HERMS WHITE PAPER | NOVEMBER 2026

Terapia Gene 2026 Da rottura all'accesso del paziente del Golfo

Approvazioni, cambiamenti tecnologici, cambiamenti normativi e le prove da guardare, con un quadro di prontezza per i sistemi sanitari e gli sviluppatori GCC.

HERMS Consulenza DMCC

Dubai, Emirati Arabi Uniti | hermsglobal.com

HERMS Consulenza DMCC | Dubai, Emirati Arabi Uniti | info@hermsglobal.com | www.hermsglobal.com

EX EC U TIV E SU M M A RY

2026 è che la terapia genica dell'anno è diventata un sistema, non un

eccezione

Approvazioni, modifica del gene in-corpo e nuovi modelli di pagamento stanno muovendo la terapia genica da

scoperte isolate a una categoria di trattamento ripetibile. Sistemi sanitari GCC che preparano

ora consegnerà queste terapie a pazienti anni prima.

2,257

Terapie geniche

sviluppo, Q3 20261

62

terapie geniche in Fase

III1

11

Terapie geniche depositate,

in attesa di approvazione1

49

Terapie geniche approvate

in tutto il mondo1

Cinque risultati

Approvazioni sono ampliando. In 2026 la FDA ha approvato nuove terapie geniche per il sistema immunitario

carenza, perdita dell'udito genetica, malattia di stoccaggio di glicogeno, sindrome di Sanfilippo e melanoma, e

esteso Casgevy a bambini con malattia delle cellule solletiche di età superiore a due anni.2–6

La prima prova di fase III di una terapia CRISPR in vivo è riuscita,

e la prima modifica è stata utilizzata direttamente in un paziente per la prima volta.9,11

I regolatori si adattano alle terapie personalizzate. La bozza di guida della FDA consente una licenza per coprire

molteplici varianti di eliminazione genica specifica del paziente senza nuove sperimentazioni cliniche per ciascuna.8

Il CMS sta estendendo gli accordi basati sui risultati per le cellule

e terapie geniche al di là della malattia delle cellule solletiche.8

Il Golfo è già una regione di terapia genica. Bahrain, Arabia Saudita e Emirati Arabi Uniti hanno approvato

Casgevy e Abu Dhabi lo hanno somministrato a un paziente per la prima volta nel mese di gennaio 2026.20–23

HERMS view. Il fattore limitante per i pazienti del Golfo non è più l'esistenza di terapie.

prontezza: percorsi normativi, centri di trattamento qualificati, logistica cellulare e vettoriale, a lungo termine

pagamento sostenibile e di follow-up. Ogni mese di ritardo comporta costi clinici per i pazienti con

malattia genetica progressiva.

HERMS Libro bianco · Terapia Gene 2026

2

SEC TION 1

L'onda di approvazione 2026

Le approvazioni della terapia genetica in 2026 si sono diffuse in aree di malattia, percorsi di consegna e gruppi di età.

Molti sono trattamenti di prima qualità per la loro condizione, e uno è il primo dual-vector terapia AAV.

Prodotto

Indicazione

Tecnologia

Approvazione degli Stati Uniti

Kresladi

(marnetegragene)

autotemcel)

Deficienza dell'adesione del leukocyte tipo I in

bambini; prima terapia genica per la condizione2

Ex vivo,

stelo modificato

celle

26 2026

Otarmeni (lunsotogene)

parvec), Regeneron

Perdita dell'udito grave-profonda causata da

varianti bialleliche OTOF; primo gene vettoriale dual-AAV

terapia3

AAV1, iniettato

nella coclea

23 Apr 2026

Casgevy

(exagamglogene)

autotemcel), etichetta

espansione

Malattia cellulare falce nei bambini di età inferiore a 2 anni e

vecchio4

CRISPR

1 Jul 2026

Genglycos

(paesaglasgene)

Brecaparvovec)

Malattia di stoccaggio di glycogen tipo Ia, invecchiato 8 e più vecchio;

approvazione accelerata per ridurre l'amido di mais giornaliero

uso5

AAV, fegato...

