

## الوصول إلى Roctavian في المملكة العربية السعودية: مسار الاستيراد باسم المريض لدى SFDA

كيف ينظر البالغون في المملكة العربية السعودية المصابون بالناعور أ الشديد إلى Roctavian (valoctocogene roxaparvovec-rvox)، علاج جيني على ناقل AAV5 اعتمده إدارة الغذاء والدواء الأمريكية عام 2023.

آخر مراجعة 12-05-2026 من قبل فريق Reserve Meds السريري والتنظيمي. تصف هذه الصفحة مسار برنامج الاستيراد الشخصي للبالغين السعوديين المصابين بالناعور أ الشديد الذين يستوفون ملف الأهلية الصارم. توظّر Reserve Meds الديمومة بصدق: فائدة ذات معنى لكن غير دائمة لدى أغلب المرضى، مع احتمال حقيقي بالعودة إلى العلاج التعويضي بالعامل خلال عقد من الزمن.

### القسم 1. توجيه سريع

Roctavian هو الاسم التجاري لـ valoctocogene roxaparvovec-rvox، علاج جيني وريدي يُعطى مرة واحدة للبالغين المصابين بالناعور أ الشديد. الأسلوب العلاجي ناقل فيروسي مرتبط بالغدد من النمط المصلي 5 (AAV5) يحمل جينة محسّنة من حيث الكودون للعامل الثامن البشري للتخثر منقوصة المنطقة B، يوصلها إلى خلايا الكبد، حيث تحفز الجينة الإنتاج الداخلي للعامل الثامن وتصحّح جزئياً خلل التخثر الكامن. اعتمدت إدارة الغذاء والدواء الأمريكية Roctavian في 29 يونيو 2023؛ ومنحت المفوضية الأوروبية ترخيصاً تسويقياً مشروطاً في 24 أغسطس 2022. وسعر القائمة نحو 2.9 مليون دولار أمريكي للمريض عن الجرعة الواحدة لمرة واحدة. ولم تُسجّل الهيئة العامة للغذاء والدواء (SFDA) Roctavian ولا يوجد وكيل تجاري محلي في المملكة. وبالنسبة للعائلات السعودية التي تنظر في هذا العلاج، يتضمن المسار شرطاً مسبقاً قاطعاً للاختبار، ومركز علاج معتمداً، وخوارزمية كورتيكوستيرويد ممتدة بعد التسريب، ومحادثة صادقة حول الديمومة. وتتعامل Reserve Meds مع كل استفسار عن Roctavian بهذا السياق الكامل في الاعتبار. **محفوظ لكم.**

### القسم 2. لماذا يحتاج المرضى السعوديون إلى Roctavian عبر مسار الاستيراد باسم المريض

Roctavian منتج عالي التكلفة، عالي التعقيد، منخفض الحجم، مُسجّل في مجموعة صغيرة فقط من الولايات القضائية، ومُقيّد ضمنها بمراكز علاج الناعور (HTCs) المعتمدة. والمرضى في المملكة العربية السعودية الذين يحملون تشخيصاً مؤكداً للناعور أ الشديد (نشاط العامل الثامن أقل من 1 وحدة دولية/ديسليتر) ويستوفون ملف الأهلية بسلبية AAV5 وسلبية المثبطات لا يستطيعون، داخل المملكة، الحصول على Roctavian محلياً لأنه لا تسجيل وطني، ولا مركز علاج ناعور سعودي معتمد من BioMarin، ولا إطار تعويض وطني خاص بالمنتج.

