

## الوصول إلى Agamree في المملكة العربية السعودية

كيف تصل الأسر في المملكة إلى Agamree (vamorolone) لعلاج ضمور دوشين العضلي عبر برنامج الاستيراد الشخصي (PIP) لدى الهيئة العامة للغذاء والدواء SFDA.

آخر مراجعة 12-05-2026 من قبل فريق Reserve Meds السريري والتنظيمي. حصل Agamree على موافقة FDA لعلاج ضمور دوشين العضلي لدى المرضى من عمر سنتين فما فوق، وهو غير مسجل للتسويق لدى SFDA حتى تاريخ هذه المراجعة. تصل الأسر السعودية إليه عبر إطار الاستيراد باسم المريض.

### توجيه سريع

Agamree هو الاسم التجاري لـ vamorolone، وهو أول دواء من فئته، مضاد التهاب ستيرويدي تفارقي مخصص لعلاج ضمور دوشين العضلي (DMD)، وافقت عليه إدارة الغذاء والدواء الأمريكية في 26 أكتوبر 2023 للمرضى من عمر سنتين فما فوق. في المملكة العربية السعودية، لا يحمل vamorolone ترخيص تسويق لدى SFDA. والأسر التي ترغب في إعطاء ابنها vamorolone، وكثيراً ما يكون ذلك بالتحويل من prednisone أو deflazacort للحد من الآثار الجانبية على النمو والعظم والسلوك، تصل إلى Agamree عبر برنامج الاستيراد الشخصي (PIP) لدى الهيئة العامة للغذاء والدواء، وهو إطار راسخ للاستيراد باسم المريض يُدار عبر صيدلية الاستيراد التابعة للمستشفى المعالج أو عبر مستورد تخصصي مرخص من SFDA. Reserve Meds هي المنشق من الجانب الأمريكي لهذا الاستيراد. ويبقى اختصاصي الأمراض العصبية العضلية هو الواصف. وتبقى مراكز التميز للأطفال في المملكة هي بيئة الصرف. وتمثل Reserve Meds النسيج الرابط. محفوظ لكم.

### لماذا تحتاج أسر DMD في المملكة العربية السعودية إلى Agamree عبر مسار باسم المريض

تتلاقى ثلاثة أسباب هيكلية عند برنامج الاستيراد الشخصي لدى SFDA بالنسبة لـ Agamree. أولاً، vamorolone ليس على قائمة تسجيل الأدوية الوطنية لدى SFDA. لا يحمل المنتج ترخيص تسويق سعودي، مما يعني أنه لا يمكن صرفه عبر أي صيدلية تجزئة أو صيدلية مستشفى من خلال القنوات التجارية المعتادة بصرف النظر عن مكانة طبيب الأعصاب الواصف. ثانياً، يُوصف vamorolone سريراً تحديداً بوصفه بديلاً من فئة الستيرويد القشري بملف أفضل على النمو الطولي، وكثافة العظم، والسلوك مقارنة بـ prednisone أو deflazacort. الأسر التي يتلقى ابنها بالفعل ستيرويداً قشرياً معيارياً وتلاحظ تثبيط نمو أو آثاراً سلوكية جانبية كثيراً ما تفتح هذه المحادثة مع الطبيب المعالج بدافع هذا الملف تحديداً، والقرار السريري بالتحويل يسبق الآلية التنظيمية. ثالثاً، تتركز شريحة DMD في المملكة لدى برامج طب أعصاب الأطفال والأعصاب العصبية في KAMC و KFSH&RC و MNGHA وعدد محدود من المراكز الخاصة، حيث يجري الاستيراد باسم المريض كسير عمل اعتيادي. الجمع بين منتج غير مسجل، ومبّرر سريري واضح، ورعاية ثلاثية متمركزة، هو بالضبط النمط الذي صُمم له PIP.

يمرّ المرضى في الرياض وجدة والمنطقة الشرقية وخارج المناطق الحضرية الكبرى جميعاً عبر الإطار ذاته. الفرق تشغيلي لا تنظيمي: الحالات في المراكز الثلاثية تسير عبر صيدلية الاستيراد المؤسسية؛ والحالات في غيرها تتشارك مع مستورد مرخص من SFDA في الرياض أو جدة.

