جینیاتی علاج 2026

HERMS کا تحقیقی مقالہ · نومبر 2026

جین تھراپی 2026 بریک تھرو سے گلف پیشنٹ ایکسیس اپروولز ٹیکنالوجی نے ریگولیٹری تبدیلی اور جی سی سی ہیلتھ سسٹمز اور ڈویلپرز کے لیے تیاری کے فریم ورک کے ساتھ دیکھنے کے لیے ٹرائلز کو تبدیل کر دیا۔

ہرمز کنسلٹنسی ڈی ایم سی سی دبئی متحدہ عرب امارات۔ ہرمس گلوبل . کام

ہرمز۔ سفید کاغذ

HERMS کنسلٹنسی ڈی ایم سی سی۔ دبئی متحدہ عرب امارات۔ www . .info @ Hermsgobal . com
Hermsgobal . com

ای ایکس ای سی یو ٹی آئی وی ای ایس یو ایم اے آر وائی 2026 وہ سال ہے جس میں جین تھراپی ایک ایسا نظام بن گیا ہے جس میں کوئی رعایت نہیں ہے۔ ان باڈی جین ایڈیٹنگ اور ادائیگی کے نئے ماڈل جین تھراپی کو الگ تھلگ پیشرفتوں سے دہرائے جانے والے علاج کے زمرے میں منتقل کر رہے ہیں۔ جی سی سی صحت کے نظام جو اب تیاری کرتے ہیں وہ یہ علاج کئی سال پہلے مریضوں تک پہنچائیں گے۔

ترقی میں 2 , 257 جین تھراپی Q3 20261

62 جین تھراپی فیز میں

1 11 III جین تھراپیز دائر کی گئیں منظوری کے انتظار میں 1

49 جین تھراپیز کو دنیا بھر میں منظوری ملی [1]

پانچ نتائج کی منظوری وسیع تر ہو رہی ہے۔ میں 2026 یو ایس ایف ڈی اے نے مدافعتی کمی کے لیے نئے جین تھراپیز کی منظوری دی۔ جینیاتی سماعت میں کمی۔ گلائکوجن اسٹوریج بیماری۔ سینفلیپو سنڈروم اور میلانوما اور کیسجیو کو دو سال اور اس سے زیادہ عمر کے سکل سیل کی بیماری والے بچوں تک بڑھا دیا۔ 2 – 6 ترمیم جسم کے اندر منتقل ہو گئی ہے۔ ان ویوو سی آر آئی ایس پی آر تھراپی کا پہلا فیز III ٹرائل کامیاب ہوا اور پہلی بار مریض میں براہ راست پرائم ایڈیٹنگ کا استعمال کیا گیا۔ 9 , 11 ریگولیٹر ذاتی علاج کے مطابق ڈھال رہے ہیں۔ ایف ڈی اے کے مسودے کی رہنمائی ایک لائسنس کو نئے کلینیکل ٹرائلز کے بغیر متعدد مریض مخصوص جین ایڈیٹنگ متغیرات کا احاطہ کرنے کی اجازت دیتی ہے۔ ہر 8 ادائیگی نتائج کی طرف منتقل ہو رہی ہے۔ یو ایس سی ایم ایس سکل سیل کی بیماری سے آگے سیل اور جین تھراپی کے لیے نتائج پر مبنی معاہدوں میں توسیع کر رہا ہے۔ 8 خلیج پہلے ہی جین تھراپی کا علاقہ ہے۔ بحرین سعودی عرب اور متحدہ عرب امارات نے منظوری دے دی

ہرمز کنسلٹنسی ڈی ایم سی سی۔ ہرمس گلوبل ڈاٹ کام

2

ہرمز۔ سفید کاغذ

کیسگیوی اور ابو ظہبی نے جنوری میں پہلی بار کسی مریض کو یہ دوا دی۔ 2026.20 – 23 ہرمز کا نظارہ۔ خلیجی

مریضوں کے لیے محدود کرنے والا عنصر اب علاج کا وجود نہیں ہے۔ یہ تیاری ہے : ریگولیٹری راستے اہل علاج کے مراکز سیل اور ویکٹر لاجسٹکس طویل مدتی فالو اپ اور پائیدار ادائیگی۔ ہر ماہ کی تاخیر میں ترقی پسند جینیاتی بیماری کے مریضوں کے لیے طبی لاگت آتی ہے۔ ہرمز وائٹ پیپر • جین تھراپی 2026 2

SEC TION 1 دی۔ 2026 میں ویو جین تھراپی کی منظوری 2026 بیماری کے علاقوں میں پھیل چکے ہیں - زچگی کے راستوں اور عمر کے گروپوں میں۔ کئی ان کی حالت کا پہلا علاج ہے اور ایک ڈوئل ویکٹر اے اے وی تھراپی ہے۔

پروڈکٹ انڈیکیشن ٹیکنالوجی یو ایس کی منظوری आटो marnetegragene) Kresladiٹیمسیل) بچوں میں شدید لیوکوسائٹ کے چپکنے کی کمی کی قسم I۔ حالت کے لیے پہلی جین تھراپی Ex vivo 2 ترمیم شدہ سٹیم سیل 26 مارچ 2026

