HERMS WHITE PAPER | NOVEMBER 2026

유전자 치료 2026 Breakthrough에서 Gulf 환자 액세스

승인, 기술 교대, 규제 변경 및 시험은 시계,
GCC 건강 시스템 및 개발자를위한 readiness Framework.

HERMS 상담 DMCC
두바이, 아랍에미리트 | hermsglobal.com

HERMS 컨설턴트 DMCC | 두바이, 아랍에미리트 | info@hermsglobal.com | www.hermsglobal.com

EX EC U TIV E SU M M A RY

2026는 1 년 유전자 치료가 시스템되지 않았다, 아니

.. ..

승인, in-body 유전자 편집 및 새로운 지불 모델은 유전자 치료를 이동

반복 가능한 치료 범주에 격리 된 돌파. GCC 건강 시스템 준비

이제는 이전 환자에게이 치료를 제공 할 것입니다.

2,257

유전자 치료

개발, Q3 20261

62

단계에 있는 유전자 치료

III1

11

파일 생성,

승인1

49

승인 된 유전자 치료

전세계1

5개의 발견

승인이 넓어지고 있습니다. 2026 미국 FDA는 면역을 위한 새로운 유전자 치료법을 승인했습니다.

부족, 유전 청력 손실, 글리콜겐 저장 질병, Sanfilippo 증후군 및 melanoma, 및

2 세 이상 세 이상의 질병을 가진 아이들에게 연장된 Casgevy.2–6

편집은 몸 안쪽에 움직였습니다. Vivo CRISPR 치료의 첫 번째 단계 III 시험은 성공했습니다.

그리고 프라임 편집은 처음 환자에서 직접 사용되었습니다.9,11

규제는 개인화 된 치료에 적합합니다. FDA 초안 안내는 1 개의 면허를 커버 할 수

여러 환자별 유전자 편집 변형은 각 임상 시험에 대한 새로운 임상 시험없이.8

결제는 결과에 따라 이동됩니다. 미국 CMS는 세포에 대한 결과 기반 계약을 확장하고 있습니다.

병 세포 질병을 넘어 유전자 치료.8

Gulf는 이미 유전자 치료 지역입니다. Bahrain, Saudi Arabia 및 UAE는 승인되었습니다.

Casgevy 및 Abu Dhabi는 1 월 첫 번째 환자에게 2026.20 - 23을 관리했습니다.

HERMS보기. 걸프 환자의 제한 요인은 더 이상 치료의 존재가 없습니다. 그것은

readiness: 규제 통로, 자격이 된 처리 센터, 세포 및 벡터 근수, 장기

후속 및 지속 가능한 지불. 매달 지연은 환자에게 임상 비용을 제공합니다.

진보적인 유전성 질병.

HERMS 백서 · 유전자 치료 2026

2

SEC TION 1

2026 승인 파

2026의 유전자 치료 승인은 질병 영역, 배달 경로 및 연령 그룹 전체에 걸쳐 확산.

몇몇은 그들의 상태를 위한 첫번째 치료이고, 하나는 첫번째 이중 학습자 AAV 치료입니다.

제품정보

표시하기

기술 정보

미국 승인

Kresladi, 그리스

(marnetegragene) _ (주)마넷그라진

autotemcel (자동)

Severe leukocyte 접착 부족 유형 나는에서

어린이; 조건의 첫 번째 유전자 치료2

전 vivo,

관련 줄기

제품정보

26 3월 2026

Otarmeni (루소토진)

파베크), Regeneron

의향적인 청력손실

biallelic OTOF 변형; 첫 번째 듀얼 AAV 벡터 유전자

치료3

AAV1, 주사

으로 코카

23 4월 2026

Casgevy의 특징

(exagamglogene) (exagamglogene)
(exagamglogene) (exagamglogene)
(exagamg

autotemcel), 상표

의 확장

어린이의 스크글 세포질병 2 년 및

이전4

전 비보 CRISPR

1 7월 2026

Genglycos, 중국

(pariglasgene)

brecaparvovec의

글리세로겐 저장병 유형 Ia, 나이 든 8 및 이전;