### برنامج الاستيراد الشخصي (PIP) لدى SFDA لـ Agamree

يُتيح برنامج الاستيراد الشخصي لدى SFDA لطبيب مرخص في المملكة طلب استيراد دواء بعينه لمريض محدد بالاسم حين يكون الدواء معتمداً من جهة تنظيمية مرجعية معترف بها (في حالة FDA: Agamree الأمريكية والمفوضية الأوروبية)، وحين لا يكون البديل المسجل محلياً مناسباً سريراً. وبالنسبة لـ vamorolone، تتمثل زاوية المبرر السريري في التجربة الموثقة للأسرة مع prednisone أو deflazacort، بما فيها بيانات سرعة النمو، ونتائج قياس كثافة العظم حيث تكون متاحة،

وملاحظات سلوكية تدعم قرار التحوّل. لا يحتاج ملف PIP إلى حجة تجربة سريرية وجهاً لوجه؛ بل يحتاج إلى مبرر واضح خاص بالحالة.

تتضمّن حزمة الطلب خطاب مبرر سريري من اختصاصي الأمراض العصبية العضلية المعالج يتناول تشخيص DMD مع ترميز ICD-10 G71.01، وعمر المريض ووزنه، وتاريخ تعرّضه السابق للستيرويد القشري ونتائجه، والسبب المحدّد لعدم ملاءمة ستيرويد قشري مسجّل محلياً لهذا المريض، والجرعة المطلوبة، والتواتر، ومدة العلاج. وتتضمّن أيضاً التحقق من ترخيص الطبيب الواصف لدى هيئة التخصصات الصحية (SCFHS) في التخصص الفرعي المناسب لطب أعصاب الأطفال أو الأعصاب العصبية. وتتضمّن معرّف المريض بالصيغة التي تشترطها SFDA. وتتضمّن تفاصيل المنتج (الاسم التجاري Agamree، الاسم العلمي vamorolone، الشركة المصنّعة Santhera Pharmaceuticals مع Catalyst Pharmaceuticals بوصفها حامل الترخيص الأمريكي، وبلد المنشأ، والتركيز 40 مغ/مل، والشكل: زجاجة 100 مل، والكمية المطلوبة، ورقم التشغيل، وتاريخ الصلاحية). وتتضمّن ترخيص منشأة الصرف الوجهة. وتتضمّن خطة سلسلة الحياة من نقطة الإفراج الأمريكية مروراً بالعبور الدولي وصولاً إلى الصيدلية السعودية المستليمة.

بالنسبة لـ Agamree تحديداً، تستحق سمتان في ملف PIP الانتباه. ينبغي أن يُشير الخطاب السريري إلى تجربة VISION- (VBP15-004) DMD من المرحلة 2b وإلى موافقة FDA بوصفهما الأساس البرهاني، وأن يذكر أن جرعة vamorolone مستمرة لا دورية، وهو ما يرتبط بحساب الكمية المطلوبة. كما ينبغي أن يُشير الخطاب إلى متطلب التخفيض التدريجي الخاص بفئة الستيرويد القشري عند الإيقاف، لأن مراجعي PIP يتوقعون خطة علاج تستوعب الدورة الكاملة لا البدء فحسب.

تتراوح جداول الموافقة لحالات DMD الاعتيادية لدى الأطفال في المؤسسات الراسخة عادةً بين 10 و21 يوم عمل. وقد تمتد المُقدّمات لأول مرة، أو المستشفيات الأصغر التي تُحوّل عبر مستورد تخصصي مرخّص من SFDA، أو أي حالة يكون فيها ترخيص SCFHS قيد التجديد، إلى 6 إلى 10 أسابيع. تُدير منصة «غد» الرقمية التابعة لـ SFDA المعاملات التنظيمية؛ وتُمثّل صيدلية الاستيراد بالمستشفى أو المستورد المرخّص الباب التشغيلي الأول.

