HERMS WHITE PAPER | NOVEMBER 2026

Gulfstaternas beredskap för cell- och genterapi

Från godkännande till patientinfusion

HERMS Samråd DMCC

Dubai, Förenade Arabemiraten | hermsglobal.com

HERMS VIT PAPER | WP 4 | NOVEMBER 2026

Cell och genterapi beredskap i viken:

Från godkännande till patientinfusion

Ett praktiskt ramverk för att omvandla produktgodkännande till säker, finansierad och spårbar patientåtkomst.

THE CENTRAL ARGUMENT

Godkännande är en produktmilstolpe. Beredskap är en patientnivåkapacitet: rätt behandling, rätt centrum, en intakt produktväg, bekräftad finansiering och ansvarsfull uppföljning.

HERMS Samråd DMCC

Dubai, Förenade Arabemiraten

Bevisgranskning: 5 November 2026

För hälso- och sjukvårdsledare, specialistleverantörer, betalare, tillverkare och marknadstillgångsteam. Detta white paper erbjuder ett strategiskt och operativt ramverk, inte ett kliniskt protokoll eller en produktspecifik lagstiftning.

Verkställande sammanfattning

Golfens cell- och genterapi möjlighet bör bedömas av färdiga, säkert styrda patientvägar snarare än genom godkännande tillkännagivanden ensam. Detta papper föreslår en beredskapsmodell som förbinder tillsynstillstånd, finansiering, klinisk kapacitet, produktintegritet och uppföljning genom explicit beslut grindar.

Regionala milstolpar spänner redan över olika stadier: Bahrain meddelade CASGEVY godkännande i december 2023. Saudiarabien rapporterade godkännande i januari 2024, och Abu Dhabi meddelade införandet av terapin i mars 2025. NHRA [2]] Saudi Press Agency [1]] DoH Abu Dhabi [3]] Dessa är meningsfulla utvecklingar, men ingen är en ersättning för ett aktuellt, patientspecifikt tillstånd och leveransrekord.

Fem prioriteringar för beslutsfattare

Separat tillstånd från kapacitet: hålla produktgodkännande, anläggningslicensiering, tillverkarens kvalifikation, patientfinansiering och klinisk behörighet som olika godkännanden.

Design runt modaliteten: autolog CAR-T, ex vivo genredigerade stamceller och in vivo genterapier kräver olika operativa vägar. Papperet använder produktvägledning och internationella standarder för att illustrera dessa skillnader. FACT-JACIE [11]] SFDA CASGEVY guide [12]] EMA CASGEVY information [13]]]
SFDA Zolgensma guide [14]]

Skydda oåterkalleliga beslut: Inget schema eller kommersiellt åtagande bör åsidosätta de dokumenterade beredskapskontroller som krävs innan förberedande behandling, produkttintning eller administration.

Fundera på hela avsnittet: godkänna vem som betalar för diagnostik, insamling i förekommande fall, tillverkning, behandling, komplikationer, resor och uppföljning innan patienten begår.

Mätåtkomst och attrition: spåra remiss-till-beslut och beslut-till-infusion intervaller tillsammans med patienter uppskjutna, minskade, förlorade för uppföljning eller oförmögen att fortsätta.

PROPOSED READINESS RULE

En patient är redo att fortsätta endast när varje tillämplig säkerhetskritisk grind är stängd med bevis och namngiven sign-off. I genomsnitt en misslyckad grind i en övergripande "grön" poäng.

Läsguide

Regionala bevis och modalitetsskillnader etablerar sammanhanget. Kärnpunkterna täcker sedan auktorisation och finansiering, patient- och centrumberedskap, produktlogistik, uppföljning och operativ ekonomi; de sista avsnitten ger en 90-dagars mobiliseringsplan och en praktisk beredskapskontrolllista.

Scope: Bahrain, Kuwait, Oman, Qatar, Saudiarabien och Förenade Arabemiraten. Landet snapshot är selektivt bevis, inte ett komplett produktregister eller en rankning av nationell beredskap. Internationell vägledning skiljer sig uttryckligen från Gulf-kraven.

Gulflandskapet: framsteg är inte enhetlig beredskap

Bevisen nedan registrerar olika typer av framsteg, inte jämförbara nationella prestationer. Publiceringsdatum behålls så att ett historiskt godkännande, ett forskningsprogram eller en enskild behandlad patient inte presenteras som bevis på nuvarande rutintillgänglighet.