اوٹارمینی (lunsotogene Parvec·Regeneron) بائللیک او ٹی او ایف مختلف اقسام کی وجہ سے سماعت کا شدید نقصان۔ پہلا ڈوئل اے اے وی ویکٹر جین تھراپی 3 اے اے وی 1 کوکلیا میں انجکشن کیا گیا 23 اپریل 2026

ہرمز کنسلٹنسی ڈی ایم سی سی۔ ہرمس گلوبل ڈاٹ کام

3

ہرمز۔ سفید کاغذ

کیسگیوی (ایکساگمگلوجین آٹوٹیمسیل) لیبل توسیع 2 سال اور اس سے زیادہ عمر کے بچوں میں سکل سیل کی بیماری 4 ایکس ویو 1 CRISPR جولائی 2026

8 سال اور اس سے زیادہ عمر کے جینگلائکوس (پیریگلاسجین بریکاپاروویک گلائیکوجن اسٹوریج بیماری کی قسم آئی اے اے یو ایس یومیہ کارن اسٹارچ کے استعمال کو کم کرنے کے لیے منظوری میں تیزی لائی گئی 5 اے اے وی لیور نے 19 اگست 2026 کو ہدایت کی

بچوں میں فایوی (ریبیسوفلیگین ایٹسپاروویک سینفلیپو سنڈروم ٹائپ اے (ایم پی ایس آئی اے) پہلا منظور شدہ علاج 6

اے اے وی 17 ستمبر 2026

توڈرکیوف (vusolimogene oderparepvec) ریپلیمون میلانوما 1 اونکولٹک جین تھراپی

پلاسمڈ ڈی این اے Q3 2026

ہرمز کنسلٹنسی ڈی ایم سی سی۔ ہرمس گلوبل ڈاٹ کام

4

ہرمز۔ سفید کاغذ

امیونوتھراپی بالغوں میں بار بار ہونے والی ریسپریٹری پیپیلومیٹوسس پہلی پلازمیڈ ڈی این اے پر مبنی امیونوتھراپی 7 پلازمیڈ ڈی این اے 30 اکتوبر 2026

زیر جائزہ : 2027 میں ہونے والے فیصلے تھراپی کی اشارے کی حیثیت لونوو - زیڈ (لونووگوران زیکلیومران انٹیلیا موروثی انجیوڈیما فرسٹ ان ویوو سی آر آئی ایس پی آر تھراپی نے ایف ڈی اے کا فیصلہ 10 مارچ 202710 تک

دائر کیا

اے ایم ٹی - 130 یونی کیویر ہنٹنگٹن کی بیماری کو فوری منظوری کے تحت ترجیحی جائزے کے ساتھ قبول کیا گیا۔ ہدف کی تاریخ 1 مئی 2027 ایڈوائزری کمیٹی نے 15 پیٹرن کا منصوبہ بنایا۔ زیادہ تر 2026 کی منظوریوں میں بچپن سے شروع ہونے والی نایاب جینیاتی بیماریوں کو نشانہ بنایا جاتا ہے جن کا کوئی پیشگی علاج نہیں ہوتا ہے۔ اہل مریضوں کی عمر کم ہو رہی ہے جس سے ابتدائی تشخیص اور نوزائیدہ یا شادی سے پہلے جینیاتی جانچ کی اہمیت بڑھ جاتی ہے۔ ہرمز وائٹ پیپر · جین تھراپی 2026 3

SEC TION 2 پائپ لائن : جہاں ترقی مرکوز ہے جین تھراپی پائپ لائن پہنچ گئی 2,257 ق میں پروگرام 3 2026 اوپر سے 2,128 ایک سال پہلے۔ ق کے درمیان قبل از اندراج کے علاوہ ہر مرحلے پر گنتی میں اضافہ ہوا 2 اور ق 3 2026.1

ترقی کے مرحلے کے مطابق جین تھراپی پائپ لائن Q3 2026 پری کلینیکل

ہرمز کنسلٹنسی ڈی ایم سی سی۔ ہرمس گلوبل ڈاٹ کام

5

ہرمز۔ سفید کاغذ

355 , 1 مرحلہ اول

437 مرحلہ دوم

392 مرحلہ III

62 قبل از اندراج

11 ماخذ : اے ایس جی سی ٹی / سیٹ لائن جین سیل اور آر این اے تھراپی لینڈ اسکیپ رپورٹ 1 . Q3 2026

جین تھراپی پائپ لائن بذریعہ علاج کے علاقے (پروگرامز Q3 2026 اینٹی کینسر

1,142 نایاب بیماری

101 , 1 اعصابی

270 حسی

204 امیونولوجیکل

197 علاج کے شعبے باہمی طور پر الگ نہیں ہیں۔ ماخذ : 1 . ASGCT Q3 2026

اونکولوجی اونکولوجی اکاؤنٹس کی قیادت کرتی ہے 54% پائپ لائن میں نایاب بیماری کے جین علاج اور 65% کلینیکل ٹرائلز میں ان میں سے۔ سب سے عام اہداف مائیلوما نان - ہڈکن کا لیمفوما اور بی سیل لیمفوما ہیں۔ 1