يملك مستشفى الملك فيصل التخصصي ومركز الأبحاث قدرة في أمراض الدم وزرع نخاع العظم، ومع الوقت قد يطوّر القدرة على مناولة ناقل AAV، وإقرار الجاهزية للتسريب، وإدارة الكورتيكوستيرويد بعد التسريب التي يستلزمها Roctavian. وفي تاريخ هذه المراجعة، لا توجد مؤسسة سعودية على قائمة مراكز علاج الناعور المؤهلة لدى BioMarin. والمسار العملي للعائلات السعودية هو السفر إلى مركز معتمد في الولايات المتحدة أو في الاتحاد الأوروبي لتلقي التسريب نفسه، مع قيام Reserve Meds بتنسيق التحقق من الأهلية، وحجز المركز المعتمد، ولوجستيات الناقل المحمّد عند الاقتضاء، ونافذة السفر والمتابعة بعد التسريب. وتُمثّل مسارات الاستيراد باسم المريض والاستيراد الشخصي الإطار الذي يجعل هذا التنسيق القانوني ممكناً.

### القسم 3. برنامج الاستيراد الشخصي لدى SFDA لدواء Roctavian

برنامج الاستيراد الشخصي لدى SFDA مُصمّم لاستيراد دواء بعينه لمريض محدد بالاسم حين يكون الدواء معتمداً من جهة تنظيمية مرجعية معترف بها وعندما لا يكون البديل المسجّل محلياً المكافئ سريرياً مناسباً. وRoctavian معتمد من FDA

(2023) ومُرَّحَّص من EMA (2022، مشروط)، ما يُرسي معيار الجهة المرجعية. وبالنسبة لـ Roctavian تحديداً، السؤال الأكثر حسماً ليس مسار SFDA بحد ذاته، بل اشتراط المركز المعتمد الذي تفرضه BioMarin عالمياً: المنتج يُورَد فقط إلى مراكز علاج الناعور المؤهلة من BioMarin التي أكملت تدريباً خاصاً بالمنتج، وحصلت على شهادة في مناولة الناقل، واستوفت إقرار الجاهزية للتسريب. والتسريب خارج مركز علاج ناعور مؤهل غير مدعوم من الشركة المصنعة.

يُشكّل هذا ملف PIP بطريقة معينة. حيث يسافر المريض إلى مركز علاج ناعور أمريكي أو أوروبي معتمد لتلقي التسريب، قد يركّز ملف PIP على تغطية اختبار الأجسام المضادة لـ AAV5 المسبق للتسريب وتاريخ مثبت العامل الثامن المُجرى في المملكة العربية السعودية، وعلى أدوية المراقبة بعد التسريب (الكورتيكوستيرويدات، فحوصات العامل الثامن) التي سُدار في الوطن بعد التسريب في الخارج. وحين تصبح، في حالة مستقبلية، مؤسسة سعودية مؤهلة لدى BioMarin، فإن ملف PIP سيُغطّي الناقل المُستورد نفسه تحت خطة سلسلة الحياة التي تشترطها SFDA. وكلا المسارين ينطلقان من حزمة التوثيق ذاتها: خطاب المبرر السريري من طبيب أمراض الدم المعالج المرَّحَّص من SCFHS، والتحقق من ترخيص الطبيب، ومعرّف المريض، وتفاصيل المنتج، وترخيص منشأة الصرف، وخطة سلسلة الحياة.

بالنسبة لـ Roctavian تحديداً، خطاب المبرر السريري هو الأكثر تفصيلاً في مصفوفة Reserve Meds. يتناول التشخيص (ناعور أ شديد بنشاط العامل الثامن أقل من 1 وحدة دولية/ديسليتر، مؤكّداً على فحص حالي)، وعيار الأجسام المضادة المعادلة لـ AAV5 السلبي على الاختبار المرافق المعتمد من FDA (هذا شرط مسبق قاطع ويجب أن تكون النتيجة في اليد قبل أي حجز للتسريب)، وتاريخ مثبت العامل الثامن السلبي مؤكّداً عبر سجلات طبية سابقة لا اعتماداً على تذكّر المريض، واختبارات وظائف الكبد الأساسية ضمن نطاق مقبول، وغياب التليّف الملحوظ، أو التهاب الكبد B أو C النشط، أو فيروس نقص المناعة البشرية مع حمل فيروسي غير مضبوط. وتوثّق الخطاب أيضاً نظام الوقاية السابق (العامل الثامن المؤتلف أو emicizumab) وسيرة النزف التي تدفع إلى النظر في العلاج الجيني. ويبلغ الجدول الزمني الاعتيادي لـ PIP من 10 إلى 21 يوم عمل؛ وحالات Roctavian تهبط باستمرار في النطاق المعقد (6 إلى 10 أسابيع لدى SFDA) بسبب جدّة الأسلوب العلاجي ولوجستيات التسريب العابرة للحدود.