일상적인 cornstarch를 줄이기위한 신속한 승인

사용5

AAV, 간

- 연혁

19 8월 2026

파유비 (rebisufligene)

etisparvovec에 대한 의
견

Sanfilippo 증후군 유형 A (MPS IIIA) 어린이;

첫 번째 승인 처리6

AAV

17 9월 2026

뚱 베어

(vusolimogene) _ (주)보스
리모진

oderparepvec),

의논하기

Melanoma1

Oncolytic 유전자

의약정보

Q3 2026

플라스미드 DNA

면역 요법

Recurrent 호흡성 폐종증 성인; 첫 번째

plasmid DNA 기반 면역 요법7

플라스미드 DNA

30 10월 2026

검토 중 : 2027로 인한 결정

(주)

표시하기

의논하기

론보-z (lonvoguran)

ziclumeran), 인텔리아

Hereditary angioedema, 그리스

첫째로 vivo CRISPR 치료에 의하여 신청되는; FDA 결정

10 3월 202710

AMT-130, 단큐어

헌팅턴병

가속 아래 우선 검토로 수락

승인; 대상 날짜 1 5 월 2027, 고문

위원회 계획15

패턴. 대부분의 2026 승인 대상 드물게, 심한, 어린 시절에 유전자 질병을 사전

치료. 환자의 연령은 조기 진단의 중요성을 높이는 데 떨어지고 있습니다.

그리고 신생아 또는 선명한 유전성 검열.

HERMS 백서 · 유전자 치료 2026

3

SEC TION 2

파이프라인: 개발이 집중되는 곳

유전자 치료 파이프라인에 도달 2,257 Q3 2026, 에서 최대 2,128 1 년 전에. 조사

Q2와 Q3 2026.1의 사전등록을 제외한 모든 단계에서 증가

개발 단계로 유전자 치료 파이프라인, Q3 2026

진료시간

1,355

단계 I

437

단계 II

392

단계 III

62

사전등록

11

출처 : ASGCT / Citeline 유전자, 세포 및 RNA 치료 풍경 보고서, Q3 2026.1

치료 영역 (프로그램)에 의한 유전자 치료 파이프라인, Q3 2026

항암제

1,142

희귀 질환

1,101

신경 과학

270

IR 정보

204

면역력

197

치료 지역은 상호적으로 독점적이지 않습니다. 출처 : ASGCT Q3 2026.1

Oncology 리드

종양학 계정 54% 희소성

파이프라인과 65%의 유전자 치료

임상 시험에서 그들. 가장 일반적인

대상은 myeloma, 비-Hodgkin의

림프종 및 B 세포 림프종.1

드문 질병을 넘어

일반적인 유전자 치료

조건, 견고한 tumours (379 프로그램)

그리고 autoimmune 질병 (118)는 가장

빈번한 대상.1 vivo에서 립이 저어

편집도 옹호.14

HERMS 백서 · 유전자 치료 2026

4

SEC TION 3

Technology shift: 몸 안쪽에 이동

Casgevy와 같은 첫 번째 세대 유전자 편집 치료, 환자의 줄기 세포를 신체 바깥으로 수정

chemotherapy 및 이식 레벨 관리가 필요합니다. 2026 임상 데이터 표시 편집

몸에 직접 전달, 일반적으로 간에, 단일 주입으로.

앱로치

2026 이정표

왜 중요합니까?

비보 CRISPR에서

Lonvo-z는 1 차 및 2 차에 만났습니다.

80-patient, 무작위로 정의된

두 배 blind 단계 III 시험에서 hereditary

angioedema.9

첫 단계 III는 한 번, 몸에 증거

유전자 편집은 만성 치료를 대체 할 수 있습니다.

기본 편집

광속은 vivo에 있는 38 환자를 투약했습니다

기본 편집기 BEAM-302 알파-1

8 월의 항만증 2026.13

절단없이 단일 DNA 문자 변경

두 물가.

Prime 편집

직접 편집의 첫 번째 알려진 사용

전임의학상에서

1/2 PM의 재판577 윌슨병에 대한.11,12

mutations의 더 넓은 범위를 수정할 수 있습니다

높은 정밀도.

