HERMS WHITE PAPER | NOVEMBER 2026

Terapia genowa 2026 Od przełamania do dostępu do pacjenta w Zatoce Perskiej

Aprobaty, zmiany technologiczne, zmiany regulacyjne i próby do oglądania, z ramy gotowości dla systemów opieki zdrowotnej i deweloperów GCC.

HERMS DMCC w zakresie doradztwa

Dubaj, Zjednoczone Emiraty Arabskie Birmingham 124; hermsglobal.com

HERMS Consultancy DMCC XXX124; Dubai, Zjednoczone Emiraty Arabskie XXX124; info @ hermsglobal.com XXX124; www.hermsglobal.com

EX EC U TIV E SU M M A RY

2026 jest rok terapii genowej stał się systemem, a nie

wyjątek

Aprobaty, edycja genów w organizmie i nowe modele płatności są przeniesienie terapii genowej z

odizolowane przełomy do powtarzalnej kategorii leczenia. Systemy opieki zdrowotnej GCC, które przygotowują

teraz dostarczą te terapie pacjentom lata wcześniej.

2,257

terapii genowej w

rozwój, Q 3 20261

62

terapie genowe w fazie

III1

11

terapia genowa składana,

w oczekiwaniu na
zatwierdzenie 1

49

zatwierdzone terapie genowe

na całym świecie
1

Pięć ustaleń

W 2026 US FDA zatwierdziła nowe terapie genowe dla immunologicznego

niedobór, utrata słuchu genetycznego, choroba glikogenu, zespół Sanfilippo i czerniak, oraz

w wieku dwóch lat i starszych, rozszerzyć stosowanie leku Casgevy na dzieci z niedokrwistością sierpowatokrwinkową. 2 –
6

Pierwsza faza III terapii in vivo CRISPR powiodła się.

a pierwsza edycja została użyta bezpośrednio u pacjenta po raz pierwszy. 9,11

Organy regulacyjne dostosowują się do zindywidualizowanych terapii. Projekt wytycznych FDA pozwala na jedną licencję na pokrycie

wiele wariantów edycji genów specyficznych dla danego pacjenta bez nowych badań klinicznych dla każdego z nich 8.

Płatności przenoszą się na wyniki. US CMS rozszerza umowy oparte na wynikach dla komórek

i terapii genowej poza niedokrwistością sierpowatokrwinkową 8.

Zatoka Perska jest już regionem terapii genowej. Bahrajn, Arabia Saudyjska i Zjednoczone Emiraty Arabskie zatwierdziły

Casgevy i Abu Dhabi podali ją pacjentowi po raz pierwszy w styczniu 2026.20 Xix 23

HERMS Widok. Czynnikiem ograniczającym dla pacjentów z Zatoki Perskiej nie jest już istnienie terapii.

gotowość: ścieżki regulacyjne, kwalifikowane ośrodki leczenia, logistyka komórkowa i wektorowa, długoterminowe

po zakończeniu leczenia i trwałej płatności.

postępująca choroba genetyczna.

HERMS Biała księga · Terapia genowa 2026

2

SEC TION 1

Fala homologacji 2026

Zatwierdzanie terapii genowej w 2026 rozprzestrzeniło się na obszary choroby, drogi porodu i grupy wiekowe.

Niektóre z nich są pierwszym w historii leczenia ich stanu, a jeden jest pierwszym podwójnym-wektorowym terapii AAV.

Produkt

Wskazanie

Technologia

Aprobata Stanów Zjednoczonych

Kresladi

(marnetegragen

autotemcel)

