HERMS WHITE PAPER | NOVEMBER 2026

Gene Therapy 2026 Mula sa Pagwala Tungo sa Pag - ahon sa Gulpo

Mga pagsang - ayon, pagbabago sa teknolohiya, pagbabago sa pamamahala at mga pagsubok na dapat panoorin, na may kasamang pagbabago

Handang balangkas para sa mga sistemang pangkalusugan ng GCC at mga tagapagpaunlad.

HERMS Consultancy DMCC

Dubai, United Arab Emiratesić herms engrande.com

HERMS Consultancy DMCC ?? Dubai, United Arab Emiratesific influenza ?? herms global.com ?? www.herms Global.com

EX EC U TIV E SU M M A RY

2026 ang taon na ang gene therapy ay naging isang sistema, hindi isang sistema

eksepsiyon

Ang mga pagsang-ayon, in-body gene editing at mga bagong modelo ng pagbabayad ay gumagalaw na gene therapy mula sa

mga pagsulong sa kalusugan na maaaring ulitin.

ang mga paggamot na ito sa mga pasyente mga ilang taon na ang nakalipas.

2,257

Mga gene therapy sa

Pag - unlad, Q3 20261

62

Mga "Dene therapy " sa Phase

III1

11

Nagsampa ng mga gene therapy,

naghihintay ng pagsang - ayon1

49

Sinang - ayunan ang mga gene therapy

sa buong daigdig1

Limang Natuklasan

Sa 2026 sinang - ayunan ng US FDA ang bagong mga terapi ng gene para sa imyunidad

Kulang, pagkawala ng henetikong pandinig, sakit sa imbakan ng glycogen, Sanfilippo syndrome at melanoma, at

ang sabi pa ni Cassgevy sa mga batang may sickle cell disease na edad dalawa at mas matanda pa. 2 – 6

Ang pagdididirihe ay lumipat sa loob ng katawan. Ang unang pagsubok sa Phase III ng isang in vivo CRISPR therapy ay nagtagumpay,

at ang pangunahing pagsasaayos ay ginamit nang tuwiran sa isang pasyente sa kauna - unahang pagkakataon. 9,11

Ang mga regulator ay nakikibagay sa personal na mga terapi.

Maraming mga pasyente-specific gene-editing variant na walang bagong klinikal na pagsubok para sa bawat isa.8

Ang Payment ay nagbabago sa mga kinalabasan. Ang US CMS ay nagpapalawig ng mga kinalabasan-based na kasunduan para sa mga selula

at mga paggamot sa gene na lampas pa sa sickle cell disease.8

Ang Gulpo ay isa nang rehiyon ng gene therapy.

Casgevy, at ito ay ibinigay ni Abu Dhabi sa isang pasyente sa unang pagkakataon noong Enero 2026.20–23

Hindi na HERMS ang limitadong salik para sa mga pasyente sa Gulf ay ang pag - iral ng mga terapi.

Pagiging handa: Mga regulatory pathway, kuwalipikadong mga sentro ng paggamot, selula at vektor logistics, long-term

Ang sumusunod na-up at patuloy na pagbabayad. Bawat buwan ng pagkaantala ay nagdadala ng klinikal na halaga para sa mga pasyenteng may mga pasyente

Pasulong na henetikong sakit.

HERMS Puting Papel · Gene Therapy 2026

2

SEC TION 1

Ang alon ng pagsang - ayon 2026

Ang mga pagsang - ayon ng gene therapy sa 2026 ay kumalat na sa mga lugar ng sakit, mga ruta ng paghahatid at mga grupo ng edad.

Ilan ang mga first-ever treatment para sa kanilang kondisyon, at isa ang unang dual-vector AAV therapy.

