HERMS WHITE PAPER | NOVEMBER 2026

Geneterapi 2026 fra gjennombrudd til gulf pasienttilgang

Godkjenninger, teknologiskift, regulatoriske endringer og forsøkene å se på, med en Forberedt rammeverk for GCC helsesystemer og utviklere.

HERMS Konsultant DMCC

Dubai, De forente arabiske emirater ® hermsglobal.com

HERMS Konsulent DMCC Dubai, De forente arabiske emirater ?? info@hermsglobal.com ?? www.hermsglobal.com

EX EC U TIV E SU M M A RY

2026 er året genterapi ble et system, ikke et unntak

Godkjenninger, i-kropps genredigering og nye betalingsmodeller beveger seg genterapi fra isolerte gjennombrudd til en gjentatt behandlingskategori. GCC helsesystemer som forbereder Nå vil disse terapiene bli levert til pasienter år tidligere.

2,257

genterapi i utvikling, Q3 20261

62

genterapi i fase

III1

11

genbehandlinger som er inndelt,

Venter på godkjenning1

49

genterapi godkjent

over hele verden
1

Fem funn

Godkjenninger utvides. I 2026 den amerikanske FDA godkjente nye genterapier for immunforsvar

mangel, genetisk hørselstap, glykogen lagringssykdom, Sanfilippo syndrom og melanom, og utvidet Casgevy til barn med sigdcellesykdom i alderen to og eldre. 2 – 6

Redigering har beveget seg inne i kroppen. Den første fase III-studien av en in vivo CRISPR-terapi lyktes, og førstegangsredigering ble brukt direkte i en pasient for første gang. 9,11

Regulatorer tilpasser seg personlig terapi. FDA utkast til veiledning gjør det mulig å dekke en lisens

flere pasientspesifikke genredigerende varianter uten nye kliniske studier for hver. 8

Betaling skifter til resultater. US CMS utvider resultatbaserte avtaler for celle og genbehandlinger utover sigdcellesykdom.8

Golfen er allerede et genterapiområde. Bahrain, Saudi-Arabia og UAE har godkjent

Casgevy, og Abu Dhabi administrerte den til en pasient for første gang i januar 2026.20 ?? 23

HERMS Syn. Den begrensende faktoren for Gulf pasienter er ikke lenger eksistensen av terapier. Det er beredskap: regulatoriske veier, kvalifiserte behandlingssentre, celle- og vektorlogistikk, langsiktig oppfølging og bærekraftig betaling. Hver måneds forsinkelse medfører klinisk kostnad for pasienter med progressiv genetisk sykdom.

HERMS Hvitbok · Genterapi 2026

2

SEC TION 1

2026 godkjenningsbølgen

Genterapi-godkjenninger i 2026 har spredt seg over sykdomsområder, leveringsruter og aldersgrupper. Flere er første gang behandlinger for deres tilstand, og en er den første dual-vector AAV terapi.

Produkt

Indikasjon

Teknologi

Amerikansk godkjenning

Kresladi

(marnetegravene autotemcel)

Alvorlig leukocyttadhesjonsmangel type I i barn; første genterapi for tilstanden2

Ex vivo, modifisert stamme celler

26 Mar 2026

Otarmeni (lunsotogen

parvec), Regeneron

Alvorlig-til-foreløpig hørselstap forårsaket av Bialleliske OTOF varianter; første dual-AAV vektorgen terapi 3

AAV1, injisert inn i cochlea

23 Apr 2026

Casgevy

(eksagamglogen)

autotemcel), etikett

ekspansjon

Sykecellesykdom hos barn i alderen 2 år og

eldre 4

Ex vivo CRISPR

1 juli 2026

Genglycos

(pariglasgene)

brecaparvovec)

Glycogen lagringssykdom type Ia, i alderen 8 og eldre;

akselerert godkjenning for å redusere daglig cornstarch

bruk5

AAV, lever-

regissert

19 Aug 2026

Fayuvi (rebisufligene

etisparvovec)

Sanfilippo syndrom type A (MPS IIIA) hos barn;

