الوصول إلى Zolgensma في المملكة العربية السعودية

دليل يضع المريض أولاً للوصول إلى Zolgensma (onasemnogene abeparvovec-xioi) لعلاج الضمور العضلي الشوكي لدى الأطفال دون عمر سنتين في المملكة العربية السعودية، عبر برنامج الاستيراد الشخصي لدى SFDA ومراكز طب أعصاب الأطفال المؤهَّلة.

آخر مراجعة 12-05-2026 من قِبَل فريق *Reserve Meds* السريري والتنظيمي. تجمع هذه الصفحة وحدة البحث القُطرية الخاصة بالمملكة العربية السعودية مع وحدة الدواء *Zolgensma* لوصف المسار الذي يسلكه المرضى فعلياً.

توجيه سريع

Zolgensma علاج جيني يُعطى لمرة واحدة بناقل AAV9 للضمور العضلي الشوكي لدى المرضى من الأطفال أقل من عمر سنتين الذين يحملون طفرات في كلا أليلي الجين SMN1. اعتمدت إدارة الغذاء والدواء الأمريكية Zolgensma في مايو 2019، واعتمدت الهيئة العامة للغذاء والدواء (SFDA) المنتج، مع توجيه الاستخدام عبر مراكز طب أعصاب الأطفال الثلاثية في المملكة. تُحدّد سمتان من سمات هذا العلاج محادثةَ الوصول: العلاج حرج التوقيت (كل أسبوع تأخير خلال نافذة الأهلية للأطفال يُقلّل الفائدة السريرية القابلة للتحقيق)، ويحمل تحذيراً في إطار أسود لإصابة كبدية حادة خطيرة تقود إلى بروتوكول إلزامي للكورتيكوستيرويدات حول الضخّ. وبالنسبة للعائلات السعودية التي يُشخَّص طفلها بـ SMA في الأشهر الأولى من العمر (غالباً عبر العرض السريري أو فحص حديثي الولادة)، النموذج التشغيلي هو استقبال سريع، واختبار عيار الأجسام المضادة لـ AAV9، وتنسيق الشحنة بالتبريد العميق إلى مركز أطفال سعودي مؤهَّل. تحمل Reserve Meds التوريد على الجانب الأمريكي، ولوجستيات السلسلة الباردة بالتبريد العميق، والتوثيق التنظيمي بالتوازي مع الساعة السريرية. محفوظ لكم.

لماذا يحتاج المرضى في المملكة العربية السعودية إلى Zolgensma عبر مسار الاستيراد باسم المريض

SMA مرض فقدان العصبون الحركي. النمط 1 من SMA مميت في صورته الأشدّ دون علاج قادر على تعديل المرض، إذ لا ينجو معظم الرضع غير المعالَجين بعد عمر سنتين. تحمل برامج طب أعصاب الأطفال السعودية (KAMC، KFSH&RC، MNGHA) أعداداً كبيرة من حالات SMA تعكس عبء الأمراض الجسدية المتنحية المدفوع بزواج الأقارب في المنطقة. اعتمدت SFDA Zolgensma، ما يعني أن المسار التنظيمي قائم. نقاط الاحتكاك هي حرجية التوقيت، وقدرة المركز المعتمد، وبوابة أهلية عيار الأجسام المضادة لـ AAV9، واللوجستيات الملتفّة لنقل السلسلة الباردة بالتبريد العميق وإعداد الجرعة الخاصة بوزن المريض في يوم الضخّ.

ثلاثة أنماط تدفع طلبات الاستيراد باسم المريض في المملكة. أولاً، حرجية التوقيت. حين يُشخَّص طفل عائلة سعودية بـ SMA النمط 1، تخلق نافذة الأهلية (دون عمر سنتين، مع تركّز الفائدة البيولوجية في الأشهر الأولى) ضرورة سريرية لا توافقها وتائر الشراء التقليدية. ثانياً، التقييد بالمراكز المعتمدة. حتى مع اعتماد SFDA، تتركّز مواقع الإعطاء الفعلية في عدد صغير من مراكز طب أعصاب الأطفال الثلاثية ذات قدرة ضخّ العلاج الجيني، ودعم الرعاية الحرجة للأطفال، والوصول إلى اختبار عيار الأجسام المضادة لـ AAV9. ثالثاً، رفض جهة الدفع عند هذا السعر. سعر القائمة البالغ 2.125 مليون دولار أمريكي يتجاوز السقف لكل مريض في كثير من الخطط التجارية، والعائلات التي تمتلك القدرة الشخصية على تمويل العلاج تتابع مسارات الاستيراد باسم المريض للوصول إلى مراكز معتمدة على استعداد للإعطاء بالدفع الخاص.

