добавлять новые показания или сайты. Местное производство должно оцениваться как отдельный бизнес и нормативный случай. Демонстрация потенциала клинической доставки сама по себе не устанавливает сопоставимость процессов, одобрение коммерческого производства или устойчивую экономику производства.

90-дневный план мобилизации готовности Ниже приводится предлагаемый график планирования, а не обещание лицензирования или первой инфузии в течение 90 дней. Цель состоит в том, чтобы принять решение о переходе, удержании или перепроектировании с учетом фактических данных для определенного продукта, указания, места и маршрута плательщика.

Рабочий пакет

Доказательства выхода

Дни 1-30

Определите первый путь; подтвердите юридический охват и объем продукции; нанесите на карту спрос и возможности пациентов; назначьте владельцев клиники, качества, доступа и логистики.

Утвержденная область применения; матрица разрешений, контролируемая источником; базовые пробелы; имена владельцев решений и предположения о финансировании.

Дни 31-60

Устранение несоответствий между конкретными требованиями к продукции и долгосрочным правом собственности.

Документированная компетентность; исполняемые соглашения; контролируемые рабочие процессы; финансируемый план устранения нерешенных пробелов.

Дни 61-90

Проведите сквозное моделирование, включающее задержку, несоответствие, ухудшение состояния пациента и эскалацию чрезвычайной ситуации.

Подписанный имитационный отчет; закрытые критические отклонения; утвержденная пропускная способность; независимый обзор готовности и отчет о принятии решений.

HERMS Consultancy DMCC | hermsglobal.com

9

Белые паперы / White Papers

Небольшая приборная панель с защищаемыми определениями Мера

Рекомендуемое определение и толкование

Время передачи на принятие решения

Дни с момента получения полного направления на документированное междисциплинарное решение. Медиана отчета, 90-й процентиль и неполные направления отдельно.

Время принятия решения

Дни от документально подтвержденного решения о приеме на инфузию, сообщенные по продукту и маршруту. Отдельные плательщики, производственные причины и причины клинической задержки.

Инфузионное преобразование

Вводимые пациенты, разделенные пациентами, признанными имеющими право на участие в определенной когорте; окно наблюдения за состоянием и показ ожидающих рассмотрения дел отдельно.

Прединфузионное истощение

Приемлемые пациенты, которые не достигают инфузии, классифицируются по финансированию, клиническому ухудшению, поставкам, изъятию или другой документально подтвержденной причине.

Прослеживаемость и последующая деятельность

Критические отклонения в идентификации/опеке; неурегулированные отклонения; завершенные последующие оценки, разделенные на подлежащие оценке, с выявленными случаями смерти и передачи.

Используйте еженедельный оперативный обзор и ежемесячный обзор управления. Целевые показатели должны устанавливаться с учетом местных исходных условий и применимых обязательств, а не изобретённых региональных ориентиров; сохранять требуемые сроки представления отчетности о безопасности независимо от циклов приборной панели. Руководство Jawda Абу-Даби уже требует четкой отчетности по качеству HSCT для поставщиков услуг в области охвата, иллюстрируя, почему панель инструментов программы должна сосуществовать с обязательной отчетностью, а не заменять ее. Наставление джавды [17].

Контрольный список готовности и повестка дня руководства Этот контрольный список представляет собой предлагаемый инструмент управления, а не инструмент аккредитации или подтвержденную оценку готовности. Оценка каждого пункта как полного, неполного или не применимого с документально подтвержденным обоснованием, ссылкой на доказательства, владельцем и датой рассмотрения.

Доказательства, необходимые для «полного» решения

Законный доступ

Проверенный маршрут продукта / указания; применимые разрешения; объем объекта; текущая маркировка и обязательства по управлению рисками.

Право пациента

Многодисциплинарное решение; обновленная пригодность; информированное согласие; обсуждаемые альтернативы; соображения по уходу и фертильности, где это применимо.

Финансирование эпизода

Обязанности по одобрению и оплате для конкретного пациента, включая осложнения, отмену, поездки и последующее наблюдение.

Возможности центра

Квалифицированная команда; текущие привилегии; соответствующая аккредитация; обучение продукции; готовность оборудования и аварийное покрытие.

Предложение и идентичность

Подтвержденный путь производства или поставки; согласованные идентификаторы; квалифицированная транспортировка; приемка и хранение; контроль несоответствий.