نایاب بیماری سے بالاتر جین تھراپی میں عام

ہرمز کنسلٹنسی ڈی ایم سی سی۔ ہرمس گلوبل ڈاٹ کام

6

ہرمز۔ سفید کاغذ

حالات ٹھوس ٹیومر (379 پروگرام اور آٹو امیون بیماری (118) سب سے زیادہ عام اہداف ہیں۔ 1 ویوو ایڈیٹنگ میں لپڈ کم کرنا بھی آگے بڑھ رہا ہے۔ 14 ہرمز وائٹ پیپر • جین تھراپی 2026 4

سیکشن ٹیون 3 ٹیکنالوجی شفٹ : ترمیم جسم کے اندر منتقل ہوتی ہے پہلی نسل کے جین سے ترمیم شدہ علاج جیسے کیسجیوی مریض کے سٹیم سیل کو جسم سے باہر تبدیل کرتے ہیں اور انہیں کنڈیشنگ کیموتھراپی اور ٹرانسپلانٹ لیول کیئر کی ضرورت ہوتی ہے۔ 2026 کے طبی اعداد و شمار سے پتہ چلتا ہے کہ ترمیم جسم میں براہ راست پہنچ جاتی ہے۔ عام طور پر جگر میں ایک ہی انفیوژن کے طور پر۔

نقطہ نظر 2026 سنگ میل یہ کیوں اہمیت رکھتا ہے ویو میں سی آر آئی ایس پی آر لونوو - زیڈ نے اپنے بنیادی اور ثانوی اختتامی نکات کو ایک میں پورا کیا 80 موروثی انجیوڈیما میں مریض بے ترتیب ڈبل بلائنڈ فیز III ٹرائل۔ 9 پہلا مرحلہ III اس بات کا ثبوت ہے کہ ایک بار جسم میں جین میں ترمیم دائمی تھراپی کی جگہ لے سکتی ہے۔

بیس ایڈیٹنگ بیم نے خوراک لے لی تھی 38 ان ویو بیس ایڈیٹر بیم - والے مریض 302 الفا کے لیے - 1 اگست تک اینٹی ٹرپسن کی کمی 2026.13 دونوں تاروں کو کاٹے بغیر واحد ڈی این اے حروف کو تبدیل کرتا ہے۔

پرائم ایڈیٹنگ کا پہلا معروف استعمال براہ راست کسی شخص کے اندر پرائم میڈیسن کے مرحلے 1 / 2 ٹرائل میں ولسن کی بیماری کے لیے پی ایم 577 اے 11 , 12 کے ساتھ تغیرات کی ایک وسیع رینج کو درست کر سکتا ہے

ہرمز کنسلٹنسی ڈی ایم سی سی۔ ہرمس گلوبل ڈاٹ کام

7

ہرمز۔ سفید کاغذ

اعلی درستگی۔

عام بیماری میں ترمیم سی آر آئی ایس پی آر تھراپیٹکس کے سی ٹی ایکس 310 (اے این جی پی ٹی ایل 3) نے ٹرائیگلیسرائڈز اور ایل ڈی ایل کولیسٹرول میں گہری پائیدار کمی پیدا کی۔ 14 جین ایڈیٹنگ کو نایاب سے ہائی پریویلنس کارڈیومیٹابولک بیماری تک بڑھاتا ہے۔

ملٹی ویکٹر اے اے وی اوٹرمینی پہلی ڈوئل اے اے وی ویکٹر جین تھراپی منظور شدہ بن گئی۔ 3 ایک اے اے وی ویکٹر کے لیے بہت بڑے جین فراہم کرتا ہے۔

حفاظت مرکزی رکاوٹ بنی ہوئی ہے اے اے وی جین تھراپی کے جائزے نظامی خوراک اور زہریلے پن کے درمیان ایک واضح تعلق بیان کرتے ہیں جس میں جگر کے بوجھ کے خلاف مدافعتی ردعمل اور تکمیل ایکٹیویشن شامل ہیں جو تھرومبوٹک مائکرو اینجیوپیتھی کا باعث بن سکتے ہیں۔ 19 یہ خطرات خوراک کے انتخاب کو تشکیل دیتے ہیں۔ امیونو سپریشن پروٹوکول مریض کی نگرانی اور علاج کے مراکز میں درکار طبی صلاحیت۔ فراہم کنندگان کے لیے اثرات۔ ویوو تھراپی میں ٹرانسپلانٹ کی سطح کے بنیادی ڈھانچے کی ضرورت کو کم کیا جا سکتا ہے لیکن پھر بھی انہیں ماہر انفیوژن - ایکیوٹ سیفٹی مینجمنٹ اور کثیر سالہ فالو اپ کی ضرورت ہوتی ہے۔ ہرمز وائٹ پیپر • جین تھراپی 2026 5

سیکشن 4 ضابطہ اور ادائیگی کو دوبارہ تعمیر کیا جا رہا ہے ایف ڈی اے : انفرادی جین ایڈیٹنگ کے لیے ایک فریم ورک 27 اکتوبر 2026 کو ایف ڈی اے نے رہنمائی کا مسودہ جاری کیا۔ انفرادی انسانی جینوم ایڈیٹنگ پروڈکٹس : بی ایل اے جمع کرانے اور منظوری کے بعد کے انتظام کے لیے غور 8 ایک لائسنس کی درخواست جین ایڈیٹنگ پروڈکٹ

