

وصول Amondys 45 في دولة الإمارات العربية المتحدة: مسار الاستخدام باسم المريض لدى EDE

كيف تسعى الأسر في الإمارات إلى كاسيميرسين، وهو الأوليغونيوكلويتيد المضاد للحس الذي يقفز إكسون 45 من Sarepta، للأولاد المصابين بحثل دوشين العضلي الذين تكون أنماطهم الجينية قابلة لقفز إكسون 45.

آخر مراجعة في 05-12-2026 من قبل فريق Reserve Meds السريري والتنظيمي. تجمع هذه الصفحة وحدة البحث القطرية الخاصة بالإمارات مع وحدة الدواء Amondys 45 لوصف المسار الذي تسلكه الأسر فعلياً.

توجيه سريع

Amondys 45 (كاسيميرسين) هو أوليغومير مورفولينو فوسفوروديامينيت (PMO) طوّره شركة Sarepta Therapeutics. اعتمدته إدارة الغذاء والدواء الأمريكية في فبراير 2021 عبر مسار الموافقة المعجلة لعلاج حثل دوشين العضلي (DMD) لدى المرضى الذين لديهم طفرة مؤكّدة في جين DMD قابلة لقفز إكسون 45، وهي ما يُقدَّر بنحو 8 بالمئة من فئة DMD. يُعطى الدواء بالحقن الوريدي مرة أسبوعياً بجرعة 30 ملغ/كغ. العلاج مزمن مدى الحياة. محجوز لكم.

لماذا يحتاج المرضى في الإمارات إلى Amondys 45 عبر مسار الاستخدام باسم المريض

يحمل حثل دوشين العضلي معدّل انتشار ذا معنى في فئة طب الأعصاب للأطفال في الإمارات، مع معدّلات قرابة الدم الإقليمية التي تدعم حالة التأكيد الجيني المبكر. لا تُحفظ عائلة قفز الإكسونات لدى Sarepta (51 Exondys للإكسون 51، 53 Vyondys للإكسون 53، 45 Amondys للإكسون 45) باستمرار في المخزون الاتحادي الإماراتي، والمطابقة بين الدواء والطفرة خاصة بالمريض بطبيعتها. الطفل الذي يحمل حذفاً في DMD قابلاً لقفز إكسون 45 لا يحصل على 51 Exondys أو 53 Vyondys؛ يجب أن يتطابق الجزيء مع الطفرة. النمط العملي للوصول في الإمارات إذاً هو استيراد باسم المريض من الولايات المتحدة بمجرد تأكيد التأكيد الجيني.

ينطبق اعتباران إضافيان للوصول. أولاً، تحمل عائلة قفز الإكسونات لدى Sarepta وضع الموافقة المعجلة في الولايات المتحدة، مع تجارب تأكيدية جارية. ثانياً، تتطلب وصفة إدارة الغذاء والدواء الأمريكية تقييم وظائف الكلى الأساسي قبل العلاج، مع مراقبة فصلية أثناء العلاج لأن PMOs تتراكم في خلايا الأنابيب الكلوية. كلتا النقطتين موثقتان في مبرر EDE السريري وهما جزء من سبب مركزية دور أخصائي الأعصاب العضلية المعالج.

مسار EDE / MoHAP للاستخدام باسم المريض المُطبَّق على Amondys 45

المسار الاتحادي الذي يلجأ إليه الطبيب المرخَّص في الإمارات للحصول على دواء غير مسجَّل أو غير متوفر محلياً هو تصريح استيراد الدواء غير المسجَّل، الذي يُدار عبر بوابة هيئة الإمارات للدواء (EDE) على ede.gov.ae. تولّت EDE 44 خدمة محورية من MoHAP بموجب المرسوم بقانون اتحادي رقم 38 لسنة 2024.

بالنسبة لـ Amondys 45، تستند حزمة المبرر السريري إلى ثلاث ركائز. أولاً، التأكيد الجيني. يجب تأكيد طفرة جين DMD لدى المريض على أنها قابلة لقفز إكسون 45 من خلال تقرير مختبر، عادةً من مختبر معتمد من CAP أو ما يماثله. ثانياً، التقييم الأساسي للأعصاب العصبية. يوثق طبيب أعصاب الأطفال أو أخصائي الأعصاب العصبية المعالج حالة المشي، ونظام الكورتيكوستيرويد (عادةً ديفلازاكورت أو بريدنيزون)، والتقييم القلبي، ووظائف الرئة. ثالثاً، وظائف الكلى الأساسية. يُجرى فحص السيستاتين C في المصل وفحص شريط البول للبروتين قبل العلاج وفصلياً أثناء العلاج.