## أين يُصرف Agamree في المملكة العربية السعودية

بالنسبة لـ Agamree، فإن المؤسسات ذات الصلة هي المراكز التي تمتلك برامج راسخة لطب أعصاب الأطفال والأعصاب العصبية في DMD. مستشفى الملك فيصل التخصصي ومركز الأبحاث (KFSH&RC) في الرياض وجدة والمدينة المنورة هو بيئة الإحالة الثلاثية الرئيسية لـ DMD في المملكة، ويضم اختصاصي الأعصاب العصبية، وبنية تحتية لصيدلية استيراد داخلية تتعامل مع حالات الاستيراد باسم المريض كسير عمل اعتيادي. مدينة الملك عبدالعزيز الطبية (KAMC) وشبكة الشؤون الصحية بوزارة الحرس الوطني (MNGHA) في الرياض وجدة تمتلك خدمات تخصصية للأطفال راسخة وتُقدّم طلبات PIP بصورة اعتيادية. مدينة الملك سعود الطبية الجامعية ومراكز KSAU-HS التابعة تتعامل مع إحالات طب أعصاب الأطفال الأكاديمية. مجموعة الدكتور سليمان الحبيب الطبية (HMG) هي أكبر شبكة خاصة ولديها عمليات صيدلية استيراد متمرسّة في منشآتها المتعددة في الرياض وجدة والمنطقة الشرقية. وتُكمل مستشفى السعودي الألماني، ومستشفى الدكتور سليمان فقيه في جدة، ومستشفى دلة في الرياض، مجموعة الإحالة الخاصة الراسخة.

ولأن Agamree معلق فموي بدرجة حرارة الغرفة ولا يتطلب تبريد سلسلة باردة، تكون قائمة منشآت الصرف أوسع منها للمستحضر البيولوجي النموذجي. والقدرة المؤسسية ذات الصلة هي رعاية الأعصاب العصبية للأطفال وتشغيل صيدلية استيراد ذات خبرة في PIP، لا التخزين عند -80 درجة مئوية. الأسر خارج المناطق الحضرية الكبرى تُحوّل حالاتها عادةً عبر أحد هذه المراكز أو عبر مستورد مرخّص من SFDA مقرّه الرياض أو جدة.

## الصورة الفعلية لتكلفة Agamree في المملكة العربية السعودية

يبلغ سعر WAC الأمريكي لـ Agamree 40 مغ/مل نحو 9,500 دولار لزجاجة 100 مل، وفق إيداع Catalyst Pharmaceuticals في فبراير 2024 لدى إدارة التأمين في ولاية داكوتا الشمالية. ولأن الجرعة تعتمد على الوزن بمعدل 6 مغ/كغ يومياً، تتراوح التكلفة السنوية الأمريكية للاقتناء لمريض DMD نموذجي بين 400,000 و500,000 دولار، مع رقم متداول على نطاق واسع يقارب 481,000 دولار سنوياً. ويتراوح مخزون 30 يوماً عادةً بين زجاجة وثلاث زجاجات بحسب وزن الطفل.

بالنسبة لحالة PIP سعودية، يضم هيكل التكلفة ثلاثة بنود. تعكس تكلفة الدواء سعر WAC الأمريكي للزجاجات المصروفة باسم المريض، بنطاق يتراوح بين 9,500 و28,500 دولار لمخزون شهر بحسب الوزن (نحو 35,600 إلى 106,900 ريال سعودي عند ربط الريال بالدولار بسعر 3.75). تتراوح اللوجستيات الدولية لمنتج فموي بدرجة حرارة الغرفة بين 250 و600 دولار لكل شحنة (نحو 940 إلى 2,250 ريال سعودي)، أقل بكثير من المستحضرات البيولوجية ذات السلسلة الباردة، لأنه لا

توجد مناولة عند -80 درجة، ولا حاوية نيتروجين سائل، ولا تعبئة عازلة مُتحقَّق منها فوق التعبئة الصيدلانية القياسية مع تسجيل تجاوز الحرارة. وتُدرج رسوم Reserve Meds للتنسيق بصورة شفافة لكل عرض سعر بصورة منفصلة لا مضمَّنة في سعر الدواء.

تتعامل بوبا العربية، والتعاونية، وميدغلف، مع حالات الاستيراد باسم المريض حالةً بحالة. بعض الخطط تعوِّض جزئياً مقابل مطالبة المريض بعد التسليم؛ كثير منها يشترط الموافقة المسبقة مع خطاب المبرر السريري؛ بعضها لا يتعامل مع الأدوية غير المسجَّلة على الإطلاق. الوضع الافتراضي للأسر الدولية المتعاملة مع DMD هو الدفع النقدي، مع السعي لاسترداد التأمين بعد التسليم حيث تسمح الخطة.