#### القسم 4. أين يُعطى Roctavian للمرضى السعوديين

التسريب نفسه، في تاريخ هذه المراجعة، يحدث في مركز علاج ناعور مؤهل من BioMarin في الولايات المتحدة أو في إحدى دول الاتحاد الأوروبي ذات اتفاقيات التسعير والتعويض الراسخة (ألمانيا مثال مُعلن). وتُنسّق Reserve Meds حجز المركز المعتمد مع طبيب أمراض الدم السعودي للمعالج للمريض في الحلقة طوال الوقت. ويمكن تنسيق العمل قبل التسريب (عيار الأجسام المضادة لـ AAV5، تأكيد تاريخ مثبت العامل الثامن، اختبارات وظائف الكبد الأساسية) عبر أمراض الدم في KFSH&RC، أو مدينة الملك عبدالعزيز الطبية، أو شبكة الشؤون الصحية بوزارة الحرس الوطني، أو خدمات أمراض الدم الخاصة التخصصية مثل تلك في مجموعة الدكتور سليمان الحبيب الطبية، حيث توجد قدرة لأمراض دم البالغين. ثم تُدار نافذة الكورتيكوستيرويد (نموذجياً أسابيع إلى أشهر من بريدنيزون فموي أو ما يعادله على جدول سحب تدريجي، تُبدأ بناءً على اتجاهات ناقلة أمين الألائين) مع فريق أمراض الدم السعودي بعد عودة المريض إلى الوطن، مع اختبارات وظائف الكبد الأسبوعية خلال السحب التدريجي وتواتر متناقص خلال السنة الأولى. وكفهمته الثلاثية عبر أمراض الدم وزرع نخاع العظام والجينوم، هي المؤسسة السعودية الأكثر معقولة لتطوير قدرة كاملة على إعطاء Roctavian مع الوقت؛ وحتى يحدث ذلك، يعني نموذج المركز المعتمد أن التسريب يبقى حدث سفر دولي للعائلات السعودية.

#### القسم 5. صورة التكلفة الفعلية لدواء Roctavian في المملكة العربية السعودية

تكلفة الاستحواذ الأمريكية بالجملة تقارب 2.9 مليون دولار أمريكي للمريض عن الجرعة الواحدة لمرة واحدة، حسبما أفصحت BioMarin علناً عند إطلاق يونيو 2023، وأكّده الصحافة المتخصصة. وبالسعر المربوط للريال السعودي عند نحو 3.75 ريال لكل دولار، يبلغ سعر قائمة الدواء نحو 10.9 مليون ريال سعودي. والتسعير في الاتحاد الأوروبي خاص بكل دولة وسرّي على المستوى الصافي؛ وتشير المراجع الألمانية المُعلنة ومبالغ التعويض المتفاوض عليها إلى مرتبة قدر ماثلة لـ WAC الأمريكي.

بالنسبة للعائلات السعودية، يمتد مكّدس التكلفة الكامل إلى ما يتجاوز الناقل نفسه. والسفر الدولي للمريض ومُرافق العائلة إلى المركز المعتمد (الولايات المتحدة أو الاتحاد الأوروبي)، والإقامة خلال التسريب ونافذة المراقبة الفورية بعد التسريب، ورسوم العيادة السريرية للمركز المعتمد يوم التسريب، والاختبار المرافق قبل التسريب (الأجسام المضادة لـ AAV5 وعمل تاريخ المثبط)، وتكاليف الكورتيكوستيرويد بعد التسريب وفحوصات العامل الثامن في المملكة العربية السعودية، ورسوم تنسيق Reserve Meds، كلها تقف إلى جانب سعر قائمة الدواء. وتُدْرَج Reserve Meds كل مكوّن بصورة منفصلة في عرض السعر الثابت. وضمانة BioMarin المبنية على النتائج الخاصة بالمريض التي تفاوضت عليها مع جهات الدفع الأمريكية