diretto

19 Aug 2026

Fayuvi (rebisufligene)

etisparvovec)

Sindrome di Sanfilippo tipo A (MPS IIIA) nei bambini;

primo trattamento approvato6

AAV

17 Sep 2026

Tudriqev

(Studio)

oderparepvec),

Retribuzione

Melanoma1

Genere oncolitico

terapia

Q3 2026

DNA plasmide

immunoterapia

Papillomatosi respiratoria ricorrente negli adulti; prima

immunoterapia basata sul DNA plasmide7

DNA plasmide

30 Ott 2026

In rassegna: decisioni dovute in 2027

Terapia

Indicazione

Stato

Lonvo-z (lonvoguran)

ziclumeran), Intellia

Angioedema ereditario

Prima terapia CRISPR in vivo depositata; decisione FDA

a causa di 10 Marzo 202710

AMT-130, uniQure

Malattia di Huntington

Accettato con la revisione prioritaria sotto accelerato

approvazione; data di destinazione 1 maggio 2027, consulenza

comitato pianificato15

La maggior parte delle approvazioni 2026 mirano a malattie genetiche rare, gravi, infantili, senza precedenti

trattamento. L'età dei pazienti idonei sta cadendo, che aumenta l'importanza della diagnosi precoce

e screening genetico neonato o prematrimoniale.

HERMS Libro bianco · Terapia Gene 2026

3

SEC TION 2

La pipeline: dove lo sviluppo è concentrato

La pipeline di terapia genica ha raggiunto 2,257 programmi in Q3 2026, in su da 2,128 un anno prima.

aumento in ogni fase, tranne la pre-registrazione tra Q2 e Q3 2026.1

Condotto di terapia genetica per fase di sviluppo, Q3 2026

Preclinico

1,355

Fase I

437

Fase II

392

Fase III

62

Pre-registrazione

11

Fonte: ASGCT / Citeline Gene, Cell & RNA Therapy Landscape Report, Q3 2026.1

Condotto di terapia genetica per area terapeutica (programmi), Q3 2026

Anticancro

1,142

Malattia rara

1,101

Neurologia

270

Sensore

204

Immunologia

197

Le aree terapeutiche non sono reciprocamente esclusive. Fonte: ASGCT Q3 2026.1

L'oncologia

L'oncologia rappresenta 54% di rara dissoluzione

Terapie geniche nella pipeline e 65% di

quelli in studi clinici. Il più comune

obiettivi sono il mieloma, non-Hodgkin's

linfoma e linfoma B-cell.1

Oltre la malattia rara

Tra le terapie geniche per comuni

condizioni, tumori solidi (379 programmi)

e malattia autoimmune (118) sono i più

bersagli frequenti.1 L'abbassamento del lipido in vivo

anche la modifica sta avanzando.14

HERMS Libro bianco · Terapia Gene 2026

4

SEC TION 3

Cambiamento tecnologico: la modifica si muove all'interno del corpo

Terapie generate dal gene di prima generazione, come Casgevy, modificano le cellule staminali di un paziente al di fuori del corpo

e bisogno di condizionamento chemioterapia e cura del trapianto. Il 2026 dati clinici mostrano la modifica

consegnato direttamente nel corpo, tipicamente al fegato, come un'unica infusione.

Approccio

2026 miglio

Perché è importante

CRISPR in vivo

Lonvo-z ha incontrato il suo primario e secondario

endpoints in un paziente 80, randomizzato,

doppio cieco Fase III prova in ereditaria

angioedema.9

La prima fase III prova che un unico, un corpo

la modifica del gene può sostituire la terapia cronica.

Montaggio di base

Beam aveva dosato 38 pazienti con in vivo

editor base BEAM-302 per alpha-1

carenza di antitripsina da agosto 2026.13

Cambia le singole lettere del DNA senza tagliare

entrambi i fili.