Mabunga

Pahiwatig

Teknolohiya

Sang - ayon Tayo

Kresladi

(marnegragene

autotemcel)

Kulang ng titik I ang matinding leukocyte sa pagkapit

mga bata; unang gene therapy para sa kalagayan2

Ex vivo,

Binagong tangkay

mga
selula

26 Mar 2026

Otarmeni (lunsote

Parvec), Regeneron

Matinding-to-procked hearing pagkawala na dulot ng

Mga pagkakaiba ng biallelic OTOF; unang dual-AAV vector gene

therapy3

AAV1, itinuturok

sa loob ng Parthenon

23 Apr 2026

Pagkainggit

(exagaglogene

autotemcel), tatak

paglawak

Sakit sa selula sa mga batang may edad na 2 at

mas
matanda4

PRISPR NG Ex vivo

1 Jul 2026

Mga Genglyco

(pariglasgene

brecaparvovec)

Glycogen storage disease uri Ia, may edad na 8 at mas matanda pa;

pinabilis ang pagsang - ayon na bawasan ang araw - araw na gawgaw

gamitin5

AAV, atay-

nakadirekta

19 Aug 2026

Fayuvi (rebisufligene

etisparvovec)

Safilippo syndrome uri A (MPS IIIA) sa mga bata;

unang sinang - ayunang paggamot6

AAV

17 Sep 2026

Tudriqev

(vusolimogene

oderparepvec),

Replimune

Melanoma1

Ang onkoliptikong gene

terapi

Q3 2026

Desimid na DNA

immunotherapy

Muling papillomatosis sa palahingahan ng mga adulto; una

plasmid DNA-based immunotherapy7

Desimid na DNA

30 Oct 2026

Sa ilalim ng review: mga pasiyang nararapat sa 2027

Terapi

Pahiwatig

Kalagayan

Lonvo-z (lonvoguran

??), Intellia

Hereditary Angioedema

Una sa vivo CRISPR therapy na isinampa; ang pasiya ng FDA

nakatakda ng 10 Marso 202710

AMT-130, uniQure

Huntington's disease

Tinanggap na may pangunahing review sa ilalim ng mabilis na

pagsang - ayon; puntiryang petsa 1 Mayo 2027, isang tagapayo

Nagplano ang komite [15

Ang karamihan sa mga pagsang-ayon 2026 ay pumupuntirya sa bihira, grabe, pambatang-onset na mga henetikong sakit na walang bago

Ang edad ng mga pasyente ay bumababa, na nagpapataas sa kahalagahan ng maagang pagsusuri

at ang genetikong pagsusuri bago ang kasal o bago ang kasal.

HERMS Puting Papel · Gene Therapy 2026

3

SEC TION 2

Ang tubo: kung saan ang pag - unlad ay nakatuon

Ang tubo ng gene therapy ay umabot sa 2,257 programmes sa Q3 2026, tumaas mula sa 2,128 isang taon na mas maaga.

tumaas sa bawat yugto maliban sa pre-registration sa pagitan ng Q2 at Q3 2026.1

Gene therapy pipeline sa pamamagitan ng development stage, Q3 2026

Pabagu - bago

1,355

Phase I

437

Phase II

392

Phase III

62

Pre-registration

11

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

Gene therapy pipeline sa pamamagitan ng terapeutikong dako (programmes), Q3 2026

Laban sa Kanser

1,142

Pambihirang sakit

1,101

Pag - iral ng mga Neurolohikal

270

Pagkadama

204

Immunotolohikal

197

Ang mga lugar ng rapeutic ay hindi eksklusibo sa isa't isa. Pinagmulan: ASGCT Q3 2026.1

Ang onkolohiya ay umaakay

Ang onkolohiya ang dahilan ng 54% ng bihirang-sakit

" gene therapy " sa tubo at 65% ng

Ang pinakakaraniwang mga pagsubok

Mga target ay myeloma, hindi-Hodgkin's

lymphoma at B-cell lymphoma.1

Higit pa sa pambihirang sakit

Kabilang sa karaniwang paggamot ng gene

Mga kalagayan, matatag na mga bolyum (379 mga programa)

at ang anesthesiologist disease (118) ang siyang pinakamadalas

madalas na target.1 Lipid-lowering sa vivo

Ang pagsasaayos ay sumusulong din.14

HERMS Puting Papel · Gene Therapy 2026

4

SEC TION 3

Pagbabago ng teknolohiya: Pag - aayos ng galaw sa loob ng katawan

Ang mga unang-generation gene-edited therapy, tulad ng Casgevy, ay binabago ang mga stem cell ng pasyente sa labas ng katawan

at nangangailangan ng conditioning chemotherapy at transplant-level care. Ang 2026 clinical data show editing

na tuwirang dinadala sa katawan, karaniwan na sa atay, bilang isang sirkulasyon.