HERMS Consultancy DMCC | hermsglobal.com

10

Белые паперы / White Papers

Ворота

Доказательства, необходимые для «полного» решения

Подготовительное лечение

Все специфические предпосылки к продукту выполнены; пациент переоценен; необходимые меры по спасению продукта проверены; клинический выписка.

Вливание и эскалация

Корректировка пациента и продукта; текущий порядок; обученная команда; необходимые лекарства и мониторинг; документированный орган по эскалации.

Долгосрочная непрерывность

Наименованный клинический владелец; финансируемый план мониторинга; контакты с пациентами; обязанности по регистрации / отчетности; принятая трансграничная передача, если это уместно.

Какое руководство должно поручить следующей комиссии одно интегрированное досье готовности для первого приоритетного пути, с клиническим, нормативным, качественным, финансовым и цепочкой поставок. Требуйте документально подтвержденного решения о невыезде всякий раз, когда критически важное условие безопасности не решено, и сохраняйте причины, чтобы организация могла отличить исправимую задержку от ненадлежащего лечения. Для специализированной консультативной группы, такой как HERMS, соответствующая роль заключается в структурировании проверки источников, сопоставлении требований, согласовании заинтересованных сторон и доказательствах готовности. Это не замена регулятора,

функции выпуска производителя, решения плательщика или группы лечения, и в этом документе не утверждается, что HERMS управляет клиническими услугами или подтвердил результаты лечения пациентов. Следующим мерилом прогресса в Персидском заливе должна быть способность обеспечить подотчетный путь пациента: законный доступ, надлежащий отбор, полное финансирование, надежная обработка продукта, безопасное администрирование и непрерывность ухода. Утверждение открывает путь; готовность делает его пригодным для использования.

Ссылки и примечания к доказательствам Источники рассмотрены 5 ноября 2026 года. Пронумерованные ссылки с именами источников появляются рядом с фактическими утверждениями. Официальные стандарты и материалы по продуктам имеют приоритет над объявлениями об оперативных решениях; международные документы являются эталонами, а не автоматически применимым законодательством Персидского залива. 1. Саудовское агентство печати. SFDA одобрила первый генный препарат для серповидноклеточной анемии и талассемии. 8 января 2024. https://www.spa.gov.sa/N2026057 2. HXPA. CASGEVY получает одобрение Бахрейна на лечение. NHRA release, 2 December 2023, distributed by 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. Дох Абу-Даби. Внедрение CASGEVY через Центр стволовых клеток Абу-Даби. 28 марта 2025. https://www.doh.gov.ae/en/news/doh-and-ascc-introduces-therapy-for-scd-and-thalassemia 4. КФШРК. KFSHRC лечит 200 пациентов с CAR-T терапией и запускает местное производство. 29 октября 2025. https://www.kfshrc.edu.sa/en/news/2025/10/kfshrc-treats-200-patients-with-cart-therapy-and-launches-local-m aufacturing

5. Медицинская корпорация Хамад. Научно-исследовательский институт рака. Недатированная институциональная страница; доступ 5 ноября 2026. https://hamad.qa/EN/Education-and-research/Academic-Health/Pages/cancer-Research-Institute.aspx 6. Oman Observer / ONA. UMC проводит первую терапию местными иммунными клетками. 12 мая 2026. https://www.omanobserver.om/article/1189533/oman/umc-conducts-first-therapy-with-local-immune-cells 7. Здоровья. Пациент отправляется в клинику IU Health из Кувейта для лечения рака. 5 июня 2024. https://iuhealth.org/thrive/patient-travels-to-iu-health-from-kuwait-for-cancer-treatment 8. ЭДЕ. Выдача разрешения на маркетинг лекарственного средства или биофармацевтического продукта. Доступен 5 ноября 2026. https://www.ede.gov.ae/en/w/issuance-of-marketing-authorization-for-a-drug-or-biopharmaceutical-product 9. ДХА. Стандарты для клинических услуг по трансплантации кроветворных стволовых клеток. Версия 1.0; выпущена 27 ноября 2024 года, вступила в силу 27 января 2025 года. https://dha.gov.ae/uploads/122024/Standards%20for%20Clinical%20Hematopoientic%20Статьи%20Cell%20Transplant%20Услуги%202024120398.pdf

Ссылки продолжались 10. Дох Абу-Даби. Стандарт для терапии в клеточной, тканевой и регенеративной медицине человека. V2; 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. Факт-Джейси. Международные стандарты гемопоэтической клеточной терапии. Девятое издание, версия 9.1;