Marknadsmarknaden	Verifierade bevis	Beredskap tolkning
Saudiarabien	SFDA-godkännande av CASGEVY rapporterades på 8 januari 2024. KFSHRC rapporterade mer än 200 CAR-T-patienter som behandlades sedan 2020 i oktober 2025. Saudi Press 1 KFSHRC [4]	KFSHRC beskrev uttryckligen sin första lokalt tillverkade CAR-T-behandling som en del av en första klinisk prövning. Lika inte lokal försökstillverkning med rutinmässigt kommersiellt tillstånd. KFSHRC [4]
Förenade Arabemiraten	DoH tillkännagav CASGEVY-introduktion genom ADSCC på 28 March 2025, med den första patienten planerad att börja i april. Tillkännagivandet rapporterar EDE-marknaden DoH Abu Dhabi [3]]	Tillkännagivandet nämner också försäkringstäckning som omfattas av regler och standarder; det skapar inte universell täckning, patientspecifikt godkännande eller avslutad infusion vid tillkännagivandedatumet. DoH Abu Dhabi [3]
Bahrain	En NHRA-release daterad 2 December 2023 meddelade CASGEVY godkännande för sicklecellsjukdom (SCD) och transfusionsberoende beta-thalassemi. NHRA 2	Frisläppandet specificerar inte behandlingskapacitet, lanseringsarrangemang eller täckning på patientnivå. Dessa objekt kräver separat verifiering. NHRA [2]]
Oman	Oman Observer, som rapporterar ONA, beskrev lokalt förberedd och konstruerad CAR-T-behandling vid University Medical City på 12 Må 2026. Oman Observer / ONA [6]	Rapporten identifierar inte auktoriseringsrutten eller om behandlingen var forskning eller rutinmässig vård. Avslöja inte en licensierad kommersiell tillverkningsplattform. Oman Observer ONA 6
Qatar	HMCs Cancer Research Institute-sida beskriver prekliniskt CAR-transducerat T-cell- och NK-cellarbete och ett translationellt forskningsprogram. Hamad Medical Företag [5]]	Denna sida stöder forskningskapacitet, inte en verifierad inventering av kommersiella CAR-T-produkter eller aktiva rutinmässiga behandlingsplatser. Hamad Medical Corporation [5]]
Kuwait	IU Health dokumenterade en Kuwaiti patient som reser för CAR-T-terapi på 5 juni 2024, inklusive resor och boende. IU Health [7]]	Detta är bevis på en gränsöverskridande väg, inte bevis på att Kuwait saknar inhemsk kapacitet eller ett uttalande om nuvarande nationell täckning. 7]

Bevis luckor är inte negativa fynd. Innan lansering eller remiss, få aktuell produktstatus, behandlingsplats omfattning, kapacitet, betalare behörighet och den lagliga åtkomstvägen direkt från de berörda parterna.

Tre modaliteter, tre driftvägar

En enda checklista för "cell- och genterapi" är otillräcklig. FACT-JACIE-standarder adresserar cellterapikollektion, bearbetning och administration, medan de citerade CASGEVY- och Zolgensma-materialen visar produktspecifika krav som inte kan överföras urskillningslöst mellan modaliteter. FACT-JACIE
[11] SFDA CASGEVY guide [12]] SFDA Zolgensma guide [14]

Modalitet	Pathway och beroende	Beredskapsbetoning
Autolog CAR-T	Patientinsamling, tillverkning, produktavkastning, förberedande behandling där specificerad, infusion och toxicitetsövervakning. KFSHRC beskriver insamling, modifiering och reinfusionsmodell. KFSHRC [4]]	Upprätthåll patientproduktkoppling över varje handoff. Förbered dig för cytokinfrisättningssyndrom och neurologiska toxiciteter enligt den aktuella etiketten och lokala FACT-JACIE [11]] FDA REMS-meddelande [15]
Ex vivo genredigerade stamceller	Mobilisering och apheresis av haematopoietic stam och progenitorceller (HSPC), tillverkning, produktretur, myeloablativ konditionering och infusion. CASGEVY är ett exempel, inte en generisk Protokoll. SFDA CASGEVY guide [12] EMA CASGEVY information [13]	Bekräfta transplantationssäkerhet, tillgänglighet av räddningsceller och den kompletta produktdosen före relevant irreversibelt steg. Adressgödhet och långsiktig uppföljning. EMA CASGEVY information [13]]
In vivo genterapi	Produkten administreras direkt; den citerade Zolgensma-vägen kräver inte patientcellsinsamling och retur. Dess guide anger förbehandlingsbedömning och övervakning efter infusion. SFDA Zolgensma Vägledning [14]	Produktspecifik antikroppstestning, organbedömning, läkemedel, laboratorieövervakning och specialistupptrappning kan förbli väsentlig även utan patientspecifik tillverkningsslinga. Zolgensma guide [14]]