Prime editing

Primo uso conosciuto di prima editing direttamente

all'interno di una persona, nella fase di Prime Medicine

1/2 prova di PM577a per la malattia di Wilson.11,12

Può correggere una più ampia gamma di mutazioni con

alta precisione.

Disegno comune

modifica della modifica

CRISPR TCX310 (ANGPTL3)

Riduzioni profonde e durevoli prodotte

trigliceridi e colesterolo LDL.14

Estende l'editing genico da raro a alto

malattia cardiometabolica di prevalenza.

AAV multi-vector

Otarmeni divenne il primo vettore dual-AAV

terapia genetica approvata.3

Fornisce geni troppo grandi per un singolo AAV

vettore.

La sicurezza rimane il vincolo centrale

Recensioni della terapia genica AAV descrivono un chiaro legame tra dose sistemica e tossicità, tra cui

risposte immunitarie contro il capside, il peso del fegato e l'attivazione di complemento che può portare a

microangiopatia trombotica.19 Questi rischi modellano la selezione della dose, protocolli di immunosoppressione, paziente

il monitoraggio e la capacità clinica necessaria nei centri di trattamento.

Implicazione per i fornitori. Le terapie in vivo possono ridurre la necessità di trapianto

infrastrutture, ma richiedono ancora infusione specialistica, gestione acuta della sicurezza e multianno

Seguito.

HERMS Libro bianco · Terapia Gene 2026

5

SEC TION 4

Il regolamento e il pagamento sono stati ricostruiti

FDA: un framework per l'editing di geni individualizzato

Su 27 Ottobre 2026 la FDA ha emesso bozza di guida, Individualized Genome Human Editing Products:

Considerazioni per la gestione della sottomissione e dell'omologazione BLA.8

Un'applicazione di licenza può coprire più varianti specifiche del paziente di un prodotto di eliminazione genica.

Uno spazio di funzionalità individualizzato imposta i confini all'interno dei quali un prodotto può variare tra

pazienti.

Nuove varianti all'interno di tali confini possono essere aggiunte utilizzando i dati di laboratorio, senza nuove sperimentazioni cliniche.

La guida riguarda anche la produzione, i test di sicurezza per i cambiamenti genetici non previsti, la denominazione e etichettatura.

Su 2 Novembre 2026 la FDA ha anche pubblicato la guida sulla garanzia di potenza per la terapia cellulare e genica prodotti, un requisito di qualità di produzione di nucleo.7

CMS: accesso basato sui risultati al di là della malattia delle cellule solletiche

CMS ha annunciato che amplierà il suo Cell and Gene Therapy Access Model oltre la malattia delle cellule solletiche.

CMS negozia accordi basati sui risultati con i produttori per conto di stato Medicaid

La sua prima valutazione ha rilevato che la negoziazione in pool ha ridotto l'onere amministrativo dello Stato e

rafforzato leva negoziale.8

Quali regolatori GCC possono adottare

Affidabilità all'agenzia di riferimento

valutazioni per una revisione più rapida.

Piattaforma e approcci basati sulle varianti

per terapie personalizzate.

Potenza e comparabilità chiare

aspettative per i prodotti importati.

Quali pagamenti GCC possono adottare

Accordi basati sui proventi collegati

risposta duratura.

Contrattazione congiunta o connessa tra emirati

o stati GCC.

Pagamenti di rate allineati con multi-

Seguono l'anno.

SEC TION 5

Prova a guardare

Terapia e sponsor

Indicazione

Fase

Ultimo aggiornamento

AMT-130, uniQure

Malattia di Huntington

Sotto FDA

recensione

Analisi prioritaria, obiettivo 1 maggio 202715

Lonvo-z, Intellia

Angioedema ereditario

Sotto FDA

recensione

Fase positiva III HAELO; decisione

10 20279,10

OCU410, Ocugen

Atrofia geografica (asciutto

AMD)

Fase III

(ArmaDa3)

Dosaggio del primo paziente; Fase 2 mostrata

31% minore crescita della lesione rispetto al controllo16

Elevidi

(Delandistrogene)