برنامج الاستيراد الشخصي لدى SFDA المُطبَّق على Zolgensma

يدعم برنامج الاستيراد الشخصي (PIP) لدى SFDA الاستيرادَ الخاص بالمريض حيث لا يتطابق التخزين المحلي أو توفّر المركز المعتمد مع حاجة المريض السريرية حرجة التوقيت. تحتوي حزمة الطلب على خطاب المبرر السريري من طبيب

أعصاب الأطفال المعالج، يتناول التشخيص (SMA مع طفرات مؤكَّدة في كلا أليلي SMN1 عبر الاختبار الوراثي)، وشدّة المرض ومساره، وعمر المريض ووزنه في موعد الضخّ المقترح، والعلاجات السابقة المُجرَّبة (لا سيما أي علاج جسري بـ Spinraza أو Evrysdi)، ونتيجة عيار الأجسام المضادة لـ AAV9، وخطة الجرعات والمراقبة.

الزاوية في المبرر السريري التي تُميّز Zolgensma عن معظم تقديمات الاستيراد باسم المريض هي توقيع القدرة المؤسسية لضخّ العلاج الجيني. يؤكّد الطلب أن المنشأة المستلِمة تمتلك قدرة ضخّ العلاج الجيني، ودعم الرعاية الحرجة للأطفال، والوصول إلى اختبار عيار الأجسام المضادة لـ AAV9 لتأكيد الأهلية، والتخزين بالتبريد العميق عند -60 درجة مئوية أو أبرد، والبنية المخبرية لمراقبة وظائف الكبد، والصفيحات، والتروبونين، ما بعد الضخّ أسبوعياً وفق ملصقة إدارة الغذاء والدواء الأمريكية. دون تأكيد تلك القدرة المؤسسية، لا يمكن استكمال الطبقة التنظيمية.

عيار الأجسام المضادة لـ AAV9 بوابة أهلية صارمة. يجب أن يكون لدى المرضى عيار أجسام مضادة رابطة مضادة لـ AAV9 عند الأساس 1:50 أو أقل بـ ELISA مُؤهَّل. المرضى الذين تكون عيارتهم فوق العتبة غير مؤهَّلين. ويُسمح بإعادة الاختبار بعد فترة انتظار في بعض الحالات، وتكون العيارة لدى الأطفال الصغار منخفضة عادةً. تُجري المؤسسة المستلِمة اختبار العيار أو تنسّق مع مختبر شريك؛ والنتيجة جزء من ملف PIP.

تتراوح الجداول الزمنية للموافقة في الحالات الاعتيادية لدى المؤسسات الكبرى بين 10 و21 يوم عمل. بالنسبة لـ Zolgensma، تنضغط الطبقة التشغيلية حول تقديم SFDA لأن الساعة السريرية تعمل. تُحاذي Reserve Meds التوريد على الجانب الأمريكي، وإعداد شاحن السلسلة الباردة بالتبريد العميق، وتخليص الجمارك المسبق بالتوازي لا بالتتابع لضغط النافذة من الطرف إلى الطرف. والحالات المعقدة لأول مرة قد تمتدّ من 6 إلى 10 أسابيع على الجانب التنظيمي، وهو بالضبط الخطر التشغيلي لاستطباب أطفال حرج التوقيت.

أين يُصرَف Zolgensma في المملكة العربية السعودية

خريطة المراكز المعالِجة لـ Zolgensma أضيق منها لمعظم الأدوية باسم المريض بسبب اشتراط قدرة ضخّ العلاج الجيني AAV9. يمتلك مستشفى الملك فيصل التخصصي ومركز الأبحاث (KFSH&RC) قدرة العلاج الجيني للأطفال وتعامَل مع حالات Zolgensma. وتُشغّل مدينة الملك عبدالعزيز الطبية (KAMC) وشبكة الشؤون الصحية بوزارة الحرس الوطني (MNGHA) برامج تخصصية قوية للأطفال وهما جزء من نقاش القدرة الإقليمية. وتمتلك الشبكات الخاصة الكبرى (مجموعة الدكتور سليمان الحبيب الطبية، السعودي الألماني) سير عمل راسخاً لصيدلية الاستيراد وقدرة تخصصية للأطفال؛ ويعتمد إعطاء Zolgensma المحدّد على جاهزية العلاج الجيني والرعاية الحرجة في المؤسسة في اليوم المعني.