Paglapit

2026 mahalagang pangyayari

Kung Bakit ito Mahalaga

Sa vivo CRISPR

Si Lonvo-z ay nagtagpo sa primary at second nito

Mga endpoint sa isang 80-natitiyaga, pasumala,

doble-bulag na Phase III paglilitis sa pagmamana

agioedema.9

Ang Unang Phase III ay nagpapatunay na ang isang one-time, in-body

Ang pag - aayos ng gene ay maaaring humalili sa chronic therapy.

Pag - aayos ng Base

Napatay na si Beam 38 mga pasyenteng may vivo

base editor BEAM-302 para sa alpha-1

Kulang sa antitrypsiyon pagsapit ng Agosto 2026.13

Mga pagbabago sa mga titik ng DNA nang hindi pinuputol

parehong hibla.

Pangunahing pagsasaayos

Unang kilalang paggamit ng pangunahing pagsasaayos nang tuwiran

sa loob ng isang tao, sa Phase ng Prime Medicine

1 / 2 paglilitis sa PM 577 para sa sakit na Wilson. 11,12

Maaaring ituwid ang mas malawak na saklaw ng mutasyon sa pamamagitan ng

mataas na
prekwensiya.

Karaniwang-sakit

**Pag -
aayos**

CRISPR Therapeutics' CTX310 (ANGPTL3)

ay nagdulot ng malalim, matibay na mga pagbabawas

Mga triglyceride at ang kolesterol sa Mercury.14

Ang pag-aayos ng gene mula sa bihira hanggang mataas--

Ang laganap na sakit na cardiometabolic.

Multi-venector AAV

Si Otarmeni ang naging unang dual-AV vector

Naaprubahang gene therapy.3

Naghahatid ng mga gene na napakalaki para sa isang AAV

Hinango.

**Ang kaligtasan pa rin ang nananatiling pangunahing
hadlang**

Inilalarawan ng mga repaso ng AAV gene therapy ang isang maliwanag na kaugnayan sa pagitan ng systemic dose at lason, pati na ang

Ang mga pagtugon ng imyunidad laban sa capsid, atay at complement acception na maaaring humantong sa

thrombotic microangiopathy.19 Ang mga panganib na ito ay may hugis na dosis selection, immunosuppression protocols, pasyente

Ang pagsubaybay at ang klinikal na kakayahan na kailangan sa mga pagamutan.

Savivo therapy, maaaring mabawasan ang pangangailangan para sa transplant-level

imprastraktura, ngunit kailangan pa rin nila ng espesyalistang infusion, acute safety management at multi-year

Pagkatapos-up.

HERMS Puting Papel · Gene Therapy 2026

5

SEC TION 4

Muling itinatayo ang regulation at bayad

FDA: isang balangkas para sa pag - aayos ng indibiduwal na gene

Noong 27 Oktubre 2026 ang FDA ay naglabas ng patnubay sa draft, na ang indibiduwal ay Human Genome Editing Products:

Mga Pag - iingat para sa Pagpapasakop sa BLA at Postapproval Management.8

Ang isang aplikasyong lisensiya ay maaaring sumaklaw sa multiple na pasyente-specific variants ng isang produktong gene-editing.

Ang isang Naisa - isa na Feature Space ay nagtatakda ng mga hangganan kung saan ang isang produkto ay maaaring magbagu - bago sa pagitan ng
isang produkto

mga
pasyente.

Ang mga bagong pagkakaiba sa loob ng mga hangganang iyon ay maaaring idagdag gamit ang impormasyon sa laboratoryo, nang walang bagong klinikal na
mga pagsubok.

Sinasaklaw din ng patnubay ang paggawa, pagsusuri sa kaligtasan para sa di - sinasadyang mga pagbabago sa henetiko, pagpapangalan at

Pagbabansag.