Vad bör vara vanligt

Använd en gemensam styrningsstruktur för stödberättigande, samtycke, finansiering, produktkvitto, negativ upptrappning och uppföljning av ansvarsskyldighet. Bifoga en kontrollerad modalitet och produkttillägg snarare än att tvinga alla terapier i samma tidpunkter, temperaturer, tester eller bemanningsmodell.

Vad bör förbli separat

Allogena cellprodukter, undersökningskonstruktioner och lokalt tillverkade produkter behöver sin egen donator, tillverkning, släpp och godkännandebedömningar. En framgångsrik behandling eller en ackrediterad klinisk tjänst bör inte behandlas som bevis på att en annan konstruktion, indikation eller tillverkningsplats är auktoriserad.

OPERATING IMPLICATION

Välj den första tjänsten genom sina fullständiga vägkrav och tillgänglig kapacitet, inte genom att locka till produktmeddelandet. Ett importerat kommersiellt terapiprogram och ett lokalt tillverkningsprogram är olika investeringar.

Tillstånd och finansiering: Stäng rätt portar

Förenade Arabemiraten illustrerar behovet av att skilja produkt- och servicebehörigheter: EDE tillhandahåller en marknadsauktoriseringsväg för läkemedels- och biologiska produkter, medan DHA:s HSCT-standard separat sätter servicelicenser och ackrediteringskrav inom dess räckvidd. EDE [8]] DHA [9]] Den operativa rekommendationen är att upprätthålla en produkt-indikation-plats behörighet matris snarare än ett enda "godkänt" fält.

En jurisdiktionsspecifik behörighetsrekord

Produktrutt: registrera den auktoriserade indikationen, nuvarande lokal etikett, ålder och andra behörighetsgränser, innehavare av marknadsföringsauktorisering och laglig specialåtkomst eller rättegångsrutt. Spela in den effektiva versionen och vem verifierade den.

Servicerutt: dokumentera anläggningslicensen, tillämpningsområdet, nödvändiga ackrediteringar, specialistprivilegier och produktspecifika tillverkare kvalifikationer. Anta inte en ersättning för en annan.

Importera och frisläppa rutten: fastställa tillämpliga behörigheter för startmaterial, färdig produkt, tullklarering och frisläppande eller acceptans. Tilldela ansvar för varje handoff innan schemaläggningssändningen.

Forskningsrutt: Håll etikgodkännande, sponsringsansvar, utredningsförsörjning, samtycke och rapportering separat från kommersiell tillgång. En rättegång blir inte rutinmässig vård eftersom behandling sker på ett etablerat sjukhus.

SCOPE CHECK THAT MATTERS

DoH: s januari 2026 regenerativ-medicin standard utesluter uttryckligen genterapier och mer än-minimalt-manipulerade cellterapier. Använd inte det dokumentet ensam som tillståndsbasen för CAR-T eller genredigerad cellterapi. DoH Abu Dhabi [10

Ett fullständigt finansieringsbeslut, inte ett läkemedelsgodkännande

Rekommenderad ekonomisk auktorisation bör omfatta läkemedlet och vårdepisoden, inklusive diagnostik, insamling i förekommande fall, förberedande behandling, sjukhusvistelse, komplikationer och uppföljning. Det bör identifiera täckningsutsläpp, utgångsdatum, patientbidrag, avbokningsvillkor och som bär kostnaden för insamling eller tillverkning om infusion inte kan fortsätta.

DoH:s CASGEVY-meddelande nämner försäkringstäckning enligt tillämpliga regler och standarder, men publicerar inte universell rätt eller individuella policyvillkor. DoH Abu Dhabi [3]] Ett program bör därför kontrollera patienten, produkten, leverantören och finansieringsvägen tillsammans innan du accepterar en finansierad behandlingsplats.

Detta papper upprättar inte en GCC-omfattande ersättningsrätt, en gemensam auktoriseringsväg eller en regulatorisk översynstidsgaranti. Varje levande fall kräver nuvarande lokal bekräftelse.