## الجدول الزمني الاعتيادي لـ Agamree في المملكة العربية السعودية

بالنسبة لأسرة طفل مصاب بـ DMD لديها اختصاصي أعصاب عضلية معالج في مركز ثلاثي راسخ، تتراوح النافذة المعتادة من البداية إلى الجرعة الأولى في المنزل بين 4 و6 أسابيع. تستغرق استلام Reserve Meds للحالة وتسليم حزمة التوثيق إلى الواصف 24 إلى 48 ساعة. تتطلَّب تقديم طلب PIP عبر صيدلية الاستيراد بالمستشفى أو مستورد مرخَّص من SFDA عادةً 2 إلى 5 أيام عمل من الإعداد، ثم 10 إلى 21 يوم عمل من مراجعة SFDA للحالات الاعتيادية. يجري التوريد من الجانب الأمريكي والشحن الدولي للزجاجات بدرجة حرارة الغرفة بالتوازي مع المراجعة التنظيمية، ويُصيفان عادةً 3 إلى 7 أيام بعد الموافقة. ولأن vamorolone يُشحن بدرجة حرارة الغرفة، لا توجد إضافة 2 إلى 3 أيام للسلسلة الباردة. وقد تمتد الحالات المعقَّدة (مستشفيات أصغر، مُقدِّمون لأول مرة، ترخيص واصف قيد التجديد، أو أول طلب PIP في المؤسسة) إلى 6 إلى 10 أسابيع. تسير عمليات إعادة الطلب أسرع لأن البنية التشغيلية قائمة؛ وعادةً ما تستغرق دورة PIP الثانية والثالثة لنفس الأسرة 3 إلى 4 أسابيع من البداية إلى النهاية.

## ما يتعيَّن على طبيبك تقديمه

خطاب المبرر السريري من اختصاصي الأعصاب العضلية المعالج هو حجر الزاوية في ملف PIP. وبالنسبة لحالة Agamree، ينبغي أن يتضمَّن الخطاب تشخيص DMD مع ICD-10 G71.01 والتأكيد الجزيئي (تحليل طفرات جين ديستروفين)، وعمر المريض ووزنه الحالي، وتاريخ الستيرويد القشري متضمناً العامل المحدَّد والجرعة والمدة والآثار الجانبية الملحوظة (سرعة النمو، نتائج كثافة العظم، الملاحظات السلوكية)، ومبرر التحوُّل إلى vamorolone مع الإشارة إلى تجربة VISION-DMD ونشرة FDA، والجرعة المطلوبة (6 مغ/كغ فمويًا مرة واحدة يوميًا مع الطعام، بحد أقصى 300 مغ يوميًا للمرضى الذين تزن أوزانهم 50 كغ أو أكثر)، ومدة العلاج المطلوبة (عادةً 6 أو 12 شهراً مع توقع التجديد)، وخطة المتابعة التي تشمل تثبيط الكظر، والنمو، وصحة العظم، وضغط الدم، وبوتاسيوم المصل، وحالة التطعيم.

ينبغي أن ينص الخطاب صراحةً على أن الواصف مسؤول عن الإبلاغ عن الأحداث الصائرة عبر المركز الوطني للتثقيف الدوائي التابع لـ SFDA طوال مدة العلاج. ويجب أن يكون ترخيص SCFHS للواصف نافذاً طوال المدة المطلوبة كاملةً؛ تجديد الترخيص في منتصف الدورة مقبول تشغيلياً لكن ينبغي الإشارة إليه. بالنسبة لأسرة في طور التحوُّل من prednisone أو deflazacort، ينبغي أن يتضمَّن الخطاب جدول التخفيض التدريجي المخطَّط للستيرويد القشري السابق وتوقيت بدء vamorolone، وهو ما يتوقع مراجعو PIP أن يكون خطة سريرية متماسكة لا حدثين منفصلين.

## أسئلة شائعة عن Agamree في المملكة العربية السعودية

### هل سَتُعطي بوبا العربية أو التعاونية هذا العلاج؟

تتعامل كل خطة مع الاستيراد باسم المريض حالةً بحالة. بعضها يعوِّض بالكامل مقابل مطالبة المريض حين يظهر الجزيء على القائمة المقبولة لشركة التأمين؛ بعضها يعوِّض نسبة؛ بعضها يشترط الموافقة المسبقة. تُقدِّم Reserve Meds التوثيق الذي تحتاجه شركة التأمين للتقييم. تقديم المطالبة بيدك. الوضع الافتراضي هو الدفع النقدي.