Ciężki niedobór przyczepności leukocytów typu I w

dzieci; pierwsza terapia genowa w przypadku choroby 2

ex vivo,

zmodyfikowany rdzeń

komórki

26 Mar 2026

Otarmeni (Lunsotogenes)

parvec), Regeneron

Poważne do głębokiego uszkodzenie słuchu spowodowane przez

odmiany bialleliczne OTOF; pierwszy gen wektorowy dwunastnicy AAV

terapia 3

AAV 1, wstrzykiwany

do Cochlea

23 kwiecień 2026

Casgevy

(exagamglogen

autotemcel), etykieta

ekspansja

Choroba sierpowatokrwinkowa u dzieci w wieku 2 lat oraz

starsze 4

Ex vivo CRISPR

1 LIP 2026

Genglikos

(pariglasgene

brekaparwovec)

choroba glikogenu typu Ia, w wieku 8 i starsza;

przyspieszone zatwierdzenie w celu zmniejszenia dziennej skrobi kukurydzianej

stosować
5

AAV, Liver...

skierowane

19 Sierpień 2026

Fayuvi (rebisufligene)

etysparwovec)

zespół Sanfilippo typu A (MPS IIIA) u dzieci;

po raz pierwszy zatwierdzone leczenie
6

AAV

17 WRZESIEŃ 2026

Tudriqev

(vusolimogene

(oderparepvec),

Replimune

czerniak 1

Gen onkolityczny

leczenie

Q3 2026

DNA plazmidowe

immunoterapia

Nawracająca brodawczakoza oddechowa u dorosłych; pierwsza

immunoterapia oparta na DNA plazmidu 7

DNA plazmidowe

30 Październik
2026

W trakcie przeglądu: decyzje należne w 2027

Leczenie

Wskazanie

Stan

Lonvo-z (lonvoguran)

ziclumeran), Intellia

Obrzęk naczynioruchowy

Pierwsza zgłoszona terapia in vivo CRISPR; decyzja FDA

w terminie do dnia 10 marca 202710

AMT- 130, uniQuure

Choroba Huntingtona

Zaakceptowane wraz z przeglądem priorytetowym w trybie
przyspieszonym

zatwierdzenie; data docelowa 1 maja 2027, doradztwo

planowany komitet 15

Wzór. Większość aprobaty 2026 dotyczy rzadkich, ciężkich, początkowych chorób genetycznych w dzieciństwie bez wcześniejszego

leczenie. Wiek kwalifikujących się pacjentów spada, co zwiększa znaczenie wczesnej diagnozy

i noworodków lub przedmałżeńskich badań genetycznych.

HERMS Biała księga · Terapia genowa 2026

3

SEC TION 2

Gazociąg: gdzie rozwój jest skoncentrowany

Gazociąg terapii genowej osiągnął poziom 2,257 programów w Q 3 2026, w porównaniu z 2,128 rok wcześniej.

zwiększone na każdym etapie z wyjątkiem wstępnej rejestracji między Q 2 a Q 3 2026.1

Gazociąg terapii genowej według etapu rozwoju, Q 3 2026

Przedkliniczne

1,355

Etap I

437

Etap II

392

Etap III

62

Wstępna rejestracja

11

Źródło: ASGCT / Citeline Gene, Cell & RNA Therapy Landscape Report, Q 3 2026.1

Gazociąg terapii genowej według obszaru terapeutycznego (programy), Q 3 2026

przeciwnowotworowy

1,142

Rzadko

1,101

Neurologiczne

270

Sensory

204

Immunologiczny

197

Obszary terapii nie wykluczają się wzajemnie. Źródło: ASGCT Q 3 2026.1

Ołów onkologiczny

Onkologia odpowiada za 54% rzadkiej choroby

terapie genowe w rurociągu i 65%

najczęstsze

Cele to szpiczak, nie Hodgkin

Chłoniak i chłoniak z komórek B. 1

Poza rzadkimi chorobami

Wśród terapii genowych często

choroby, guzy lite (programy 379)

i choroby autoimmunologiczne (118) są najbardziej

częste cele 1 Obniżenie stężenia lipidów in vivo

edycja jest również zaawansowana. 14

HERMS Biała księga · Terapia genowa 2026

4

SEC TION 3

Zmiana technologii: montaż ruchów wewnątrz ciała

Terapia genetyczna pierwszej generacji, taka jak Casgevy, modyfikuje komórki macierzyste pacjenta poza ciałem

i potrzebuje chemioterapii kondycjonującej i opieki na poziomie transplantacji. 2026 Dane kliniczne pokazują edycję

do ciała, zazwyczaj do wątroby, w pojedynczej infuzji.

