HERMS WHITE PAPER | NOVEMBER 2026

遺伝子治療2026 遮断から湾岸患者アクセスまで

承認、技術シフト、規制変更、および試験の観点から、
GCCヘルスシステムと開発者のための準備フレームワーク。

HERMS コンサルタントDMCC

アラブ首長国連邦ドバイ,アラブ首長国連邦 | hermsglobal.com

HERMS コンサルティング DMCC | ドバイ、アラブ首長国連邦 | info@hermsglobal.com | www.hermsglobal.com

EX EC U TIV E SU M M A RY

2026 は、遺伝子治療がシステムにならず、

免責事項

承認、内部遺伝子編集、新決済モデルは、遺伝子治療をから動かす

繰り返し治療カテゴリに分離されたブレークスルー。準備するGCC健康システム

患者様への治療は、今後ますますますますますますますますますますますますますますますますますます。

2,257

遺伝子治療

開発、Q3 20261

62

フェーズにおける遺伝子治療

III1

11

遺伝子治療ファイル,

承認待ち1

49

遺伝子治療が承認される

ワールドワイド1

5件の検索結果

承認は広まっています。 2026で、米国FDAは免疫のための新しい遺伝子療法を承認しました

欠乏症、遺伝的難聴、グリコゲン貯蔵病、Sanfilippo症候群およびmelanoma、および

病気の細胞疾患を2歳以上の子供に拡張したカシェビ。2–6

編集は体内で動きました。最初のフェーズ III の試験で、in vivo CRISPR 療法が成功しました。

初めて患者様に直接プライム編集が用いられました。9,11

レギュレータは、パーソナライズされた療法に適応しています。 FDAのドラフトガイダンスは、1つのライセンスをカバーすることができます

複数の患者固有の遺伝子編集のバリアントを、それぞれ新しい臨床試験なし。8

支払いは結果にシフトされます。米国CMSは、セルの成果ベースの合意を拡張しています

細胞疾患を越えた遺伝子治療。8

ガルフは既に遺伝子治療領域です。バーレーン、サウジアラビア、UAEは承認済みです

アブダビ、アブダビは1月1日2026.20-23で初めて患者に投与しました。

HERMSビュー。 湾岸患者の限界因子は、もはや治療の存在ではありません。 それはあります

信頼性: 規制経路、認定処理センター、セルおよびベクトル物流、長期

フォローアップと持続可能な支払い。各月の遅延は、患者の臨床コストをとり、

プログレッシブ遺伝疾患。

HERMS ホワイトペーパー・遺伝子治療2026

2

SEC TION 1

2026 承認波

2026の遺伝子治療承認は、病気の領域、配送ルート、年齢グループ全体で普及しています。

いくつかのものは、その条件のための第一回治療であり、一つは最初のデュアルベクトルAAV療法です。

産品展示

インディケーション

テクノロジー

米国の承認

クレシュラディ

(マルネグラジェネ)

オートセル)

重度の白血球の付着の不足分のタイプIで

小児; 条件の最初の遺伝子治療2

Ex のヴィヴォ,

変更された茎

セルセル

26 3月 2026

小樽亭(ルーンソトゲン)

パベック、レジンロン

深刻な難聴を引き起こしたSevere-to-profound難聴

biallelic OTOFの変形;最初のデュアルAAVベクトル遺伝子

治療3

AAV1、注入される

コクレアに

23 4月 2026

キューシー

(exagamglogene) (exagamglogene)
(exagamglogene) (exagamglogene)
(exagam

autotemcelのラベル

拡張機能

高齢者の病気 2 年と

古い4

エクセプティブ・クリスPR

1 7月 2026

ゲングリコ

(パリグラス遺伝子)

ブレカパレボベック

グリコゲン貯蓄病タイプ Ia, 高齢者 8 以上;

毎日のコーンスターチを減らすための加速された承認

使用5

AAV、肝臓-

プロフィール

19 8月 2026

ファユヴィ (rebisufligene)

etisparvovecの

小児におけるSanfilippo症候群タイプA(MPS IIIA)。

第一次承認処置6

AAV

17 9月 2026

トゥドリケエフ

(vusolimogene) (vusolimogene)
(vusolimogene) (vusolimogene)
(vusoli

oderparepvec),

リプレンヌ

メラノーマ1

オコリティック遺伝子

治療療法

Q3 2026

プラシド DNA

免疫療法

大人の再発呼吸器papillomatosis;最初に

プラシドDNAベースの免疫療法7

プラシド DNA

30 10月 2026

レビューの下: 2027 による決定

セラピー

インディケーション

ステータス

Lonvo-z (ロンボグラン)