Patient- och centrumberedskap: gör ansvarsskyldighet explicit

För CASGEVY uppmanar EU:s produktinformation till ett auktoriserat centrum och läkare som upplevs i transplantation och beta-haemoglobinopathies, och identifierar fertilitetseffekter av myeloablativ konditionering. EMA CASGEVY-information [13]] Dessa är användbara produktspecifika referensvärden; tillämpliga Gulf-märkning och lokala servicekrav förblir kontroll.

patientens beredskapskonferens

Innan du reserverar ett irreversibelt behandlingssteg bör det tvärvetenskapliga teamet dokumentera diagnos och indikation, alternativ, förväntad nytta och osäkerhet, nuvarande organ- och infektionsbedömning, klinisk kondition, samtycke och vårdgivare arrangemang. För pediatriska patienter bör programmet ta itu med åldersanpassad kommunikation och tillämpligt samtycke eller samtycke.

Rekommenderad rådgivning bör förklara den fullständiga resan, eventuella tillverknings- eller schemaläggningsfel, behandlingsrelaterade risker, fertilitets överväganden i förekommande fall, möjligheten till ingen hållbar fördel och uppföljningsbördan. Ge begripliga arabiska eller andra föredragna språk och en namngiven väg för frågor, snarare än att behandla en signatur som bevis på förståelse.

Ansvarig funktion	Minsta bevis för att stänga porten
Klinisk programledning	Behörighets- och fitnessbeslut; nuvarande patientbedömning; förskrivning och eskaleringsinnehav; dokumenterad orsak till förfarande eller uppskjutning.
Insamling / laboratorieledning	Kvalificerad insamlingsväg där så krävs; identitetskontroller; produkthanteringskompetens; validerade lagrings- och beredskapsarrangemang.
Sjuksköterskor / apoteksledare	Produktspecifik utbildning; administreringsarbetsflöde; verifierad tillgänglighet av nödvändiga läkemedel, förnödenheter och övervakningsförmåga.
Kritisk vård / specialisttjänster	Dokumenterad eskalering och överföringsväg; relevant omslagsskydd; bevis på att nödsimuleringar har slutförts.
Fallchef / Payer Liaison	Finansieringsgodkännande; resor och vårdgivare plan; patientkontaktväg; post-utsläpp utnämningar och mottagande vård arrangemang.

Ackreditering är omfattad bevis

DHA: s HSCT-standard kräver sjukhus- och laboratorieackreditering innan service påbörjas och FACT eller motsvarande ackreditering av den kliniska HSCT-tjänsten inom 24 månaders licensaktivering. DHA [9] FACT-JACIE skiljer också transplantationsprogram från immuneffector-cell-only-program, med olika tillämpliga ackrediteringsvägar. FACT-JACIE [11

Dessa är inte en universell tidtabell eller ackrediteringsregel för varje Gulf-genterapitjänst. Verifiera exakt jurisdiktion, licens, klinisk omfattning och nuvarande standard innan du tillämpar dem.

Produktintegritet: ansluta tillverkning till sängs

FACT-JACIE definierar identitetskedjan som den varaktiga associationen av produktidentifierare under hela livscykeln och kedjan av vårdnad som reviderbar dokumentation av förmyndarskap från ursprung till slutförvaring. FACT-JACIE [11] Båda behövs; en försändelse-lokaliseringsrekord ensam inte upprätta patientproduktidentitet.

En spårbar end-to-end rekord

Den föreslagna rekord länkar patientidentifierare, insamlingsidentifierare där det är tillämpligt, tillverkarorder, batch eller lot, frigör dokumentation, kurirhandoffs, temperaturbevis, platskvitto, lagringsplats, administration och slutlig disposition. Varje diskrepans behöver en ägare, disposition och dokumenterad stängning snarare än en informell förklaring.

kontrollpunkt	Bevis och beslut
Före insamling/beställning	Försona patientidentitet och ordning; upprätta den auktoriserade rutten, slot och finansieringsåtagande; bekräfta beredskap ägande.
Fartyg förberedelse	Använd produktspecifika förpackningar och kvalificerade transportarrangemang; verifiera dokument, ta emot tillgänglighets- och störningsförfaranden.
Site Receipt	Försona identitet, kvantitet, integritet, transportförhållanden, frigöra dokument och lagringskapacitet; karantän olösta avvikelser.

kontrollpunkt	Bevis och beslut
Innan förberedande behandling	Kontrollera alla produktspecifika förutsättningar, nuvarande patientens kondition och kapacitet. Applicera den lokala etiketten; dra inte upp beredskap från ett förväntat leveransdatum.
Innan tina / administration	Verifiera patientproduktmatch, order, full dos där så är tillämpligt, utgångs- och utbildad personal; dokumentera produktgodkännande och klinisk auktorisation separat.