Podejście

2026 kamień milowy

Dlaczego to ma znaczenie?

CRISPR in vivo

Lonvo-z spotkał się ze swoim podstawowym i wtórnym

punkty końcowe u pacjenta 80, randomizowanego,

podwójnie ślepe badanie III fazy w dziedzicznym

obrzęk
naczynioruchowy 9

Pierwsza faza III dowód, że jednorazowy, w ciele

edycja genów może zastąpić leczenie przewlekłe.

Edycja bazowa

W badaniach in vivo 38 pacjentów z eg

edytor bazowy BEAM- 302 dla alfabe- 1

niedobór antytrypsyny do sierpnia 2026.13

Zmiany pojedynczych liter DNA bez cięcia

obie nitki.

Pierwsza edycja

Pierwsze znane wykorzystanie edycji prime bezpośrednio

wewnątrz osoby, w fazie medycyny pierwszej

1 / 2 badanie PM 577 a w przypadku choroby Wilsona. 11,12

Można skorygować szerszy zakres mutacji z

Wysoka precyzja.

Częsta choroba

edycja

CTX 310 (ANGPTL 3)

produkowane głębokie, trwałe redukcje

triglicerydy i cholesterol LDL. 14

Rozszerza edycję genów z rzadkich do wysokich

Częstość występowania choroby kardiometabolicznej.

Wielowektorowy AAV

Otarmeni stał się pierwszym wektorem AAV

Zatwierdzona terapia genowa 3

Dostarcza geny zbyt duże dla pojedynczego AAV

wektor.

Bezpieczeństwo pozostaje głównym ograniczeniem

Recenzje terapii genowej AAV opisują wyraźny związek między dawką ogólnoustrojową a toksycznością, w tym:

odpowiedź immunologiczna przeciwko kapsydzie, obciążeniu wątroby i aktywacji dopełniacza, która może prowadzić do

mikroangiopatia zakrzepowa 19 Ryzyko wyboru dawki, protokoły immunosupresji, pacjenci

monitorowanie i zdolności kliniczne wymagane w ośrodkach leczenia.

Implikacje dla dostawców. Terapia in vivo może zmniejszyć potrzebę przeszczepu

infrastruktura, ale nadal wymagają specjalistycznego wlewu, ostrego zarządzania bezpieczeństwem i wieloletniego

kontynuacja.

HERMS Biała księga · Terapia genowa 2026

5

SEC TION 4

Regulacje i płatności są w trakcie odbudowy

FDA: ramy dla zindywidualizowanej edycji genów

W dniu 27 października 2026 FDA wydał projekt wytycznych, Indywidualne produkty do edycji ludzkiego genomu:

Rozważania dotyczące składania BLA i zarządzania po zatwierdzeniu. 8

Jeden wniosek o pozwolenie może obejmować wiele specyficznych dla pacjenta wariantów produktu do edycji genów.

Zindywidualizowana przestrzeń funkcyjna określa granice, w których produkt może się różnić pomiędzy

pacjentów.

Nowe warianty wewnątrz tych granic można dodać za pomocą danych laboratoryjnych, bez nowych badań klinicznych.

Wytyczne obejmują również produkcję, badania bezpieczeństwa niezamierzonych zmian genetycznych, nazewnictwo i etykietowanie.

W dniu 2 listopada 2026 FDA opublikowało również wytyczne dotyczące zapewnienia mocy w terapii komórkowej i genowej.

produkty, podstawowy wymóg jakości produkcji 7.

CMS: dostęp oparty na wynikach poza niedokrwistością sierpowatokrwinkową

CMS ogłosiło, że rozszerzy swój model dostępu do terapii komórkowej i genowej poza choroby sierpowatokrwinkowej.

