HERMS WHITE PAPER | NOVEMBER 2026

Gene Therapy 2026 från genombrott till Gulf Patient Access

Godkännanden, tekniskiften, regeländring och försöken att titta på, med en beredskap ram för GCC hälsosystem och utvecklare.

HERMS Samråd DMCC

Dubai, Förenade Arabemiraten | hermsglobal.com

HERMS Samråd DMCC | Dubai, Förenade Arabemiraten | info@hermsglobal.com | www.hermsglobal.com

EX EC U TIV E SU M M A RY

2026 är årets genterapi blev ett system, inte en

undantag

Godkännanden, in-body genredigering och nya betalningsmodeller flyttar genterapi från

isolerade genombrott till en repeterbar behandlingskategori. GCC hälsosystem som förbereder

Nu kommer dessa behandlingar att levereras till patienter år tidigare.

2,257

genterapier i

utveckling, Q3 20261

62

genterapier i fas

III1

11

genterapier som lämnats in,

Väntar på godkännande 1

49

genterapier godkända

över hela
världen1

Fem resultat

Godkännanden breddas. I 2026 godkände amerikanska FDA nya genterapier för immunförsvar.

brist, genetisk hörselnedsättning, glykogenlagringssjukdom, Sanfilippo syndrom och melanom, och

utökad Casgevy till barn med sicklecellsjukdomar i åldern två och äldre.2 -6

Redigering har flyttat inuti kroppen. Den första fas III-studien av en in vivo-CRISPR-terapi lyckades.

Prime redigering användes direkt i en patient för första gången. 9,11

Tillsynsmyndigheter anpassar sig till personliga terapier. FDA utkast till vägledning tillåter en licens att täcka

multipla patientspecifika genredigeringsvarianter utan nya kliniska prövningar för var och en.8

Betalningen övergår till resultaten. USA:s CMS utökar resultatbaserade avtal för celler

och genterapier utöver sjukdom hos sickleceller.8

Gulfen är redan en genterapi region. Bahrain, Saudiarabien och Förenade Arabemiraten har godkänts.

Casgevy, och Abu Dhabi administrerade den till en patient för första gången i januari 2026.20-23

HERMS vy. Den begränsande faktorn för Gulfpatienter är inte längre existensen av terapier.

beredskap: regleringsvägar, kvalificerade behandlingscenter, cell- och vektorlogistik, långsiktighet

uppföljning och hållbar betalning. Varje månad för försening bär klinisk kostnad för patienter med

progressiv genetisk sjukdom.

HERMS Vitbok · Gene Therapy 2026

2

SEC TION 1

2026 godkännandevåg

Genterapi godkännanden i 2026 har spridits över sjukdomsområden, leveransrutter och åldersgrupper.

Flera är första behandlingar för sitt tillstånd, och en är den första dubbla vektorn AAV-terapi.

Produkt Produkt Produkt

Indikation

Teknikteknik

USA-godkännande

Kresladi

(Marnetegragene)

autotemcel)

Allvarlig leukocyt vidhäftningsbrist typ I i

barn; första genterapi för tillståndet2

Ex vivo,

modifierad stam

celler

26 Mar 2026

Otarmeni (lunsotogen

parvec), Regeneron

Allvarlig hörselnedsättning orsakad av

Biallelic OTOF-varianter; första dual-AAV vektorgen

terapi 3

AAV 1, injicerad

in i cochlea

23 Apr 2026

Casgevy

(exagamglogene)

autotemcel), etikett

expansion expansion
expansion

Sickle cellsjukdom hos barn i åldern 2 år och

Äldre 4

Ex vivo CRISPR

1 Jul 2026

Genglycos

(Pariglasgene)

brecaparvovec)

Glykogen lagring sjukdom typ Ia, åldrade 8 och äldre;

accelererat godkännande för att minska daglig majsstärkelse

Använd
5

AAV, lever-

Regisserad

19 Aug 2026

Fayuvi (rebisufligene)

etisparvovec)

Sanfilippos syndrom typ A (MPS IIIA) hos barn;

första godkänd behandling6

AAV

17 Sep 2026

Tudriqev

(vusolimogene)

oderparepvec),

Replimun

Melanom1

Onkolytisk gen

Terapi

Q3 2026

Plasmid DNA

immunterapi

Återkommande andningspapillomatos hos vuxna; först

plasmid DNA-baserad immunterapi7

Plasmid DNA

30 Okt 2026

Under granskning: beslut som ska fattas i 2027

Terapi

Indikation

Status

Lonvo-z (Lonvoguran

ziklumeran), Intellia

Ärftlig angioödem

Första in vivo CRISPR terapi inlämnad; FDA beslut

10 mars 202710

AMT-130, uniQure

Huntingtons sjukdom

Accepterad med prioriterad granskning under accelererad

godkännande; måldatum 1 maj 2027, rådgivning

Kommittén planerade15

Mönster. De flesta 2026 godkännanden riktar sig till sällsynta, svåra, barndomsupprörda genetiska sjukdomar utan föregående

behandling. åldern för berättigade patienter faller, vilket ökar vikten av tidig diagnos

nyfödd eller premarital genetisk screening.

