HERMS WHITE PAPER | NOVEMBER 2026

Terapia Gene 2026 De Avanço ao Acesso do Paciente do Golfo

Aprovações, mudanças tecnológicas, mudanças regulatórias e ensaios para assistir, com quadro de preparação para sistemas de saúde GCC e desenvolvedores.

HERMS Consultoria DMCC

Dubai, Emirados Árabes Unidos

HERMS Consultoria DMCC . Dubai, Emirados Árabes Unidos . info@hermsglobal.com .

EX EC U TIV E SU M M A RY

2026 é o ano em que a terapia genética se tornou um sistema, não um

exceção

Aprovações, edição de genes no corpo e novos modelos de pagamento estão movendo a terapia genética de

avanços isolados para uma categoria de tratamento repetivel. GCC sistemas de saúde que preparam

agora entregará estas terapias aos pacientes anos antes.

2,257

terapias genéticas em

desenvolvimento, Q3 20261

62

terapias genéticas em Phase

III1

11

terapias genéticas
estabelecidas,

que aguarda a aprovação1

49

terapias genéticas aprovadas

mundial1

Cinco conclusões

Em 2026, o FDA aprovou novas terapias genéticas para imunes.

deficiência, perda de audição genética, doença de armazenamento de glicogénios, síndrome de Sanfilippo e melanoma, e

Extendeu-se Casgevy a crianças com doença falciforme de dois anos ou mais.2–6

O primeiro ensaio de Fase III de uma terapêutica in vivo com CRISPR foi bem-sucedido.

e a edição primária foi utilizada diretamente em um paciente pela primeira vez.9,11

Os reguladores estão se adaptando às terapias personalizadas.

múltiplas variantes de edição de genes específicas do doente sem novos ensaios clínicos para cada uma delas.8

O pagamento está mudando para resultados. O CMS dos EUA está estendendo acordos baseados em resultados para células

e terapias genéticas para além da doença falciforme.8

O Golfo já é uma região de terapia genética. Bahrein, Arábia Saudita e os Emirados Árabes Unidos aprovaram

Casgevy, e Abu Dhabi administraram-no a um paciente pela primeira vez em janeiro 2026.20–23

HERMS vista. O fator limitante para pacientes do Golfo já não é a existência de terapias.

preparação: vias regulatórias, centros de tratamento qualificados, logística celular e vetorial, a longo prazo

acompanhamento e pagamento sustentável. Cada mês de atraso acarreta custo clínico para pacientes com

doença genética progressiva.

HERMS Livro Branco · Terapia Geneica 2026

2

SEC TION 1

A onda de aprovação 2026

As aprovações de terapia genética em 2026 se espalharam por áreas de doença, vias de parto e faixas etárias.

Vários são os primeiros tratamentos para a sua condição, e um é o primeiro duplo-vetor terapia AAV.

Produto

Indicação

Tecnologia

Aprovação dos EUA

Kresladi

(marnetegragene)

autotemcel)

Deficiência grave de adesão leucocitária tipo I em

crianças; primeira terapia genética para a condição2

Ex vivo,

caule modificado

células

26 Mar 2026

Otarmeni (lunsotogeneo)

parvec), Regeneron

Perda auditiva grave a profunda causada por

variantes OTOF biallénicas; primeiro gene vector dual-AAV

terapêutica3

AAV1, injectado

na cóclea

23 Abr 2026

Casgevy

(exagamglogene

autotemcel), rótulo

expansão

Doença falciforme em crianças com idade 2 anos e

mais
antigo4

CRISPR ex vivo

1 Jul 2026

Genglicos

(pariglasgeno)

brecaparvovec)

Doença de armazenamento de glicogénios tipo Ia, com idade 8 ou mais velha;

aprovação acelerada para reduzir o amido de milho diário

usar5

AAV, fígado...

dirigido

19 Ago 2026

Fayuvi (rebisufligene)

etisparvovec)

Síndrome de Sanfilippo tipo A (MPS IIIA) em crianças;

