Генная терапия в 2026 году

HERMS · АНАЛИТИЧЕСКИЙ ДОКЛАД · НОЯБРЬ 2026

Gene Therapy 2026 От прорыва до одобрения доступа пациентов в Персидском заливе, технологических сдвигов, изменений в регулировании и испытаний для наблюдения, с основой готовности для систем здравоохранения и разработчиков GCC.

HERMS Consultancy DMCC Dubai, Объединенные Арабские Эмираты | hermsglobal.com

Белые паперы / White Papers

HERMS Consultancy DMCC | Дубай, Объединенные Арабские Эмираты | info@hermsglobal.com | www.hermsglobal.com

EX EC U TIV E SU M M A RY 2026 - это год, когда генная терапия стала системой, а не исключением Одобрения, редактирование генов в организме и новые модели оплаты перемещают генную терапию из изолированных прорывов в повторяемую категорию лечения. Системы здравоохранения GCC, которые готовятся сейчас, доставят эти методы лечения пациентам годами ранее.

2 257 генных терапий, Q3 20261

62 генная терапия на стадии

III1 11 генная терапия подана в ожидании одобрения1

49 генных терапий, одобренных во всем мире

Расширяются пять выводов одобрения. В 2026 году FDA США одобрило новые генные методы лечения иммунодефицита, генетической потери слуха, болезни хранения гликогена, синдрома Санфилиппо и меланомы, а также распространило Casgevy на детей с серповидноклеточной анемией в возрасте двух лет и старше.2-6. Первое исследование III фазы терапии in vivo CRISPR прошло успешно, и прайм-редактирование было впервые использовано непосредственно у пациента.9,11 Регуляторы адаптируются к персонализированным методам лечения. Проект руководства FDA позволяет одной лицензии охватывать несколько вариантов редактирования генов для конкретного пациента без новых клинических испытаний для каждого.8 Оплата переходит к результатам. Американская CMS расширяет соглашения, основанные на результатах, для клеточной и генной терапии за пределы серповидноклеточной болезни.8 Залив уже является областью генной терапии. Бахрейн, Саудовская Аравия и ОАЭ одобрили

HERMS Consultancy DMCC | hermsglobal.com

2

Белые паперы / White Papers

Касгеви и Абу-Даби впервые ввели его пациенту в январе 2026.20-23 HERMS view. Ограничивающим фактором для пациентов в Заливе больше не является наличие методов лечения. Это готовность: регуляторные пути, квалифицированные центры лечения, клеточная и векторная логистика, долгосрочное наблюдение и устойчивая оплата. Каждый месяц задержки несет клиническую стоимость для пациентов с

прогрессирующим генетическим заболеванием. Белая книга HERMS · Генная терапия 2026 2

SEC TION 1 Разрешение на проведение генной терапии 2026 года в 2026 году распространилось по областям заболеваний, маршрутам доставки и возрастным группам. Некоторые из них являются первыми в мире методами лечения их состояния, а один из них является первой двухвекторной терапией AAV.

Технология индикации продукта одобрена США Kresladi (марнетегранен автотемцел) Тяжелый дефицит адгезии лейкоцитов типа I у детей; первая генная терапия для состояния 2 Ex vivo, модифицированные стволовые клетки 26 Мар 2026

Otarmeni (лунзотоген парвек), Regeneron Тяжелая-к-глубокая потеря слуха, вызванная биаллельными вариантами OTOF; первая двух-AAV векторная генная терапия3 AAV1, введенная в улитку 23 апреля 2026

HERMS Consultancy DMCC | hermsglobal.com

3

Белые паперы / White Papers

Casgevy (exagamglogene autotemcel), расширение метки Серповидноклеточная болезнь у детей в возрасте 2 лет и старше4 Ex vivo CRISPR 1 июля 2026

Genglycos (pariglasgene brecaparvovec) Болезнь хранения гликогена типа Ia, в возрасте 8 лет и старше; ускоренное одобрение для уменьшения ежедневного использования кукурузного крахмала5 AAV, направленная на печень 19 августа 2026 года