يجب أن تكون منشأة الصرف جاهزة لاستلام شاحن السلسلة الباردة بالتبريد العميق، وإذابة المنتج في ظروف مضبوطة، وإعداد الجرعة الخاصة بوزن المريض في يوم الضخّ، وتقديم الضخّ على مدى 60 دقيقة عبر خط وريدي محيطي أو مركزي مع دعم الرعاية الحرجة للأطفال. وتحمل المؤسسة المستلِمة أيضاً بدء الكورتيكوستيرويدات حول الضخّ (بريدنيزولون فموي أو ما يعادله بدءاً قبل الضخّ بـ 24 ساعة) ونافذة مراقبة وظائف الكبد، والصفيحات، والتروبونين أسبوعياً ما بعد الضخّ.

صورة التكلفة الفعلية لـ Zolgensma في المملكة العربية السعودية

أطلقت Novartis Gene Therapies Zolgensma في الولايات المتحدة بتكلفة استحواذ بالجملة قدرها 2.125 مليون دولار أمريكي لدورة علاج جرعة واحدة. بسعر ربط الريال السعودي البالغ 3.75، يتحوّل ذلك إلى نحو 7.97 مليون ريال سعودي. وهذا سعر يُدفَع لمرة واحدة، غير مُحوَّل إلى أساس سنوي، ويعكس العلاج بكامله. حدّدت Novartis السعر مقارنةً بتكلفة المرض لخمس سنوات مقابل العلاج المزمن لـ SMA، مؤطِّرةً إياه بنحو 425,000 دولار أمريكي في السنة موزَّعة على خمس سنوات.

تُضيف اللوجستيات الدولية لشاحن السلسلة الباردة بالتبريد العميق من منشأة Novartis Gene Therapies إلى مركز الأطفال السعودي المستلِم رسماً إضافياً محدَّداً في نطاق 19,000 إلى 56,000 ريال سعودي (5,000 إلى 15,000 دولار أمريكي)، مع التعامل مع تخليص الجمارك المسبق بالتوازي للحفاظ على نافذة الشحن المُؤهَّلة. التكاليف الإجرائية والداخلية في المؤسسة المستلِمة (وحدة ضخّ العلاج الجيني، دورة الكورتيكوستيرويدات حول الضخّ، فحوصات المراقبة ما بعد الضخّ عبر الأشهر الثلاثة الأولى) بنود للمؤسسة، لا لـ Reserve Meds.

سلوك شركات التأمين المحلية على علاج جرعة واحدة بقيمة 2.125 مليون دولار أمريكي متغيّر. تتعامل بوبا العربية، والتعاونية، وميدغلف مع العلاج الجيني للأطفال حالةً بحالة، وسعر القائمة يتجاوز السقف لكل مريض في معظم الخطط التجارية. وقد تنطبق المسارات المؤسسية ذات الارتباط السيادي وبرنامج Novartis للوصول المُدار العالمي (gMAP) في

حالات مختارة؛ هذه محادثة مع المؤسسة المعالِجة وليست محادثة مع Reserve Meds. الدفع النقدي هو الوضع التشغيلي الافتراضي. تُقدِّم Reserve Meds عرض سعر ثابتاً شفافاً مع عرض كل بند منفصلاً.

الجدول الزمني المعتاد لـ Zolgensma في المملكة العربية السعودية

الطبقة التنظيمية لدى SFDA لتقديم Zolgensma اعتيادي في مؤسسة كبرى تستغرق 10 إلى 21 يوم عمل؛ والحالات المعقدة لأول مرة تمتدّ من 6 إلى 10 أسابيع. بالنسبة لـ Zolgensma تحديداً، تنضغط كل طبقة تشغيلية لأن نافذة الأهلية السريرية تُغلق. تُهيّئ Reserve Meds مسبقاً شاحن السلسلة الباردة بالتبريد العميق، ووثائق الجمارك، وتأكيد جاهزية الجرعة لدى المؤسسة المستلِمة، بالتوازي مع تقديم SFDA لا بالتتابع، بحيث ينزل الضخّ بأسرع ما تسمح به الطبقتان التنظيمية والسريرية. ويُحدّد بروتوكول الكورتيكوستيرويدات حول الضخّ لمدة 30 يوماً (الذي يُمدَّد عدة أشهر إذا ظلّت إنزيمات الكبد مرتفعة) ونافذة المراقبة المكثفة لمدة ثلاثة أشهر القوسَ السريرية ما بعد الضخّ.