(تعويض جزئي لجهات الدفع في حال فقدان تعبير العامل الثامن خلال السنوات الأربع الأولى) آلية أمريكية حصراً ولا تمتد إلى المرضى الدوليين الذين يدفعون من جيوبهم؛ ولا تُمنحها Reserve Meds على أنها متاحة خارج الولايات المتحدة. وتتعامل بوبا العربية والتعاونية وميدغلف مع طلبات الاستيراد باسم المريض حالة بحالة، غير أن تكلفة دواء بقيمة 2.9 مليون دولار أمريكي عند نطاق تتطلب فيه محادثات التعويض عادةً موافقات مخصصة بعيداً عن عمليات القوائم القياسية.

## القسم 6. الجدول الزمني المعتاد لدواء Roctavian في المملكة العربية السعودية

الجدول الزمني لـ Roctavian أطول من أي دواء آخر في مصفوفة Reserve Meds. ويستغرق اختبار الأهلية قبل التسريب (عيار الأجسام المضادة لـ AAV5، تأكيد تاريخ ميثب العامل الثامن عبر السجلات الطبية السابقة، اختبارات وظائف الكبد الأساسية) نموذجياً 4 إلى 8 أسابيع في المملكة العربية السعودية تبعاً لتوفر الاختبار المرافق محلياً أو لزوم شحنه إلى مختبر مرجعي. ويستغرق تقديم PIP لأي مكونات مُستوردة 6 إلى 10 أسابيع في النطاق المعقد لدى SFDA. ويضيف حجز المركز المعتمد في مركز علاج ناعور أمريكي أو أوروبي، بما يشمل جدولة التسريب ولوجستيات السفر، نموذجياً 4 إلى 12 أسبوعاً تبعاً لجاهزية المريض السريرية وقدرة المركز. والتسريب نفسه إعطاء وريدي واحد على مدى ساعتين تقريباً، تليه فترة مراقبة فورية تتراوح بين أسبوع وأسابيع عند أو قرب المركز المعتمد. ثم تستمر نافذة إدارة الكورتيكوستيرويد أسابيع إلى أشهر بعد عودة المريض إلى الوطن. ومن البداية إلى النهاية، من الاستفسار الأولي إلى عودة المريض إلى المملكة العربية السعودية على جدول مراقبة ما بعد التسريب، الجدول الزمني الواقعي هو 4 إلى 9 أشهر، مع تفاوت كبير حسب الحالة.