Fayuvi (rebisufligene etisparvovec) синдром Санфилиппо типа A (MPS IIIA) у детей; первое одобренное лечение6

AAV 17 Sep 2026

Тудрикев (vusolimogene oderparepvec) Реплимунная меланома1 Онколитическая генная терапия

Q3 2026 Плазмидная ДНК

HERMS Consultancy DMCC | hermsglobal.com

4

Белые паперы / White Papers

иммунотерапия Рекуррентный респираторный папилломатоз у взрослых; первая иммунотерапия на основе ДНК плазмиды7 Плазмид ДНК 30 октября 2026

В рамках обзора: решения, которые должны быть приняты в 2027 году Терапия Показания Статус Lonvo-z (lonvoguran ziclumeran), Intellia Наследственная ангиоэдема Сначала in vivo CRISPR терапия подана; решение FDA должно быть принято 10 марта 202710

AMT-130, болезнь Уникура Хантингтона Принята с приоритетным рассмотрением под ускоренным утверждением; целевая дата 1 мая 2027 года, консультативный комитет запланировал 15 Паттерн. Большинство одобрений 2026 года нацелены на редкие, тяжелые генетические заболевания, возникающие в детстве, без предварительного лечения. Возраст подходящих пациентов падает, что повышает важность ранней

диагностики и генетического скрининга новорожденных или до брака. Белая книга HERMS · Генная терапия 2026 3

SEC TION 2 Трубопровод: где сосредоточено развитие Генная терапия достигла 2257 программ в 3 квартале 2026 года по сравнению с 2128 годом ранее. Счета увеличились на каждом этапе, за исключением предварительной регистрации между 2 и 3 кварталами 2026.1

Генная терапия конвейер стадии разработки, Q3 2026 доклинический

HERMS Consultancy DMCC | hermsglobal.com

5

Белые паперы / White Papers

1355 Фаза I

437 Фаза II

392 Фаза III

62 Предварительная регистрация

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

Генная терапия трубопровода по терапевтической области (программы), Q3 2026 Противораковая терапия

1142 Редкое заболевание

1101 Неврологический

270 Сенсорный

204 Иммунологический

197 Терапевтические зоны не являются взаимоисключающими. Источник: ASGCT Q3 2026.1

Онкология приводит к тому, что онкология составляет 54% генной терапии редких заболеваний в стадии разработки и 65% в клинических испытаниях. Наиболее распространенными мишенями являются миелома, неходжкинская лимфома и B-клеточная лимфома.1

За редким заболеванием среди генной терапии

HERMS Consultancy DMCC | hermsglobal.com

6

Белые паперы / White Papers

Условия, солидные опухоли (379 программ) и аутоиммунные заболевания (118) являются наиболее частыми мишенями.1 Редактирование липидов in vivo также продвигается.14 Белая книга HERMS · Генная терапия 2026 4

Сдвиг технологии SEC TION 3: редактирование перемещается внутри тела Первое поколение генно-отредактированных методов лечения, таких как Casgevy, модифицирует

стволовые клетки пациента вне тела и нуждается в кондиционирующей химиотерапии и уходе на уровне трансплантата. Клинические данные 2026 года показывают, что редактирование доставляется непосредственно в организм, обычно в печень, в виде одной инфузии.

Подход 2026 веха Почему это важно In vivo CRISPR Lonvo-z встретил свои первичные и вторичные конечные точки в 80-пациентном рандомизированном двойном слепом исследовании III фазы при наследственной ангиоэдеме.9 Первая фаза III доказательство того, что одноразовое редактирование гена в организме может заменить хроническую терапию.

К августу 2026 года Beam ввел дозу 38 пациентам с редактором основы in vivo BEAM-302 для дефицита альфа-1 антитрипсина.13 Изменения отдельных букв ДНК без разрезания обеих нитей.

Первое известное использование прайм-редактирования непосредственно внутри человека, в испытании фазы 1/2 PM577a для болезни Уилсона.11,12 Может исправить более широкий спектр мутаций с помощью метода «Прайм Медицина».