ما الذي يحتاج طبيبك إلى تقديمه

خطاب المبرر السريري، الموقّع من طبيب أعصاب أطفال معالج يحمل ترخيصاً نافذاً من SCFHS، يتناول التشخيص مع ترميز ICD-10 (G12.0 أو G12.1 بحسب نمط SMA)، والتأكيد الوراثي للطفرات في كلا أليلي SMN1 (عادةً حذف SMN1 المتماثل اللواقح أو طفرة الزيجوت غير المتجانس المُركَّبة)، وعدد نسخ SMN2، وعمر المريض ووزنه في موعد الضخّ المقترح، ونتيجة عيار الأجسام المضادة لـ AAV9 (يجب أن تكون 1:50 أو أقل بـ ELISA مُؤهَّل)، وأي علاج جسري سابق بـ Spinraza أو Evrysdi، وخطة الجرعات المقترحة. جرعة ملصقة إدارة الغذاء والدواء الأمريكية ضخة وريدية واحدة بمقدار 1.1 × 10^14 جينوماً ناقلاً لكل كيلوغرام من وزن الجسم، تُعطى على مدى 60 دقيقة تقريباً.

تشير خطة المراقبة إلى متطلبات ملصقة إدارة الغذاء والدواء الأمريكية: وظائف الكبد (ALT، AST، البيليروبين الكلّي، زمن البروثرومبين) قبل الضخّ وأسبوعياً للشهر الأول، ثم كل أسبوعين عبر الشهرين الثاني والثالث. وتُراقَب أعداد الصفيحات والتروبونين I أسبوعياً للشهر الأول ثم كل أسبوعين عبر الشهر الثالث. تُقيَّم علامات اعتلال الأوعية الدقيقة التخثُّري سريرياً. ويُعدّ بروتوكول الكورتيكوستيرويدات الإلزامي حول الضخّ (بريدنيزولون فموي أو ما يعادله بـ 1 ملغ/كغ/يوم، يُبدأ قبل الضخّ بـ 24 ساعة ويُستمَرّ لمدة لا تقل عن 30 يوماً، مع تمديد بحسب وظائف الكبد وحكم الطبيب) جزءاً من خطة الجرعة، لا وصفة منفصلة.

يُعدّ التحذير في إطار أسود للإصابة الكبدية الحادة الخطيرة والفشل الكبدي الحادّ، مع تقارير عن نتائج مميتة، محتوى أمنياً جوهرياً في محادثة الموافقة وملف الحالة. وتُؤكَّد قدرة ضخّ العلاج الجيني في المؤسسة المستلِمة ودعم الرعاية الحرجة للأطفال قبل اكتمال الطبقة التنظيمية.

أسئلة شائعة حول Zolgensma في المملكة العربية السعودية

هل يُغطّى Zolgensma من بوبا العربية أو التعاونية أو ميدغلف؟ تتعامل كل خطة مع العلاج الجيني للأطفال حالةً بحالة، وسعر القائمة البالغ 2.125 مليون دولار أمريكي يتجاوز السقف لكل مريض في معظم الخطط التجارية. قد تنطبق المسارات المؤسسية ذات الارتباط السيادي وبرنامج gMAP من Novartis في حالات مختارة. الدفع النقدي هو الوضع التشغيلي الافتراضي.

ما التحذير في إطار أسود؟ تحمل ملصقة إدارة الغذاء والدواء الأمريكية تحذيراً في إطار أسود للإصابة الكبدية الحادة الخطيرة والفشل الكبدي الحادّ، مع تقارير عن نتائج مميتة. بروتوكول الكورتيكوستيرويدات حول الضخّ محوريّ لإدارة السلامة. واليقظة مدى الحياة والالتزام بجدول المراقبة ما بعد الضخّ جزء من التزام الوالدين.

كيف يعمل اختبار عيار الأجسام المضادة لـ AAV9؟ يُقاس عيار الأجسام المضادة الرابطة المضادة لـ AAV9 عند الأساس بـ ELISA مُؤهَّل قبل الضخّ. عتبة الأهلية 1:50 أو أقل. ويمكن أحياناً إعادة اختبار المرضى ذوي العيارة الأعلى بعد فترة انتظار، وتكون العيارة لدى الأطفال الصغار منخفضة عادةً. ونتيجة العيار جزء من الملف التنظيمي.

لماذا Zolgensma مقابل Spinraza أو Evrysdi؟ Zolgensma هو الوحيد الذي يُعطى لمرة واحدة في الفئة. وبالنسبة للعائلات التي تسعى إلى تدخّل واحد بدلاً من علاج مدى الحياة، لا سيما مع رضيع قبل ظهور الأعراض مُحدَّد عبر فحص حديثي الولادة أو رضيع من النمط 1 في عرض مبكر، تكون الحجة لـ Zolgensma الأقوى. Spinraza داخل القراب ومزمن؛ وEvrysdi فموي ومزمن. القرار السريري بيد طبيب أعصاب الأطفال المعالج.