опубликовано 17 декабря 2025 года, вступает в силу 2 февраля 2026. https://www.ebmt.org/sites/default/files/2025-12/FACT-JACIE%20HCT%20Standards%209th%20Ed_V9-1.pdf 12. Руководство по SFDA CASGEVY. Руководство по управлению и администрированию. Версия 1.0; подготовлена и одобрена SFDA в мае 2024 года. Читайте вместе с текущей местной информацией о назначении. https://www.sfda.gov.sa/sites/default/files/2025-01/KSA%20Casgevy%20Handling%20и%20Administration%20Guide_v1.0_EN.pdf 13. Информация об EMA CASGEVY. Casgevy: информация о продукции ЕС. Доступ 5 ноября 2026. Международный эталон продукта, а не закон Персидского залива. https://www.ema.europa.eu/en/documents/product-information/casgevy-epar-product-information_en.pdf 14. SFDA Zolgensma Guide. Руководство специалиста здравоохранения по минимизации рисков с Zolgensma. Версия 4.0, сентябрь 2025. https://www.sfda.gov.sa/sites/default/files/2026-03/RMP%20HCP%20Guide%20SEPT%202025_V14%20(002).pdf 15. Объявление FDA REMS. FDA устраняет REMS для аутологичных Т-клеточных иммунотерапии CAR. 27 июня 2025 года. Регулятивные меры США, а не правило Персидского залива. https://www.fda.gov/news-events/press-announcements/fda-eliminates-risk-evaluation-and-mitigation-strategi es-rems-autologous-chimeric-antigen-receptor

16. Руководство FDA LTFU. Долгосрочное наблюдение после введения продуктов генной терапии человека. Руководство для промышленности; Январь 2020. https://www.fda.gov/regulatory-information/search-fda-guidance-documents/long-term-follow-after-administration-human-gene-therapy-products 17. Наставление Доха Джауда. Показатели эффективности качества HSCT. Версия 3.1; Ноябрь 2025. https://www.doh.gov.ae/-/media/Feature/Muashir/Jawda/2026/HSCT-Jawda-GuidanceV312025.ashx

Метод и ограничения Это целенаправленный обзор государственных источников и оперативный синтез, а не систематический клинический обзор, аудит центра лечения в реальном времени или исчерпывающий национальный кадастр разрешений. Были отобраны источники, имеющие отношение к утверждению продукции, региональным этапам поставки, стандартам клинического обслуживания и контролю безопасности. Исторические объявления устанавливают то, что было сообщено о датах их публикации, а не о сегодняшнем качестве или правомочности. Рекомендации, пороги готовности, периоды планирования, экономические вопросы и определения приборной панели являются аналитическими предложениями. Не было проведено ни набора данных на уровне пациента, ни ценообразования, ни анализа клинических результатов, ни количественной проверки готовности. Проверить текущие местные документы и получить квалифицированную клиническую, нормативную и юридическую экспертизу до внедрения. © 2026 HERMS Consultancy DMCC. Только для информации и стратегического планирования. Не медицинская консультация, юридическая консультация или замена утвержденной информации и требований компетентных органов. Тематический индекс Выберите тему, чтобы перейти к ее разделу в этом документе. Разрешение и финансирование Планирование потенциала готовности клеток и генной терапии в Персидском заливе После инфузионного контроля Центр обработки целостности продукта Готовность к лечению Модальности лечения Связанные с HERMS ресурсы Готовность клеток и генной терапии в обязательствах по фармаконадзору GCC GCC для держателей лицензий на маркетинг GCC Фармацевтические цены и стратегия доступа на рынок

Регистрация фармацевтических продуктов ОАЭ Контакты HERMS

Связанные ссылки и дальнейшее чтение https://dha.gov.ae/uploads/122024/Standards%20for%20Clinical%20Hematopoientic%20Cell%20Services%202 024120398.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

Белые паперы / White Papers

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-Re generative-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-chimeri c-antigen-receptor https://www.fda.gov/regulatory-information/search-fda-guidance-documents/long-term-follow-after-administration-human-gene-therapy-pr oducts https://www.globenewswire.com/news-release/2023/12/02/2789644/0/en/casgevy-gets-bahrain-approval-for-treatment-marking-it-secondcountry-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

Ссылки на источники

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

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.hermsglobal.com/white-page

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