کے متعدد مریض مخصوص اقسام کا احاطہ کر سکتی ہے۔ ایک انفرادی فیچر اسپیس وہ حدود طے کرتا ہے جس کے اندر ایک پروڈکٹ مریضوں کے درمیان مختلف ہو سکتی ہے۔ ان حدود کے اندر نئی اقسام کو نئے طبی آزمائشوں کے بغیر لیبارٹری کے ڈیٹا کا استعمال کرتے ہوئے شامل کیا جا سکتا ہے۔

ہرمز کنسلٹنسی ڈی ایم سی سی۔ ہرمس گلوبل ڈاٹ کام

8

ہرمز۔ سفید کاغذ

اس رہنمائی میں غیر ارادی جینیاتی تبدیلیوں کے لیے مینوفیکچرنگ سیفٹی ٹیسٹنگ، نام اور لیبلنگ کا بھی احاطہ کیا گیا ہے۔ 2 نومبر 2026 ایف ڈی اے نے سیل اور جین تھراپی مصنوعات کے لیے طاقت کی یقین دہانی پر رہنمائی بھی شائع کی جو کہ بنیادی مینوفیکچرنگ معیار کی ضرورت ہے۔ 7

سی ایم ایس : سکل سیل کی بیماری سے آگے نتائج پر مبنی رسائی سی ایم ایس نے اعلان کیا کہ وہ سکل سیل کی بیماری سے آگے اپنے سیل اور جین تھراپی تک رسائی کے ماڈل کو وسیع کرے گا۔ سی ایم ایس ریاستی میڈیکیڈ پروگراموں کی جانب سے مینوفیکچررز کے ساتھ نتائج پر مبنی معاہدوں پر بات چیت کرتا ہے۔ اس کی پہلی تشخیص سے پتہ چلا کہ جمع شدہ مذاکرات نے ریاستی انتظامی بوجھ کو کم کیا اور مذاکرات کے فائدہ کو مضبوط کیا۔ 8

تیز تر جائزے کے لیے جی سی سی ریگولیٹرز حوالہ ایجنسی کے جائزوں پر کیا انحصار کر سکتے ہیں۔ پلیٹ فارم اور ذاتی علاج کے لیے مختلف طریقوں پر مبنی۔ درآمد شدہ مصنوعات کے لیے واضح طاقت اور تقابلی توقعات۔

جی سی سی کے ادائیگی کرنے والے پائیدار ردعمل سے منسلک نتائج پر مبنی معاہدوں کو اپنا سکتے ہیں۔ امارات یا جی سی سی ریاستوں میں جمع شدہ یا مشترکہ گفت و شنید۔ کئی سالہ فالو اپ کے ساتھ قسطوں کی ادائیگیاں۔ ہرمس وائٹ پیپر · جین تھراپی 2026 6

ہرمز کنسلٹنسی ڈی ایم سی سی۔ ہرمس گلوبل ڈاٹ کام

9

ہرمز۔ سفید کاغذ

ایس ای سی ٹیون 5 ٹرائلز تھراپی کو دیکھنے اور اشارے کے مرحلے کی کفالت کرنے کے لیے تازہ ترین اپ ڈیٹ اے ایم ٹی - 130 یونائکیور ہنٹنگٹن کی بیماری ایف ڈی اے کے جائزے کے تحت ترجیحی جائزہ ہدف 1 مئی 202715

لونوو - زیڈ انٹیلیا موروثی انجیوڈیما ایف ڈی اے کے جائزے کے تحت مثبت مرحلہ III ہیلیو کا فیصلہ 10 مارچ 10 , 20279 تک

او سی یو 410 اوکوجن جیوگرافک ایٹروفی (خشک)

اے ایم ڈی فیز III (آرماڈا) 3) مریض کی پہلی خوراک فیز 2 دکھایا گیا 31% کم زخم کی نشوونما بمقابلہ کنٹرول 16

ایلیویڈس (ڈیلینڈسٹروجین موکسپاروویچ ڈوچن مسکولر ڈسٹروفی فیز III)

ہرمز کنسلٹنسی ڈی ایم سی سی۔ ہرمس گلوبل ڈاٹ کام

10

ہرمز۔ سفید کاغذ

ایمبارک تین سالہ فالو اپ شائع ہوا [17]

پی ایم 577 اے پرائم میڈیسن ولسن بیماری کا مرحلہ 1 / 2 ویو میں پرائم ایڈیٹنگ مریض کو 12 خوراک دی گئی

بیم - 302 بیم الفا - 1 اینٹی ٹرپسن کی کمی کلینیکل 38 مریضوں کو اگست 202613 تک خوراک دی گئی