высокая точность.

Редактирование распространенных заболеваний CRISPR Therapeutics CTX310 (ANGPTL3) произвело глубокое, прочное снижение триглицеридов и холестерина ЛПНП.14 Расширяет редактирование генов от редкого до высоко распространенного кардиометаболического заболевания.

Мультивекторный AAV Otarmeni стал первой одобренной двух-AAV векторной генной терапией.3 Доставляет гены, слишком большие для одного вектора AAV.

Безопасность остается центральным ограничением Обзоры генной терапии AAV описывают четкую связь между системной дозой и токсичностью, включая иммунные реакции против капсида, нагрузки на печень и активации комплемента, которые могут привести к тромботической микроангиопатии.19 Эти риски формируют выбор дозы, протоколы иммуносупрессии, мониторинг пациентов и клиническую способность, необходимую в центрах лечения. Последствия для провайдеров. Терапия in vivo может уменьшить потребность в инфраструктуре на уровне трансплантата, но она по-прежнему требует специализированной инфузии, тщательного управления безопасностью и многолетнего наблюдения. Белая книга HERMS · Генная терапия 2026 5

Регулирование и оплата SEC TION 4 перестраиваются FDA: структура для индивидуального редактирования генов 27 октября 2026 года FDA выпустило проект руководства «Индивидуализированные продукты редактирования генома человека: соображения по представлению BLA и управлению после утверждения».8 Одна заявка на лицензию может охватывать несколько вариантов конкретного пациента продукта редактирования генов. Индивидуальное пространство функций устанавливает границы, в пределах которых продукт может варьироваться между пациентами. Новые варианты внутри этих границ могут быть добавлены с использованием лабораторных данных без новых клинических испытаний.

HERMS Consultancy DMCC | hermsglobal.com

8

Белые паперы / White Papers

Руководство также охватывает производство, тестирование безопасности для непреднамеренных генетических изменений, наименования и маркировки. 2 ноября 2026 года FDA также опубликовало руководство по обеспечению потенции для продуктов клеточной и генной терапии, основное требование к качеству производства.7

CMS: доступ на основе результатов за пределами серповидно-клеточной болезни CMS объявила, что расширит свою модель доступа к клеточной и генной терапии за пределы серповидно-клеточной болезни. CMS ведет переговоры о соглашениях на основе результатов с производителями от имени государственных программ Medicaid. Его первая оценка показала, что объединенные переговоры снизили административное бремя государства и укрепили рычаги переговорного воздействия.8

Регуляторы ССАГПЗ могут использовать опору на справочно-агентские оценки для более быстрого обзора. Платформные и альтернативные подходы к персонализированной терапии. Ясные ожидания эффективности и сопоставимости импортных продуктов.

Что плательщики ССАГПЗ могут принять соглашения, основанные на результатах, связанные с долгосрочным ответом. Объединенные или совместные переговоры между эмиратами или государствами ССАГПЗ. Расходы по платежам, согласованные с многолетним наблюдением. HERMS White Paper · Gene Therapy 2026 6

HERMS Consultancy DMCC | hermsglobal.com

9

Белые паперы / White Papers

SEC TION 5 Испытания для наблюдения за терапией и спонсированием последнего обновления стадии индикации AMT-130, болезни Уникура Хантингтона Под обзором FDA Приоритетный обзор, цель 1 мая 202715

Lonvo-z, Intellia Наследственная ангиодема В рамках обзора FDA Положительная фаза III HAELO; решение от 10 марта 20279,10

OCU410, Ocugen Geographic атрофия (сухая)

Фаза III (ArMaDa3) Первая доза для пациента; Фаза 2 показала на 31% меньший рост поражения по сравнению с контролем16

Elevidys (delandistrogene moxeparvovec) Дюшеннская мышечная дистрофия III фаза

HERMS Consultancy DMCC | hermsglobal.com

10

Белые паперы / White Papers

ЕМБАРК Опубликовано 17 Трехлетнее наблюдение

PM577a, Prime Medicine Болезнь Вильсона Фаза 1/2 Первый in vivo прайм-редактирующий пациент в дозе 12