CMS negocjuje umowy oparte na wynikach z producentami w imieniu państwowej pomocy medycznej

pierwsza ocena wykazała, że połączone negocjacje zmniejszyły obciążenie administracyjne państwa oraz

wzmocniona dźwignia negocjacyjna 8

Co organy regulacyjne GCC mogą przyjąć

Reliance on reference-agency

oceny w celu szybszego przeglądu.

Podejście oparte na platformie i wariancie

dla zindywidualizowanych terapii.

Wyraźna potencja i porównywalność

oczekiwania dotyczące produktów przywożonych.

Co płatnicy GCC mogą przyjąć

Umowy oparte na wynikach związane z

Trwała reakcja.

Łączne lub wspólne negocjacje między emiratami

lub stany GCC.

Płatności instalacyjne dostosowane do wielowymiarowych

coroczna obserwacja.

HERMS Biała księga · Terapia genowa 2026

6

SEC TION 5

Próby do oglądania

Terapia i sponsor

Wskazanie

Etap

Ostatnia aktualizacja

AMT- 130, uniQuure

Choroba Huntingtona

W ramach FDA

przegląd

Przegląd priorytetowy, cel 1 maja 202715

Lonvo-z, Intellia

Obrzęk naczynioruchowy

W ramach FDA

przegląd

Pozytywna faza III HAELO; decyzja

10 Mar 20279,10

OCU 410, Ocugen

Atrofia geograficzna (suchość

AMD)

Etap III

(ArMaDa 3)

Pierwsza dawka dla pacjenta; Faza 2 wykazała

31% mniejszy wzrost zmian w porównaniu z kontrolą 16

Elevidys

(delandystrogen

mokseparwovec)

Duchenne muskularny

dystrofia

Etap III

EMBARK

Opublikowane trzyletnie działania następcze 17

PM 577 a, Prime Medicine

Choroba Wilsona

Faza 1 / 2

Pierwszy pacjent w fazie preedycji in vivo

dawka 12

BEAM- 302, Beam

Alfa- 1 antytrypsyna

niedobór

Kliniczne

38 pacjenci przyjmowani przez Aug 202613

CTX310, CRISPR

Terapia

Ciężkie

hipertriglicerydemia,

podniesione LDL

Faza 1 a

Trwałe redukcje stężenia lipidów; RMAT

Oznaczenia 14,24

Terapeutyka Kamau

Choroba
sierpowatokrwinkowa

Wczesne objawy
kliniczne

Pierwsze dane z poprawionej edycji genów

leczenie w ASH 202618

Znaczenie w Zatoce Perskiej. Choroba sierpowatokrwinkowa, dziedziczne zaburzenia metaboliczne i wątrobowe, dziedziczny słuch

straty i choroby siatkówki są reprezentowane w tym rurociągu. Są to warunki z znaczące

rozpowszechnienie w społecznościach Zatoki Perskiej i Arabskiej.

HERMS Biała księga · Terapia genowa 2026

7

SEC TION 6

Obraz GCC: osoby wcześnie adoptujące z dużymi potrzebami

Zatoka już pokazał, że może poruszać się szybko. Bahrajn stał się drugim krajem na świecie, i

Arabia Saudyjska zatwierdziła ją w styczniu jako pierwszą na Bliskim Wschodzie, która zatwierdziła Casgevy w grudniu 2023.21

2024 jako pierwszy lek oceniany za pośrednictwem programu leków Breakthrough. 20 Abu

Departament Zdrowia w Dhabi wprowadził Casgevy w marcu 2025, a pierwszy pacjent z ZEA był leczony

w klinice Yas w styczniu 2026.22,23 Casgevy został zatwierdzony w ZEA i Bahrajnie dla dzieci

w wieku dwóch lat i starszych 24

Potrzeba jest znaczna

W Arabii Saudyjskiej częstość występowania cechów sierpowatokrwinkowych wahała się od 2% do 27% w zależności od regionu, z uwzględnieniem

2.6% z niedokrwistością sierpowatokrwinkową w niektórych obszarach. 25

Krajowy program przesiewowy w Arabii Saudyjskiej 4.5% został określony jako

nośniki lub przypadki choroby sierpowatokrwinkowej, oraz 1.8% w przypadku beta-talasemii, w ciągu pierwszych sześciu lat. 26

Ustanowione podstawy regulacyjne

Arabia Saudyjska oferuje standardowe, skrócone i weryfikacyjne ścieżki, które mogą mieć zastosowanie do zaawansowanych

terapie, w zależności od zatwierdzenia agencji referencyjnej 27.