Tratamento aprovado pela primeira
vez6

AAV

17 Set 2026

Tudriqev

(vusolimogene

oderparepvec),

Replimune

Melanoma1

Gene oncolítico

terapêutica

Q3 2026

ADN plasmídeo

imunoterapia

papilomatose respiratória recorrente em adultos; primeiro

imunoterapia baseada em ADN de plasmídeo7

ADN plasmídeo

30 Out 2026

Em análise: decisões devidas em 2027

Terapia

Indicação

Estado

Lonvo-z (Lonvoguran)

ziclumeran), Intellia

Angioedema hereditário

Primeira terapia CRISPR in vivo arquivado; decisão FDA

devido por 10 Março 202710

AMT-130, uniQure

Doença de Huntington

Aceitado com revisão prioritária acelerada

aprovação; data-alvo 1 Maio 2027, aconselhamento

Comissão prevista15

Padrão. A maioria das aprovações 2026 visa doenças genéticas raras, graves, de início na infância, sem antecedentes

A idade dos doentes elegíveis está a diminuir, o que aumenta a importância do diagnóstico precoce

e rastreio genético de recém-nascidos ou pré-marital.

HERMS Livro Branco · Terapia Geneica 2026

3

SEC TION 2

O gasoduto: onde o desenvolvimento está concentrado

O gasoduto de terapia genética atingiu 2,257 programas em Q3 2026, acima de 2,128 um ano antes.

aumentado em todas as fases, excepto no pré-registo entre Q2 e Q3 2026.1

Oleoduto de terapia genética por fase de desenvolvimento, Q3 2026

Pré- clínica

1,355

Fase I

437

Fase II

392

Fase III

62

Pré-registo

11

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

Oleoduto de terapia genética por área terapêutica (programas), Q3 2026

Anticancerígeno

1,142

Doenças raras

1,101

Neurológica

270

Sensório

204

Imunologia

197

As áreas terapêuticas não são mutuamente exclusivas. Fonte: ASGCT Q3 2026.1

Leads de oncologia

A oncologia responde por 54% de doença rara

terapias gênicas na conduta e 65% de

os doentes em ensaios clínicos.

os alvos são mieloma, não-Hodgkin

linfoma e linfoma de células B.1

Além das doenças raras

Entre terapias genéticas para comum

condições, tumores sólidos (programas 379)

e doença auto-imunes (118) são os mais

alvos frequentes.1 Diminuição lipídica in vivo

a edição também está avançando.14

HERMS Livro Branco · Terapia Geneica 2026

4

SEC TION 3

Mudança de tecnologia: edição move-se dentro do corpo

Terapêuticas de primeira geração editadas por genes, como Casgevy, modificam as células estaminais de um paciente fora do corpo

e precisa de quimioterapia condicionada e cuidados de nível de transplante. 2026 dados clínicos mostram edição

administrado directamente no organismo, normalmente no fígado, sob a forma de uma única perfusão.

Abordagem

2026 marco

Por que importa?

CRISPR in vivo

Lonvo-z conheceu o seu primário e secundário

endpoints num doente 80, aleatorizado,

ensaio de Fase III duplo- cego em hereditário

angioedema.9

Primeira Fase III prova que uma única vez, no corpo

a edição de genes pode substituir a terapia crônica.

Edição de base

O feixe recebeu 38 doseados com doentes in vivo

editor base BEAM-302 para alfa-1

Deficiência de antitripsina até Agosto 2026.13

Muda letras de ADN simples sem corte

ambos os fios.

Edição primária

Primeiro uso conhecido de edição primária diretamente

dentro de uma pessoa, na Fase da Medicina Prime

1/2 ensaio de PM577a para a doença de Wilson.11,12

Pode corrigir uma gama mais ampla de mutações com

Alta precisão.

Doença comum

edição

CTX310 da terapêutica CRISPR (ANGPTL3)

produzido reduções profundas e duráveis em

triglicéridos e colesterol LDL.14

Extende a edição de genes de raro para alto

prevalência de doença cardiometabólica.