BEAM-302, Beam Alpha-1 антитрипсиновая недостаточность Клинические 38 пациентов, дозированные к августу 202613

CTX310, CRISPR Therapeutics Тяжелая гипертриглицеридемия, повышение ЛПНП Фаза 1a Долгосрочное снижение липидов; Обозначения RMAT 14,24 Kamau Therapeutics Серповидноклеточная болезнь Ранние клинические Первые данные из обновленной генной редактирующей терапии на ASH 202618 Gulf актуальность. Серповидноклеточная болезнь, наследственные метаболические и печеночные расстройства, наследственная потеря слуха и заболевание сетчатки представлены в этом трубопроводе. Это условия с значимой распространенностью в Персидском заливе и арабском населении. Белая книга HERMS · Генная терапия 2026 7

SEC TION 6 Картина ССАГПЗ: ранние пользователи с высокой потребностью Залив уже показал, что он может двигаться быстро. Бахрейн стал второй страной в мире и первой на Ближнем Востоке, одобрившей Casgevy в декабре 2023 года.21 Саудовская Аравия одобрила его в январе 2024 года как первое лекарство, оцененное в рамках Программы прорывных лекарственных средств SFDA.20 Департамент здравоохранения Абу-Даби представил Casgevy в марте 2025 года, а первый пациент из ОАЭ лечился в клинике Yas в январе 2026 года.22,23 Casgevy с тех пор был одобрен в ОАЭ и Бахрейне для детей в возрасте от двух лет и старше.24

В Саудовской Аравии распространенность серповидно-клеточных признаков колеблется от 2% до 27% по регионам, при этом до 2,6% имеют серповидно-клеточную анемию в некоторых районах.25 Национальная программа предварительного скрининга Саудовской Аравии выявила 4,5% обследованных в качестве носителей или случаев серповидно-клеточной анемии и 1,8% для бета-талассемии в течение первых шести лет.26

Регулирующие фонды в Саудовской Аравии предлагают стандартные, сокращенные и проверочные пути, которые могут применяться к передовым методам лечения, в зависимости от одобрений справочного агентства.27 В ОАЭ федеральная сфера компетенции Эмиратского лекарственного учреждения охватывает стволовые клетки и генетически модифицированные организмы, а также лекарства и устройства.28

Немногие сайты могут доставить редактирование ex vivo, поэтому пациенты могут ждать или путешествовать. Криогенная доставка, разрешения на импорт и цепочка идентификации добавляют время и риск. Диагностика и направление Пациенты без подтвержденного генотипа или направления никогда не оцениваются. Одноразовые дорогостоящие методы лечения напрягают годовые бюджеты без моделей, основанных на результатах или рассрочках. Долгосрочный контроль Многолетний мониторинг безопасности требует регистрации и фармаконадзора.

HERMS White Paper · Генная терапия 2026 8

SEC TION 7 The HERMS Gene Therapy Readiness Framework HERMS оценивает рыночную и институциональную готовность к генной терапии по восьми столпам. Каждый столп должен быть на месте, прежде чем терапия сможет надежно и безопасно достичь пациентов.

1.Регуляторный путь Выбор маршрута (стандарт, опора, прорыв), согласование досье с референтными утверждениями, план изменения жизненного цикла.

2. Квалификация лечебного центра Аккредитованные участки, обученные команды, аферез и способность к инфузии, управление острой токсичностью.

3. Логистика и цепочка идентификации Криогенная доставка, разрешения на импорт, таможня, сквозная прослеживаемость от клеток пациента к инфузии.

4. Скрининг идентификации пациента, генетическое подтверждение, пути направления и критерии приемлемости.

5. Планы управления рисками фармаконадзора, локальный QPPV, обнаружение сигнала для задержек и редких нежелательных явлений.

6. Долгосрочные последующие реестры и системы данных для многолетнего мониторинга эффективности и безопасности.