Ett viktigt produktspecifikt beroende

EU CASGEVY-information säger att konditionering inte får börja förrän den fullständiga dosen har anlänt till det auktoriserade behandlingscentret och tillgängligheten för säkerhetskopiering av räddningsceller bekräftas. EMA CASGEVY-information [13]] Den saudiska hanteringsguiden kräver patientidentifierare försoning och tvåpersoners sängkontroller innan varje flaska, samt produktspecifika kristosorage och tinaw-to-infusion kontroller. SFDA CASGEVY guide [12]]

Dessa exempel visar varför ett allmänt logistikavtal är otillräckligt. Beredskapsplanen bör översätta den nuvarande lokala etiketten till kontrollerade kontrollpunkter utan att kopiera temperaturer, tidsfrister eller frigöra kriterier från en produkt till en annan.

HARD STOP

En olöst identitetsmatch, produktintegritetsproblem eller saknas kritisk förutsättning bör utlösa ett grepp och upptrappning. Varken sänkt kostnad eller en bokad säng är bevis för att produkten säkert kan administreras.

Infusion är en övergång, inte slutet på tjänsten

FDA: s juni 2025 borttagning av REMS för sex listade BCMA- och CD 19-riktade autologa CAR-T-produkter tog inte bort negativ rapportering eller tillverkare eftermarknadssäkerhetsstudier. FDA REMS tillkännagivande [15]] Det är en amerikansk åtgärd, inte en filt avkoppling av Gulf-anläggningen, tillverkaren eller produktspecifika säkerhetskrav.

Håll produktspecifik akut säkerhetskapacitet

CAR-T-program måste tolka den nuvarande produktens toxicitetsvarningar och lokala vårdkrav snarare än att förlita sig på historiska amerikanska certifieringsregler; FDA-meddelandet identifierar fortfarande cytokinutsläppssyndrom och neurologiska toxiciteter i produktmärkning. FDA REMS tillkännagivande [15]] Den rekommenderade lokala beredskapsbevis är en praktiserad responsväg, lämplig specialist omslag och bekräftad tillgänglighet av nödvändig räddningsbehandling under det tillämpliga protokollet.

Den Saudi Zolgensma riskminimeringsguiden illustrerar en annan börda: den anger förbehandlingsbedömning och klinisk och laboratorieövervakning i minst tre månader efter infusion, inklusive leverrelaterad säkerhetsövervakning. SFDA Zolgensma guide [14]] Ett program bör inte beskriva in vivoterapi som operativt enkelt bara för att afäres och patientspecifik celltillverkning saknas.

Bygg uppföljning innan du accepterar patienten

Kliniskt ägande: identifiera den behandlande ledningen, den långsiktiga mottagande klinikern och eskaleringsvägen för misstänkt försenad toxicitet.

Kontinuitet: Håller med om tester inträffar, som granskar resultat, hur saknade besök eskaleras och hur pediatriska patienter överför till vuxenvård.

Gränsöverskridande vård: bekräfta laglig datadelning, rese genomförbarhet, nödåtkomst, betalningsansvar och överlämning innan patienten återvänder hem.

Patientstöd: ge en behandlingssammanfattning, produktidentifierare, nödkontakt och begripliga säkerhetsinstruktioner, med en återhämtnings- och vårdgivareplan.

Gör inte en uppföljningstid på alla produkter

FDA-vägledning rekommenderar ett riskbaserat tillvägagångssätt och uttryckligen konstaterar att inte alla genterapier kräver långsiktiga uppföljningsobservationer. FDA LTFU-vägledning [16]] EU CASGEVY-information anger årlig övervakning för 15 år, vilket illustrerar ett produktspecifikt åtagande snarare än en universell GCC-regel.
Information [13]]

GOVERNED EVIDENCE, NOT AUTOMATED CLINICAL AUTHORITY

Digitala system kan förena dokument, flagga saknade bevis och stödja schemaläggning eller påminnelser. Patientberättigande, produktgodkännande, släppbeslut och klinisk behandling förblir med lämpligt auktoriserade mänskliga beslutsfattare.

