



Global Conference on Medical and Health Sciences

Hosted Online from Madrid, Spain

Date: 14th September, 2026

Website: <https://econferencia.com>

CRISPR-CAS9 GENE EDITING THERAPEUTICS: FROM FIRST APPROVAL TO EXPANDING CLINICAL PIPELINE

M. Rustamova

Tashkent State Medical University

The approval of the first CRISPR-Cas9-based therapy by the United States Food and Drug Administration in December 2023 marked a watershed moment for genome-editing medicine, transforming a laboratory research tool into a validated clinical treatment within roughly a decade of its initial characterization. That therapy, indicated for sickle cell disease and transfusion-dependent beta-thalassemia, works by editing the BCL11A erythroid enhancer in autologous hematopoietic stem cells to reactivate fetal hemoglobin production, correcting the underlying beta-globin defect without direct repair of the mutated gene itself [1,2]. Since this approval, the clinical trial pipeline has expanded considerably beyond hemoglobinopathies: registered trials as of the end of 2024 include CRISPR-Cas9 approaches targeting cancer, chronic viral infection, hereditary transthyretin amyloidosis, hereditary angioedema, and inherited dyslipidemias, illustrating a shift from monogenic blood disorders toward a broader range of genetic and acquired conditions [1]. A parallel and increasingly prominent trend is the move toward in vivo editing delivered via lipid nanoparticles directly to target organs, most notably the liver, removing the need for ex vivo cell manipulation and the associated chemotherapy-based conditioning regimens that currently limit patient access and increase treatment-related morbidity [3]. Newer editing modalities, including base editors and next-generation nucleases distinct from the original Cas9 platform, are simultaneously entering clinical testing with the explicit aim of improving precision and reducing off-target effects relative to first-generation approaches [4]. Despite this rapid progress, unresolved



Global Conference on Medical and Health Sciences

Hosted Online from Madrid, Spain

Date: 14th September, 2026

Website: <https://econferencia.com>

challenges, including durability of edited-cell engraftment, long-term off-target risk, and the high cost of individualized cell-based manufacturing, continue to constrain how broadly these therapies can be deployed outside specialized transplant centers.

References

1. Bharti A, Mudge J. Therapeutic applications of CRISPR-Cas9 gene editing. *Front Genome Ed.* 2025;7:1724291.
2. Healey N. Next-generation CRISPR-based gene-editing therapies tested in clinical trials. *Nat Med.* 2024.
3. Innovative Genomics Institute. CRISPR clinical trials: a 2025 update. 2025.
4. Innovative Genomics Institute. CRISPR clinical trials: a 2024 update. 2024.
5. Каримов, И., & Рустамова, М. (2007). Фалсафа фани тарихи ва назарияси. Т., ТДПУ.
6. Ливерко, И. В., & Абдуганиева, Э. А. (2019). Связь патогенетических механизмов развития инфаркта миокарда с хронической обструктивной болезнью легких: причины и факторы риска (обзор). *Georgian medical*, (3), 66.
7. Мирахмедова, Х. Т., Исламова, Д. Н., & Рустамова, М. Т. (2017). Современные принципы и алгоритм ранней диагностики псориатического артрита: научное издание. *Бюллетень Ассоциации врачей Узбекистана* N, 3, 53-58.
8. Каратаева, Н. А., Каратаева, Л. А., Юсупова, О. И., & Иноятова, Ш. Ш. К. (2015). Пищевая аллергия (обзор). *Научные исследования*, (1), 126-130.
9. Рахматуллаева, Г. К., Хамраев, А. А., Шукурова, Ф., & Парпибаева, Д. А. (2019). Оценка эффективности действия некоторых ингибиторов