هل يمكن دمج Zolgensma مع Spinraza أو Evrysdi؟ الدمج مع risdiplam (الفموي) كعلاج جسري خلال لوجستيات ما قبل الضخّ ممكن سريرياً بالتنسيق مع فريق طب أعصاب الأطفال المعالج، وإن بقيت قرارات الوصف لدى الطبيب.

ما السرعة التي يمكن أن تتحرّك بها الحالة؟ الطبقة التنظيمية لدى SFDA في مؤسسة كبرى تستغرق 10 إلى 21 يوم عمل للحالات الاعتيادية. تُهيّئ Reserve Meds مسبقاً شاحن السلسلة الباردة بالتبريد العميق، ووثائق الجمارك، وتأكيد جاهزية الجرعة لدى المؤسسة المستلِمة، بالتوازي لا بالتتابع لضغط النافذة من الطرف إلى الطرف. وساعة الأهلية هي القيد الأساسي.

أين تتموضع Reserve Meds في حالات Zolgensma

Reserve Meds منسّق خدمة متميزة مقره الولايات المتحدة. بالنسبة لاستفسار Zolgensma من عائلة سعودية، الوحدة التشغيلية هي استقبال سريع مقابل ساعة سريرية حرجة التوقيت، والتوريد على الجانب الأمريكي عبر قناة Novartis Gene Therapies المباشرة، وإعداد شاحن السلسلة الباردة بالتبريد العميق المُؤهَّل، والتخليص الجمركي المسبق، والمصافحة مع المؤسسة المعالِجة المستلِمة لإعداد الجرعة الخاصة بوزن المريض في يوم الضخّ. تبقى القرارات السريرية مع فريق طب أعصاب الأطفال المعالج. وتبقى الجهة التنظيمية SFDA. ويبقى الصرف لدى مركز التخصص السعودي للأطفال المرخَّص.

ما تحمله Reserve Meds: استقبال مُعَلَّم لمراجعة المنسّق المُسرَّعة مقابل ساعة الأهلية، والتحقق على جانب التوريد من قدرة المركز المعتمد في بلد الوجهة قبل إصدار أي عرض سعر ثابت، وشواحن مُؤهَّلة بالتبريد العميق (الثلج الجاف أو الطور البخاري للنيتروجين السائل) مع المراقبة المستمرة لدرجة الحرارة، ووثائق التخليص الجمركي المسبق، ومسؤول حالة واحد مُسمَّى يبقى مع العائلة عبر الضخّ ونافذة المراقبة المكثفة لمدة ثلاثة أشهر. التحذير في إطار أسود للإصابة الكبدية الحادة إفصاح إلزامي في كل ملخّص يواجه المريض؛ يقع في المادة العلنية، لا مدفوناً في الحروف الصغيرة. محفوظ لكم.

الخطوة التالية

إذا كانت عائلتك تدرس Zolgensma في المملكة العربية السعودية لطفل دون عمر سنتين مصاب بالضمور العضلي الشوكي، فإن الخطوة الأولى هي استقبال منسَّق سريع يؤكّد الأهلية، وملاءمة المركز المعالِج، وعرض سعر ثابتاً شفافاً. يُعبّئ طلب قائمة الانتظار السياقَ ذا الصلة مسبقاً بحيث يكون المنسّق الذي يتواصل معك على دراية بحالتك بالفعل.

محفوظ لكم.

ذات صلة

- المرجع السريري لـ Zolgensma
- Spinraza في المملكة العربية السعودية
- Zolgensma في الإمارات العربية المتحدة
- صفحة المملكة العربية السعودية

المصادر

1. ملصقة إدارة الغذاء والدواء الأمريكية، Novartis Gene Therapies، Zolgensma (onasemnogene abeparvovec-xioi)، اعتماد مايو 2019؛ التحذير في إطار أسود للإصابة الكبدية الحادة.
2. الهيئة العامة للغذاء والدواء، سجل التسجيل الخاص بـ Zolgensma؛ بوابة SFDA على sfda.gov.sa.
3. تكلفة الاستحواذ بالجملة الأمريكية لـ Novartis 2.125 مليون دولار أمريكي لدورة الجرعة الواحدة؛ تجارب STR1VE وSPR1NT المحورية لـ onasemnogene abeparvovec.

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: 12-05-2026.