## القسم 7. ما الذي يحتاج طبيبك إلى تقديمه

خطاب المبرر السريري من طبيب أمراض الدم المعالج المرخص من SCFHS هو الخطاب الأكثر تفصيلاً في مصفوفة Reserve Meds ويجب أن يتناول العناصر التالية: تشخيص الناعور أ الشديدي بنشاط العامل الثامن أقل من 1 وحدة دولية/ديسليتر مؤكداً على فحص حالي؛ وعيار الأجسام المضادة المعادلة لـ AAV5 السليبي موثقاً على الاختبار المرافق المعتمد من FDA (لن تبدأ Reserve Meds بحجز المركز المعتمد دون هذه النتيجة في اليد)؛ وتاريخ ميثب العامل الثامن السليبي مؤكداً عبر سجلات طبية سابقة لا اعتماداً على تذكر المريض وحده؛ واختبارات وظائف الكبد الأساسية (ALT وAST والفوسفاتاز القلوية والبيلبيريوبين الكلبي) ضمن نطاق مقبول؛ وغياب التليف الملحوظ، أو التهاب الكبد B أو C النشط، أو فيروس نقص المناعة البشرية مع حمل فيروسي غير مضبوط؛ ونظام الوقاية السابق للمريض (العامل الثامن المؤتلف أو emicizumab) وسيرة النزف؛ والمبرر للعلاج الجيني بدلاً من الاستمرار في الوقاية وفق المعيار العلاجي أو emicizumab؛ والجرعة المقترحة وفق ملصق FDA (تسريب وريدي واحد بمقدار  $6 \times 10^{13}$  جينوم ناقل لكل كيلوغرام من وزن الجسم، يُعطى مرة واحدة في حياة المريض، دون دعم الملصق لإعادة الجرعة لأن الأجسام المضادة لـ AAV5 الموجودة مسبقاً التي تنشأ بعد التعرض يُتوقع أن تعادل أي ناقل AAV5 لاحق)؛ وخطة خوارزمية الكورتيكوستيرويد مع مراقبة ALT أسبوعياً وبريدنيزون مُسحب تدريجياً أو ما يعادله على مدى أسابيع إلى أشهر؛ وخطة المتابعة طويلة الأمد بما فيها نشاط العامل الثامن في فترات يحددها البروتوكول، ومراقبة سرطان الخلية الكبدية وفق بروتوكول مركز علاج الناعور، وتتبع أحداث النزف؛ وإقراراً صريحاً بأن الليمومة ذات معنى لكنها غير دائمة.

## القسم 8. أسئلة شائعة عن Roctavian في المملكة العربية السعودية

**هل Roctavian شفاء؟** لا. التأطير الصادق للعائلات السعودية هو فائدة ذات معنى لكنها غير دائمة لدى أغلب المرضى. تُظهر بيانات متابعة GENER8-1 لخمسة سنوات أن تعبير العامل الثامن يتراجع مع الوقت لدى كثير من المرضى؛ وعند خمس سنوات، ظل 80.8% من المشاركين دون وقاية منتظمة، وتراوح الوسيط النمذجي لزمّن العودة إلى الوقاية بين 6.4 و16.1 سنة. ويعود بعض المرضى إلى العلاج التعويضي بالعامل خلال عقد من الزمن. ولن تُسوّق Reserve Meds Roctavian بوصفه شفاءً في أي محادثة مع المريض.

**هل يمكن أن يحدث التسريب في مستشفى سعودي؟** ليس في تاريخ هذه المراجعة. المنتج يُورّد فقط إلى مراكز علاج الناعور المؤهلة من BioMarin، ولا توجد مؤسسة سعودية حالياً على تلك القائمة. ومستشفى الملك فيصل التخصصي ومركز الأبحاث، بقدرته الثلاثية في أمراض الدم والجينوم، هو المؤسسة السعودية الأكثر معقولية لتطوير القدرة مع الوقت. وحتى يحدث ذلك، يكون التسريب حدث سفر دولي.

**ماذا لو عاد عيار الأجسام المضادة لـ AAV5 لديّ إيجابياً؟** العيار الإيجابي للأجسام المضادة المعادلة لـ AAV5 مانع مطلق لـ Roctavian. ولا يمكن للعلاج أن يمضي. وتبقى الوقاية وفق المعيار العلاجي بالعامل الثامن (من عدة مصنّعين) وemicizumab (Hemlibra) البدائل المتاحة، ويتخذ طبيب أمراض الدم المعالج الخيار السريري. ولا توجّه Reserve Meds الخيار.

**ما هو ملف السلامة؟** الآثار الضائرة الأكثر شيوعاً في تجربة GENER8-1 من المرحلة الثالثة كانت ارتفاع إنزيمات الكبد العابر، والصداع، والغثيان، والقيء، والتعب، وألم البطن، والتفاعلات المرتبطة بالتسريب. الإشارة السلامة المهيمنة هي ارتفاع إنزيمات الكبد الذي يستوجب إدارة بالكورتيكوستيرويد. وثمة خطر نظري طويل الأجل لسرطان الخلية الكبدية مرتبط باندماج ناقل AAV؛ ولم تُسجَل حالات سببية في برنامج التجارب، ويشترط الملصق مراقبة كبدية طويلة الأجل.