Global Conference on Medical and Health Sciences

Hosted Online from Madrid, Spain

Date: 14th September, 2026

Website: <https://econferencia.com>

-
- протонной помпы, цитопротекторов и их комбинаций на показатели синтеза окиси азота в слизистой ткани желудка при индометациновой гастропатии.
10. Абдуганиева, Э. А., Ливерко, И. В., & Гафнер, Н. В. (2019). Болезни системы кровообращения как основная причина смерти пациентов с хронической обструктивной болезнью легких. Евразийский кардиологический журнал, (S1), 362-363.
 11. Рустамова, М. Т. (1994). Распространенность и особенности клинического течения хронического бронхита в южном Приаралье. Дис. докт. мед. наук. Ташкент.
 12. Рустамова, М. Т., Якубов, А. В., & Хамраев, А. А. (2006). Состояние слизистого барьера желудка при тройной терапии омепразолом, кларитромицином и метронидазолом при экспериментальной язве. Экспериментальная и клиническая гастроэнтерология, (5), 26-28.
 13. Рустамова, М. Т., Зокирхўжаев, Ш. Я., Паттахова, М. Х., Жалолов, Н. Н., & Муталов, С. Б. (2023). Сурункали касалликлари мавжуд беморларда covid-19 кечиши.
 14. Тургунова, Х. З., & Каримова, З. К. (2014). Липидный состав иммунокомпетентных клеток при иммунодефицитном состоянии у морских свинок. Врач-аспирант, 62(1.2), 306-310.
 15. Каримова, З. К., Тургунова, Х. З., Мирзаева, М. А., Исломов, А. Й., & Гафурова, Н. С. (2015). Динамика особенностей этиологии, клинического течения и структуры гнойно-воспалительных заболеваний у детей. Апробация, (2), 78-80.
 16. Тургунова, Х. З., Каримова, З. К., & Исломов, А. Й. (2016). Показатели иммунитета при железодефицитной анемии у детей. In The Ninth European Conference on Biology and Medical Sciences (pp. 74-82).



Global Conference on Medical and Health Sciences

Hosted Online from Madrid, Spain

Date: 14th September, 2026

Website: <https://econferencia.com>

17. Даминова, М. Н., Расулова, З. Д., Абдуллаева, О. И., Каримова, З. К., Мирисмаилов, М. М., Даминова, Х. М., ... & Файзиев, Б. О. (2020). Особенности течения гименолепидоза у детей с оценкой лечения. Новый день в медицине, (2), 347-349.
18. Каримова, З. К., Холова, Н. Р., & Тургунбеков, Д. Х. (2020). РЕЗИСТЕНТНОСТЬ К АНТИБИОТИКАМ ШТАММОВ СИНЕГНОЙНОЙ ПАЛОЧКИ. In ПЕРСПЕКТИВНЫЕ ОБЛАСТИ РАЗВИТИЯ НАУКИ И ТЕХНОЛОГИЙ (pp. 61-63).
19. Касимов, К. К., Норбаев, З. К., Каримова, З. Х., & Нарбаева, Ш. З. (2016). НЕКОТОРЫЕ ВОПРОСЫ КАНДИДОЗА МИНДАЛИН: КЛИНИКА, ДИАГНОСТИКА И МЕТОДЫ ИХ ЛЕЧЕНИЯ. In ПЕРИТОНИТ ОТ А ДО Я (ВСЕРОССИЙСКАЯ ШКОЛА) (pp. 693-696).
20. Каримова, З. К., Тургунова, Х. З., Мирзаева, М. А., Исломов, А. Й., & Гафурова, Н. С. (2015). Ускоренный метод серодиагностики возбудителей острых кишечных инфекций. Апробация, (2), 75-77.
21. Прокопенко, К. Ю., Каратаева, Н. А., & Абдуллаев, Н. Ч. (2013). ОБСТРУКТИВНЫЙ БРОНХИТ У ДЕТЕЙ НА ФОНЕ ТИМОМЕГАЛИИ. Молодой организатор здравоохранения: сб. науч. ст. студентов, 261.
22. Каратаева, Л. А., Шертаев, М. М., & Носиров, Ш. Б. (2016). Перинатальная смертность детей в патоморфологическом аспекте. Medicus, (2), 106-107.
23. КУРОВСКИЙ, С., & МИШИН, Д. ВОПРОСЫ ЭКСПЕРТИЗЫ И КАЧЕСТВА МЕДИЦИНСКОЙ ПОМОЩИ. ВОПРОСЫ ЭКСПЕРТИЗЫ И КАЧЕСТВА МЕДИЦИНСКОЙ ПОМОЩИ Учредители: Тихонова Жанна Сергеевна Web of Science: нет Scopus: нет Белый список: нет