Noong 2 Nobyembre 2026 ang FDA ay naglathala rin ng patnubay tungkol sa potensiyal na katiyakan para sa terapi ng selula at gene

mga produkto, isang kahilingan sa paggawa ng core.7

CMS: resultang-based na akses na lampas pa sa sickle cell disease

Ipinahayag ng CMS na palalawakin nito ang Cell and Gene Therapy Access Model nito nang higit pa sa sickle cell disease.

Inaareglo ng CMS ang mga kinalabasang-based na kasunduan sa mga tagagawa alang-alang sa Medicaid ng estado

Nasumpungan ng unang pagsusuri nito na ang sama - samang negosasyon ay nakabawas sa pasaning pampangasiwaan ng estado at sa mga kalagayang pinangangasiwaan

nagpapalakas na leverage.8

Kung Ano ang Maaaring Iampon ng mga GCC regulator

Pagtitiwala sa reference-agency

mga tantiya para sa mas mabilis na pagrerepaso.

Plataporma at iba't ibang paraan

para sa personal na mga terapi.

Malinaw na Guniguni at ang Paghahambing

Inaasahan ang inangkat na mga produkto.

Kung Ano ang maaaring tanggapin ng mga nagbabayad ng GCC

Mga kasunduang pang-edukasyon na may kaugnayan sa mga de-pres-based

Matatag na pagtugon.

Pinabanguan o magkasamang nakikipag - ayos sa mga pirata

o GCC ang mga estado.

Mga kabayaran sa institument na kahanay ng multi-

taon-up.

HERMS Puting Papel · Gene Therapy 2026

6

SEC TION 5

Mga Pagsubok na Dapat Makita

Paggamot at pag - isponsor

Pahiwatig

Bagsag

Ang pinakabagong update

AMT-130, uniQure

Huntington's disease

Sa Ilalim ng FDA

pagrerepaso

Bago ang review ng privity, target 1 Mayo 202715

Lonvo-z, Intellia

Hereditary Angioedema

Sa Ilalim ng FDA

pagrerepaso

Positibong Phase III HAELO; desisyon ni

10 Mar 20279,10

OCU410, Ocugen

Pagkatuyot ng lupa (dry

AMD)

Phase III

(ArMaDa3)

Ipinakita ng unang pasyente ang Phase 2

31% mas kaunting lesion growth vs control16

Mga Elevidy

(delandistrogene

moxeparvovec)

Matigas na Duchenne

Pagkabagot

Phase III

EMBARK

Tatlong-year follow-up na inilathala17

PM577a, Punong Gamot

Wilson sakit

Phase 1/2

Una sa pasyente ng vivo prime-editing

ay may sukat
na12

BEAM-302, Beam

Alpha-1 antitrypsiyon

kakulangan

Mekanika

38 ang mga pasyente ay dinadaan ng Aug 202613

CTX310, CRISPR

Mga terapeutik

Matindi

hypertriglyceridaemia,

ang itinaas na
Mercury

Phase 1a

Matagal na pagbabawas ng labi; RMAT

Mga katawagan14,24

Mga Kamou Therapeutic

Sakit sa selula

Maagang klinikal

Unang datos mula sa revamped gene-editing

terapi sa ASH 202618

Sakit sa selula, nagmana ng metaboliko at sakit sa atay, na namamanang pandinig

Ang mga kalagayang ito ay may makabuluhang mga kalagayan at lahat ng sakit sa retina

Laganap sa Gulf at sa populasyon ng mga Arabe.

HERMS Puting Papel · Gene Therapy 2026

7

SEC TION 6

Ang larawan ng GCC: ang unang mga tagapagampon na may malaking pangangailangan

Naipakita na ng Golpo na maaari na itong gumalaw nang mabilisan, ang Bahrain ay naging pangalawang bansa sa mundo, at naging pangalawang bansa sa mundo,

ang una sa Gitnang Silangan, na sumang - ayon sa Casgevy noong Disyembre 2023.21 ito ay sinang - ayunan ng Saudi Arabia noong Enero

2024 bilang unang gamot na sinuri sa pamamagitan ng SFDA's Break Through Medicines Program.20 Abu