Moxeparvovec)

Duchenne muscolare

distruzionismo

Fase III

EMBARK

Seguito di tre anni pubblicato17

PM577a, Prime Medicine

Malattia di Wilson

Fase 1/2

Primo paziente in vivo di prime-editing

dosato12

BEAM-302, Beam

Alfa-1 antitrypsin

carenza

Clinica

38 pazienti somministrati da Aug 202613

CTX310, CRISPR

Terapeutica

Severe

ipertrigliceridiemia,

cresciuto LDL

Fase 1a

Riduzioni lipidi durevoli; RMAT

designazioni14,24

Terapia di Kamau

Malattia cellulare solletica

Clinica primitiva

I primi dati da modificazione genica rinnovata

terapia a ASH 202618

Malattia cellulare solletica, malattie metaboliche ereditate e del fegato, udito ereditario

la perdita e la malattia retina sono tutti rappresentati in questa pipeline. Queste sono condizioni con significativo

Prevalenza nelle popolazioni del Golfo e dell'Arabia.

HERMS Libro bianco · Terapia Gene 2026

7

SEC TION 6

L'immagine GCC: adottivi anticipati con alto bisogno

Il Golfo ha già dimostrato che può muoversi rapidamente. Il Bahrain è diventato il secondo paese del mondo, e il primo in Medio Oriente, per approvare Casgevy in dicembre 2023.21 Arabia Saudita lo ha approvato a gennaio 2024 come primo medicinale valutato attraverso il programma di medicina di rottura di SFDA20 Abu Il Dipartimento di Salute di Dubai ha introdotto Casgevy nel mese di marzo 2025, e il primo paziente degli Emirati Arabi Uniti è stato trattato a Yas Clinic a gennaio 2026.22,23 Casgevy da allora è stato approvato negli Emirati Arabi Uniti e Bahrain per i bambini invecchiato due e più vecchio.24

La necessità è sostanziale

In Arabia Saudita, la prevalenza di tratti cellulari di falce varia da 2% a 27% per regione, fino a 2.6% avendo malattia delle cellule solletiche in alcune aree.25

Il programma nazionale di screening prematrimoniale dell'Arabia Saudita ha individuato 4.5% di quelli esaminati come vettori o casi di malattia delle cellule solletiche, e 1.8% per beta-talassemia, nei suoi primi sei anni.26

Fondamenti normativi in atto

L'Arabia Saudita offre percorsi standard, frenati e di verifica che possono essere applicati a avanzati terapie, a seconda delle approvazioni di riferimento-agenzia.27

Negli Emirati Arabi Uniti, il remit federale di Emirates Drug Stabiliment copre le cellule staminali e geneticamente organismi modificati, accanto a farmaci e dispositivi.28

Le lacune rimanenti

Gap

Effetto sui pazienti

Centri di trattamento qualificati

Pochi siti possono fornire editing ex vivo, quindi i pazienti possono aspettare o viaggiare.

Logistica cellulare e vettoriale

La spedizione criogenica, i permessi di importazione e la catena di identità aggiungono tempo e rischio.

Diagnosi e rinvio

I pazienti idonei senza genotipo confermato o referral non vengono mai valutati.

Modelli di pagamento

Le terapie ad alto costo di una volta estendono i bilanci annuali senza risultati basati o modelli di instalmento.

Seguito a lungo termine

Il monitoraggio della sicurezza pluriennale ha bisogno di registri e farmacovigilanza progettata

per eventi ritardati.

HERMS Libro bianco · Terapia Gene 2026

8

SEC TION 7

Il HERMS Quadro di prontezza della terapia genetica

HERMS valuta il mercato e la prontezza istituzionale per la terapia genica attraverso otto pilastri.

deve essere in atto prima che una terapia possa raggiungere i pazienti in modo affidabile e sicuro.

1. Percorso regolamentare

Selezione della rotta (standard, affidabilità, progresso),

allineamento dei dossier con le approvazioni di riferimento, ciclo di vita

piano di variazione.