AAV multivetor

Otarmeni tornou-se o primeiro vetor dual-AAV

aprovado a terapia gênica.3

Fornece genes demasiado grandes para um único AAV

vector.

A segurança continua a ser a restrição central

As revisões da terapêutica com o gene AAV descrevem uma ligação clara entre a dose sistémica e a toxicidade, incluindo

respostas imunes contra a capsida, carga hepática e ativação do complemento que podem levar à

microangiopatia trombótica.19 Estes riscos forma seleção de dose, protocolos de imunossupressão, paciente

monitorização e capacidade clínica requeridas nos centros de tratamento.

Implicação para os prestadores. As terapias in vivo podem reduzir a necessidade de transplante-nível

infra-estrutura, mas ainda necessitam de infusão especializada, manejo de segurança aguda e

Seguimento.

HERMS Livro Branco · Terapia Geneica 2026

5

SEC TION 4

O regulamento e o pagamento estão a ser reconstruídos

FDA: um framework para edição de genes individualizados

Em 27 de outubro 2026 o FDA emitiu rascunho de orientação, individualizados produtos de edição de genoma humano:

Considerações para a Gestão de Submissão e Pós-Aprovação do BLA.8

Um pedido de licença pode abranger várias variantes específicas de um produto de edição de genes.

Um espaço de recurso individualizado define os limites dentro dos quais um produto pode variar entre

doentes.

Novas variantes dentro desses limites podem ser adicionadas usando dados laboratoriais, sem novos ensaios clínicos.

A orientação abrange igualmente a fabricação, testes de segurança para alterações genéticas não intencionais, nomeação e rotulagem.

Em 2 novembro 2026 o FDA também publicou orientações sobre a garantia de potência para terapia celular e genética produtos, um requisito de qualidade de fabricação de núcleo.7

CMS: acesso baseado em resultados para além da doença falciforme

A CMS anunciou que ampliará seu Modelo de Acesso a Terapia Celular e Genear além da doença falciforme.

CMS negocia acordos baseados em resultados com fabricantes em nome do Estado Medicaid

A sua primeira avaliação concluiu que as negociações conjuntas reduziram os encargos administrativos do Estado e

reforço da alavanca de negociação.8

O que os reguladores do GCC podem adotar

Confiar na agência de referência

avaliações para uma revisão mais rápida.

Abordagens baseadas em plataformas e variantes

para terapias personalizadas.

Potencialidade e comparabilidade claras

As expectativas em relação aos produtos importados.

O que os pagadores do GCC podem adotar

Acordos baseados em resultados ligados a

Resposta duradoura.

Negociação conjunta ou conjunta entre emirados

ou GCC estados.

Pagamentos de instalação alinhados com multi-

acompanhamento do
ano.

SEC TION 5

Julgamentos a assistir

Terapêutica e patrocinador

Indicação

Etapa

Actualização

AMT-130, uniQure

Doença de Huntington

Sob a FDA

revisão

Revisão prioritária, objectivo 1 Maio 202715

Lonvo-z, Intellia

Angioedema hereditário

Sob a FDA

revisão

Fase III positiva HAELO; decisão por

10 Mar 20279,10

OCU410, Ocugen

Atrofia geográfica (seca)

AMD)

Fase III

(ArMaDa3)

Primeiro paciente doado; Fase 2 mostrou

31% menos crescimento da lesão vs controle16

Elevidys

(delandstrogénio

moxeparvovec)

Duchenne muscular

distrofia

Fase III

EMBARK

Triênio de seguimento publicado17

PM577a, Prime Medicine

Doença de Wilson

Fase 1/2

Primeiro doente in vivo de primeira edição

doseado12

Beam-302, Beam

Antitripsina alfa-1

deficiência

Clínico

38 doentes tratados até Ago 202613

CTX310, CRISPR

Terapêutico

Grave

hipertrigliceridemia,

LDL aumentada

Fase 1a

Reduções lipídicas duráveis; RMAT

designações14,24

Kamau Terapeutics

Doença falciforme

Clínico precoce

Primeiros dados da edição genética renovada

terapêutica com ASH 202618

Relevância do Golfo. Doença falciforme, doenças metabólicas e hepáticas hereditárias, audição hereditária

perda e doença retiniana estão todos representados neste oleoduto.