ziclumeran, インテルリア

遺伝性血管浮腫

最初にin vivo CRISPR療法ファイル; FDAの決定

による による 10 3月3日(日) 202710

AMT-130、ユニキュア

ハンティントン病

加速下で優先的に検討できる

承認; 対象日 1 5月 2027, アドバイザリー

委員会計画15

パターン。 ほとんどの 2026 承認対象はまれ、重度、小児期オンセットの遺伝的疾患は、前例のない

治療。 対象となる患者の年齢が低下し、早期診断の重要性を上げます。

そして新生児または前産遺伝的スクリーニング。

HERMS ホワイトペーパー・遺伝子治療2026

3

SEC TION 2

パイプライン:開発が集中する場所

遺伝子治療パイプラインが到達 2,257 Qのプログラム 3 2026 , から 2,128 年 前に. カウント

Q2とQ3の事前登録以外に、ステージごとに増加しました。 2026.1

開発段階による遺伝子治療パイプライン、Q3 2026

プレクライニング

1,355

フェーズI

437

フェーズII

392

フェーズIII

62

事前参加登録

11

出典: ASGCT/Citeline Gene、セル&RNA療法風景報告書、Q3 2026.1

治療領域(プログラム)、Q3による遺伝子治療パイプライン 2026

抗がん剤

1,142

まれな病気

1,101

神経科

270

センサー

204

免疫学

197

治療領域は相互に排他的ではありません。 ソース: ASGCT Q3 2026.1

腫瘍学のリード

希少疾患の 54% の腫瘍学アカウント

パイプラインと65%の遺伝子治療

臨床試験のそれら。最もよくある

ターゲットはmyeloma、非Hodgkin'sです

リンパ腫およびB細胞リンパ腫。1

希少疾患を超えて

一般的な遺伝子治療の中で

条件、固体腫瘍(379プログラム)

自己免疫疾患(118)は最も多く、

頻繁なターゲット。1 vivoで脂質低下

編集も進んでいます。14

HERMS ホワイトペーパー・遺伝子治療2026

4

SEC TION 3

技術のシフト: 編集は、体内で移動します

カスゲビのような第一世代の遺伝子編集療法は、身体の外側の患者の幹細胞を変更します

化学療法およびトランスプラントレベルのケアが必要です。 2026 臨床データショー編集

体に直接配信, 一般的に肝臓に, 単一の注入として.

アプローチ

2026 マイルストーン

なぜ重要なのか

ヴィヴォ・クリスPR

Lonvo-zは、そのプライマリとセカンダリに会った

80-patient, ランダム化,

ダブル・ブリンド・フェーズIII 遺伝学での試験

アンジオ浮腫。9

第1相III相は、ワンタイム、インボディの証拠

遺伝子の編集は慢性療法を取り替えることができます。

ベース編集

ビームは Vivo の患者 38 を線量しました

アルファ1のベースエディタBEAM-302

8月による抗トリプシン欠乏 2026.13

切断せずに単一のDNA文字を変更

両方のストランド。

プライム編集

直接プライム編集の最初の既知の使用

プライム・メディス・フェーズで、個人内で

1/2 ウィルソン病のPM577aの試験。11,12

より広い範囲の変異を修正することができます

高精度。

共通点

編集編集

CRISPRのTherapeutics' CTX310 (ANGPTL3)

深く、耐久の減少を作り出しました

トリグリセリドとLDLコレステロール。14

遺伝子の編集を希少から高まで拡張

病変性心筋腫症。

マルチベクタ AAV

初のデュアルAAVベクトルとなったオタメニ

遺伝子治療承認。3

遺伝子を1つのAAVに大きすぎて送る

ベクター。

安全は中心制約を残します

AAV遺伝子治療のレビューは、全身線量と毒性の明確なリンクを記述します。

キャピシド、肝臓の負担と補完的な活性化に対する免疫反応

thrombotic microangiopathy.19これらの危険は線量の選択、免疫抑制の議定書、忍耐を形作ります

処置の中心で要求される監視および臨床機能。

プロバイダーのインプリケーション。 ヴィヴォ療法では、移植レベルの必要性を減らすことができます

インフラは依然として専門家の注入、急性の安全管理および多年を要求します

フォローアップ。

HERMS ホワイトペーパー・遺伝子治療2026

5

SEC TION 4

規制および支払いは再構築されています

FDA:個人化された遺伝子編集のためのフレームワーク

2710月2026 FDAが発表したガイダンス、個別化されたヒトゲノム編集製品:

BLA提出と承認管理に関する検討。8

1つのライセンスアプリケーションは、遺伝子編集製品の複数の患者固有のバリアントをカバーすることができます。

個別化機能 スペースは、製品が異なる範囲をセットします

患者。

これら境界内の新しいバリアントは、新しい臨床試験なしで、実験室データを使用して追加することができます。

ガイダンスは、製造、未知の遺伝的変化に対する安全性試験、命名および

ラベリング。

211月 2026 FDAは、細胞および遺伝子治療の効力保証に関するガイダンスも公表しました

製品、コア製造品質要件。7

CMS:病気の細胞疾患を超えて結果ベースのアクセス

CMSは、細胞と遺伝子治療アクセスモデルを病気の細胞疾患を超えて拡充することを発表しました。

CMSは、状態のメディケイドを代わってメーカーとの結果ベースの合意を交渉します

プログラム。その最初の評価は、プールされた交渉が州の管理負担を軽減し、

交渉力を強化。8

GCC規制当局が採用できるもの

リファレンス・アジェンシーの信頼性

より迅速な見直しのための評価.

プラットフォームとバリアントベースのアプローチ

パーソナライズされたセラピー。

明確な効力および両立性

輸入品の期待。

GCC の受給者が採用できるもの

外部の合意にリンクされている

耐久の応答。

過激にプールまたはジョイントの交渉

または GCC の状態。

多重に揃えたインスタルメント決済

年間フォローアップ。

SEC TION 5

観戦体験

治療とスポンサー

**インディケーショ
ン**

ステージ

最新アップデート

AMT-130、ユニキュア

ハンティントン病

FDA の

レビュー

優先審査、対象 1 5月 202715

Lonvo-z, インテルリア

遺伝性血管浮腫

FDA の

レビュー

肯定的なフェーズIII HAELO; 決定による

10 3月 20279,10

OCU410, 酸素

地理的萎縮(乾燥)

AMD)

フェーズIII

(ArMaDa3)

最初の患者の線量; フェーズ 2 示される

31% 病変成長とコントロールが少ない16

エルヴィディ

(デランディストロゲン)