سی ٹی ایکس 310 سی آر آئی ایس پی آر تھراپیٹکس شدید ہائیپرٹریگلیسیڈیمیا نے ایل ڈی ایل فیز 1 اے پائیدار لپڈ کی کمی کو بڑھایا آر ایم اے ٹی نامزدگیاں 14 , 24 کاماؤ تھیراپیوٹکس سکل سیل بیماری ASH 202618 گلف مطابقت پر تجدید شدہ جین ایڈیٹنگ تھراپی سے ابتدائی طبی ڈیٹا۔ سکل سیل کی بیماری۔ موروثی میٹابولک اور جگر کی خرابیاں۔ موروثی سماعت کا نقصان اور ریٹنا کی بیماری سبھی اس پائپ لائن میں ظاہر ہوتی ہیں۔ یہ خلیجی اور عرب آبادیوں میں بامعنی پھیلاؤ والے حالات ہیں۔ ہرمز وائٹ پیپر · جین تھراپی 2026 7

ہرمز کنسلٹنسی ڈی ایم سی سی۔ ہرمس گلوبل ڈاٹ کام

11

ہرمز۔ سفید کاغذ

مرحلہ 6 جی سی سی کی تصویر : زیادہ ضرورت والے ابتدائی اپنانے والے خلیج پہلے ہی دکھا چکی ہے کہ یہ تیزی سے حرکت کر سکتی ہے۔ بحرین دسمبر میں کیسجیو کو منظوری دینے والا دنیا کا دوسرا اور مشرق وسطی کا پہلا ملک بن گیا۔ 2023.21 سعودی عرب نے جنوری میں اس کی منظوری دی تھی۔ 2024 ایس ایف ڈی اے کے بریک تھرو میڈیسن پروگرام کے ذریعے تشخیص کی گئی پہلی دوا کے طور پر۔ 20 ابو ظہبی کے محکمہ صحت نے مارچ میں کیسگیوی متعارف کرایا 2025 ، اور متحدہ عرب امارات کے پہلے مریض کا جنوری میں یاس کلینک میں علاج کیا گیا 2026.22,23 اس کے بعد سے متحدہ عرب امارات اور بحرین میں دو سال اور اس سے زیادہ عمر کے بچوں کے لیے کیسجیوی کی منظوری دی گئی ہے۔ 24

ضرورت کافی ہے سعودی عرب میں درزی خلیے کی خصوصیت کا پھیلاؤ درج ذیل ہے : 2% کے لیے 27% علاقے کے لحاظ سے 2.6% کچھ علاقوں میں سکل سیل کی بیماری ہونا۔ 25 سعودی عرب کے شادی سے پہلے کے قومی اسکریننگ پروگرام کی نشاندہی کی گئی 4.5% ان لوگوں کا جن کا معائنہ کیریئر یا سکل سیل کی بیماری کے معاملات کے طور پر کیا گیا ہے اور 1.8% اپنے پہلے چھ سالوں میں بیٹا تھیلیسیمیا کے لیے۔ 26

اس جگہ پر ریگولیٹری فاؤنڈیشنز سعودی عرب معیاری مختصر اور تصدیق کے راستے پیش کرتا ہے جو حوالہ ایجنسی کی منظوریوں کے لحاظ سے اعلی درجے کے علاج پر لاگو ہو سکتے ہیں۔ 27 متحدہ عرب امارات میں ایمریٹس ڈرگ اسٹیبلشمنٹ کا وفاقی ترسیلات زر ادویات اور آلات کے ساتھ ساتھ سٹیم سیل اور جینیاتی طور پر تبدیل شدہ حیاتیات کا احاطہ کرتا ہے۔ 28

بقیہ وقفے مریضوں پر فرق کا اثر اہل علاج کے مراکز کچھ سائنس سابق ویوو ایڈیٹنگ فراہم کر سکتی ہیں تاکہ مریض انتظار کر سکیں یا سفر کر سکیں۔ سیل اور ویکٹر لاجسٹکس کریوجینک شپنگ درآمدی اجازت نامے اور شناخت کی زنجیر وقت اور خطرے میں اضافہ کرتی ہے۔ تصدیق شدہ جینو ٹائپ یا ریفرل کے بغیر تشخیص اور ریفرل اہل مریضوں کا کبھی اندازہ نہیں کیا جاتا ہے۔ ادائیگی کے ماڈل ایک بار کے زیادہ لاگت والے علاج نتائج پر مبنی یا قسطوں کے ماڈلز کے بغیر سالانہ بجٹ کو دباؤ میں ڈالتے ہیں۔ طویل مدتی فالو اپ کثیر سالہ حفاظتی نگرانی کے لیے رجسٹریوں اور فارماکوویجیلنس کی ضرورت ہوتی ہے

تاخیر سے ہونے والے واقعات کے لیے۔ HERMS وائٹ پیپر · جین تھراپی 2026 8

سیکشن 7 ہرمز جین تھراپی ریڈینیس فریم ورک ہرمز آٹھ ستونوں پر جین تھراپی کے لیے بازار اور ادارہ جاتی تیاری کا جائزہ لیتا ہے۔ اس سے پہلے کہ تھراپی مریضوں تک قابل اعتماد اور محفوظ طریقے سے پہنچ سکے، ہر ستون کو اپنی جگہ پر ہونا چاہیے۔

1 . ریگولیٹری پاتھ وے روٹ کا انتخاب (معیاری انحصار کی پیش رفت) حوالہ منظوری کے ساتھ ڈوزیئر صف بندی لائف سائیکل تغیر منصوبہ۔

2 . علاج کے مرکز کی اہلیت تسلیم شدہ سائٹس تربیت یافتہ ٹیمیں۔ افیرس اور انفیوژن کی صلاحیت۔ شدید زہریلا انتظام۔