Ipinakilala ng Dhabi's Department of Health ang Casgevy noong Marso 2025, at ginamot ang unang pasyenteng UAE

sa Yas Clinic noong Enero 2026.22,23 ang Cassgevy ay naaprubahan na sa UAE at Bahrain para sa mga bata

matanda't matanda.24

Malaki ang pangangailangan

Sa Saudi Arabia, ang iniulat na masamang katangian ng selula ay mula sa iba't ibang lugar 2% hanggang sa 27% rehiyon, hanggang sa

2.6% pagkakaroon ng sickle cell disease sa ilang mga lugar.25

Kinilala ng pambansang programa ng pagsusuri ng Saudi Arabia bago ang kasal ang 4.5% niyaong sinuri bilang

mga tagapagdala o mga kaso ng sickle cell disease, at 1.8% Para sa beta-thalassaemia, sa unang anim na taon nito. 26

Mga pundasyong regulatoryo na nakapuwesto

Ang Saudi Arabia ay nag - aalok ng pamantayan, mga daanan ng tulay at beripikasyon na maaaring kumapit sa masulong na mga pamamaraan

Mga therapy, depende sa reference-agency na mga pagsang-ayon.27

Sa UAE, ang pederal na remitment ng Emirates Drug Assetment ay sumasaklaw sa mga stem cell at sa henetikong kayarian

Binagong mga organismo, katabi ng mga gamot at mga aparato.28

Ang natitirang mga puwang

Gap

Epekto sa mga pasyente

Mga sentro ng tamang paggamot

Iilang lugar lamang ang makapag - aayos ng ex vivo, kaya maaaring maghintay o maglakbay ang mga pasyente.

Mga logistiko ng Cell at vector

Ang rynogenic shipping, mga permit sa pag - aangkat at kawing ng pagkakakilanlan ay nagdaragdag ng panahon at panganib.

Diagnosis at referral

Hindi kailanman sinusuri ang mga pasyenteng madaling tablan ng radyasyon kung walang kumpirmang genotype o referral.

Mga modelo ng pagbabayad

Isang-time high-cost therapys strains taun-taon budgets nang walang mga kinalabasan-based o

Mga modelo ng instament.

Long-term ang susunod na-up

Ang multimoult-year na pagsubaybay na pangkaligtasan ay nangangailangan ng mga regulatoryo at parmakrobisiyo na idinisenyo

para sa naantalang mga
pangyayari.

HERMS Puting Papel · Gene Therapy 2026

8

SEC TION 7

Ang HERMS Gene Therapy Readness Framework

Tinataya HERMS na ang pamilihan at ang pagiging handa ng institusyon para sa paggamot ng gene sa bawat walong haligi.

ay dapat na ilagay sa lugar bago ang isang therapy ay maaaring makarating sa mga pasyente nang may
katiyakan at ligtas.

1. Regulatory pathway

Pagpipili ng mga linya (standard, pananalig, pagsulong sa kaalaman),

paghanay ng mas malapit sa mga reperensiyang pagsang - ayon, ang buhay

Iba't ibang plano.

2 . Paggamot sa gitnang kuwalipikasyon

Mga site na incredited, sinanay na mga koponan, apheresis at

Kakayahan sa pagsasalin, malubhang pagkontrol sa pagkalason.

3. mga logistiko at kadena ng pagkakakilanlan

Ang cryogenic shipping, ang mga pahintulot sa pag-aangkat, mga kaugalian, mga
dulo-to-

ay natutunton mula sa mga selula ng pasyente tungo sa maraming
selula.

4.

Pagtuklas, henetikong pagpapatunay, mga referral pathway

at mga batayan sa pagiging
kaayaaya.

5. Pharmacoviglance

Mga plano ng pangangasiwa sa panganib, ang lokal na QPPV, ang pagdetek ng signal

para sa naantala at pambihirang masasamang
pangyayari.

6. long-term ang sumusunod na-up

Mga registry at mga sistema ng data para sa multi-year na efficence

at pagsubaybay sa kaligtasan.