자주하는 질문

CRISPR 치료의 CTX310 (ANGPTL3)

깊은, 내구성 감소를 생산

트리글리세라이드 및 LDL 콜레스테롤.14

드문에서 높은-로의 유전자 편집 확장

전혈 심장 혈관 질병.

멀티 벤더 AAV

Otarmeni는 최초의 듀얼 AAV 벡터가되었습니다.

유전자 치료 승인.3

단일 AAV를 위해 너무 큰 유전자 전달

벡터.

안전은 중앙 constraint 남아 있습니다

AAV 유전자 치료의 리뷰는 체계적인 복용량과 독성 사이의 명확한 링크를 설명합니다.

간 짐에 대한 면역 반응 및 활성화를 보완

thrombotic microangiopathy.19 이러한 위험 형태 용량 선택, immunosuppression 프로토콜, 환자

치료 센터에 필요한 모니터링 및 임상 기능.

공급자를 위한 신청. vivo 치료에서는 이식 수준에 대한 필요를 감소시킬지도 모릅니다

인프라, 그러나 그들은 여전히 전문가 주입, 급성 안전 관리 및 다년을 요구합니다

관련 기사

HERMS 백서 · 유전자 치료 2026

5

SEC TION 4

규제 및 지불은 재건됩니다.

FDA : 개별화 된 유전자 편집을위한 프레임 워크

27 10 월 2026 FDA 발행 초안 안내, 개별화 된 인간 게놈 편집 제품 :

BLA 제출 및 Postapproval 관리에 대한 고려.8

1개의 면허 신청은 유전자 편집 제품의 다수 참을성 있는 특정한 변종을 커버할 수 있습니다.

개인화 된 기능 공간은 제품 사이에 다를 수 있는 경계를 놓습니다

환자.

새로운 변형은 새로운 임상 시험없이 실험실 데이터를 사용하여 추가 할 수 있습니다.

이 지도는 또한 제조, 무인화한 유전 변화를 위한 안전 테스트, naming 및

상표를 붙이는.

2 11 월 2026 FDA는 세포 및 유전자 치료를위한 효능 보증에 대한 안내를 발표했습니다.

제품, 핵심 제조 품질 요구 사항.7

CMS : 병 세포 질병을 넘어의 결과 기반 접근

CMS는 세포와 유전자 치료 접근 모델을 병 세포 질병을 넘어 확장 할 것이라고 발표했다.

CMS는 주 Medicaid를 대신하여 제조업체와 통합 계약을 협상합니다

프로그램. 첫 번째 평가는 풀 협상이 국가 관리 부담을 감소 했음을 발견

강화된 협상 레버리지.8

GCC 규칙은 채택할 수 있습니다

참고-agency에 신뢰

더 빠른 리뷰 평가.

플랫폼 및 변종 기반 접근법

개인화 된 치료법.

명확한 힘 및 comparability

수입된 제품을 위한 기대.

어떤 GCC payers는 채택할 수 있습니다

Outcomes-based 계약에 연결

튼튼한 응답.

emirates를 통한 풀 또는 공동 교섭

또는 GCC 주.

Instalment 결제는 멀티-로 정렬

년 후속.

HERMS 백서 · 유전자 치료 2026

6

SEC TION 5

시계에 대한 시험

치료 및 후원

표시하기

의 의

최근 업데이트

AMT-130, 단큐어

헌팅턴병

FDA의 밑에

....

우선 리뷰, 대상 1 5월 202715

Lonvo-z, 인텔리전스

Hereditary angioedema, 그리스

FDA의 밑에

....