تتضمّن حزمة طلب EDE المكتملة لحالة Amondys 45 عادةً خطاب المبرر السريري من أخصائي الأعصاب العصبية، وتقرير المختبر الذي يؤكّد الطفرة القابلة لإكسون 45، والتحقق من ترخيص الطبيب لدى MoHAP أو DHA أو DoH أو هيئة الشارقة الصحية، ومعرّف مريض مجهول الهوية، وتفاصيل المنتج الكاملة لـ Amondys 45 (قوارير جرعة واحدة 50 ملغ/مل أو 100 ملغ/مل)، واسم منشأة التسريب الوجهة، وخطة سلسلة التبريد. الجداول الزمنية للموافقة للحالات الاعتيادية بين 5 و15 يوم عمل. أما الطلبات الأولى من نوعها فعادةً ما تقع في النطاق المعقد من 4 إلى 6 أسابيع.

أين يُصرف Amondys 45 في الإمارات

يُعطى Amondys 45 بالتسريب الوريدي مرة أسبوعياً على مدى 35 إلى 60 دقيقة. موقع الصرف هو جناح التسريب في مركز أعصاب الأطفال المرفق بمنشأة دوائية مرخّصة. أكثر المرشّحين الطبيعيين في الإمارات هم خدمات أعصاب الأطفال في مدينة الشيخ خليفة الطبية، وCleveland Clinic Abu Dhabi، وAl Jalila Children's Specialty Hospital في دبي، وAmerican Hospital Dubai. يتعامل مستشفى توام في العين مع حالات أعصاب الأطفال على المستوى الوطني ولديه قدرة تسريب مرفقة. يُورّد الدواء على هيئة قوارير جرعة واحدة ويجب تخزينه بالتبريد بين 2 و8 درجات مئوية.

التسريبات الأسبوعية على مدى سنوات عدة التزام تشغيلي. عادةً ما تختار الأسر منشأة الصرف على أساس مسافة السفر من المنزل واستمرارية فريق الأعصاب العصبية المعالج.

صورة التكلفة الفعلية لـ Amondys 45 في الإمارات

تكلفة الاستحواذ بالجملة في الولايات المتحدة لـ Amondys 45 تبلغ تقريباً USD 750,000 سنوياً لمريض طفل بوزن متوسط على جرعة 30 ملغ/كغ أسبوعياً، وتتوسّع مع وزن الجسم مع نمو الطفل. بالدرهم عند سعر الربط 3.67، فهذا تقريباً AED 2.75 مليون سنوياً. الرقم خاص بتكلفة الاستحواذ على الدواء فقط.

التكلفة الإجمالية المُسلّمة تتضمّن تكلفة الاستحواذ، واللوجستيات الدولية بالتبريد (تقريباً USD 1,000-2,000 للشحنة)، ورسوم EDE والجمارك (USD 400-800 للحالة عادةً)، ورسوم التسريب في

منشأة الصرف، ورسم تنسيق Reserve Meds. تتعامل التأمين في الإمارات مع البيولوجيات النادرة للأطفال حالة بحالة. يتمتع Thiqa، الذي تديره Daman لمواطني الإمارات في أبوظبي، بأوسع تغطية تخصصية. نحن لا نعد بتغطية من أي شركة تأمين.

الجدول الزمني المعتاد لـ Amondys 45 في الإمارات

تصریح EDE هو الخطوة التنظيمية الحاكمة. بالنسبة لطلب أوليغونيوكلويتيد مضاد للحس لقفز الإكسونات أول من نوعه، يجب أن تخطط المؤسسة لنافذة 4 إلى 6 أسابيع معقدة في المرة الأولى، وتنخفض إلى النطاق الاعتيادي 5 إلى 15 يوم عمل بمجرد أن يكون لدى المؤسسة سابقة في الملف. تصيف اللوجستيات بالتبريد تقريباً 5 إلى 10 أيام عمل. التخليص الجمركي عادةً 1 إلى 3 أيام عمل.

ما الذي يحتاج طبيبك إلى تقديمه

يستند خطاب المبرر السريري لطلب EDE الخاص بـ Amondys 45 إلى التأكيد الجيني. عادةً ما يتناول خطاب أخصائي الأعصاب العصبية المعالج التشخيص (DMD مؤكّد جينياً)، والطفرة المحددة في جين الديستروفين مع إرفاق تقرير المختبر، والقبالية المؤثقة لقفز إكسون 45، وحالة المشي لدى المريض، ونظام الكورتيكوستيرويد، والتقييم القلبي والرئوي الأساسي، ووظائف الكلى الأساسية (السيستاتين C في المصل، البروتين في البول)، وحساب جرعة المريض على أساس الوزن بمعدّل 30 ملغ/كغ أسبوعياً. يستند الخطاب إلى وصفة Sarepta الأمريكية وإلى وضع الموافقة المعجلة.

ثلاث وثائق تقف إلى جانب الخطاب: تقرير المختبر الجيني، وخطة الرعاية متعددة التخصصات لـ DMD، وموافقة الأسرة المستنيرة. يجب أن يكون ترخيص الطبيب المعالج سارياً في إمارة منشأة الصرف.