HERMS Vitbok · Gene Therapy 2026

3

SEC TION 2

Rörledningen: där utveckling koncentreras

Genterapi pipeline nådde 2,257 program i Q 3 2026, upp från 2,128 ett år tidigare.

ökat i varje skede utom förhandsregistrering mellan Q2 och Q3 2026.1

Gene therapy pipeline genom utvecklingsstadium, Q3 2026

Preklinisk

1,355

Fas I

437

Fas II

392

Fas III

62

Förhandsregistrering

11

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

Gene therapy pipeline av terapeutiskt område (program), Q 3 2026

Anticancer

1,142

Sällsynt sjukdom

1,101

Neurologiska

270

Sensory

204

Immunologi

197

Terapeutiska områden är inte ömsesidigt exklusiva. Källa: ASGCT Q 3 2026.1

Onkologi leder

Onkologi står för 54% av sällsynta sjukdomar

genterapier i pipeline och 65% av

de i kliniska prövningar. De vanligaste

mål är myelom, icke-Hodgkins

lymfom och B-cell lymfom.1

Bortom sällsynt sjukdom

Bland genterapier för gemensamma

förhållanden, solida tumörer (379 program)

och autoimmun sjukdom (118) är de mest

frekventa mål.1 Lipid-lowering in vivo

redigering avancerar också.14

HERMS Vitbok · Gene Therapy 2026

4

SEC TION 3

Teknikskifte: redigering rör sig inuti kroppen

Första generationens genredigerade terapier, såsom Casgevy, modifierar en patients stamceller utanför kroppen och behöver konditionering kemoterapi och transplantationsnivå vård. 2026 kliniska data visar redigering levereras direkt i kroppen, vanligtvis till levern, som en enda infusion.

Förhållande

2026 milstolpe

Varför det spelar roll

In vivo CRISPR

Lonvo-z träffade sin primära och sekundära

slutpunkter i en 80-patient, randomiserad,

dubbelblind fas III-studie i ärftlig

Angioödem.9

Första fas III-beviset på att en engångs, in-body

genredigering kan ersätta kronisk terapi.

Basredigering

Beam hade doserat 38 patienter med in vivo

Basredaktör BEAM-302 för alfa-1

antitrypsinbrist i augusti 2026.13

Ändrar enstaka DNA-brev utan att skära

Båda strängarna.

Prime redigering

Första kända användningen av prime redigering direkt

inuti en person, i Prime Medicines fas

1 / 2 Rättegången för PM 577 För Wilsons sjukdom. 11,12

Kan korrigera ett bredare utbud av mutationer med

hög precision.

Common-Disease

redigering

CRISPR Therapeutics CTX310 (ANGPTL3)

framställda djupa och hållbara minskningar

triglycerider och LDL-kolesterol.14

Förlänger genredigering från sällsynt till hög

prevalens kardiometabolisk sjukdom.

Multi-vektor AAV

Otarmeni blev den första dual-AAV-vektorn

genterapi godkänd.3

Levererar gener för stora för en enda AAV

vektor.

Säkerheten förblir den centrala begränsningarna

Recensioner av AAV-genterapi beskriver en tydlig koppling mellan systemisk dos och toxicitet, inklusive

immunsvar mot capsid, leverbörda och komplettera aktivering som kan leda till

thrombotic microangiopathy.19 Dessa risker formar dosval, immunosuppressionsprotokoll, patient

övervakning och den kliniska förmåga som krävs vid behandlingscentrum.

Konsekvens för leverantörer. In vivo-terapier kan minska behovet av transplantationsnivå

infrastruktur, men de kräver fortfarande specialistinfusion, akut säkerhetshantering och flerårig

Uppföljning.

HERMS Vitbok · Gene Therapy 2026

5

SEC TION 4

Förordning och betalning byggs om

FDA: en ram för individualiserad genredigering

27 Oktober 2026 FDA utfärdade utkast till vägledning, Individualized Human Genome Editing Products:

överväganden för BLA Submission and Postapproval Management.8

En licensapplikation kan täcka flera patientspecifika varianter av en genredigeringsprodukt.