긍정적 인 단계 III HAELO; 의사 결정

10 3월 20279,10

OCU410, 오쿠젠

Geographic atrophy (건조한

AMD)

단계 III

(ArMaDa3)

첫 번째 환자 투여; 단계 2 표시

31% 적은 lesion 성장 대 제어16

Elevidys, 그리스

(delandistrogene) _ (주)디지
날

모엑스파보벡

Duchenne 근육

관련 상품

단계 III

EMBARK

3년 후속 공개17

PM577a, 전임의학

윌슨 병

단계 1/2

첫 번째 vivo 전염 환자

투약12

BEAM-302, 빔

알파 - 1 antitrypsin

뚱뚱 베어

의 의 의

38 8월의 환자 투여 202613

CTX310, CRISPR

치료법

주 메뉴

hypertriglyceridaemia,

상승 LDL

단계 1a

튼튼한 지질 감소; RMAT

디자인14,24

Kamau 치료

Sickle 세포 질병

초기 임상

revamped gene-editing의 첫 번째 데이터

ASH의 치료 202618

걸프 relevance. 스크글 세포 질병, 상속 대사 및 간 질환, hereditary 보청기

손실 및 재선 질병은이 파이프라인에서 모든 대표됩니다. 이들은 의미있는 조건입니다.

걸프와 아랍 인구의 예비 능력.

HERMS 백서 · 유전자 치료 2026

7

SEC TION 6

GCC 그림: 높은 필요를 가진 일찍 채택자

걸프는 이미 그것을 빨리 이동할 수 있습니다. 바레인은 세계에서 두 번째 국가가되고,

중동의 첫 번째, 12 월에 Casgevy를 승인 2023.21 사우디 아라비아 1 월에 그것을 승인

2024 SFDA의 획기적인 의학 프로그램을 통해 평가된 첫 번째 약으로.20 Abu

Dhabi의 건강부는 3 월의 Casgevy를 도입 2025, 첫 번째 UAE 환자가 치료되었습니다.

1 월의 Yas Clinic에서 2026.22,23 Casgevy는 UAE와 바레인에서 어린이를 위해 승인되었습니다.

2세 이상.24

필요는 실질적입니다

사우디 아라비아에서, 2%에서 27%까지의 질병 세포 트레잇 선행 범위가 최대로,

2.6% 일부 지역에서 병 세포 질병을 가지고.25

사우디 아라비아의 국가 전담 상영 프로그램 확인 4.5% 그 중

병 세포 질환의 캐리어 또는 케이스, 그리고 1.8% 베타-thalassaemia에 대 한, 그것의 첫 6 년 이상.26

규칙적인 기초

사우디 아라비아는 표준, abridged 및 검증 통로를 제공합니다.

문헌 승인에 따라 치료.27

UAE에서 에미리트 약국의 연방 재배는 줄기 세포와 유전적으로 다릅니다.

수정 된 유기물, 약과 장치.28

나머지 틈

뚱 베어

환자의 효과

Qualified 처리 센터

몇몇 사이트는 전 vivo 편집을 전달할 수 있습니다, 그래서 환자는 대기하거나 여행할지도 모릅니다.

세포 및 벡터 물류

Cryogenic 선박, 수입 허가 및 정체성의 사슬은 시간과 위험을 추가합니다.

진단 및 추천

확인된 genotype 또는 referral 없는 Eligible 환자는 결코 평가되지 않습니다.

지불 모형

한 번의 높은 비용 치료는 outcomes 기반 또는없이 연간 예산을 변형

instalment 모형.

장기 후속

다년 안전 감시는 설계된 등록과 pharmacovigilance를 필요로 합니다

지연된 사건을 위해.

HERMS 백서 · 유전자 치료 2026

8

SEC TION 7

HERMS 유전자 치료 Readiness Framework

HERMS 8개의 기둥에 걸쳐 유전자 치료에 대한 시장 및 기관적인 충진을 평가합니다. 각 기둥 치료 전에 반드시 환자에게 의존하고 안전하게 도달 할 수 있습니다.

1. 규제 통로

노선 선택 (표준, 신뢰성, 돌파구),

dossier는 참고 승인, lifecycle로 정렬합니다

변화 계획.

2. 치료 센터 자격

공인된 사이트, 훈련된 팀, apheresis 및

주입 기능, 급성 독성 관리.

3. 정체성의 물류 및 체인

Cryogenic 선박, 수입품 허가, 관례, 끝에

환자 세포에서 주입에 end traceability.

4. 환자 식별

검열, 유전 확인, 추천 통로

그리고 자격 기준.