2. Titolo del centro di trattamento

Siti accreditati, squadre addestrate, apheresis e

capacità di infusione, gestione della tossicità acuta.

3. Logistica e catena di identità

Spedizioni criogeniche, permessi di importazione, dogana, end-to-

tracciabilità finale dalle cellule del paziente all'infusione.

4. Identificazione del paziente

Proiezione, conferma genetica, percorsi di riferimento

e criteri di ammissibilità.

5. Farmacia

Piani di gestione del rischio, QPPV locale, rilevamento del segnale

per eventi avversi ritardati e rari.

6. Seguito a lungo termine

Registri e sistemi di dati per l'efficacia pluriennale

e monitoraggio della sicurezza.

7. Valore e pagamento

Evidenze economiche sulla salute, basate sui risultati

accordi, ratamenti e acquisti in comune

modelli.

8. La governance delle prove

Registrazioni tracciabili, percorsi di audit e

segno umano responsabile per ogni conseguente

decisione.

Raccomandazioni

Per gli sviluppatori

Pianificare i file GCC insieme a FDA e EMA

non dopo di loro.

Utilizzare i percorsi di dipendenza in cui ammissibili.

Qualificare almeno un trattamento regionale

centro prima del lancio.

Proporre il pagamento basato sui risultati da

l'inizio.

Per le autorità e i pagamenti

Pubblicare una chiara guida di terapia avanzata

e tempistiche.

Accordi pilota basati sui risultati per

emoglobinopatie.

Collegare la proiezione prematrimoniale e neonato a

percorsi di riferimento.

Costruire i registri nazionali della terapia genica.

HERMS Libro bianco · Terapia Gene 2026

9

SEC TION 8

Come HERMS supporta l'accesso alla terapia genica

HERMS lavora con sviluppatori, autorità sanitarie e fornitori per accorciare il tempo dall'approvazione globale

all'accesso dei pazienti del Golfo.

Strategia regolamentare: valutazione del percorso, preparazione dei dossier e gestione della presentazione

Autorità della GCC.

Valutazioni di disponibilità: valutazione strutturata contro il quadro a otto pilastri per i mercati e

centri di trattamento.

Accesso al mercato: fascicoli di valore, analisi di bilancio e progettazione di accordi basati sui risultati.

Farmacovigilanza: servizi locali QPPV, piani di gestione del rischio e sistemi di follow-up a lungo termine.

Prove governate: intelligenza tracciabile con responsabilità umana per ogni decisione.

Richiedi una valutazione della prontezza della terapia genica. info@hermsglobal.com · +971 55 600 8944 ·

www.hermsglobal.com

Riferimenti

1. ASGCT / Citelina. Gene, Cell, & RNA Therapy Landscape Report, Q3 2026.
https://www.asgct.org/uploads/files/general/ASG

CT-Q3-2026-Landscape-Report-Final.pdf

2. FDA. FDA approva la prima terapia genetica per la carenza di adesione di Leukocyte Severe Tipo I.
https://www.fda.gov/news-events/

comunicati stampa/fda-approve-first-gene-terapia-severe-leukocyte-adhesion-deficiency-type-i

3. FDA. FDA approva la terapia genetica di prima generazione per la perdita dell'udito genetica.
https://www.fda.gov/news-events/press-announceme

nts/fda-approve-first-ever-gene-trattamento-genetic-he-hearing-loss-under-national-priority-voucher

4. FDA. FDA approva la prima terapia genetica per i bambini giovani con malattia cellulare solletica.
https://www.fda.gov/news-events/press

- annunci/fda-approve-first-gene-therapy-young-children-sickle-cell-disease

5. FDA. FDA approva la prima terapia per Glycogen Storage Disease Type Ia.
https://www.fda.gov/news-events/press-announcem

ents/fda-approves-first-therapy-patients-aged-8-year-and-older-glycogen-storage-disease-type-ia