W Zjednoczonych Emiratach Arabskich federalne kompetencje Emirates Drug Establishment obejmują komórki macierzyste i genetycznie

modyfikowane organizmy, obok leków i urządzeń 28.

Pozostałe luki

Gap

Wpływ na pacjentów

Kwalifikowane centra obróbki

Kilka miejsc może dostarczyć edycji ex vivo, więc pacjenci mogą czekać lub podróżować.

Logistyka komórek i wektorów

Przesyłki kriogeniczne, pozwolenia na przywóz i łańcuch tożsamości dodają czasu i ryzyka.

Diagnoza i skierowanie

Nigdy nie oceniono kwalifikujących się pacjentów bez potwierdzonego genotypu lub u których uzyskano odpowiedź na leczenie.

Modele płatności

Jednorazowe terapie o wysokich kosztach obciążą roczne budżety bez wpływu na wyniki lub

modele raty.

Długoterminowe monitorowanie

Wieloletnie rejestry potrzeb w zakresie monitorowania bezpieczeństwa i nadzór nad bezpieczeństwem farmakoterapii

w przypadku zdarzeń
opóźnionych.

HERMS Biała księga · Terapia genowa 2026

8

SEC TION 7

Ramy HERMS Gene Therapy Readiness

HERMS ocenia gotowość rynku i instytucji do terapii genowej w ośmiu filarach.

Przed rozpoczęciem leczenia należy zapewnić pacjentowi niezawodny i bezpieczny dostęp do pacjenta.

1. Ścieżka regulacyjna

Wybór trasy (standardowa, zależna, przełomowa),

dostosowanie dokumentacji do zatwierdzeń referencyjnych, cyklu życia

plan zmian.

2. Kwalifikacja ośrodka leczenia

Akredytowane strony, wyszkolone zespoły, afereza i

zdolność do wlewu, zarządzanie ostrą toksycznością.

3. Logistyka i łańcuch tożsamości

Przesyłka kriogeniczna, pozwolenia na przywóz, cła, do...

zakończyć identyfikowalność z komórek pacjenta do infuzji.

4 Identyfikacja pacjenta

Badanie przesiewowe, potwierdzenie genetyczne, drogi skierowania

oraz kryteria kwalifikowalności.

5. Nadzór nad bezpieczeństwem farmakoterapii

Plany zarządzania ryzykiem, lokalny QPPV, wykrywanie sygnałów

w przypadku opóźnionych i rzadkich zdarzeń
niepożądanych.

6. Długoterminowe monitorowanie

Rejestry i systemy danych dotyczące skuteczności wieloletniej

oraz monitorowanie
bezpieczeństwa.

7 Wartość i płatność

Dowody ekonomiczne dotyczące zdrowia, oparte na wynikach

umowy, raty i zbiorcze zakupy

modele.

8 Zarządzanie dowodami

Rejestry źródłowe, ścieżki audytu i

Odpowiedzialny ludzki podpis za każdy konsekwentny

Decyzja.

Zalecenia

Dla deweloperów

Plan GCC wraz z FDA i EMA

oświadczenia, a nie po nich.

W stosownych przypadkach należy stosować ścieżki zależności.

Kwalifikowalność co najmniej jednego traktowania regionalnego

Centrum przed startem.

Zaproponowanie płatności w oparciu o wyniki

początek.

Dla władz i płatników

Opublikuj jasne wytyczne dotyczące terapii zaawansowanej

i linii czasowych.

Umowy oparte na wynikach pilotażowych

Hemoglobinopatie.

Powiązanie badań przesiewowych przedmałżeńskich i noworodków z

drogi arbitrażu.

Budowanie krajowych rejestrów terapii genowej.