Global Conference on Medical and Health Sciences

Hosted Online from Madrid, Spain

Date: 14th September, 2026

Website: <https://econferencia.com>

-
- ЕГПНИ: нет Перечень ВАК: нет RSCI: нет Рейтинг Science Index: да (процентиль 99), (8), 18-21.
24. Исмаилова, Г. О., Юлдашев, Н. М., Акбарходжаева, Х. Н., Шертаев, М. М., & Зиямутдинова, З. К. (2021). Биологически активные природные 2'-гидроксихалконы. Биоорганическая химия, 47(3), 304-314.
 25. Носиров, Ш. Б., & Шертаев, М. М. (2022). СОВРЕМЕННЫЙ ВЗГЛЯД НА ЗАБОЛЕВАЕМОСТЬ ХРОНИЧЕСКИМИ ДЕРМАТОЗАМИ. Ученый XXI века, (1 (82)), 3-6.
 26. Носиров, Ш. Б., & Шертаев, М. М. (2022). К вопросу патогенеза атопического дерматита в аспекте распространённых кожных заболеваний. Ученый XXI века, (3 (84)), 74-78.
 27. Каратаева, Л. А., & Шертаев, М. М. (2014). Роль определения сосудов Вьессена-Тебезия в диагностике скоропостижной смерти детей раннего возраста. Врач-аспирант, 64(3.2), 258-264.
 28. Носиров, Ш. Б., Шертаев, М. М., & Сон, Т. Р. (2017). Распространенность и причинные факторы развития кожных болезней. Научный журнал «Апробация», (3), 54.
 29. Носиров, Ш. Б., Шертаев, М. М., & Иноятова, Ш. Ш. К. (2016). Высыпания на коже как проявления лекарственной аллергии у детей раннего возраста. International scientific review, (4 (14)), 233-235.
 30. Носиров, Ш. Б., & Шертаев, М. М. (2022). Современный взгляд на аспекты клинической картины герпеса и на его лечение. Вестник магистратуры, (9 (132)), 98-103.
 31. Хасанов, С. А., Мухитдинов, У. Б., & Норалиев, Р. Б. (2004). Лечение гнойных фронтитов у детей методом мягкого зондирования. Российская ринология, (3), 36-37.



Global Conference on Medical and Health Sciences

Hosted Online from Madrid, Spain

Date: 14th September, 2026

Website: <https://econferencia.com>

32. Мухитдинов, У. Б., Каратаева, Л. А., & Усманжоджаев, А. А. (2016). Анализ клинических результатов стационарных больных с хроническим гнойным средним отитом. *Medicus*, (2), 59-61.
33. Мухитдинов, У. Б., Расулова, Н. А., Эргашев, Ж. Д., & Умаров, Х. У. (2021). Сравнительные отдаленные результаты использования аутоотрансплантатов при тимпанопластике I-III типа. *Re-health journal*, (2 (10)), 90-96.
34. Мухитдинов, У. Б., Амонов, Ш. Э., & Усманхаджаев, А. А. (2016). Некоторые аспекты хирургического лечения при хроническом гнойном среднем отите в стадии ремиссии. *Знание*, (1-3), 106-111.
35. Ulugbek, M. (2018). Analysis of unsatisfactory outcomes after tympanoplasty. *European science review*, (9-10-2), 117-119.
36. Мухитдинов, У. Б., Хакимжанова, А. С., & Каратаева, Л. А. (2022). Эпидемиология хронического гнойного среднего отита в детском возрасте. *Ученый XXI века*, (6 (87)), 3-6.
37. Мухитдинов, У. Б., & Усманхаджаев, А. А. (2017). Оценка анатомических структур при хроническом гнойном среднем отите (ХГСО) в диагностическом аспекте. *Современные научные исследования и разработки*, 2(1), 172-175.
38. Мухитдинов, У. Б. (2020). Отдаленные неудовлетворительные результаты после тимпаноластики у больных хроническим гнойным средним отитом. *Проблемы биологии и медицины*, 116(1), 86.
39. Muxitdinov, U. B., & Amonov, S. E. (2016). Analysis of clinical results of the hospitalized patients with chronic otitis media. In *The Eighth International Conference on Eurasian scientific development* (pp. 65-67).