6. FDA. FDA approva la prima terapia genetica per i pazienti pediatrici con Sindrome di Sanfilippo tipo A.
https://www.fda.gov/news-e

vent/premi-annunziamenti/fda-approve-primo-gene-terapia-pediatrico-pazienti-sanfilippo-syndrome-tipo

7. FDA. Cosa c'è di nuovo per i biologici.
https://www.fda.gov/vaccines-blood-biologics/news-events-biologics/whats-new-biologics

8. HHS. FDA e CMS annunciano nuovi passi per avanzare terapie genetiche e l'accesso all'espand, 27 Ott 2026.
https://www.hhs.go

v/premi-stanza/fda-cms-advance-gene-terapies-rara-diseas-patient-access.html

9. NEJM. Lonvoguran Ziclumeran: In Vivo CRISPR Gene Editing in Angioedema ereditario.
https://www.nejm.org/doi/abs/10.105

6/NEJMoa2600931

10. Life Science Daily. In Vivo Gene Modifica: Che cosa mostra i dati clinici ora.
https://lifesciencedaily.news/in-vivo-gene-editi

ng-clinical-data/

11. Natura. Una prima per CRISPR: la prima modifica altera il DNA direttamente nel corpo umano.
https://www.nature.com/articles/d41586-026-

03371-x

12. Technology.org. Prime Editing Usato dentro un paziente per la prima volta.
https://www.technology.org/2026/10/23/prime-editing-first

-in-corpo-paziente-wilson-disease-pm577a/

13. Tracciatore di editing Gene: approvazioni, prove e contrattempi. https://contentlora.com/events/gene-editing-tracker

14 . CRISPR Terapeutica. Fase 1 a Dati per CTX 310 , 28 Agosto 2026 . https://ir.crisprtx.com/node/15151/pdf

15. BioPharm International. FDA accetta unaiQure's Disease Gene Therapy BLA per la priorità Recensione. https://www.biop

harminternational.com/view/fda-accepts-uniqure-s-huntington-s-disease-gene-therapy-bla-for-priority-review

16. CGTLive. Ocugen Doses Primo paziente in fase 3 Trial of OCU410 per GA.
https://www.cgtlive.com/view/ocugen-doses-first-p

atient-phase-3-trial-ocu410-ga

HERMS Libro bianco · Terapia Gene 2026

10

17. PubMed. Seguito di tre anni di Delandistrogene Moxeparvovec in DMD: EMBARK.
https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/42944

976/

18. Endpoints News. Kamau condivide i primi dati dalla terapia di modifica del gene delle cellule solletiche rinnovate.
https://endpoints.news/kamau-share

s-first-data-from-revamped-sickle-cell-gene-editing-therapy/

19. PMC. Sicurezza dei vettori virali associati Adeno in Terapia Gene.
https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC13256615/

20. Vertex. Approvazione di CASGEVY nel Regno dell'Arabia Saudita.
https://investors.vrtx.com/news-releases/news-release-detail

s/vertex-annuncia-omologazione-primocrisprcas9-gene-edited-therapy

21. GlobeNewswire. CASGEVY ottiene l'approvazione del Bahrain, 2 Dec 2023.
https://www.globenewswire.com/news-release/2023/12/02/

2789644/0/en/CASGEVY-Gets-Bahrain-approva-for-treatment-marking-it-second-country-in-the-world.html

22. Dipartimento di Salute – Abu Dhabi. Introduzione della terapia di eliminazione genica per SCD e thalassemia.
https://www.doh.gov.ae/en/

notizie/doh-and-ascc-introduce-terapia-per-scd-e-thalassemia

23. La clinica nazionale. Abu Dhabi utilizza la terapia genica per il trattamento dei disturbi del sangue in UAE prima, 6 Jan 2026.
https://www.thenationalne

ws.com/news/uae/2026/01/06/abu-dhabi-clinic-uses-life-change-gene-therapy-to-treat-blood-disorders-in-ua e-first/