**لماذا Roctavian بدلاً من Hemlibra؟** يقدّم Roctavian احتمال التحرر من جرعات الوقاية لسنوات عدة للمرضى المؤهلين. ويتطلب Hemlibra إعطاء مستمراً تحت الجلد، لكنه متاح على نطاق واسع، بما في ذلك في ولايات قضائية لا يكون فيها Roctavian مسجلاً، وهو مناسب للمرضى الذين لديهم مشكلات. ويبقى الاختيار لدى طبيب أمراض الدم المعالج؛ ولا توجّه Reserve Meds.

**هل ستُعطى بوبا العربية أو التعاونية أو ميدغلف هذا العلاج؟** تكلفة دواء بقيمة 2.9 مليون دولار أمريكي عند نطاق تتطلب فيه محادثات التعويض عادةً موافقات مخصّصة بعيداً عن عمليات القوائم القياسية. والدفع النقدي هو الموقف التشغيلي الافتراضي، ومعظم استفسارات Roctavian ذاتية التمويل.

## القسم 9. أين تتموضع Reserve Meds في حالات Roctavian

Reserve Meds منسّق خدمة متميزة مقره الولايات المتحدة. نحن لا نحل محل طبيب أمراض الدم لديك، ولا نحل محل SFDA، ولا نحل محل مركز العلاج المعتمد، ولا نحل محل صيدلية الصرف لديك. تُنسّق لوجستيات اختبار الأجسام المضادة ل-AAV5 وتاريخ المثبط، وتعدّ حزمة التوثيق المُحاذاة مع SFDA التي يحتاجها طبيب أمراض الدم لديك، ونحجز موعد المركز المعتمد، وتدير لوجستيات الناقل المجدّد عند الاقتضاء، وتُنسّق سفر المريض والعائلة وإقامتهم حول نافذة التسريب، ونبقى مع الحالة عبر السحب التدريجي للكورتيكوستيرويد بعد التسريب الذي يمتد أشهراً وجدول مراقبة العامل الثامن بمجرد عودة المريض إلى المملكة. ولا تُنسّق Reserve Meds التسريب خارج مركز علاج ناعور مؤهل من BioMarin، ولا تقترح التسريب في المنزل أو في مستشفى محلي في المملكة العربية السعودية. وتُوظّر الديمومة بصدق في كل محادثة مع المريض. ويبقى المنسّق الواحد المُسمّى مع الحالة عبر ما يُعدّ، بأي مقياس، الملف الأكثر تعقيداً تشغيلياً في مصفوفة Reserve Meds.

## القسم 10. الخطوة التالية

إذا اختار طبيب أمراض الدم لديك النظر في Roctavian وكنت بالغاً مقيماً في المملكة العربية السعودية باسم مؤكّد للناعور أ الشديّد، فالخطوة التالية هي قائمة الانتظار. تُؤكّد الأهلية الأولية خلال 24 إلى 48 ساعة وتُسلّس اختبار الأجسام المضادة ل-AAV5 وعمل تاريخ المثبط قبل أي حجز للمركز المعتمد. **محفوظ لكم.**

هذا الدليل معلوماتي، وليس نصيحة طبية أو قانونية. يستلزم إطار الاستيراد باسم المريض حكم طبيب مرخّص في المملكة العربية السعودية؛ و Reserve Meds منسّق، لا واصف.

**المراجعة والإشراف.** يُراجِع محتوى هذه الصفحة من قِبل فريق Reserve Meds السريري والتنظيمي. ويُراجِع صيدلي مرخّص أمريكي كل وصفة قبل الصرف. والموقف التنظيمي معلوماتي، وليس نصيحة قانونية؛ وتوجّه الأسئلة الخاصة بالحالة إلى المستشار القانوني الخارجي المُعتمد. منهجية المراجعة > آخر مراجعة طبية: 2026-05-12.