7. halaga at kabayaran

Katunayang ekonomiko ng kalusugan, kinalabasang-based

Mga kasunduan, instationalment at pooled-purchase

mga
modelo.

8 . Ebidensiya

Pinagmulan-traceable record, audit na mga landas at

mananagot sa senyas ng tao sa bawat resulta nito

magpasiya.

Mga Mungkahi

Para sa mga developer

Plan GCC mga salansan sa tabi ng FDA at EMA

Mga pagpapasakop, hindi pagkatapos nila.

Gumamit ng mga paraan ng pag - asa kung posible.

Gawing posible ang kahit man lamang isang paraan ng paggamot sa rehiyon

Isentro bago ilunsad.

Propose ang kinalabasan-based na bayad mula sa

ang simula.

Para sa mga awtoridad at mga nagbabayad

Publish malinaw na advanced-therapy patnubay

at mga timeline.

Pilot na kinalabasan-based na kasunduan para sa

Mga pakikiramay sa pamamagitan ng hemoglobin.

Iugnay ang premarital at bagong silang na pagsusuri sa

referral pathways.

Magtayo ng pambansang gene therapy registry.

SEC TION 8

Kung paano sinusuportahan ng HERMS ang paggamit ng gene sa paggamot

Ang HERMS ay nagtatrabaho sa mga developer, mga awtoridad sa kalusugan at mga tagapaglaan upang paikliin ang panahon mula sa pangglobong pagsang - ayon

hanggang sa madaling daanan ng pasyente sa Gulpo.

Pamamaraan ng regulatoryo: pagtatasa ng landas, paghahanda ng dossier at pangangasiwa ng pagpapasakop sa ibayo

GCC awtoridad.

Mga pagtasa ng Ready: inayos na pagtatasa laban sa walong-pillar na balangkas para sa mga pamilihan at mga naka-edukasyon

mga sentro ng paggamot.

Market access: value dossiers, budget-impct analysis at mga kinalabasan-based concession design.

Pharmacovigilance: mga lokal na serbisyong QPPV, mga planong pangangasiwa ng panganib at mahabang-term na kasunod ng mga sistemang-up.

Nagkaroon ng ebidensiya: mapagkukunan-ng-kasaping katalinuhan na may pananagutang pantao sa bawat desisyon.

Humiling ng isang gene therapy na handang suriin. info Janherms egrande.com · + + 971 55 600 8944 ·

www.hermsglobal.com

Mga reperensiya

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.[Tumanggap ng Unang Gene Therapy para sa Matinding Leukocyte Adhesion Deficit Type I.
https://www.fda.gov/news-events/

press-announcements/fda-approves-first-gene-therapy-mattic-leukocyte-adhesion-deficiency-type-i

3. FDA. Sinang-ayunan ng FDA ang First-Ever Gene Therapy for Gene Heticing Loss.
https://www.fda.gov/news-events/press-announceme

Mgant/fda-approces-first-ever-gene-therapy-treatment-genetic-hoaring-loss-under-nasyonal-priority-voucher

4. FDA.[kailangan ng sanggunian] Unang Gene Therapy para sa mga Batang May Sickle Cell Disease.
https://www.fda.gov/news-events/press

-announcements/fda-approces-first-gene-therapy-young-bata-sickle-cell-Drill

5. FDA.[kailangan ng sanggunian] Unang Terapi para sa Glycogen Storage Disease Type Ia.
https://www.fda.gov/news-events/press-announcem

Mga ent/fda-approces-first-therapy-Fensive-8-years-and-old-glycogen-storage-stype-ia

6. FDA.[kailangan ng sanggunian] Unang Gene Therapy for Pediatric Patients na may Sanfilippo Syndrome Type A.
https://www.fda.gov/news-e

mga vent/press-announcements/fda-approves-first-gene-therapy-pediatric-pedients-sanfilippo-syndrome-type

7. FDA. Ano ang Bago para sa Biologics.
https://www.fda.gov/vaccines-blood-biologics/news-events-biologics/whats-new-biologics