Første godkjent behandling6

AAV

17 Sep 2026

Tudriqev

(vusolimogene)

oderparepvec),

Replimune

Melanoma1

Onkolytisk gen

terapi

Q3 2026

Plasmid DNA

immunterapi

Resepsjonell respiratorisk papillomatose hos voksne; først

Plasmid DNA-basert immunterapi7

Plasmid DNA

30 okt 2026

Under gjennomgang: avgjørelser som skal gjøres i 2027

Terapi

Indikasjon

Status

Lonvo-z (lonvoguran

ziclumeran), Intellia

Hereditary angioødem

Første in vivo CRISPR terapi innsendt; FDA avgjørelse

på grunn av 10 mars 202710

AMT-130, uniQure

Huntingtons sykdom

Godta med prioritetsoversikt under akselerert

Godkjenning; måldato 1 mai 2027, rådgivning

Komiteen planlagt15

Mønster. De fleste 2026 godkjenner målrettet sjeldne, alvorlige, barndomsrelaterte genetiske sykdommer uten tidligere

behandling. Alderen på kvalifiserte pasienter faller, noe som øker betydningen av tidlig diagnose

og nyfødt eller formarin genetisk screening.

HERMS Hvitbok · Genterapi 2026

3

SEC TION 2

Rørledningen: der utviklingen er konsentrert

Geneterapi-rørledningen nådde 2,257 programmer i Q3 2026, opp fra 2,128 et år tidligere.

Økt i hvert trinn unntatt pre-registrering mellom Q2 og Q3 2026.1

Geneterapi rørledning etter utviklingsstadium, Q3 2026

Preklinisk

1,355

Fase I

437

Fase II

392

Fase III

62

Før registrering

11

Kilde: ASGCT / Citeline Gene, Cell & RNA terapi Landskapsrapport, Q 3 2026.1

Geneterapirørledning etter terapeutisk område (programmer), Q3 2026

Anticancer

1,142

Sjeldne sykdommer

1,101

nevrologisk

270

Sensory

204

Immunologisk

197

Terapeutiske områder er ikke gjensidig eksklusive. Kilde: ASGCT Q3 2026.1

Onkologi leder

Onkologi står for 54% av sjelden sykdom

genterapi i rørledningen og 65%

de i kliniske studier. De vanligste

Målene er myelom, ikke-Hodgkins

lymfom og B-celle lymfom. 1

Utover sjeldne sykdommer

Blant genterapier for vanlig

tilstander, solide svulster (379 programmer)

og autoimmun sykdom (118) er mest

hyppige mål.1 Lipid-senkende in vivo

Redigering av endringer er også i gang. 14

HERMS Hvitbok · Genterapi 2026

4

SEC TION 3

Teknologiskifte: Redigering beveger seg inne i kroppen

Første generasjons genredigerte terapier, som Casgevy, endrer pasientens stamceller utenfor kroppen

og trenger kondisjonering kjemoterapi og transplantasjonsnivå omsorg. 2026 kliniske data viser redigering

Leveres direkte i kroppen, typisk til leveren, som en enkelt infusjon.

Tilnærming

2026 milepæl

Hvorfor det er viktig

In vivo CRISPR

Lonvo-z møtte sin primære og sekundære

endepunkter i en 80 pasient, randomisert,

dobbelblind fase III-studie i arvelig

angioødem. 9

Første fase III viser at en gang, i kroppen

genredigering kan erstatte kronisk terapi.

Baseredigering

Beam hadde dosert 38 pasienter med in vivo

baseredigering BEAM-302 for alfa-1

Antitrypsinmangel innen august 2026.13

Endrer enkelt DNA-bokstaver uten å kutte

Begge trådene.

Primeredigering

Første kjent bruk av primtal redigering direkte

i en person, i Prime Medicine fase

1/2 studie av PM577a for Wilson sykdom.11,12

Kan korrigere et bredere utvalg av mutasjoner med

Høy presisjon.

Vanlig lidelse

Redigering

CRISPR Therapeutics' CTX310 (ANGPTL3)

produsert dype, holdbare reduksjoner i

triglycerider og LDL kolesterol. 14

Forlenger genredigering fra sjeldne til høy-

Forekomst kardiometabolisk sykdom.