Ekonomi och kapacitet: finansiera hela vägen

Detta papper rekommenderar en episodbaserad planeringsmodell snarare än en läkemedelspris-bara budget. Det uppskattar inte en regional marknadsstorlek, behandlingspris, avkastning på investeringar eller sparkrav; de kräver produkt-, betalare- och befolkningsspecifika data.

Bygg nämnaren innan budgeten

Börja med kliniskt bedömda kandidater, inte sjukdomsprevalens eller en kampanjmarknadsprognos. Modell hur många patienter som sannolikt kommer att vara berättigade, finansierade, kan genomgå samling där relevant, framgångsrikt levereras, kliniskt passande vid schemalagt datum och slutligen infunderas, tillåta ordningen av dessa steg att variera efter produkt.

Budgetkomponent	Beslut som bör vara explicit
Bedömning och förberedelse	Vem finansierar diagnostisk bekräftelse, specialistbedömning, rådgivning, fertilitetsbevarande när det är relevant och upprepa testning?
Insamling och tillverkning	Vem betalar för upprepad insamling, misslyckad tillverkning, avbokning, omplanering och oanvänd patientspecifik produkt?
Behandling och komplikationer	Vilka inpatienta, kritisk vård, laboratorie- och stödjande vårdkostnader ingår, exkluderas eller kapas?
Resor och återhämtning	Vem täcker visum där det behövs, boende, vårdgivare stöd, lokal transport och en längre vistelse?
Uppföljning och bevis	Vem finansierar långsiktig klinisk övervakning, datainmatning, registreringsdeltagande och vård efter att en patient byter betalare eller land?

Designkontrakt kring mätbara händelser

Om det är rättsligt och kommersiellt lämpligt kan betalningsmilstoler kopplas till verifierbara händelser som försörjningsacceptans, infusion eller ett överenskommet kliniskt resultat. Ett resultatlänkat kontrakt bör definiera befolkningen, slutpunkten, mätfönstret, försvunna dataregler, adjudikator och ekonomisk konsekvens före behandlingen; klinisk bedömning måste förbli oberoende av betalningsincitament.

Separat operativt misslyckande från brist på kliniskt svar. Ett tillverkningsfel, en patient som blir olämplig före infusion, en saknad resultatbedömning och ett verifierat icke-respons bör inte behandlas som samma avtalsenliga händelse.

Kapacitet är en vägbegränsning

För planeringsändamål, modellkapacitet som minimum av de tillämpliga flaskhalsarna: finansierade patienter, diagnostisk upphämtning, insamlingsplatser, tillverkningsallokering, behandlingssängar, specialisttäckning och uppföljningskapacitet. Validera prognosen mot faktiska slutförandetider och störningsscenarier innan du lägger till nya indikationer eller webbplatser.

INVESTMENT PRINCIPLE

Lokal tillverkning bör utvärderas som ett separat affärs- och regleringsärende. Demonstrera klinisk leveranskapacitet etablerar inte i sig processjämförelse, kommersiellt tillverkningsgodkännande eller hållbar produktionsekonomi.

En 90-dagars beredskap mobiliseringsplan

Följande är en föreslagen planeringskadens, inte ett löfte om licensur eller första infusion inom 90 dagar. Syftet är att producera ett bevis-backed go, hold or redesign beslut för en definierad produkt, indikation, plats och betalarrutt.

Planeringsperiod	Arbetspaket	Exit bevis
Dagar 1-30	Definiera den första vägen; bekräfta laglig och produktomfattning; kartlägga patientens efterfrågan och kapacitet; utse kliniska, kvalitet, tillgång och logistikägare.	Godkänd omfattning; källkontrollerad tillåtelse matris; baslinje luckor; namngivna beslutsägare och finansiering antaganden.
Dagar 31-60	Nära prioritet SOP, utbildning, betalare, leverantör, lagring, data och remiss luckor. Förena produktspecifika förutsättningar och långsiktigt ägande.	Dokumenterad kompetens; verkställbara avtal; kontrollerade arbetsflöden; finansierade saneringsplaner för olösta luckor.
Dagar 61-90	Kör end-to-end simuleringar, inklusive fördröjning, missmatchning, patientförsämring och akut upptrappning. Granska bevis innan du accepterar det första live-fallet.	Signerad simuleringsrapport; stängda kritiska avvikelser; godkänd kapacitet; oberoende beredskapsgranskning och beslutsrekord.