HERMS Biała księga · Terapia genowa 2026

9

SEC TION 8

Jak HERMS wspiera dostęp do terapii genowej

HERMS współpracuje z deweloperami, organami ochrony zdrowia i dostawcami, aby skrócić czas od globalnego zatwierdzenia

do dostępu pacjenta z Zatoki Perskiej.

Strategia regulacyjna: ocena szlaków, przygotowanie dokumentacji i zarządzanie składaniem dokumentacji

Władze GCC.

Oceny gotowości: ocena strukturalna w świetle ośmiofilarowych ram dla rynków oraz

ośrodków leczenia.

Dostęp do rynku: dokumenty dotyczące wartości, analiza wpływu budżetu i opracowanie umowy opartej na wynikach.

Nadzór nad bezpieczeństwem farmakoterapii: lokalne usługi QPPV, plany zarządzania ryzykiem i długoterminowe systemy monitorowania.

Dowody urzędowe: inteligencja nadająca się do śledzenia, z odpowiedzialnością za każdą decyzję.

Prośba o ocenę gotowości do terapii genowej. info @ hermsglobal.com · + 971 55 600 8944 ·

www.hermsglobal.com

Odniesienia

1. ASGCT / Citeline. Gene, Cell, & RNA Therapy Landscape Report, Q 3 2026.
https://www.asgct.org/uploads/files/general/ASG

CT-Q 3 - 2026 -Krajobraz-Raport-Final.pdf

2. FDA. FDA zatwierdza pierwszą terapię genową z powodu ciężkiej leukocyty typu I.
https://www.fda.gov/news-events/

prasa-ogłoszenia / fda-zatwierdza-pierwsza-terapia genowa-ciężka-leukocyta-niedobór-i

3. FDA. FDA zatwierdza pierwszego w historii Gene Therapy dla genetycznej utraty słuchu.
https://www.fda.gov/news-events/press-announceme

nts / fda-aprovel-first-ever-gene-therapy-treatment-genetic-hear-lose-under-national-priority-voucher

4. FDA. FDA zatwierdza pierwszą terapię genową dla młodych dzieci z niedokrwistością sierpowatokrwinkową.
https://www.fda.gov/news-events/press

-ogłoszenia / fda-aprovel-first-gene-therapy-young-children-axle-cell-disease

5. FDA. FDA zatwierdza pierwszą terapię dla choroby Glycogen Storage typu Ia.
https://www.fda.gov/news-events/press-announcem

ents / fda-aprovel-first-therapy-aged-8-years-and-older-glikogen-storage-disease-type-ia-ia

6. FDA. FDA zatwierdza pierwszą terapię genową u pacjentów pediatrycznych z zespołem Sanfilippo typu A.
https://www.fda.gov/news-e

otwory wentylacyjne / ogłoszenia prasowe / fda-aprovel-first-gene-therapy-pediatric-patients-sanfilippo-syndrome-type

7. FDA. Co nowego dla biologii.
https://www.fda.gov/vaccines-blood-biologics/news-events-biologics/whats-new-biologics

8. HHS. FDA i CMS ogłaszają nowe kroki w kierunku zaawansowanych terapii genowych i rozszerzonego dostępu, 27 październik 2026.
https://www.hhs.go

v / press-room / fda-cms-avance-gene-therapy-rapid-diseases-patient- access.html

9 . NEJM. Lonvoguran Ziclumeran: W Vivo CRISPR Gene Edycja w dziedziczny obrzęk naczynioruchowy.
https://www.nejm.org/doi/abs/10.105

6 / NEJMoa 2600931

10. Life Science Daily. In Vivo Gene Editing: What the Clinical Data Now Show.
https://lifesciencedaily.news/in-vivo-gene-editi

Dane kliniczne /

11. Natura. Pierwszy dla CRISPR: pierwsza edycja zmienia DNA bezpośrednio w ludzkim ciele.
https://www.nature.com/articles/d41586-026-