Multi-vektor AAV

Otarmeni ble den første dual-AAV vektoren

Genterapi godkjent.3

Leverer gener for store for en enkelt AAV

vektor.

Sikkerheten forblir den sentrale begrensningen

Vurderinger av AAV-genterapi beskriver en klar sammenheng mellom systemisk dose og toksisitet, inkludert

immunresponser mot kapsid, lever byrde og komplement aktivering som kan føre til

tromboisk mikroangiopati. 19 Disse risikoene former doseringsvalg, immunsuppressionsprotokoller, pasient

overvåkning og klinisk evne som kreves i behandlingssentre.

Implikasjon for leverandører. In vivo terapier kan redusere behovet for transplantasjon-nivå

infrastruktur, men de trenger fortsatt spesialisert infusjon, akutt sikkerhetsstyring og flerårig

Oppfølging.

HERMS Hvitbok · Genterapi 2026

5

SEC TION 4

Reguleringen og betalingen gjenoppbygges

FDA: En ramme for individualisert genredigering

27 oktober 2026 FDA utstedt utkast til veiledning, Individualisert Human Genome Editing Produkter:

Vurderinger for BLA-innsending og postgodkjenningshåndtering. 8

En lisenssøknad kan dekke flere pasientspesifikke varianter av et genredigerende produkt.

Et individualisert funksjonsrom setter grenser der et produkt kan variere mellom

pasienter.

Nye varianter innenfor disse grensene kan legges til ved hjelp av laboratoriedata, uten nye kliniske studier.

Veiledningen dekker også produksjon, sikkerhetstesting for ikke-ventede genetiske endringer, navngiving og Merking.

Den 2 november 2026 publiserte FDA også veiledning om potenssikring for celle- og genterapi produkter, en kjerne produksjon kvalitet krav.7

CMS: resultatbasert tilgang utover sigdcellesykdom

CMS annonserte at det vil utvide sin Cell og Gene Therapy Access Model utover sigdcellesykdom.

CMS forhandler utfallsbaserte avtaler med produsenter på vegne av staten Medicaid programmer. Den første evalueringen fant at samlet forhandling reduserte statlige administrative byrder og Styrke forhandlingsutbyttet. 8

Hvilke GCC-regulatorer kan vedta

Pålitelighet på referanseorganisasjon

vurderinger for raskere gjennomgang.

Platform og variantbaserte tilnærminger

for personlig behandling.

Klar styrke og sammenlignbarhet

Forventninger om importerte produkter.

Hva GCC betalere kan vedta

Utfallsbaserte avtaler knyttet til

holdbar respons.

Basseng eller felles forhandlinger på tvers av emirater

eller GCC-stater.

Installasjonsbetalinger i henhold til multi-

årlig oppfølging.

SEC TION 5

Prøve å se

Terapi og sponsor

Indikasjon

Stage

Siste oppdatering

AMT-130, uniQure

Huntingtons sykdom

Under FDA

vurdering

Prioritert gjennomgang, mål 1 Mai 202715

Lonvo-z, Intellia

Hereditary angioødem

Under FDA

vurdering

Positiv fase III HAELO; beslutning av

10 Mar 20279,10

OCU410, Ocugen

Geografisk atrofi

AMD)

Fase III

(ArmaDa3)

Første pasientdosert; Fase 2 viste

31% mindre lesjonvekst vs kontroll16

Elevidys

(delandistrogene)

moxeparvovec)

Duchenne muskuløs

dystrofi

Fase III

EMBARK

Oppfølging på tre år publisert 17

PM577a, Prime Medicine

Wilson sykdom

Fase 1/2

Første in vivo prime-redigerende pasient

12

Beam-302, Beam

Alpha-1 antitrypsin

mangel

klinisk

38 pasienter dosert med aug 202613

CTX310, CRISPR

Terapeutika

Alvorlig

hypertriglyceridemi,

hevet LDL

Fase 1a

Holdbare lipidreduksjoner; RMAT

Navn 14,24

Kamau Therapeutics

Sykkelcellesykdom

Tidlig klinisk

Første data fra revamped genredigering

terapi ved ASH 202618

Gulf relevans. Sigdcellesykdom, arvelige metabolske og leversykdommer, arvelig hørsel

tap og retinal sykdom er alle representert i denne rørledningen. Disse er betingelser med meningsfull

Forekomst i gulf og arabiske befolkninger.