En liten instrumentbräda med försvarbara definitioner

Mätning	Rekommenderad definition och tolkning
Referral-to-decision tid	Dagar från mottagandet av en fullständig hänvisning till dokumenterat tvärvetenskapligt beslut. Rapportera median, 90th percentilen och ofullständiga hänvisningar separat.
Beslut till infusionstid	Dagar från dokumenterat beslut om stödberättigande till infusion, rapporterat av produkt och rutt. Separata löne-, tillverknings- och kliniska förseningar.
Infusionskonvertering	Infuserade patienter dividerade av patienter som bedömts berättigade i en definierad inträdeskohort; statligt uppföljningsfönster och visa i väntan på fall separat.
Pre-infusion Attrition	Berättigade patienter som inte når infusion, klassificerade genom finansiering, klinisk försämring, leverans, uttag eller annan dokumenterad orsak.
Spårbarhet och uppföljning	Kritiska identitets-/vårdnadsavvikelser; olösta avvikelser; slutförda uppföljningsbedömningar dividerade med bedömningar, med dödsfall och överföringar som identifierats.

Använda veckovis operativ granskning och månatlig styrning i början. Mål bör fastställas från den lokala baslinjen och tillämpliga skyldigheter, inte uppfunna regionala referensvärden; bevara nödvändiga säkerhetsrapporteringstidslinjer oberoende av instrumentbrädan.

Abu Dhabis Jawda-vägledning kräver redan definierad HSCT-kvalitetsrapportering för in-scope-leverantörer, vilket visar varför ett program instrumentpanel måste samexistera med mandatrapportering snarare än att ersätta det.
Jawda vägledning [17]]

Beredskap checklista och ledarskap agenda

Denna checklista är ett föreslaget förvaltningsverktyg, inte ett ackrediteringsinstrument eller validerat beredskapspoäng. Bedöm varje objekt som komplett, ofullständig eller inte tillämpligt med en dokumenterad logik, bevisreferens, ägare och översynsdatum.

Gate	Bevis som behövs för ett ”fullständigt” beslut
Laglig tillgång	Verifierad produkt/indikationsväg; tillämpliga behörigheter; anläggningsområde; aktuella etiketter och riskhanteringsskyldigheter.
Patientbehörighet	tvärvetenskapligt beslut; uppdaterad kondition; informerat samtycke; alternativ diskuteras; vårdgivare och fertilitets överväganden i förekommande fall.
Avsnittsfinansiering	Patientspecifikt godkännande och betalningsansvar, inklusive komplikationer, avbokning, resor och uppföljning.
Centrumkapacitet	Kvalificerat team; nuvarande privilegier; relevant ackreditering; produktutbildning; utrustningsberedskap och nödskydd.
Leverans och identitet	Bekräftad tillverkning eller leveransväg; försonade identifierare; kvalificerad transport; mottagande och lagringsacceptans; diskrepanskontroller.

Gate	Bevis som behövs för ett ”fullständigt” beslut
Förberedande behandling	Alla produktspecifika förutsättningar uppfylldes; patienten omprövade; nödvändiga produkt- och räddningsarrangemang verifierade; klinisk sign-off.
Infusion och eskalering	Rätt patient och produkt; nuvarande ordning; utbildat team; erforderliga läkemedel och övervakning; dokumenterad eskaleringsmyndighet.
Långsiktig kontinuitet	Uppkallad klinisk ägare; finansierad övervakningsplan; patientkontakter; register/rapporteringsuppgifter; godtagen gränsöverskridande överlämnande om så är relevant.

Vilket ledarskap borde ge nästa

Kommissionen en integrerad beredskapsdossier för den första prioritetsvägen, med klinisk, reglerande, kvalitet, finans och försörjningskedjeinnehav. Kräver ett dokumenterat no-go beslut när en säkerhetskritisk förutsättning är olöst och behåller skälen så att organisationen kan skilja remediable fördröjning från olämplig behandling.

För ett specialistrådgivningsteam som HERMS är den lämpliga rollen att strukturera källverifiering, kravkartläggning, intressentjustering och beredskapsbevis. Det är inte att ersätta tillsynsmyndigheten, tillverkarens frisättningsfunktion, betalningsbeslut eller behandlingsteam, och detta papper hävdar inte att HERMS driver kliniska tjänster eller har validerat patientresultat.

Slutsats

Nästa åtgärd av Gulf framsteg bör vara förmågan att leverera en ansvarsfull patientväg: laglig tillgång, lämpligt urval, komplett finansiering, tillförlitlig produkthantering, säker administration och kontinuitet vård. Godkännande öppnar vägen; beredskap gör det användbart.