8. hHS. FDA at CMS Announce New Steps to Advance Gene Therapies and Expand Access, 27 Oct 2026.
https://www.hhs.go

v/press-room/fda-cms-advance-gene-therapies-rare-scries-tivity-acces.html

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

6/NEJMoa2600931

10 Sa Vivo Gene Edithing: Kung Ano ang Ipinakikita ng Clinical Data Now.
https://lifesciencedaily.news/in-vivo-gene-editi

Hinango-clinical-data/

11. Kalikasan. a first for CRISPR: prime editing ay direktang binabago ang DNA sa katawan ng tao.
https://www.nature.com/articles/d41586-026-

03371-x

12. Teknolohiya.org. Prime Editing Inside a Patient for First Time.
https://www.technology.org/2026/10/23/prime-editing-first

-in-body-tiber-wilson-Dhyber-pm577a/

13. Gene editing tracker: mga pagsang-ayon, mga pagsubok at mga balakid. https://contentlora.com/events/gene-editing-tracker

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

15. BioPharm International. FDA Acces uniQure's Huntington's Disease Gene Therapy BLA for Priority Repaso. https://www.biop

Pinsala Internationality.com/view/fda-chanses-uniqure-s-huntington-s-hys-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

17. PebMed. Three-Taon Sear-Up ng Delandistrogene Moxeparvovec sa DMD: EMBARK.
https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/42944

976/

18. Endpoints News. Ang Kamau ay nagbabahagi ng unang datos mula sa revamped sickle cell gene editing therapy.
https://endpoints.news/kamau-share

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

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

20. Vertex. pagsang-ayon ng CASGEVY sa Kaharian ng Saudi Arabia.
https://investors.vrtx.com/news-releases/news-release-detail

s/vertex-announces-approval-first-crisprcas9-gene-edited-therapy

21. GlobeNewswire. CASGEVY Gets Bahrain Configence, 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. Kagawaran ng Kalusugan – Abu Dhabi. Introduction of gene-editing therapy para sa SCD at thalassemia.
https://www.doh.gov.ae/en/

balita/doh-and-asc-introduces-therapy-for-scd-and-thalassemia

23. Ang National. Abu Dhabi clinic ay gumagamit ng gene therapy upang gamutin muna ang mga sakit sa dugo sa UAE, 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 update at ikatlong-quarter na resulta.
https://ir.crisprtx.com/news-releases/news-release-details/c

rispr-therapeutics-provisions-built-update-and-reports-third-7/

25. PMC. Epidemiology ng sickle cell disease sa Saudi Arabia.
https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC3119971/

26. PMC. Anim na-year na kinalabasan ng pambansang premarital screening at programa ng genetic counseling.
https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/art

[icles/PMC3119961/

27. PMC. Advanced therapy medisinal na mga produkto sa Saudi Arabia.
https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC13524764/

28. Emirates Drug Estancement. Tungkol sa Atin. https://www.ede.gov.ae/en/home

Ang puting papel na ito ay para lamang sa impormasyon at hindi bumubuo ng medikal, legal o pang - ilalim na payo.

na makukuha noong 5 Nobyembre 2026; tiyakin ang kasalukuyang katayuan sa may kaugnayang awtoridad bago kumilos. © 2026 HERMS

Kumonsulta sa DMCC.

indise ng mga Paksa

Pumili ng isang paksa na pupunta sa seksiyon nito sa puting papel na ito.

Madaling daanan ng pasyente ng GCC

Mga pagsang - ayon sa paggamot sa Gene

Mga pagsubok sa paggamot sa pamamagitan ng Gene therapy

Mga tubo ng " Gene therapy "

Ang " Gene therapy " na handang mag - adjust

Sa pag - aayos ng gene sa vivo

Regulasyon at mga kinalabasang-based na bayad

Nauugnayng HERMS yaman

Ang cell at gene therapy ay handa sa GCC

Ang estratehiyang parmasyutikal ng GCC at ang pag-akses ng pamilihan

Mga obligasyon ng GCC sa paggawa ng pharmactivity para sa mga may - akda ng marketing

UAE parmasyutikal na pagrerehistro ng produkto

Makipag - ugnayan HERMS

Mga kaugnay na reperensiya at higit pang pagbasa

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/