5. 약국

위험 관리 계획, 로컬 QPPV, 신호 감지

지연 및 드문 불리한 사건을 위해.

6. 장기 후속

다년간의 efficacy를 위한 등록 및 데이터 시스템

안전 감시.

7. 가치와 지불

건강 경제 증거, outcomes 기반

계약, 관세 및 풀 구매

모델.

8. 증거금

Source-traceable 레코드, 감사 흔적 및

모든 consequential을 위한 가능한 인간적인 sign-off

관련 기사

의논하기

개발자를 위한

FDA와 EMA를 따라 계획 GCC 서류

제출, 그 후.

자격이 있는 reliance 통로를 사용하십시오.

적어도 1개의 지역 처리를 자격

시작 전에 중심.

Propose outcomes 기반 지불

시작.

당국 및 거주자

고급 치료 지침을 게시

그리고 타임라인

Pilot outcomes 기반 계약

haemoglobinopathies.

링크 premarital 고 newborn 검열 하기

추천 경로.

국가 유전자 치료 등록을 구축하십시오.

HERMS 백서 · 유전자 치료 2026

9

SEC TION 8

How HERMS 유전자 치료 액세스 지원

HERMS 개발자, 건강 당국 및 공급자와 협력하여 글로벌 승인에서 시간을 단축합니다.

to Gulf 환자 접근.

규제 전략: 경로 평가, 도시 준비 및 제출 관리 전반에 걸쳐

GCC 당국.

Readiness assessments: 시장에 대한 8-pillar 프레임 워크에 대한 구조화 평가 및

치료 센터.

시장 접근: 가치 dossiers, 예산 충격 분석 및 outcomes 근거한 계약 디자인.

Pharmacovigilance: 국부적으로 QPPV 서비스, 위험 관리 계획 및 장기 후속 체계.

Governed evidence: 모든 결정에 대한 인간 책임과 소스 추적 인텔리전스.

유전자 치료 읽음 평가 요청. info@hermsglobal.com · +971 55 600 8944 ·

www.hermsglobal.com

이름 *

1. ASGCT / Citeline. 유전자, 세포, & RNA 치료 풍경 보고서, Q3 2026.
https://www.asgct.org/uploads/files/general/ASG

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

2. FDA. FDA는 Severe Leukocyte Adhesion Deficiency 유형 I를 위한 첫번째 유전자 치료를 찬성합니다.
https://www.fda.gov/news-events/

프레스-공지 사항/fda-approves-first-gene-therapy-severe-leukocyte-adhesion-deficiency-type-i

3. FDA. FDA는 유전자 발현 손실에 대한 최초의 Ever 유전자 치료를 승인합니다.
https://www.fda.gov/news-events/press-announceme

nts/fda-approves-first-ever-gene-therapy-treatment-genetic-hearing-loss-under-national-priority-voucher에 대한 자세한 정보

4. FDA. FDA는 Sickle Cell Disease을 가진 젊은 아이들을 위한 첫 번째 유전자 치료를 승인합니다.
https://www.fda.gov/news-events/press

-발표/fda-approves-first-gene-therapy-young-children-sickle-cell-disease

5. FDA. 글리세로겐 저장 질병 유형 Ia를 위한 FDA 승인 첫번째 치료.
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. FDA는 Sanfilippo Syndrome Type A를 가진 소아과 환자를 위한 첫번째 유전자 치료를 승인합니다.
https://www.fda.gov/news-e

통풍/압축-announcements/fda-approves-first-gene-therapy-pediatric-patients-sanfilippo-syndrome-type

7. FDA. Biologics의 새로운 기능.
https://www.fda.gov/vaccines-blood-biologics/news-events-biologics/whats-new-biologics

8. HHS. FDA 및 CMS는 새로운 단계가 사전 유전자 치료 및 확장 액세스, 27 10 월 2026를 발표합니다.
https://www.hhs.go

v/press-room/fda-cms-advance-gene-therapies-rare-diseases-patient-access.html에 대 한