HERMS Hvitbok · Genterapi 2026

7

SEC TION 6

GCC-bildet: tidlige adoptører med høyt behov

Golfen har allerede vist at den kan bevege seg raskt. Bahrain ble det andre landet i verden, og den første i Midtøsten, å godkjenne Casgevy i desember 2023.21 Saudi-Arabia godkjente det i januar 2024 som den første medisinen evaluert gjennom SFDAs gjennombruddsmedisinprogram.20 Abu Dhabis helsedepartementet introduserte Casgevy i mars 2025, og den første UAE pasienten ble behandlet på Yas Clinic i januar 2026.22,23 Casgevy har siden blitt godkjent i UAE og Bahrain for barn 2 år og eldre. 24

Behovet er betydelig

I Saudi-Arabia varierer antall sigdcelletrekk fra 2% til 27% etter region, med opp til 2.6% har sigdcellesykdom i noen områder.25

Saudi-Arabias nasjonale premaritale screeningprogram identifisert 4.5% av de som ble undersøkt som bærere eller tilfeller av sigdcellesykdom, og 1.8% for beta-thalassemi, i løpet av de første seks årene.26

Regulatoriske grunnlag på plass

Saudi-Arabia tilbyr standard-, abridgede- og verifikasjonsveier som kan gjelde for avanserte Behandlinger, avhengig av referanse-agency godkjenninger. 27

I UAE, Emirates Drug Etablering føderalt oppdrag dekker stamceller og genetisk modifiserte organismer, sammen med medisiner og enheter. 28

De gjenværende hullene

Gap

Effekt på pasienter

Kvalifiserte behandlingssentre

Få nettsteder kan levere ex vivo redigering, så pasienter kan vente eller reise.

Cell- og vektorlogistikk

Cryogenic shipping, importtillatelser og ID-kjede legger til tid og risiko.

Diagnose og henvisning

Kvalifiserte pasienter uten bekreftet genotype eller referanse blir aldri vurdert.

Betalingsmodeller

En gangs høy-kostnads terapi belastning årlige budsjett uten resultater-basert eller Avdragsmodeller.

Langsiktig oppfølging

Flerårige sikkerhetsovervåkning trenger registre og legemiddelovervåking designet

for forsinkede hendelser.

HERMS Hvitbok · Genterapi 2026

8

SEC TION 7

HERMS Gene terapi readness Framework

HERMS vurderer marked og institusjonell beredskap for genterapi over åtte søyler. Hver søyle må være på plass før behandling kan nå pasienter på en pålitelig og trygt måte.

1. Regulatorisk vei

Rutevalg (standard, tillit, gjennombrudd), dokumentasjonsjustering med referansegodkjenninger, livssyklus Variasjonsplan.

2. Behandlingssenter kvalifisering

Akkrediterte nettsteder, utdannede lag, aferesis og infusjonsevne, akutt toksisitetshåndtering.

3. Logistikk og ID-kjede

Kryogen frakt, importtillatelser, toll, slutt-til-sluttsporing fra pasientceller til infusjon.

4. pasientidentifikasjon

Screening, genetisk bekreftelse, referanseveier og kvalifiseringskriterier.

5. legemiddelovervåking

Risikostyringsplaner, lokal QPPV, signaldeteksjon for forsinkede og sjeldne bivirkninger.

6. Langsiktig oppfølging

Registrer og datasystemer for flerårig effekt og sikkerhetsovervåking.

7. Verdi og betaling

Helseøkonomiske bevis, utfallsbasert avtaler, avdrag og samlet innkjøp Modeller.

8. Bevisstyring

Kildesporbare journaler, revisjonsspor og

Ansvarlig menneskelig skilting for hver følge

- Avgjørelse.