En individualiserad funktionsutrymme sätter gränserna inom vilka en produkt kan variera mellan

patienter.

Nya varianter inom dessa gränser kan läggas till med hjälp av laboratoriedata, utan nya kliniska prövningar.

Vägledningen omfattar även tillverkning, säkerhetstestning för oavsiktliga genetiska förändringar, namngivning och etikettering.

2 November 2026 FDA publicerade också vägledning om styrka för cell- och genterapi produkter, en kärntillverkningskvalitetskrav.7

CMS: resultatbaserad tillgång utöver sjukdomscellssjukdom

CMS tillkännagav att det kommer att bredda sin Cell och Gene Therapy Access Model bortom sicklecellsjukdom.

CMS förhandlar utfallsbaserade avtal med tillverkare på statlig Medicaids vägnar

Dess första utvärdering fann att förhandlingen minskade statens administrativa börda och förstärkt förhandlingshävstång.8

Vilka GCC-regulatorer kan anta

Tillit på referens-agency

bedömningar för snabbare granskning.

Plattform och variantbaserade metoder

för personliga terapier.

Tydlig styrka och jämförbarhet

förväntningar på importerade produkter.

Vad GCC betalare kan anta

Resultatbaserade avtal kopplade till

hållbart svar.

Poolerade eller gemensamma förhandlingar över emirat

eller GCC stater.

Delbetalningar i linje med multi-

Årsuppföljning.

HERMS Vitbok · Gene Therapy 2026

6

SEC TION 5

Trials att titta på

Terapi och sponsor

Indikation

Stadium

Senaste uppdateringen

AMT-130, uniQure

Huntingtons sjukdom

Under FDA

Granska

Prioriterad granskning, mål 1 maj 202715

Lonvo-z, Intellia

Ärftlig angioödem

Under FDA

Granska

Positiv fas III HAELO; beslut genom

10 Mar 20279,10

OCU 410, Ocugen

Geografisk atrofi (torr

AMD)

Fas III

(ArMaDa3)

Första patienten doserad; Fas 2 visade

31% mindre lesion tillväxt vs kontroll 16

Elever

(delandistrogene)

moxeparvovec)

Duchenne muskulös

dystrofi

Fas III

EMBARK

Treårig uppföljning publicerad17

PM 577a, Prime Medicine

Wilson sjukdom

Fas 1/2

Första in vivo prime-editing patient

doserad12

BEAM-302, Beam

Alpha-1 antitrypsin

brist

Klinisk

38 patienter doserade av Aug 202613

CTX310, CRISPR

Terapeutik

Svårt

hypertriglyceridaemi,

höjt LDL

Fas 1a

Hållbara lipidminskningar; RMAT

Beteckningar14,24

Kamau Therapeutics

Sickle cellsjukdom

Tidig klinisk

Första data från revamped gene-editing

terapi vid ASH 202618

Gulf relevans. Sickle cellsjukdom, ärvda metaboliska och leverstörningar, ärftlig hörsel

förlust och retinal sjukdom är alla representerade i denna pipeline. Dessa är villkor med meningsfulla

Förekomst i Gulf och arabiska populationer.

HERMS Vitbok · Gene Therapy 2026

7

SEC TION 6

GCC-bilden: tidiga adoptrar med stort behov

Gulfen har redan visat att den kan röra sig snabbt. Bahrain blev det andra landet i världen.

den första i Mellanöstern, att godkänna Casgevy i december 2023.21 Saudiarabien godkände den i januari 2024 som det första läkemedlet utvärderades genom SFDA: s Genombrottsmedicinprogram.20 Abu Dhabis hälsodepartement introducerade Casgevy i mars 2025, och den första UAE-patienten behandlades.

på Yas Clinic i januari 2026.22,23 Casgevy har sedan dess godkänts i UAE och Bahrain för barn 2 år och äldre.24

Behovet är väsentligt

I Saudiarabien rapporterade sjukdomscellsdragprevalens varierar från 2% till 27% per region, med upp till

2.6% med sjukdomssjukdom i vissa områden.25

Saudiarabiens nationella premaritala screeningprogram identifierade 4.5% av dem som undersöktes som

bärare eller fall av sjukdomssjukdomar och 1.8% för beta-thalassaemia, under sina första sex år.26

Regulatoriska stiftelser på plats

Saudiarabien erbjuder standard, förkortade och verifieringsvägar som kan gälla för avancerade

terapier, beroende på referens-agency-godkännanden.27

I Förenade Arabemiraten täcker Emirates Drug Establishment federala remit stamceller och genetiskt

modifierade organismer, tillsammans med läkemedel och enheter.28

De återstående luckorna

Gap

Effekt på patienter

Kvalificerade behandlingscentrum

Få platser kan leverera ex vivo redigering, så patienter kan vänta eller resa.