Global Conference on Medical and Health Sciences

Hosted Online from Madrid, Spain

Date: 14th September, 2026

Website: <https://econferencia.com>

40. Сабирьянов, А. Р., Ена, С. А., Сабирьянова, Е. С., & Сергеева, Н. В. (2015). Особенности variability ритма сердца у женщин в онтогенезе. Фундаментальные исследования, (1), 1429-1434.
41. Абзалова, Ш. Р., & Икрамова, С. Х. (2017). Морфологические изменения в печени при интоксикации нитритами и нитратами в эксперименте. Молодой ученый, (16), 15-17.
42. Ikramova, S. (2023). Cancer genesis: possible mechanisms of its development and inhibition. Science and innovation, 2(D10), 32-36.
43. Икрамова, С. Х. (2018). Факторы риска рецидивирующих инфекций респираторной системы у детей. Web of Scholar, 2(4), 23-25.
44. Алимходжаева, А. А., Икрамова, С. Х., Гильдиева, М. С., & Абдувалиев, А. А. (2004). Антипролиферативные эффекты гидрокортизона в отношении клеток рака молочной железы в эксперименте in vitro. Сб. докладов Академии Наук Рес. Узбекистан, (2), 76-79.
45. Азизова, Р. А., Карабекова, Б. А., & Мухитдинова, М. И. (2019). BASES OF MODERN CLINICAL-PHARMACOLOGICAL APPROACHES TO EFFECTIVE AND SAFE PERSONAL PHARMACOTHERAPY. Новый день в медицине, (4), 19-22.
46. Даминов, Р. У., Мирзакаримова, Ф. Р., Азизова, Р. А., & Мухитдинова, М. И. (2020). СОВРЕМЕННЫЙ ПОДХОД К ЛЕЧЕНИЮ БОЛЬНЫХ ХРОНИЧЕСКИМ ОБСТРУКТИВНЫМ БРОНХИТОМ С СОПУТСТВУЮЩЕЙ ИБС. Новый день в медицине, (1), 188-192.
47. MADJIDOVA, Y., KHALILOVA, A., SADIKOVA, G., ABDULLAEVA, V., KHAMIDOVA, N., & MUKHITDINOVA, M. (2020). Profile of pro-inflammatory interleukins in symptomatic epilepsy of various etiologies. International Journal of Pharmaceutical Research (09752366), 12(1), 1292.



Global Conference on Medical and Health Sciences

Hosted Online from Madrid, Spain

Date: 14th September, 2026

Website: <https://econferencia.com>

-
48. Агзамова, Н. В., Балтаниязова, Г. П., & Усманбекова, Г. У. (2018). ИСПОЛЬЗОВАНИЕ БРОНХОЛИТИЧЕСКОЙ ТЕРАПИИ В ЛЕЧЕНИИ БРОНХИАЛЬНОЙ АСТМЫ. Интернаука, (19-1), 28-29.
49. Агзамова, Н. В., & Мавлянова, Н. Т. (2018). ПРИМЕНЕНИЕ ИННОВАЦИОННО-ИНТЕРАКТИВНЫХ МЕТОДОВ ОБУЧЕНИЯ СТУДЕНТОВ ПЕДИАТРИЧЕСКОГО ФАКУЛЬТЕТА ТАШПИМИ В ПРЕПОДАВАНИИ КЛИНИЧЕСКОЙ ФАРМАКОЛОГИИ. ББК 74.026. 848 М, 42, 170.