Anbefalinger

For utviklere

Planlegg GCC-registreringer sammen med FDA og EMA

innlegg, ikke etter dem.

Bruk tillitsveier der det er kvalifisert.

Kvalifisere minst én regional behandling

sentrum før lansering.

Foreslå resultatbasert betaling fra

Begynnelsen.

For myndigheter og betalere

Publisher klar veiledning for avansert behandling

og tidslinjene.

Pilotresultatbaserte avtaler for

Hemofopati.

Linke premarital og nyfødt screening til

referanseveier.

Bygge nasjonale genterapiregistre.

HERMS Hvitbok · Genterapi 2026

9

SEC TION 8

Hvordan HERMS støtter genterapi tilgang

HERMS samarbeider med utviklere, helsemyndigheter og leverandører for å forkorte tiden fra global godkjenning

til Gulf-patienten.

Reguleringsstrategi: veivurdering, dokumentasjonsforberedelse og innsendingshåndtering i hele

GCC myndigheter.

Lese vurderinger: strukturert vurdering mot åtte-pillers rammeverk for markeder og

behandlingssentre.

Markedstilgang: verdidokumentasjoner, budsjett-impact analyse og resultatbasert avtaleutforming.

Farmasøytisk legemiddelovervåking: lokale QPPV-tjenester, risikostyringsplaner og langsiktige oppfølgingssystemer.

Styrt bevis: kilde-trackable intelligens med menneskelig ansvar for alle beslutninger.

Forespørsel om en genterapi beredskap vurdering. info@hermsglobal.com · +971 55 600 8944 ·

www.hermsglobal.com

Referanser

1. ASGCT/Citeline. Gene, Cell, & RNA terapi landskapsrapport, Q3 2026.
https://www.asgct.org/uploads/files/general/ASG

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

2. FDA. FDA støtter første genterapi for alvorlig leukocytt Adhesion Deficiens Type I.
https://www.fda.gov/news-events/

press-anmeldelse/fda-approves-første-gen-terapi-svær-leukocytt-adhesion-deficiens-type-i

3. FDA. FDA Approvers First-Ever Gene terapi for genetisk hørsel tap.
https://www.fda.gov/news-events/press-announceme

nts/fda-approves-første-ever-gen-terapi-genetisk-høring-under-nasjonell-preority-voucher

4. FDA. FDA støtter første genterapi for små barn med sigdcellesykdom.
https://www.fda.gov/news-events/press

-foredrag/fda-approves-første-gen-terapi-ung-barn-sickle-cell-disease

5. FDA. FDA støtter første terapi for glykogen lagringssykdom Type Ia.
https://www.fda.gov/news-events/press-announcem

it/fda-approves-first-terapi-pasienter-aged-8-år-og-gamle-glycogen-storage-disease-type-ia

6. FDA. FDA støtter første genterapi for pediatrisk pasienter med Sanfilippo syndrom type A.
https://www.fda.gov/news-e

ventilasjon/trykk-anrop/fda-apper-første-gen-terapi-pediatrisk-pasienter-sanfilippo-syndrome-type

7 . FDA. Hva er nytt for biologer.
https://www.fda.gov/vaccines-blood-biologics/news-events-biologics/whats-new-biologics

8. HHS. FDA og CMS kunngjør nye trinn for å fremme Gene Therapies og utvide tilgang, 27 okt 2026.
https://www.hhs.go

v/press-rom/fda-cms-advance-gen-therapies-rare-diseases-patient-access.html

9. NEJM. Lonvoguran Ziclumeran: I Vivo CRISPR Gene Redigering i Hereditary Angi Avsky.
https://www.nejm.org/doi/abs/10.105

6/NEJMoa2600931

10. Livsvitenskap daglig. I Vivo Gene Editing: Hva de kliniske dataene nå viser.
https://lifesciencedaily.news/in-vivo-gene-editi

ng-kliniske data/

11. Naturen. En første for CRISPR: primary redigering endrer DNA direkte i menneskekroppen.
https://www.nature.com/articles/d41586-026-

03371-x

12. Technology.org. Prime Editing brukes inne i en pasient for første gang.
https://www.technology.org/2026/10/23/prime-editing-first