Prevalência em populações do Golfo e Árabes.

HERMS Livro Branco · Terapia Geneica 2026

7

SEC TION 6

A imagem do GCC: adotantes precoces com alta necessidade

O Golfo já mostrou que pode mover-se rapidamente. Bahrein tornou-se o segundo país do mundo, e o primeiro no Oriente Médio, para aprovar Casgevy em dezembro 2023.21 Arábia Saudita aprovou em janeiro 2024 como o primeiro medicamento avaliado através do Programa de Medicamentos Desvendados da SFDA.20 Abu

O Departamento de Saúde de Dhabi introduziu Casgevy em março 2025, e o primeiro paciente de EAU foi tratado na Yas Clinic em janeiro 2026.22,23 Casgevy foi aprovado nos Emirados Árabes Unidos e Bahrein para crianças

idade igual ou superior a dois anos.24

A necessidade é substancial

Na Arábia Saudita, a prevalência de traço falciforme relatado varia de 2% a 27% por região, com até 2.6% tendo doença falciforme em algumas áreas.25

O programa nacional de rastreio pré-conjugal da Arábia Saudita identificou 4.5% dos examinados como portadores ou casos de doença falciforme, e 1.8% para beta-talassemia, durante os seus primeiros seis anos.26

Fundações regulamentares em vigor

Arábia Saudita oferece caminhos padrão, abreviados e de verificação que podem se aplicar a avançados terapias, dependendo das aprovações de agências de referência.27

Nos Emirados Árabes Unidos, a missão federal do Emirates Drug Establishment abrange células-tronco e geneticamente organismos modificados, juntamente com medicamentos e dispositivos.28

As lacunas restantes

Gap

Efeito nos doentes

Centros de tratamento qualificados

Poucos sites podem entregar edição ex vivo, para que os pacientes podem esperar ou viajar.

Logística de células e vetores

Transporte criogênico, licenças de importação e cadeia de identidade adicionar tempo e risco.

Diagnóstico e encaminhamento

Doentes elegíveis sem genótipo confirmado ou encaminhamento nunca são avaliados.

Modelos de pagamento

Terapias de alto custo de uma única vez desgastam orçamentos anuais sem resultados baseados

Modelos de prestações.

Acompanhamento a longo prazo

Necessidades de monitorização da segurança a vários anos registos e farmacovigilância concebidos

para eventos atrasados.

HERMS Livro Branco · Terapia Geneica 2026

8

SEC TION 7

O HERMS Framework de preparação para terapia genética

HERMS avalia mercado e disponibilidade institucional para terapia genética em oito pilares.

tem de estar implementado antes de uma terapêutica poder atingir os doentes de forma fiável e segura.

1. Via de regulação

Seleção de rotas (padrão, confiança, avanço),

alinhamento do dossiê com as aprovações de referência, ciclo de vida

Plano de variação.

2. Qualificação do centro de tratamento

Sítios acreditados, equipas treinadas, aférese e

capacidade de perfusão, gestão aguda da toxicidade.

3. Logística e cadeia de identidade

Transporte criogénico, licenças de importação, alfândegas, ponta a ponta

terminar a rastreabilidade das células do doente até à perfusão.

4. Identificação do paciente

Triagem, confirmação genética, vias de referência

e critérios de elegibilidade.

5. Farmacovigilância

Planos de gestão de riscos, QPPV local, detecção de sinais

para efeitos de acontecimentos adversos tardios e raros.

6. Acompanhamento a longo prazo

Registos e sistemas de dados para a eficácia multi-ano

e monitorização da segurança.