7. Экономические данные о стоимости и оплате, соглашения, основанные на результатах, модели рассрочки и объединенных покупок.

HERMS Consultancy DMCC | hermsglobal.com

13

Белые паперы / White Papers

8. Управление доказательствами Отслеживаемые источники данных, аудиторские проверки и подотчетные человеческие подписи для каждого последующего решения.

Рекомендации для разработчиков Планировать заявки GCC вместе с заявками FDA и EMA, а не после них. Используйте пути доверия, где это возможно. Квалифицируйте по крайней мере один региональный центр лечения до запуска. Предлагайте оплату на основе результатов с самого начала.

Для органов власти и плательщиков Опубликовать четкие руководящие указания по передовой терапии и сроки. Пилотные соглашения на основе результатов для гемоглобинопатий. Связать добрачный и новорожденный скрининг с реферальными путями. Создать национальные реестры генной терапии. HERMS Белая книга · Генная терапия 2026 9

SEC TION 8 Как HERMS поддерживает доступ к генной терапии, HERMS работает с разработчиками, органами здравоохранения и поставщиками, чтобы сократить время от глобального одобрения до доступа пациентов из Персидского залива. Регуляторная стратегия: оценка путей, подготовка досье и управление представлением через органы GCC. Оценки готовности: структурированная оценка восьмиуровневой структуры рынков и центров лечения. Доступ к рынку: досье на стоимость, анализ влияния бюджета и разработка соглашений, основанных на результатах.

Фармаконадзор: местные услуги QPPV, планы управления рисками и системы долгосрочного наблюдения. Управляемые доказательства: отслеживаемый источник информации с человеческой ответственностью за каждое решение. Запросить оценку готовности к генной терапии. info@hermsglobal.com · +971 55 600 8944 · www.hermsglobal.com

Ссылки 1. АСГКТ/Цителин. 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 одобрило первую генную терапию для тяжелой лейкоцитарной недостаточности адгезии типа I. https://www.fda.gov/news-events/ press-announcements/fda-approves-first-gene-therapy-severe-leukocyte-adhesion-deficiency-type-i 3. FDA. FDA одобряет первую в истории генную терапию для потери генетического слуха. https://www.fda.gov/news-events/press-announceme nts/fda-approves-first-ever-genetherapy-treatment-genetic-hearing-under-national-priority-voucher 4. FDA. FDA одобряет первую генную терапию для детей младшего возраста с серповидноклеточной анемией. https://www.fda.gov/news-events/press -announcements/fda-approves-first-gene-therapy-young-children-sickle-cell-disease 5. FDA. FDA одобрило первую терапию для болезни хранения гликогена типа Ia. 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 одобрило первую генную терапию для педиатрических пациентов с синдромом Санфилиппо типа A. https://www.fda.gov/news-e vents/press-announcements/fda-approves-first-gene-therapy-pediatric-patients-sanfilippo-syndrome-type 7. FDA. Что нового для Biologics. https://www.fda.gov/vaccines-blood-biologics/news-events-biologics/whats-new-biologics 8. HHS. FDA и CMS объявляют о новых шагах по продвижению генной терапии и расширению доступа, 27 октября 2026 г. https://www.hhs.go v/press-room/fda-cms-advance-gene-therapies-rare-diseases-patient-access.html 9. Неджем. Lonvoguran Ziclumeran: In Vivo CRISPR Gene Editing in Hereditary Angioedema. https://www.nejm.org/doi/abs/10.105 6/NEJMoa2600931 10. Life Science Daily. B Vivo Gene Editing: What the Clinical Data Now Shows. https://lifesciencedaily.news/in-vivo-gene-editi ng-clinical-data/11. Природа. Первый для CRISPR: простое редактирование изменяет ДНК непосредственно в организме человека. https://www.nature.com/articles/d41586-02603371-x