3 . لاجسٹکس اور شناخت کا سلسلہ کریوجینک شپنگ درآمدی طور پر مریض کے خلیوں سے انفیوژن تک آخری ٹور کا سراغ لگانے کی اجازت دیتا ہے۔

4 . مریض کی شناخت اسکریننگ جینیاتی تصدیق حوالہ جات اور اہلیت کے معیارات۔

5 . فارماکوویجیلنس رسک مینجمنٹ کے منصوبے تاخیر اور نایاب منفی واقعات کے لیے مقامی کیو پی پی وی سگنل کا پتہ لگانے کے لیے ہیں۔

6 . کثیر سالہ افادیت اور حفاظتی نگرانی کے لیے طویل مدتی فالو اپ رجسٹریز اور ڈیٹا سسٹم۔

7 . قدر اور ادائیگی صحت کے اقتصادی ثبوت نتائج پر مبنی معاہدے قسط اور جمع شدہ خریداری کے ماڈل۔

8 . شواہد کی حکمرانی ماخذ سے معلوم ہونے والے ریکارڈ آڈٹ کے راستے اور ہر نتیجے میں آنے والے فیصلے کے لیے جوابدہ انسانی سائن آف۔

ڈویلپرز کے لیے سفارشات ایف ڈی اے اور ای ایم اے کی پیشکشوں کے ساتھ ساتھ جی سی سی فائلنگ کا منصوبہ بنائیں۔ ان کے بعد نہیں۔ جہاں اہل ہوں وہاں انحصار کے راستے استعمال کریں۔ لانچ کرنے سے پہلے کم از کم ایک علاقائی علاج مرکز کو اہل بنائیں۔ شروع سے ہی نتائج پر مبنی ادائیگی کی تجویز کریں۔

حکام اور ادائیگی کرنے والوں کے لیے واضح ایڈوانس تھراپی گائیڈنس اور ٹائم لائنز شائع کریں۔ ہیموگلوبینوپیتھی کے لیے پائلٹ نتائج پر مبنی معاہدے۔ شادی سے پہلے اور نوزائیدہ بچوں کی اسکریننگ کو ریفرل راستوں سے جوڑیں۔ نیشنل جین تھراپی رجسٹری بنائیں۔ HERMS وائٹ پیپر · جین تھراپی 2026 9

سیکشن ٹیون HERMS 8 جین تھراپی تک رسائی کی حمایت کیسے کرتا ہے HERMS ڈویلپرز کے صحت کے حکام اور فراہم کنندگان کے ساتھ کام کرتا ہے تاکہ خلیجی مریضوں تک رسائی کے لیے عالمی منظوری سے وقت کو کم کیا

جا سکے۔ ریگولیٹری حکمت عملی : راستے کی تشخیص جی سی سی حکام میں ڈوزیئر کی تیاری اور جمع کرانے کا انتظام۔ تیاری کی تشخیص : بازاروں اور علاج کے مراکز کے لیے آٹھ ستونوں کے فریم ورک کے خلاف منظم تشخیص۔ مارکیٹ تک رسائی : قیمت کے ڈوزیئر بجٹ کے اثرات کا تجزیہ اور نتائج پر مبنی معاہدے کا ڈیزائن۔

فارماکوویجیلنس : مقامی کیو پی پی وی خدمات رسک مینجمنٹ پلانز اور طویل مدتی فالو اپ سسٹم۔ ہر فیصلے کے لیے انسانی جوابدہ ہونے کے ساتھ ماخذ سے پتہ لگانے والی ذہانت۔ جین تھراپی کی تیاری کی تشخیص کی درخواست کریں۔ info @ Hermsgobal . com· + 971 55 600 8944·ww . Hermsgobal . com