اعتبارات اليقظة الدوائية وسلسلة التبريد

تُخزّن قوارير Amondys 45 بالتبريد بين 2 و 8 درجات مئوية. تعمل سلسلة الشحنة بالبارد من الموزّع التخصصي الأمريكي إلى صيدلية الصرف في الإمارات. تحمل كل شحنة أجهزة رصد حرارة معايرة وسجلّ سلسلة الحياة. متابعة اليقظة الدوائية تحت إطار الموافقة المعجلة الأمريكية مهيكلة حول المراقبة الفصلية للكلى (السيستاتين C، البروتين في البول) والمراقبة السنوية القلبية والرئوية كجزء من خطة الرعاية متعددة التخصصات لـ DMD.

أسئلة شائعة حول Amondys 45 في الإمارات

هل طفرة ابني قابلة لقفز إكسون 45؟ يجب تقرير المختبر الجيني من تشخيصه على ذلك. تحدّد Sarepta ووصفة إدارة الغذاء والدواء الأمريكية المعتمدة الحذف والازدواج اللذين يُقرآن بعد قفز إكسون 45. يؤكّد أخصائي الأعصاب العصبية والمختبر الجيني القبالية قبل بدء أي مسار.

ماذا عن Elevidys (ديلانديستروجين موكسيبارفوفيك)؟ Elevidys علاج جيني لمرة واحدة لـ DMD لدى مرضى الأطفال القادرين على المشي وغير القادرين. وهو متميّز ميكانيكياً عن الأوليغونيوكلويتيدات المضادة للحس لقفز الإكسونات. كثير من أسر DMD تزن الخيارين. القرار السريري يبقى بيد فريق الرعاية متعدد التخصصات.

هل سَتُغطِّي شركات Daman أو Thiqa أو شركة تأميني الخاصة هذا؟ تُقيِّم كل شركة تأمين حالات الأمراض النادرة للأطفال حالةً بحالة. الموافقة المسبقة هي القاعدة. يتمتع Thiqa بأوسع تغطية في أبوظبي. نحن لا نَعِد بتغطية من أيِّ شركة تأمين.

هل 45 Amondys مادة خاضعة للرقابة؟ لا. 45 Amondys ليس مادة مدرجة في جداول DEA.

أين تتموضع Reserve Meds في حالات 45 Amondys

Reserve Meds منسَّق خدمة متميزة مقره الولايات المتحدة. نحن لا نحلُّ محلَّ أخصائي الأعصاب العصبية المعالج، أو EDE، أو صيدلية الصرف. بالنسبة لحالة 45 Amondys، عملنا هو تجميع التوثيق التنظيمي، وتنسيق المشتريات من الجانب الأمريكي مع المورِّع التخصصي لـ Sarepta، واللوجستيات بالتبريد، وتسليم الجمارك، ومسؤول حالة واحد مُسمَّى للأسرة طوال الاستقبال متعدد الأشهر وتزويد التسريب الأسبوعي المستمر. تُمسك سلسلة التبريد من البداية إلى النهاية. محجوز لكم.

الخطوة التالية

إذا أكَّد طبيب أعصاب أطفال معالج في الإمارات وجود طفرة DMD قابلة لإكسون 45 ويزن Amondys 45، فإن قائمة الانتظار هي الخطوة الأولى. نستجيب خلال 24 إلى 48 ساعة بتأكيد الأهلية وحزمة توثيق للطبيب.

محجوز لكم. انضم إلى قائمة الانتظار

ذات صلة

- المرجع السريري لـ 45 Amondys
- حثل دوشين العصلي
- صفحة دولة الإمارات العربية المتحدة
- نظرة عامة على مسار الاستخدام باسم المريض

المصادر

1. موافقة إدارة الغذاء والدواء الأمريكية، 45 Amondys (كاسيميرسين)، Sarepta Therapeutics، موافقة معجَّلة في فبراير 2021 لـ DMD القابل لقفز إكسون 45.
2. المرسوم بقانون اتحادي إماراتي رقم 38 لسنة 2024 وبوابة هيئة الإمارات للدواء على ede.gov.ae.
3. وصفة Sarepta Therapeutics الأمريكية لـ 45 Amondys (كاسيميرسين)، 30 ملغ/كغ تسريب وريدي أسبوعياً، مُبرَّد بين 2 و8 درجات مئوية.

المراجعة والإشراف. يُراجَع محتوى هذه الصفحة من قِبَل فريق Reserve Meds السريري والتنظيمي. يراجع صيدلي مرخَّص في الولايات المتحدة كل وصفة طبية قبل الصرف. الوضع

التنظيمي إعلامي وليس نصيحة قانونية؛ تُحال الأسئلة الخاصة بكل حالة إلى المستشار القانوني
الخارجي. منهجية المراجعة <
آخر مراجعة طبية: 2026-05-12.