03371-x

12. Technology.org. Pierwsza edycja użyta wewnątrz pacjenta po raz pierwszy.
https://www.technology.org/2026/10/23/prime-editing-first

- w organizmie - pacjent - choroba Wilsona - pm 577 a /

13. Monitor edycji genów: aprobaty, próby i komplikacje. https://contentlora.com/events/gene-editing-tracker

14. Terapia CRISPR. Faza 1 a Dane dla CTX 310, 28 Sierpień 2026. https://ir.crisprtx.com/node/15151/pdf

15. BioPharm International. FDA akceptuje terapię genową Huntington 's Disease Therapy Gene dla Priority Przegląd. https://www.biop

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

16. CGTLive. Ocugen Dases First Patient in Phase 3 Trial of OCU 410 for GA.
https://www.cgtlive.com/view/ocugen-doses-first-p

faz- 3 -trial-ocu 410 -ga

HERMS Biała księga · Terapia genowa 2026

10

17. PubMed. Trzy lata obserwacji Delandistrogene Moxeparvovec w DMD: EMBARK.
https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/42944

976/

18. Endpoints News. Kamau dzieli się pierwszymi danymi z odnowionej terapii edycji genu sierpowatokomórkowego.
https://endpoints.news/kamau-share

p-pierwsza-metoda edycji genu z komórek sierpowatokrwinkowych z rewampem /

19. PMC. Safety of Adeno-Associated Viral Vectors in Gene Therapy.
https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC13256615/

20. Vertex. Zatwierdzenie CASGEVY w Królestwie Arabii Saudyjskiej.
https://investors.vrtx.com/news-releases/news-release-detail

s / vertex-ogłasza-zatwierdzanie-pierwszy-crisprcas 9 -gene-edited-therapy

21. GlobeNewswire. CASGEVY otrzymuje zatwierdzenie Bahrajnu, 2 Dec 2023.
https://www.globenewswire.com/news-release/2023/12/02/

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

22. Departament Zdrowia w Abu Dhabi. Wprowadzenie terapii edycji genów dla SCD i talasemii.
https://www.doh.gov.ae/en/

news / doh-and-ascc-introducted-therapy-for-scd-and-thalassemia

23. Narodowa. Klinika Abu Dhabi wykorzystuje terapię genową do leczenia zaburzeń krwi w ZEA, 6 Jan 2026.
https://www.thenationalne

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

24. Terapia CRISPR. Aktualizacja biznesowa i wyniki trzeciego kwartału.
https://ir.crisprtx.com/news-releases/news-release-details/c

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

25. PMC. Epidemiologia choroby sierpowatej w Arabii Saudyjskiej.
https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC3119971/

26. PMC. 6-letni wynik ogólnokrajowego programu badań przedmałżeńskich i doradztwa genetycznego.
https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/art

Pęcherzyki / PMC 3119961 /

27. PMC. Produkty lecznicze terapii zaawansowanej w Arabii Saudyjskiej.
https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC13524764/

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

Ta biała księga służy wyłącznie do celów informacyjnych i nie stanowi porady medycznej, prawnej lub regulacyjnej.

źródła dostępne na 5 listopad 2026 ; przed podjęciem działań weryfikuje obecny status w odpowiednim organie. © 2026 HERMS

DMCC.

Wskaźnik tematu

Wybierz temat, aby przejść do jego sekcji w tym białym papierze.

Dostęp pacjentów z GCC

Zatwierdzanie terapii genowej

Badania kliniczne dotyczące terapii genowej

Gazociąg do terapii genowej

Ramy gotowości do terapii genowej

Edycja genów in vivo

Regulacje i płatności oparte na wynikach

Powiązane zasoby HERMS

Gotowość do terapii komórkowej i genowej w GCC

GCC ustalanie cen leków i strategia dostępu do rynku

Obowiązki GCC w zakresie nadzoru nad bezpieczeństwem farmakoterapii dla posiadaczy pozwolenia na dopuszczenie do obrotu

Rejestracja produktów farmaceutycznych ZEA

Kontakt HERMS

Powiązane odniesienia i dalsze czytanie

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/