モクセパルボベック

デュシェンヌの筋肉

ダイストロ
フィー

フェーズIII

EMBARK

3年間のフォローアップ公開17

PM577a, プライム・メディス

ウィルソン病

フェーズ 1/2

患者を第一に考える

ドキュメン
テーション12

ビーム302、ビーム

アルファ1 抗トリプシン

スタッフ

臨床検査

38 8月202613で投与された患者

CTX310, CRISPR

治療薬

スイーバー

高トリグリセリダミア,

LDL を上げられた

フェーズ 1a

耐久性のある脂質減少; RMAT

設計14,24

かまう治療薬

口腔細胞疾患

早期臨床

遺伝子の編集を刷新した最初のデータ

ASHでのセラピー 202618

ガルフの関連性。 病気、継承された代謝およびレバーの無秩序、遺伝聴覚

損失および網膜の病気はこのパイプラインですべて表されます。これらは意味のある条件です

湾岸およびアラブの人口の優先順位。

HERMS ホワイトペーパー・遺伝子治療2026

7

SEC TION 6

GCC 映像:高い必要性の早い採用者

ガルフは、すでにすぐに動くことができることを示しました。 バーレーンは世界で2番目の国になりました。

中東で初となる12月にカシェビーを承認する 2023.21 サウジアラビアは1月に承認しました

2024 SFDAのブレークスルー・メディス・プログラムによる初の薬として評価 20 トピックス

アブダビ保健省が3月にカシェビーを導入 2025 、および最初のUAEの患者は扱われました

1月のヤスクリニックで 2026.22,23 ケーシービーは、UAEと子供のためのバーレーンで承認されています

2歳以上の高齢者。24

必要性は実質的です

サウジアラビアでは、地域別2%から27%までの病態細胞特性の優先範囲を報告した。

2.6% 一部の地域で病気の細胞疾患を持つ。25

サウジアラビアの国民の暫定スクリーニングプログラムでは、調査対象者の 4.5% が特定されました。

細胞疾患のキャリアや症例、 1.8% β-タラサミア、6年ぶりに。 26

規制の基礎を所定の位置に

サウジアラビアは、先進国に適用される標準的な、橋渡しおよび検証経路を提供しています。

受入資格の承認に応じて、治療。27

UAEでは、エミレーツ・ドラッグ・エミレーツの連邦送金は幹細胞と遺伝的にカバーします。

薬や装置と一緒に、有機体を改造。28

残りのギャップ

ガップ

患者への影響

認定治療センター

少数のサイトは、ex vivo 編集を配信することができます。そのため、患者は待機または旅行することができます。

セルとベクターの物流

原発配送、輸入許可、アイデンティティのチェーンは時間とリスクを追加します。

診断と紹介

遺伝子型や紹介のない有資格患者は評価されることはありません。

支払モデル

ワンタイムの高コスト療法は、結果ベースまたは結果なしの年間予算を負担します

インスタルメントモデル。

長期フォローアップ

多年の安全監視は設計されているregistriesおよびpharmacovigilanceを必要とします

遅延イベントのため。

HERMS ホワイトペーパー・遺伝子治療2026

8

SEC TION 7

HERMS 遺伝子治療準備フレームワーク

HERMS 遺伝子治療の市場と機関の信頼性を8つの柱に評価します。各柱

治療が患者に確実にそして安全に達することができる前に置く必要があります。

1. 規制経路

ルート選択(標準、信頼性、ブレークスルー)、

参照の承認、lifecycleのdosierの直線

バリエーションプラン

2. 治療センターの資格

認定サイト、訓練されたチーム、航空および

注入の機能、急性毒性管理。

3。 アイデンティティの物流とチェーン

低温輸送、輸入許可、税関、エンドツー

忍耐強い細胞からの注入への最終トレーサビリティ。

4. 患者識別

スクリーニング、遺伝的確認、紹介経路

適格性基準。

5. ファーマコヴィジランス

リスク管理計画、ローカルQPPV、信号検出

遅延や悪意のあるイベントのため。

6. 長期フォローアップ

多年にわたる有効性のためのRegistriesおよびデータ システム

そして安全監視。

7. 値と支払い

健康経済の証拠、結果に基づく

契約、インスタルメント、プール付き購入

モデル。

8. 証拠ガバナンス

音源追跡可能なレコード、監査証跡および

すべての結果に対する責任ある人的サインオフ

決断。

推奨事項

開発者向け

FDA と EMA と一緒に GCC のファイリングを計画する

投稿後ではなく、投稿

資格のあるリライアンスパスウェイを使用してください。

少なくとも1つの地域の治療を修飾する

起動前のセンター。

結果に基づく支払いを調達する

スタート。

当局および受給者のため

明確な先端療法の指導を出版して下さい

そしてタイムライン。

パイロット結果に基づく合意

haemoglobinopathies. (ヘモグロビノ
パシーズ)

結婚と新生児のスクリーニングをリンクする

紹介経路。

国立遺伝子治療の規制を築きます。

HERMS ホワイトペーパー・遺伝子治療2026

9

SEC TION 8

HERMSが遺伝子治療アクセスをサポートする方法

HERMS 開発者、保健機関、プロバイダと協力して、グローバルな承認から時間を短縮

ガルフ患者アクセスへ。

規制戦略: パスウェイ評価、ドシエの準備と提出管理

GCC 機関。

レディネス評価:市場と市場のための8ピラーフレームワークに対する構造化された評価

治療センター。

市場アクセス:価値のdossiers、予算影響の分析および結果に基づく合意の設計。

Pharmacovigilance:ローカルQPPVサービス、リスク管理計画および長期フォローアップシステム。

準拠した証拠:あらゆる決定のための人的説明責任を持つソース追跡可能なインテリジェンス。

遺伝子治療の信頼性評価を要求する。 info@hermsglobal.com ・ +971 55 600 8944・

www.hermsglobal.com

参考文献

1. ASGCT/Citeline. 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は、重度の白血球の付着欠乏欠乏症タイプIのための最初の遺伝子治療を承認します。
https://www.fda.gov/news-events/

プレス・アナウンス/fda-approves-first-gene-therapy-severe-leukocyte-adhesion-deficiency-type-i

3。 FDA。 FDAは遺伝的難聴のための第一次遺伝子治療を承認します。
https://www.fda.gov/news-events/press-announceme

nts/fda-approves-first-ever-gene-therapy-treatment-genetic-hearing-loss-under-national-priority-voucher - nts/fda-approves-first-ever-gene-therapy-treatment-genetic-hearing-loss-under-national-priority-voucher - nts/fda-approves-first-ever-gene-therapy-treatment

4. FDA. FDAは、病気の細胞疾患を持つ若い子供のための最初の遺伝子治療を承認します.
https://www.fda.gov/news-events/press

-お知らせ/fda-approves-first-gene-therapy-young-children-sickle-cell-disease

5。 FDA。 FDAは、グリコゲン貯蔵病タイプのIaのための最初の治療を承認します。
https://www.fda.gov/news-events/press-announcem

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

6。 FDA。 FDAはSanfilippoシンドロームタイプAの小児患者のための最初の遺伝子治療を承認します。
https://www.fda.gov/news-e