24. CRISPR Terapeutica. Aggiornamento di affari e risultati del terzo trimestre.
https://ir.crisprtx.com/news-releases/news-release-details/c

rispr-therapeutics-provides-business-update-and-reports-terzo-7/

25. PMC. Epidemiologia della malattia delle cellule solletiche in Arabia Saudita.
https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC3119971/

26. PMC. Esito di sei anni del programma nazionale di screening prematrimoniale e consulenza genetica.
https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/art

Icles/PMC3119961/

27. PMC. Medicinali di terapia avanzata in Arabia Saudita.
https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC13524764/

28 . Emirates Drug Stabilimento. Su di noi. https://www.ede.gov.ae/en/home

Questo documento bianco è solo per informazioni e non costituisce consulenza medica, legale o regolamentare.

fonti disponibili su 5 Novembre 2026; verificare lo stato attuale con l'autorità competente prima di agire. © 2026 HERMS

Consulenza DMCC.

Indice del soggetto

Selezionare un argomento per andare alla sua sezione in questo white paper.

Accesso ai pazienti GCC

Approvazioni della terapia genetica

Studi clinici di terapia genetica

Conduttura di terapia genetica

Quadro di prontezza della terapia genetica

Modifica del gene in vivo

Regolamento e pagamento basato sui risultati

Risorse correlate HERMS

Prontezza della terapia cellulare e genica nel GCC

GCC farmaceutica prezzi e strategia di accesso al mercato

GCC obblighi di farmacovigilanza per i titolari di autorizzazione all'immissione in commercio

Registrazione del prodotto farmaceutico UAE

Contatto HERMS

Riferimenti collegati e lettura

https://contentlora.com/events/gene-editing-tracker

https://endpoints.news/kamau-shares-first-data-from-revamped-sickle-cell-gene-editing-therapy/

https://investors.vrtx.com/news-releases/news-release-details/vertex-announces-approval-first-crisprcas9-gene-edited-therapy

https://ir.crisprtx.com/news-releases/news-release-details/crispr-therapeutics-provides-business-update-and-reports-third-7/

https://ir.crisprtx.com/node/15151/pdf

https://lifesciencedaily.news/in-vivo-gene-editing-clinical-data/

https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC13256615/

https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC13524764/

https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC3119961/

https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC3119971/

https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/42944976/

https://www.asgct.org/uploads/files/general/ASGCT-Q3-2026-Landscape-Report-Final.pdf

https://www.biopharminternational.com/view/fda-accepts-uniqure-s-huntington-s-disease-gene-therapy-bla-for-priority-review

https://www.cgtlive.com/view/ocugen-doses-first-patient-phase-3-trial-ocu410-ga

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

https://www.ede.gov.ae/en/home

https://www.fda.gov/news-events/press-announcements/fda-approves-first-ever-gene-therapy-treatment-genetic-hearing-loss-under-national-priority-voucher

https://www.fda.gov/news-events/press-announcements/fda-approves-first-gene-therapy-pediatric-patients-sanfilippo-syndrome-type

https://www.fda.gov/news-events/press-announcements/fda-approves-first-gene-therapy-severe-leukocyte-adhesion-deficiency-type-i

https://www.fda.gov/news-events/press-announcements/fda-approves-first-gene-therapy-young-children-sickle-cell-disease

https://www.fda.gov/news-events/press-announcements/fda-approves-first-therapy-patients-aged-8-years-and-older-glycogen-storage-disease-type-ia

https://www.fda.gov/vaccines-blood-biologics/news-events-biologics/whats-new-biologics

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.hhs.gov/press-room/fda-cms-advance-gene-therapies-rare-diseases-patient-access.html

https://www.nature.com/articles/d41586-026-03371-x

https://www.nejm.org/doi/abs/10.1056/NEJMoa2600931

https://www.technology.org/2026/10/23/prime-editing-first-in-body-patient-wilson-disease-pm577a/

https://www.thenationalnews.com/news/uae/2026/01/06/abu-dhabi-clinic-uses-life-changing-gene-therapy-to-treat-blood-disorders-in-uae-first/