-i-kroppspasient-wilson-disease-pm577a/

13. Genredigeringssporer: godkjenninger, forsøk og tilbakeslag. https://contentlora.com/events/gene-editing-tracker

14. CRISPR Therapeutics. Fase 1a Data for CTX310, 28 Aug 2026. https://ir.crisprtx.com/node/15151/pdf

15. BioPharm International. FDA aksepterer uniQures Huntingtons sykdom Geneterapi BLA for prioritet
Anmeldelse. https://www.biop

SkadeInternational.com/view/fda-acceptes-uniqure-s-huntington-s-disease-gene-terapi-bla-for-priority-review

16. CGTLIVE. Okugendoser Første pasient i fase 3 Studie av OCU410 for GA.
https://www.cgtlive.com/view/ocugen-doses-first-p

atient-fase-3-trial-ocu410-ga

17. PubMed. Tre år Følg opp av Delandistrogene Moxeparvovec i DMD: EMBARK.
https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/42944

976/

18. Endpoints News. Kamau deler første data fra revamped sigdcellegenredigering terapi.
https://endpoints.news/kamau-share

S-første data-fra-revamped-sickle-cell-gen-rediger-terapi/

19. PMC. Sikkerhet av Adeno-Associated Viral Vektorer i Gene Therapy.
https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC13256615/

20. Vertex. Godkjenning av CASGEVY i Kongeriket Saudi-Arabia.
https://investors.vrtx.com/news-releases/news-release-detail

s/vertex-annonserer-godkjenning-første-crisprcas9-gen-redigert-terapi

21. GlobeNewswire. CASGEVY får Bahrain godkjenning, 2 Des 2023.
https://www.globenewswire.com/news-release/2023/12/02/

2789644/0/en/CASGEVY-Gets-Bahrain-godkjenning-for-behandling-merking-it-second-country-in-the-world.html

22. Department of Health ?? Abu Dhabi. Introduksjon av genredigerende terapi for SCD og thalassomi.
https://www.doh.gov.ae/en/

nyheter/doh-og-ascc-introduser-terapi-for-scd-og-thalassemi

23. Den nasjonale. Abu Dhabi klinikken bruker genterapi til å behandle blodsykdommer i UAE først, 6 Jan 2026.
https://www.thenationalne

ws.com/news/uae/2026/01/06/abu-dhabi-clinic-uses-life-forander-gen-terapi-til-behandling-blod-disorders-i-ua e-first/

24. CRISPR Therapeutics. Forretningsoppdatering og tredje kvartalsresultater.
https://ir.crisprtx.com/news-releases/news-release-details/c

rspr-terapeutisk-tilbyder-business-update-and-reports-th-7/

25. PMC. Epidemiologi av sigdcellesykdom i Saudi-Arabia.
https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC3119971/

26. PMC. Seks år utfall av det nasjonale premarinal screening og genetisk rådgivningsprogram.
https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/art

ikler/PMC3119961/

27. PMC. Avanserte terapi medisiner i Saudi-Arabia.
https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC13524764/

28. Emirates Drug Etablering. https://www.ede.gov.ae/en/home

Denne hvitboken er kun for informasjon og utgjør ikke medisinsk, juridisk eller regulatorisk rådgivning. Informasjonen reflekterer offentlig

kilder som er tilgjengelige på 5 november 2026; verifisere gjeldende status med den relevante myndigheten før den handler. © 2026 HERMS

Konsultant DMCC.

Emneindeks

Velg et emne for å gå til sin del i dette hvite papiret.

GCC pasienttilgang

Genterapigodkjenninger

De kliniske genterapistudier

Geneterapi rørledning

Genterapi beredskap rammeverk

In vivo genredigering

Forskrift og resultatbasert betaling

Relaterte HERMS ressurser

Cell- og genterapiberedskab i GCC

GCC farmasøytisk pris og markedstilgangsstrategi

Farmasøytiske forpliktelser for markedsføringstillatelsesinnehavere

UAE farmasøytisk produktregistrering

Kontakt HERMS

Koblede referanser og videre lesing

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/