### هل يمكن لابني تلقِّي Agamree في المنزل، أم فقط في المستشفى؟

يجب أن تكون منشأة الصرف صيدلية مرخَّصة محلياً. بالنسبة لـ Agamree، وهو معلق فموي يُعطى ذاتياً في المنزل، تتولى صيدلية العيادات الخارجية للمستشفى أو صيدلية استيراد مرخَّصة من SFDA الصرف، ثم تأخذ الأسرة الزجاجات إلى البيت لإعطائها يومياً باستخدام المحقنة الفموية المعاييرة. تبقى صيدلية المستشفى هي نقطة الصرف التنظيمية.

### ماذا لو تعيَّر وزن ابني أثناء العلاج؟

تُعاد جرعة الوزن كل 3 إلى 6 أشهر مع نمو ابنك. تُتابع Reserve Meds هذا الإيقاع عبر منسِّق المرضى المخصَّص بحيث تأخذ إعادة الطلب التالية للجرعة المحدَّثة في الحسبان ويُشحن العدد الصحيح من الزجاجات.

## هل Agamree أكثر أماناً من prednisone؟

هذا سؤال سريري لاختصاصي الأعصاب العضلية المعالج. أظهرت تجربة VISION-DMD آثاراً أقل على النمو الطولي، ودوران العظم، والسلوك، مقارنةً بـ prednisone. لا يزال vamorolone يحمل مخاطر فئة الستيرويد القشري بما فيها تثبيط الكظر وضرورة التخفيض التدريجي عند الإيقاف. لا تُقدّم Reserve Meds مشورة بشأن اختيار prednisone مقابل vamorolone.

## هل اللقاحات الحية آمنة أثناء العلاج؟

وفق نشرة FDA، اللقاحات الحية مضادة للاستطباب أثناء علاج vamorolone. يُنصح الطبيب المعالج جدول التطعيم مع خطة العلاج. لا تُقدّم Reserve Meds إرشاداً للقاحات.

## هل Agamree مادة خاضعة للرقابة؟

لا. vamorolone ليس مُجدولاً ضمن DEA. ينطبق مسار PIP القياسي، لا مسار المواد الخاضعة للرقابة عبر وزارة الداخلية.

## أين تتموضع Reserve Meds في حالات Agamree

Reserve Meds هي المنسّق المتميز من الجانب الأمريكي. بالنسبة لحالة Agamree في المملكة العربية السعودية، تؤكد Reserve Meds الأهلية وملاءمة الحالة خلال 24 إلى 48 ساعة من الاستلام، وتُرسل حزمة التوثيق إلى اختصاصي الأعصاب العضلية المعالج، وتُنسّق التوريد من الصيدلية التخصصية الأمريكية عبر قناة Catalyst Pathways المعتمدة، وتُدير اللوجستيات الدولية بدرجة حرارة الغرفة مع تسجيل تجاوز الحرارة، وتُعَيّن منسّقاً مخصّصاً مُسمّى للمرضى يدعم العربية ويبقى مع الأسرة عبر عمليات إعادة الطلب. لا تُقدّم Reserve Meds طلب PIP، فهذا من اختصاص صيدلية الاستيراد بالمستشفى أو المستورد المرخّص من SFDA، ولا تصف، ولا تُقدّم مشورة بشأن قرار التحوّل السريري. تبقى السلطة السريرية مع اختصاصي الأعصاب العضلية المرخّص لدى SCFHS. وتبقى السلطة التنظيمية مع SFDA. ويبقى الصرف مع الصيدلية السعودية المرخّصة.

## الخطوة التالية

إن كنت تستكشف Agamree لابن يتلقّى prednisone أو deflazacort، أو تبدأ العلاج بالستيرويد القشري لأول مرة، فإن قائمة الانتظار هي نقطة الدخول. تستجيب Reserve Meds خلال 24 إلى 48 ساعة بحزمة توثيق لاختصاصي الأعصاب العضلية لديك ونطاق سعر استرشادي. يلي العرض الثابت تأكيد الوصف للجرعة ومدة العلاج.

محفوظ لكم.

هذا الدليل للمعلومات فقط، وليس مشورة طبية أو قانونية. يستلزم إطار الاستيراد باسم المريض التقدير السريري لطبيب مرخّص في المملكة العربية السعودية؛ Reserve Meds هي المنسّق، لا الوصف. المصادر المُقتبسة: نشرة FDA لـ Agamree (NDA 215239، 26) أكتوبر 2023؛ وحدة المملكة العربية السعودية القطرية 11-05-2026؛ إبداع Catalyst Pharmaceuticals لسعر WAC، إدارة التأمين في داكوتا الشمالية، فبراير 2024.