حوالہ جات 1 . اے ایس جی سی ٹی / سیٹ لائن۔ جینیو سیل اینڈ آر این اے تھراپی لینڈ اسکیپ رپورٹ کیو 3 HTTPS://www.asgct.org/uploads/files/gral/ASG CT - Q3 - 2026 - Landscape - .2026 Report - Final . pdf 2۔ ایف ڈی اے۔ ایف ڈی اے نے شدید لیوکوسائٹ کی کمی ٹائپ I کے لیے پہلی جین تھراپی کی منظوری دے دی۔ https://www.fda.gov/news-events/ پریس - اعلانات/fda - منظوری - فرسٹ - جین - تھراپی - سیور - لیوکوسائٹ - چپکنے - کمی - قسم - 3 i . ایف ڈی اے۔ ایف ڈی اے نے جینیاتی سماعت کے نقصان کے لیے پہلی بار جین تھراپی کی منظوری دی۔ https://www.fda.gov/news-events/press-announceme این ٹی ایس / ایف ڈی اے - منظوری - پہلی بار - جین - تھراپی - علاج - جینیاتی - سماعت - نقصان - قومی - ترجیح - واؤچر 4 . ایف ڈی اے۔ ایف ڈی اے نے سکل سیل کی بیماری والے چھوٹے بچوں کے لیے پہلی جین تھراپی کی منظوری دے دی https://www.fda.gov/news-events/press - اعلانات/fda - منظوری - فرسٹ - جین - تھراپی - نوجوان - بچے - سکل سیل - بیماری 5 . ایف ڈی اے۔ ایف ڈی اے نے گلائکوجن اسٹوریج ڈیزیز ٹائپ آئی اے کے لیے پہلی تھراپی کی منظوری دے دی https://www.fda.gov/news-events/press-announcem اینٹس / ایف ڈی اے - اپرووز - فرسٹ تھراپی - مریضوں کی عمر - 8 سال اور عمر کے - گلائکوجن - اسٹوریج - بیماری - قسم - آئی اے 6 . ایف ڈی اے۔ ایف ڈی اے نے سان فلیپو سنڈروم ٹائپ اے کے بچوں کے مریضوں کے لیے پہلی جین تھراپی کی منظوری دے دی https://www.fda.gov/news-e وینٹ / پریس - اعلانات/fda - منظوری - فرسٹ - جین - تھراپی - پیڈیاٹرک - مریض - سینفلیپو - سنڈروم - قسم 7 . ایف ڈی اے۔ حیاتیات کے لیے نیا کیا ہے۔ https://www.fda.gov/vaccines-blood-biologics/news-events-biologics/whats-new-biologics 8 ایچ ایچ ایس۔ ایف ڈی اے اور سی ایم ایس نے جین تھراپی کو آگے بڑھانے اور رسائی کو بڑھانے کے لیے نئے اقدامات کا اعلان کیا 27 اکتوبر 2026 . https://www.hhs.go v/press - Room/fda - cms - advances - gene - therapies - نایاب بیماریاں - مریض - رسائی . ایچ ٹی ایم ایل 9 . این ای جے ایم۔ لونووگوران زیکلیومران : ویوو میں CRISPR جین ایڈیٹنگ موروثی انجیوڈیما میں۔ HTTP://www.nejm.org/doi/abs/10.105 6/NEJMoa2600931 10۔ لائف سائنس ڈیلی۔ ویوو جین ایڈیٹنگ میں : کلینیکل ڈیٹا اب کیا دکھاتا ہے۔ https://lifesciencedaily.news/in-vivo-gene-editi ng - clinical - Data/ 11۔ فطرت۔ سی آر آئی ایس پی آر کے لیے پہلا : پرائم ایڈیٹنگ ڈی این اے کو براہ راست انسانی جسم میں تبدیل کرتی ہے۔ https://www.nature.com/articles/d41586-02603371-x

12 . ٹیکنالوجی . او آر جی۔ پہلی بار مریض کے اندر استعمال ہونے والی پرائم ایڈیٹنگ۔ https://www.technology.org/2026/10/23/prime-editing-first - جسم میں - مریض - ولسن - بیماری - پی ایم 577 13 /a . جین ایڈیٹنگ ٹریکر : منظوری کی آزمائش اور ناکامیاں۔ https://contentlora.com/events/gene-editing-tracker 14 . سی آر آئی ایس پی آر علاج معالجہ۔ مرحلہ 1 سی ٹی ایکس کے لیے ڈیٹا 310 , 28 اگست 2026 . 15 https://ir.crisprtx.com/node/15151/pdf . بائیو فارم انٹرنیشنل۔ ایف ڈی اے ترجیحی جائزے کے لیے یونیکیور کی ہنٹنگٹن کی بیماری جین تھراپی بی ایل اے کو قبول کرتا ہے۔ https://www.biopHarminternational . com/ब्यू/fda - Acसेप्ट س - یونیکیور - ایس - ہنٹنگٹن - ایس - بیماری - جین - تھراپی - بلا - فار - ترجیحی - جائزہ 16 . سی جی ٹی لائیو۔ اوکوجن کی پہلی خوراک مرحلے میں مریض 3 او سی یو کا مقدمہ 410 جی اے کے لیے۔ https://www.cgtlive.com/view/ocugen-doses-first-p اٹینٹ فیز - 3 - مقدمے کا دستاویز 410 - گا ہرمز وائٹ پیپر • جین تھراپی 2026 10 17 . پب میڈ۔ ڈی ایم ڈی میں ڈیلینڈسٹروجین موکسپاروویک کا تین سالہ فالو اپ : ایمبرک۔ https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/42944 18 / 976 . اختتامی خبریں۔ کاماؤ نے نئی شکل دی گئی سکل سیل جین ایڈیٹنگ تھراپی سے پہلا ڈیٹا شیئر کیا۔ https://endpoints.news/kamau-share ایس - فرسٹ - ڈیٹا - فرام ریویمپڈ - سکل سیل - جین ایڈیٹنگ - تھراپی / 19 . پی ایم سی۔ جین تھراپی میں اڈینو سے وابستہ وائرل ویکٹرز کی حفاظت۔ https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC13256615/ 20 ورٹیکس۔ مملکت سعودی عرب میں کیسجی کی منظوری۔ https://investors.vrtx.com/news-releases/news-release-detail s/vertex - اعلانات - منظوری - فرسٹ - کریسپریکس 9 جین ایڈیٹڈ تھراپی 21 . گلوب نیوز وائر۔ کیسجیوی کو بحرین کی منظوری مل گئی 2 ڈیک 2023 . / 2789644 /https://www.globenewswire.com/news-release/2023/12/02/ 0ووں - فار - ٹریٹمنٹ - مارکنگ - It - سیکنڈ - کنٹری - ان - دی en/CASGEVY - Gets - Bharraine - अप्र - ورلڈ . ایچ ٹی ایم ایل 22 . محکمہ صحت ابو ظہبی۔ ایس سی ڈی اور تھیلیسیمیا کے لیے جین ایڈیٹنگ تھراپی کا تعارف۔ https://www.doh.gov.ae/en/ خبریں / dosh - and - assc - introduces - therape - for - SCD - and - thelassemia 23 . قومی۔ ابو ظہبی کلینک نے پہلے متحدہ عرب امارات میں خون کی خرابی کے علاج کے لیے جین تھراپی کا استعمال کیا 6 جان 2026 . https://www.thenationalne WS . com/newes/uae/ 2026 / 01 / 06 / ابو - دھابی - کلینیکل - استعمال - زندگی بدلنے والی - جین - تھراپی - سے - علاج - خون کی خرابیاں - ان - یو اے ای - فرسٹ / 24 . سی آر آئی ایس پی آر علاج معالجہ۔ کاروباری اپ ڈیٹ اور تیسری سہ ماہی کے نتائج۔ https://ir.crisprtx.com/news-releases/news-release-details/c رسپر - تھراپیٹکس - فراہم کرتا ہے - کاروبار - اپ ڈیٹ - اور - رپورٹیں - تیسرا - 7 /