Cell och vektorlogistik

Kryogen sjöfart, importtillstånd och identitetskedja lägger till tid och risk.

Diagnos och remiss

Berättigade patienter utan bekräftad genotyp eller remiss bedöms aldrig.

Betalningsmodeller

Engångs högkostnadsterapier stammar årliga budgetar utan resultatbaserade eller

Instalmentmodeller.

Långsiktig uppföljning

Flerårig säkerhetsövervakning behöver register och farmakovigilans utformad

För försenade händelser.

HERMS Vitbok · Gene Therapy 2026

8

SEC TION 7

HERMS Gene Therapy Readiness Framework

HERMS bedömer marknaden och institutionell beredskap för genterapi över åtta pelare.

måste finnas innan en terapi kan nå patienter på ett tillförlitligt och säkert sätt.

1 Regulatorisk väg

Route urval (standard, beroende, genombrott),

Dossier anpassning med referensgodkännanden, livscykel

variationsplan.

2. Behandlingscenter kvalifikation

Ackrediterade platser, utbildade lag, apheresis och

infusionsförmåga, akut toxicitetshantering.

3 Logistik och identitetskedja

Kryogen sjöfart, importtillstånd, tull, end-to-

Slutspårbarhet från patientceller till infusion.

4. patientidentifiering

Screening, genetisk bekräftelse, remissvägar

och kriterier för behörighet.

5 Pharmacovigilance

Riskhanteringsplaner, lokal QPPV, signaldetektering

För försenade och sällsynta biverkningar.

6 Långsiktig uppföljning

Registreringar och datasystem för flerårig effekt

och säkerhetsövervakning.

7. Värde och betalning

Hälsoekonomisk bevis, resultatbaserad

avtal, delbetalning och pooled-köp

modeller.

8. Bevisstyrning

Källa spårbara register, revisionsleder och

Berättigad mänsklig sign-off för varje konsekvens

beslut.

Rekommendationer

För utvecklare

Plan GCC-ansökningar tillsammans med FDA och EMA

Inlämningar, inte efter dem.

Använd tillförlitlighetsvägar där det är berättigat.

Kvalificera minst en regional behandling

centrum före lanseringen.

Föreslå resultatbaserad betalning från

Början.

För myndigheter och betalare

Publicera tydliga avancerade terapi vägledning

och tidslinjer.

Pilot resultatbaserade avtal för

hemoglobinopatier.

Länk premarital och nyfödd screening till

remissvägar.

Bygg nationella genterapiregister.

HERMS Vitbok · Gene Therapy 2026

9

SEC TION 8

Hur HERMS stöder genterapiåtkomst

HERMS arbetar med utvecklare, hälsomyndigheter och leverantörer för att förkorta tiden från globalt godkännande till Gulf patient tillgång.

Regulatorisk strategi: Pathway assessment, dossier preparat och inlämningshantering över GCC myndigheter.

Beredskapsbedömningar: strukturerad utvärdering mot åttapillarsramverket för marknader och behandlingscentra.

Marknadstillträde: värdedossiers, budgetpåverkansanalys och resultatbaserad avtalsdesign.

Farmakovigilans: lokala QPPV-tjänster, riskhanteringsplaner och långsiktiga uppföljningssystem.

Styrda bevis: källspårbar intelligens med mänsklig ansvarsskyldighet för varje beslut.

Begär en genterapi beredskapsbedömning. info@hermsglobal.com · +971 55 600 8944 ·

www.hermsglobal.com

Referenser

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

CT-Q 3-2026-Landscape-Report-Final.pdf

2 FDA godkänner första generationens terapi för allvarlig Leukocyte Adhesion Deficiency Typ I.
https://www.fda.gov/news-events/

pressmeddelanden/fda-godkänner-första-gen-terapi-severe-leukocyte-adhesion-deficiency-type-i

3 FDA godkänner första någonsin genterapi för genetisk hörselnedsättning.
https://www.fda.gov/news-events/press-announceme

nts/fda-godkänner-första-all-gen-terapi-behandling-genetisk-hörande-förlust-under-nationell-priority-voucher

4 FDA godkänner första genterapi för unga barn med sjukcellssjukdom.
https://www.fda.gov/news-events/press

-meddelanden/fda-godkänner-första-gen-terapi-ung-barn-sickle-cell-sjukdom

5 FDA godkänner första behandlingen för Glycogen Storage Disease Type Ia.
https://www.fda.gov/news-events/press-announcem