7. Valor e pagamento

Evidências económicas de saúde baseadas em resultados

Contratos, prestações e compras conjuntas

modelos.

8. Governação de provas

Registos rastreáveis por fontes, pistas de auditoria e

responsabilidade humana para cada consequência

Decisão.

Recomendações

Para desenvolvedores

Planeje arquivos GCC ao lado da FDA e da EMA

Submissões, não depois delas.

Utilizar vias de confiança onde for elegível.

Qualificar pelo menos um tratamento regional

centro antes do lançamento.

Propor pagamento baseado em resultados de

O começo.

Para as autoridades e os pagadores

Publicar orientações claras de terapia avançada

e cronologias.

Acordos-piloto baseados em resultados para

hemoglobinopatias

Relação pré-conjugal e triagem do recém-nascido para

vias de referência.

Construir registos nacionais de terapia genética.

HERMS Livro Branco · Terapia Geneica 2026

9

SEC TION 8

Como HERMS suporta acesso a terapia genética

HERMS trabalha com desenvolvedores, autoridades de saúde e provedores para reduzir o tempo de aprovação global

ao acesso de pacientes do Golfo.

Estratégia de regulamentação: avaliação dos percursos, preparação dos dossiês e gestão da apresentação

Autoridades do CCG.

Avaliação da disponibilidade: avaliação estruturada face ao quadro de oito pilares para os mercados e

Centros de tratamento.

Acesso ao mercado: dossiês de valor, análise de impacto orçamental e projeto de acordo baseado em resultados.

Farmacovigilância: serviços locais de QVPV, planos de gestão de riscos e sistemas de acompanhamento a longo prazo.

Evidência governada: inteligência rastreável com responsabilidade humana por cada decisão.

Solicitar uma avaliação da prontidão da terapia genética. info@hermsglobal.com · +971 55 600 8944 ·

www.hermsglobal.com

Referências

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 aprova primeira terapia genética para deficiência de adesão de leucócitos grave tipo I.
https://www.fda.gov/news-events/

publicidade à imprensa/aprovação de fda-primeiro-gene-terapia-severo-leucócitos-adesão-deficiência-tipo-i

3 FDA. A FDA aprova terapia genética de primeira geração para perda auditiva genética.
https://www.fda.gov/news-events/press-announceme

nts/fda-aprova-primeira vez-gene-terapia-tratamento-teste genético-ouvi-perda-sub-nacional-prioridade-voucher

4. FDA. FDA aprova primeira terapia genética para crianças jovens com doença falciforme.
https://www.fda.gov/news-events/press

-anúncios/aprovação-primeira terapia-jovens-crianças-doente-célula-doente

5. FDA. FDA aprova primeira terapia para Glycogen armazenamento tipo de doença Ia.
https://www.fda.gov/news-events/press-announcem

ents/fda-aprova-primeira terapêutica-pacientes-idade-8-anos-e-mais-velho-glicogénio-armazenamento-doença-tipo-ia

6. FDA. FDA aprova primeira terapia genética para pacientes pediátricos com síndrome de Sanfilippo tipo A.
https://www.fda.gov/news-e

vents/press-anunciamentos/fda-aprova-primeiro gene-terapia-pacientes pediátricos-sanfilippo-síndrome-tipo

7 O que há de novo para a Biologics?
https://www.fda.gov/vaccines-blood-biologics/news-events-biologics/whats-new-biologics

8. HHS. FDA e CMS anunciam novos passos para avançar as terapias de genes e expandir o acesso, 27 Out 2026.
https://www.hhs.go

v/press-room/fda-cms-avance-gene-terapias-raro-doenças-paciente-acesso.html

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

6/NEJMoa2600931

10. Life Science Daily. Na Edição de Gene da Vivo: O que os dados clínicos agora mostram.
https://lifesciencedaily.news/in-vivo-gene-editi

ng- dados clínicos/

11 . Natureza. Um primeiro para CRISPR: edição primária altera o DNA diretamente no corpo humano.
https://www.nature.com/articles/d41586-026-