ہرمز کنسلٹنسی ڈی ایم سی سی۔ ہرمس گلوبل ڈاٹ کام

16

ہرمز۔ سفید کاغذ

25 . پی ایم سی۔ سعودی عرب میں سکل سیل کی بیماری کا وبائی مرض۔ https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC3119971/ 26 پی ایم سی۔ شادی سے پہلے کی قومی جانچ اور جینیاتی مشاورت کے پروگرام کا چھ سالہ نتیجہ۔ https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/art آئیکلز / پی ایم سی 3119961 / 27 . پی ایم سی۔ سعودی عرب میں اعلی درجے کی طبی مصنوعات۔ https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC13524764/ 28 امارات ڈرگ اسٹیبلشمنٹ۔ ہمارے بارے میں۔ https://www.ede.gov.ae/en/home یہ وائٹ پیپر صرف معلومات کے لیے ہے اور طبی قانونی یا ریگولیٹری مشورے کی تشکیل نہیں کرتا ہے۔ معلومات 5 نومبر 2026 کو دستیاب عوامی ذرائع کی عکاسی کرتی ہے۔ کام کرنے سے پہلے متعلقہ اتھارٹی کے ساتھ موجودہ حیثیت کی تصدیق کریں۔ Â 2026 HERMS کنسلٹنسی DMCC۔ ہرمز وائٹ پیپر • جین تھراپی 2026 11

موضوع اشاریہ اس وائٹ پیپر میں اس کے حصے پر جانے کے لیے کسی موضوع کا انتخاب کریں۔ جی سی سی مریض جین تھراپی کی منظوری جین تھراپی کلینیکل ٹرائلز تک رسائی حاصل کرتا ہے۔ جین تھراپی پائپ لائن جین تھراپی کی تیاری کا فریم ورک ویوو جین ایڈیٹنگ ریگولیشن اور نتائج پر مبنی ادائیگی میں

متعلقہ ایچ ای آر ایم ایس وسائل جی سی سی جی سی سی دواسازی کی قیمتوں اور مارکیٹ تک رسائی کی حکمت عملی میں سیل اور جین تھراپی کی تیاری مارکیٹنگ کے اختیار رکھنے والوں کے لیے جی سی سی فارماکوویجیلنس ذمہ داریاں متحدہ عرب امارات دواسازی کی مصنوعات کی رجسٹریشن سے رابطہ کریں

منسلک حوالہ جات اور مزید پڑھنا 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

ہرمز کنسلٹنسی ڈی ایم سی سی۔ ہرمس گلوبل ڈاٹ کام

17

ہرمز۔ سفید کاغذ

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

ہرمز کنسلٹنسی ڈی ایم سی سی۔ ہرمس گلوبل ڈاٹ کام

18

اصل مآخذ کے روابط

contentlora.com

endpoints.news

investors.vrtx.com

ir.crisprtx.com

ir.crisprtx.com

lifesciencedaily.news

pmc.ncbi.nlm.nih.gov

pmc.ncbi.nlm.nih.gov

pmc.ncbi.nlm.nih.gov

pmc.ncbi.nlm.nih.gov

pubmed.ncbi.nlm.nih.gov

www.asgct.org

www.biopharminternational.com

www.cgtlive.com

www.doh.gov.ae

www.ede.gov.ae

www.fda.gov

www.fda.gov

www.fda.gov

www.fda.gov

www.fda.gov

www.fda.gov

www.globenewswire.com

www.hermsglobal.com

www.hermsglobal.com

www.hermsglobal.com

www.hermsglobal.com

www.hermsglobal.com

www.hermsglobal.com

www.hermsglobal.com

www.hhs.gov

www.nature.com

www.nejm.org

www.technology.org

www.thenationalnews.com