Ents/fda-godkänner-första-terapi-patienter-ålders-8-år-och-äldre-glykogen-lagring-sjukdom-typ-ia

6 FDA godkänner första genterapi för pediatriska patienter med Sanfilippo syndrom typ A.
https://www.fda.gov/news-e

ventiler/pressmeddelanden/fda-godkänner-första-gen-terapi-pediatri-patients-sanfilippo-syndrom-typ

7 FDA. Vad är nytt för biologer.
https://www.fda.gov/vaccines-blood-biologics/news-events-biologics/whats-new-biologics

8. HHS. FDA och CMS tillkännager nya steg för att främja Gene Therapies och Expand Access, 27 Oct 2026.
https://www.hhs.go

v/press-room/fda-cms-advance-gene-therapies-rare-diseases-patient-access.html

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

6/NEJMoa2600931

10 Life Science Daily. I Vivo Gene Editing: Vad de kliniska data visar nu.
https://lifesciencedaily.news/in-vivo-gene-editi

ng-klinisk-data/

11. Naturen. En första för CRISPR: prime redigering förändrar DNA direkt i människokroppen.
https://www.nature.com/articles/d41586-026-

03371-x

12. Technology.org. Prime Editing Används Inuti en patient för första gången.
https://www.technology.org/2026/10/23/prime-editing-first

-i-kropp-patient-wilson-disease-pm 577a/

13. Gene redigeringsspårare: godkännanden, försök och motgångar. https://contentlora.com/events/gene-editing-tracker

14. CRISPR Therapeutics. Phase 1a Data för CTX 310, 28 Aug 2026. https://ir.crisprtx.com/node/15151/pdf

15. BioPharm International. FDA accepterar uniQures Huntingtons sjukdomsgenterapi BLA för prioritet Recension. 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 i Fas 3 Trial of OCU 410 för GA.
https://www.cgtlive.com/view/ocugen-doses-first-p

3-trial-ocu 410-ga

HERMS Vitbok · Gene Therapy 2026

10

17. PubMed. Tre-års uppföljning av Delandistrogene Moxeparvovec i DMD: EMBARK.
https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/42944

976/

18. Endpoints News. Kamau delar första data från omarbetad sicklecellgenredigering.
https://endpoints.news/kamau-share

s-first-data-från-revamped-sickle-cell-gene-editing-therapy/

19. PMC. Säkerhet för Adeno-associerade virusvektorer i genterapi.
https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC13256615/

20 Vertex. Godkännande av Casgeby i kungariket Saudiarabien.
https://investors.vrtx.com/news-releases/news-release-detail

s/vertex-announces-approval-first-crisprcas 9-genredigerad-terapi

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

2789644/0/en/CASGEVY-Gets-Bahrain-godkännande-för-behandling-marking-it-second-country-in-the-world.html

22. Hälsodepartementet - Abu Dhabi. Introduktion av genredigeringsterapi för SCD och thalassemi.
https://www.doh.gov.ae/en/

nyheter/doh-and-ascc-introduces-therapy-for-scd-and-thalassemi

23. National. Abu Dhabi klinik använder genterapi för att behandla blodsjukdomar i UAE först, 6 Jan 2026.
https://www.thenationalne

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

24. CRISPR Therapeutics. Business-uppdatering och resultat från tredje kvartalet.
https://ir.crisprtx.com/news-releases/news-release-details/c

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

25. PMC. Epidemiologi av sicklecellsjukdom i Saudiarabien.
https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC3119971/

26. PMC. Sexårsresultatet av det nationella premaritala screening- och genetiska rådgivningsprogrammet.
https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/art

Icles/PMC3119961/

27. PMC. Avancerade terapiläkemedel i Saudiarabien.
https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC13524764/

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

Detta vitbok är endast för information och utgör inte medicinsk, juridisk eller laglig rådgivning. Information speglar allmänheten.

källor som finns tillgängliga på 5 november 2026; verifiera aktuell status med den berörda myndigheten innan de agerar. © 2026 HERMS

Konsult DMCC.

Subject index

Välj ett ämne för att gå till dess sektion i detta vita papper.

GCC patientåtkomst

Gene terapi godkännanden

Gene therapy kliniska prövningar

Gene Therapy Pipeline

Gene therapy beredskap ramverk

In vivo genredigering

Förordning och resultatbaserad betalning

Relaterade HERMS resurser

Cell och genterapi beredskap i GCC

GCC läkemedelsprissättning och marknadstillträdesstrategi

GCC:s farmakovigilansskyldigheter för innehavare av godkännande för försäljning

UAE läkemedelsregistrering

Kontakt HERMS

Länkade referenser och vidare läsning

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/