12. Technology.org. Prime Editing Used Inside a Patient for First Time. https://www.technology.org/2026/10/23/prime-editing-first -in-body-patient-wilson-disease-pm577a/13. Трекер редактирования генов: утверждения, испытания и неудачи. https://contentlora.com/events/gene-editing-tracker 14. CRISPR Therapeutics. Фаза 1a Данные для CTX310, 28 августа 2026. https://ir.crisprtx.com/node/15151/pdf 15. BioPharm International. FDA принимает БЛА генной терапии болезни Хантингтона компании uniQure для приоритетного обзора.

https://www.biop harminternational.com/view/fda-accepts-uniqure-s-huntington-s-disease-gene-therapy-bla-for-priority-review 16. CGTLive. Ocugen Doses First Patient in Phase 3 Trial of OCU410 for GA. https://www.cgtlive.com/view/ocugen-doses-first-p atient-phase-3-trial-ocu410-ga HERMS White Paper · Gene Therapy 2026 10 17. ПабМед. Трехлетнее продолжение Delandistrogene Moxeparvovec в DMD: EMBARK. https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/42944 976/18. Конечные точки новостей. Камау делится первыми данными из обновленной терапии редактирования гена серповидноклеточных клеток. https://endpoints.news/kamau-share s-first-data-from-revamped-sickle-cell-gene-editing-therapy/19. ЧВК. Безопасность аденоассоциированных вирусных векторов в генной терапии. https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC13256615/20 Вертекс. Утверждение CASGEVY в Королевстве Саудовская Аравия. https://investors.vrtx.com/news-releases/news-release-details/vertex-announces-approval-first-crisprcas9-gene-edited-therapy 21. GlobeNewswire. CASGEVY Gets Bahrain Approval, 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. Министерство здравоохранения – Абу-Даби. Внедрение генно-редактирующей терапии при СКД и талассемии. https://www.doh.gov.ae/en/news/doh-and-ascc-introduces-therapy-for-scd-and-thalassemia 23. Национальная. Клиника Абу-Даби сначала использует генную терапию для лечения заболеваний крови в ОАЭ, 6 января 2026 г. https://www.thenationalne ws.com/news/uae/2026/01/06/abu-dhabi-clinic-uses-life-changing-gene-therapy-to-treat-blood-disorders-in-ua e-first/24. CRISPR Therapeutics. Обновление бизнеса и результаты за третий квартал. https://ir.crisprtx.com/news-releases/news-release-details/c rispr-therapeutics-provides-business-update-and-reports third-7/

25. ЧВК. Эпидемиология серповидноклеточной анемии в Саудовской Аравии. https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC3119971/26. ЧВК. Шестилетний результат национальной программы добрачного скрининга и генетического консультирования. https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/art icles/PMC3119961/27. ЧВК. Передовая терапия лекарственными препаратами в Саудовской Аравии. https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC13524764/28. Эмирейтс Наркомания. О нас. https://www.ede.gov.ae/en/home Настоящий документ предназначен только для информации и не является медицинским, юридическим или нормативным советом. Информация отражает общедоступные источники, доступные 5 ноября 2026 года; проверить текущий статус в соответствующем органе до вступления в силу. © 2026 HERMS Consultancy DMCC. Белая книга HERMS · Генная терапия 2026 11

Тематический индекс Выберите тему, чтобы перейти к ее разделу в этой белой книге. GCC доступ пациентов к одобрению генной терапии Генная терапия клинические испытания Генная терапия трубопровод Генная терапия готовность структура генной терапии In vivo редактирование генов Регулирование и результаты на основе оплаты

Связанные с HERMS ресурсы Готовность клеток и генной терапии в стратегии GCC GCC фармацевтическое ценообразование и доступ к рынку GCC фармаконадзорные обязательства для держателей маркетинговых разрешений ОАЭ регистрация фармацевтической продукции Контакты HERMS

Связанные ссылки и дальнейшее чтение 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-release-details/vertex-announces-approval-first-crisprcas9-gene-edited-therapy https://ir.crisprtx.com/news-release-details/crispr-therapeutics-provides-business-update-and-reports third-7/

Белые паперы / White Papers

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-natio nal-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-dis ease-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-seco nd-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-uaefirst/

Ссылки на источники

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

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.hermsglobal.com/white-page

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/