9. NEJM. Lonvoguran Ziclumeran : Hereditary Angioedema에서 Vivo CRISPR 유전자 편집.
https://www.nejm.org/doi/abs/10.105

6/NEJMoa2600931

10. 생명 과학 매일. Vivo Gene Editing에서 : 임상 데이터가 지금 보여줍니다.
https://lifesciencedaily.news/in-vivo-gene-editi

ng-clinical 자료/

11. 자연. CRISPR의 첫 번째 : 뇌 편집은 인체에 직접 DNA를 변경합니다.
https://www.nature.com/articles/d41586-026-

03371-x

12. Technology.org. Prime Editing은 처음 환자를 위해 사용했습니다.
https://www.technology.org/2026/10/23/prime-editing-first

-개인 - 일시 - 윌슨 - 디슨 - pm577a/

13. 유전자 편집 추적기 : 승인, 재판 및 설정. https://contentlora.com/events/gene-editing-tracker

14. CRISPR 치료. CTX310, 28 8 월 2026의 데이터 단계 1. https://ir.crisprtx.com/node/15151/pdf

15. BioPharm International. FDA는 우선성에 대한 uniQure의 헌팅턴병 유전자 치료 BLA를 받아들입니다
검토. https://www.biop

이메일: info@fda-accepts-uniqure.com

16. CGTLive. Ocugen은 Phase 3 OCU410의 임상시험에서 첫 번째 환자를 돕습니다.
https://www.cgtlive.com/view/ocugen-doses-first-p

atient-phase-3-trial-ocu410-ga

17. PubMed. DMD의 Delandistrogene Moxeparvovec의 3 년 연속 : EMBARK.
https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/42944

976/

18. Endpoints News. Kamau는 개정 된 병 세포 유전자 편집 요법에서 첫 번째 데이터를 공유합니다.
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-revamped-sickle-cell-gene-

19. PMC. 유전자 치료의 Adeno-Associated Viral Vectors의 안전.
https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC13256615/

20. Vertex. 사우디 아라비아 왕국에서 CASGEVY 승인.
https://investors.vrtx.com/news-releases/news-release-detail

s/vertex-announces-approval-first-crisprcas9-gene-edited-therapy

21. GlobeNewswire. CASGEVY는 바레인 승인, 2 12 월 2023를 가져옵니다.
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. 건강 부서 - Abu Dhabi. SCD 및 thalassemia에 대한 유전자 편집 요법의 소개.
https://www.doh.gov.ae/en/

뉴스/도와 AScc-introduces-therapy-for-scd-and-thalassemia

23. 국가. Abu Dhabi 클리닉은 UAE에서 혈액 질환을 치료하기 위해 유전자 치료를 사용합니다. 6 1 월 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 치료. 사업 업데이트 및 제 3 자 결과.
https://ir.crisprtx.com/news-releases/news-release-details/c

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

25. PMC. 사우디 아라비아의 질병의 전염병.
https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC3119971/

26. PMC. 전국의 6년차 간결 및 유전 상담 프로그램.
https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/art

icles/PMC3119961/

27. PMC. 사우디 아라비아의 고급 치료 약용 제품.
https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC13524764/

28. 에미레이트 의약품 설립. 회사 소개. https://www.ede.gov.ae/en/home

이 백서는 정보만을 위해이며 의료, 법적 또는 규제 자문을 구성하지 않습니다. 정보는 대중을 반영합니다.

5 11 월 2026에서 사용 가능한 소스; 행동하기 전에 관련 기관과 현재 상태를 확인합니다. © 2026 HERMS

컨설턴트 DMCC.

HERMS 백서 · 유전자 치료 2026

11

제목 색인

이 흰색 종이의 섹션에 갈 주제를 선택합니다.

GCC 환자 접근

Gene 치료 승인

유전자 치료 임상 시험

Gene 치료 파이프라인

유전자 치료 readiness 기구

vivo 유전자 편집

규정 및 결과 기반 지불

관련 HERMS 자원

GCC의 세포 및 유전자 치료 읽기

GCC 제약 가격 및 시장 접근 전략

GCC pharmacovigilance 마케팅 권한 보유자 의무

UAE 제약 제품 등록

문의 HERMS

연결된 참고 및 더 읽기

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/