Referenser och bevisanteckningar

Källor som granskas på 5 november 2026. Numrerade källnamnslänkar visas bredvid faktiska påståenden. Officiella standarder och produktmaterial föregår meddelar för operativa beslut; internationella dokument är riktmärken, inte automatiskt tillämplig Gulf-lagstiftning.

1. Saudi Press Agency. SFDA godkänner första genläkemedel för Sickle Cell Anemi och Thalassemi. 8 januari 2024.

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

2. NHRA. CASGEVY Får Bahrain godkännande för behandling. NHRA release, 2 December 2023, distribuerad 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. Introduktion av CASGEVY genom Abu Dhabi Stem Cells Center. 28 mars 2025.

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

4. KFSHRC. KFSHRC behandlar 200 patienter med CAR-T-terapi och lanserar lokal tillverkning. 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.** Cancer Research Institute. Undated institutional page; accessed 5 November 2026.

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

6. Oman Observer / ONA. UMC utför första behandlingen med lokala immunceller. 12 maj 2026.

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

7. IU Health. Patienten reser till IU Health från Kuwait för cancerbehandling. 5 juni 2024.

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

8. EDE. Utfärdande av marknadstillstånd för en läkemedels- eller biofarmaceutisk produkt. Tillgång 5 november 2026.

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

9. DHA. Standards for Clinical Hematopoietic Stem Cell Transplant Services. Version 1.0; utfärdade 27 november 2024, effektiv 27 januari 2025.

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

Referenser fortsatte

10. DoH Abu Dhabi. Standard för terapier i mänsklig cellbaserad, Tissue-Based och Regenerative Medicine. V2; januari 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. International Standards for Hematopoietic Cellular Therapy. Ninth Edition, Version 9.1; publicerad 17 December 2025, effektiv 2 februari 2026.

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

12. SFDA CASGEVY guide. Handling and Administration Guide. Version 1.0; förberedd och SFDA godkänd maj 2024. Läs tillsammans med den nuvarande lokala förskrivningsinformationen.

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

13. EMA CASGEVY-information. Casgevy: EU:s produktinformation. Accessed 5 November 2026. Internationell produktriktmärke, inte Gulf-lagstiftning.

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

14. SFDA Zolgensma guide. En sjukvårdspersonal guide för att minimera risker med Zolgensma. Version 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 tillkännagivande. FDA eliminerar REMS för autolog CAR T-cell Immunotherapies. 27 Juni juni 2025 USA:s regleringsåtgärder, inte 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-vägledning. Långsiktig uppföljning efter administration av humangenterapiprodukter. vägledning för industri; januari 2020.

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

17. DoH Jawda vägledning. HSCT kvalitetsresultat indikatorer. version 3.1, november 2025.

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

Metod och begränsningar

Detta är en riktad offentlig källrecension och en operativ syntes, inte en systematisk klinisk granskning, levande behandlingscenter revision eller uttömmande nationell auktorisation lager. Källorna valdes för relevans för produktgodkännande, regionala leveransmilstolar, kliniska servicestandarder och säkerhetskontroller. Historiska tillkännagivanden fastställer vad som rapporterades om deras publiceringsdatum, inte dagens kapacitet eller behörighet.

Rekommendationer, beredskapsportar, planeringsperioder, ekonomiska frågor och instrumentpaneldefinitioner är analytiska förslag. Inget dataset på patientnivå, egenutvecklad prissättning, klinisk resultatanalys eller kvantitativ beredskapsvalidering genomfördes. Verifiera aktuella lokala dokument och få kvalificerad klinisk, regulatorisk och juridisk granskning innan genomförandet.

© 2026 HERMS Konsult DMCC. För information och strategisk planering endast. Inte medicinsk rådgivning, juridisk rådgivning eller ett substitut för aktuellt godkända förskrivningar av information och kompetenta tillståndskrav.

Subject index

Välj ett ämne för att gå till dess sektion i detta vita papper.

Tillstånd och finansiering

Kapacitetsplanering

Gulf cell och genterapi beredskap

Post-infusion uppföljning

Produktintegritet

Behandlingscenter beredskap

Behandlingsmetoder

Relaterade HERMS resurser

Cell och genterapi beredskap i GCC

GCC:s farmakovigilansskyldigheter för innehavare av godkännande för försäljning

GCC läkemedelsprissättning och marknadstillträdesstrategi

UAE läkemedelsregistrering

Kontakt HERMS

Länkade referenser och vidare läsning

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