03371-x

12. Technology.org. Edição Prime Usado dentro de um paciente pela primeira vez.
https://www.technology.org/2026/10/23/prime-editing-first

- no corpo- paciente- Wilson- doença- pm577a/

13. Rastreador de edição de genes: aprovações, testes e retrocessos. https://contentlora.com/events/gene-editing-tracker

14. Terapêutica CRISPR. Fase 1a Dados para CTX310, 28 Ago 2026. https://ir.crisprtx.com/node/15151/pdf

15 BioPharm International. FDA aceita terapia de genes de doença de Huntington do UniQuar por prioridade Revisão. https://www.biop

harminternational.com/view/fda-aceites-uniqure-s-huntington-s-doença-gene-terapia-bla-para-prioridade-revisão

16. CGTLive. Dose de Ocugênio Primeiro Paciente em Fase 3 Ensaio de OCU410 para GA.
https://www.cgtlive.com/view/ocugen-doses-first-p

fase de atient-3-trial-ocu410-ga

17. PubMed. Três anos de seguimento de Delandstrogene Moxeparvovec em DMD: EMBARK.
https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/42944

976/

18 . Endpoints News. Kamau compartilha os primeiros dados da terapia de edição de genes falciformes reformulados.
https://endpoints.news/kamau-share

s-primeiros dados-de-revamped-sickle-cell-gene-editing-terapia/

19. PMC. Segurança de Vetores Virais Associados a Adeno na Terapia Geneica.
https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC13256615/

20. Vertex. Aprovação da CASGEVY no Reino da Arábia Saudita.
https://investors.vrtx.com/news-releases/news-release-detail

s/vertex-anuncia-aprovação-primeira-crisprcas9-gene-editado-terapia

21. GlobeNewswire. CASGEVY Obtém aprovação no Bahrein, 2 Dez 2023.
https://www.globenewswire.com/news-release/2023/12/02/

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

22. Departamento de Saúde – Abu Dhabi. Introdução da terapia de edição de genes para MSC e talassemia.
https://www.doh.gov.ae/en/

notícias/doh-and-ascc-introduz-terapia-para-scd-e-talassemia

23. A clínica de Abu Dhabi usa terapia genética para tratar doenças do sangue nos EAU primeiro, 6 Jan 2026.
https://www.thenationalne

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

24. CRISPR Terapêutica. Atualização de negócios e resultados de terceiro trimestre.
https://ir.crisprtx.com/news-releases/news-release-details/c

rispr-terapêutica-fornece-empresa-atualização-e-relatórios-terceiro-7/

25. PMC. Epidemiologia da doença falciforme na Arábia Saudita.
https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC3119971/

26. PMC. Resultado de seis anos do programa nacional de triagem pré-conjugal e aconselhamento genético.
https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/art

iccles/PMC3119961/

27. PMC. Medicamentos de terapia avançada na Arábia Saudita.
https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC13524764/

28. Estabelecimento de drogas da Emirates. Sobre nós. https://www.ede.gov.ae/en/home

Este documento branco destina-se apenas a informação e não constitui aconselhamento médico, jurídico ou regulamentar.

fontes disponíveis em 5 Novembro 2026; verificar o estado atual com a autoridade relevante antes de agir. © 2026 HERMS

Consultoria DMCC.

Índice de assuntos

Selecione um tópico para ir para sua seção neste white paper.

Acesso ao paciente com CCG

Aprovações de terapia genética

Ensaios clínicos de terapia genética

Oleoduto de terapia genética

Estrutura de preparação para terapia genética

Edição de genes in vivo

Pagamento com base em regulamentos e resultados

Recursos relacionados HERMS

Preparação para terapia celular e genética no CCG

CCG: Precificação farmacêutica e estratégia de acesso ao mercado

Obrigações de farmacovigilância do CCG para os titulares de autorizações de introdução no mercado

Registo de produtos farmacêuticos dos EAU

Contacto HERMS

Referências ligadas e leitura posterior

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/