ベント/プレス・アナウンス/fda-approves-first-gene-therapy-pediatric-patients-sanfilippo-syndrome-type

7. FDA. 生体ロジックの新機能.
https://www.fda.gov/vaccines-blood-biologics/news-events-biologics/whats-new-biologics

8. HHS. FDA および CMS は、アドバンス遺伝子治療の新しいステップを発表し、アクセスを拡大する, 27 Oct 2026.
https://www.hhs.go

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

9. NEJM. Lonvoguran Ziclumeran: 遺伝性血管浮腫でVivo CRISPR遺伝子の編集.
https://www.nejm.org/doi/abs/10.105

6/NEJMoa2600931

10. ライフサイエンス毎日. ヴィボ遺伝子の編集で: 臨床データが現在表示するもの.
https://lifesciencedaily.news/in-vivo-gene-editi

ng-clinicalデータ/

11. 自然. CRISPRの最初の: プライム編集は、人体に直接DNAを変更します.
https://www.nature.com/articles/d41586-026-

03371-x

12. Technology.org. プライム編集は、患者の中で初めて使用しました。
https://www.technology.org/2026/10/23/prime-editing-first

-in-body-patient-wilson-disease-pm577a/

13. 編集トラッカー:承認、試行、セットバック。 https://contentlora.com/events/gene-editing-tracker

14. CRISPR治療薬. フェーズ 1CTX310, 28 8月 2026. https://ir.crisprtx.com/node/15151/pdf

15. BioPharm International. FDAは、優先度のためにuniQureのハンティントン病遺伝子治療BLAを受け入れます
レビュー。 https://www.biop

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

16. CGTLive. Ocugenがフェーズで初めて患者を投与 3 GA用OCU410の試験.
https://www.cgtlive.com/view/ocugen-doses-first-p

比類相3-trial-ocu410-ga

HERMS ホワイトペーパー・遺伝子治療2026

10

17. PubMed. DMDのDelandistrogene Moxeparvovecの3年フォローアップ:EMBARK.
https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/42944

976/

18. エンドポイントニュース. 鎌尾は、新細胞遺伝子の編集療法から最初のデータを共有.
https://endpoints.news/kamau-share

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

19. PMC. 遺伝子治療におけるアデノ関連ウイルスベクトルの安全性.
https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC13256615/

20. ヴァーテックス. サウジアラビア王国におけるCASGEVYの承認.
https://investors.vrtx.com/news-releases/news-release-detail

s/vertex-announces-approval-first-crisprcas9-遺伝子編集療法

21. GlobeNewswire. CASGEVYは、バーレーン承認を取得, 2 Dec 2023.
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

22. 保健省 – アブダビ. SCDと血糖のための遺伝子編集療法の導入.
https://www.doh.gov.ae/en/

ニュース/doh-and-ascc-introduces-therapy-for-scd-and-thalassemia

23. 国民. アブダビクリニックは、UAEで血液障害を治療するために遺伝子治療を使用しています, 6 1月 2026.
https://www.thenationalne

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

24. CRISPR 治療薬. 業務更新および第3四半期結果.
https://ir.crisprtx.com/news-releases/news-release-details/c

rispr-therapeutics-provides-Business-update-and-reports-third-7/

25. PMC. サウジアラビアにおける病気の細胞疾患の疫学.
https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC3119971/

26.PMC. 国民の祭典のスクリーニングと遺伝的カウンセリングプログラムの6年の結果.
https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/art

icles/PMC3119961/

27. PMC. サウジアラビアにおける高度治療薬製品。
https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC13524764/

28. エミレーツ医薬品の設立. 私たちについて. https://www.ede.gov.ae/en/home

このホワイトペーパーは、情報だけのためであり、医療、法的または規制の助言を構成するものではありません。 情報は、一般に反映されます

5 11月 2026 で利用可能なソース; 演技前に、関連する権限で現在のステータスを確認します。 © 2026 HERMS

コンサルティングDMCC

HERMS ホワイトペーパー・遺伝子治療2026

11

対象インデックス

このホワイトペーパーのセクションに行くトピックを選択します。

GCC患者アクセス

遺伝子治療の承認

遺伝子治療臨床試験

遺伝子治療パイプライン

遺伝子治療の信頼性フレームワーク

vivo 遺伝子編集

規制および結果に基づく支払い

関連 HERMS リソース

GCCの細胞と遺伝子治療の信頼性

GCC医薬品価格設定と市場アクセス戦略

GCC ファーマコヴィジランは、マーケティング承認者のための義務を負います

UAE医薬品製品登録

お問い合わせ HERMS

リンクされた参照およびそれ以上の読書

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/