

ETIKA DAN REGULASI TERAPI GEN DALAM PRAKTIK MEDIS

Salwa Febriana Ekasari Siregar^{1*}, Maritza Adelia Putri², Meuthya Putri Salsabila³, Nadya Nur Syafina Putri⁴, Rizda Maharani Sekarningrum⁵, Riswandy Wasir⁶

Program Studi Kesehatan Masyarakat, Fakultas Ilmu Kesehatan, Universitas Pembangunan Nasional “Veteran” Jakarta^{1,2,3,4,5,6}

*Corresponding Author : salwasire34@gmail.com

ABSTRAK

Terapi gen adalah inovasi medis yang bertujuan memperbaiki atau mengganti gen rusak dengan gen fungsional untuk mengobati penyakit bawaan dan kronis. Teknologi ini memberikan manfaat yang signifikan, termasuk mengurangi beban perawatan dan meningkatkan kualitas hidup pasien. Namun, terapi gen juga menimbulkan tantangan terkait keamanan, regulasi, dan etika, seperti risiko efek samping, ketidakpastian jangka panjang, dan keadilan akses. Penelitian ini bertujuan untuk menganalisis penerapan terapi gen melalui tinjauan literatur dari Google Scholar, PubMed, dan ScienceDirect, dengan fokus pada publikasi 2014–2024. Metode analisis tematik digunakan untuk menyoroti isu-isu utama terkait regulasi dan etika. Keselamatan pasien adalah prinsip utama dalam praktik medis, termasuk terapi gen. Risiko jangka panjang dalam terapi gen sulit diprediksi. Hasil penelitian menunjukkan bahwa meski terapi gen menawarkan solusi potensial untuk penyakit yang sebelumnya sulit diobati, terdapat kendala akses karena biaya tinggi dan keterbatasan infrastruktur medis. Dari sisi regulasi, diperlukan pengawasan ketat dan pemantauan jangka panjang untuk memastikan keamanan dan efektivitas terapi gen. Regulasi ketat dan pengawasan klinis diperlukan untuk menjamin keamanan penggunaan terapi ini. Selain itu, dibutuhkan model pembiayaan inovatif agar akses terhadap terapi gen lebih merata. Transparansi dan keterlibatan pasien dalam proses pengambilan keputusan juga sangat penting untuk membangun kepercayaan masyarakat terhadap teknologi ini. Terapi gen memiliki potensi besar, tetapi memerlukan pendekatan yang komprehensif dan terintegrasi untuk diterapkan.

Kata kunci : etika terapi gen, regulasi terapi gen, terapi gen

ABSTRACT

Gene therapy is a medical innovation that aims to repair or replace defective genes with functional genes to treat inherited and chronic diseases. This technology provides significant benefits, including reducing the burden of care and improving patients' quality of life. However, gene therapy also poses safety, regulatory and ethical challenges, such as the risk of side effects, long-term uncertainty and equity of access. This study aims to analyze the application of gene therapy through a literature review from Google Scholar, PubMed, and ScienceDirect, with a focus on 2014-2024 publications. The thematic analysis method was used to highlight key regulatory and ethical issues. Patient safety is a key principle in medical practice, including gene therapy. Long-term risks in gene therapy are difficult to predict. The results showed that while gene therapy offers potential solutions to previously untreatable diseases, there are access barriers due to high costs and limited medical infrastructure. In terms of regulation, strict supervision and long-term monitoring are needed to ensure the safety and effectiveness of gene therapy. Strict regulations and clinical supervision are needed to ensure the safe use of these therapies. In addition, innovative financing models are needed to make access to gene therapy more equitable. Transparency and patient involvement in the decision-making process are also very important to build public trust in this technology. Gene therapy has great potential, but requires a comprehensive and integrated approach to be implemented.

Keywords : gene therapy, gene therapy regulation, gene therapy ethics

PENDAHULUAN

Terapi gen merupakan teknologi medis berbasis asam nukleat yang dirancang untuk tujuan terapeutik dengan memodifikasi gen untuk mengobati berbagai penyakit. Teknologi ini

melibatkan transfer dan penyuntingan gen menggunakan metode berbasis virus dan non-virus, baik secara *in vivo* maupun *ex vivo*, dengan bahan autolog yang dimodifikasi atau material baru untuk penerima terapi (Bateman-House, 2024). Terapi gen berfungsi dengan memperbaiki, mengganti, atau mengatur gen yang rusak menggunakan gen fungsional untuk mengatasi penyakit bawaan dan kronis. Terapi ini terbagi menjadi dua kategori utama: terapi gen sel somatik dan terapi gen sel germline (Sivagourounadin dkk., 2021).

Ilmuwan telah lama berhipotesis bahwa modifikasi genetik dengan DNA eksogen dapat menjadi pengobatan efektif untuk penyakit genetik manusia. Secara teoritis, terapi gen berpotensi memberikan manfaat klinis jangka panjang dan bahkan kuratif hanya dengan satu kali pengobatan (Dunbar dkk., 2018). Berdasarkan perkembangan ilmiah, klinis, dan manufaktur selama beberapa dekade terakhir, terapi gen telah menunjukkan hasil positif, terutama bagi pasien dengan kanker dan penyakit genetik bawaan. Agar manfaat terapi gen dapat dirasakan lebih luas, diperlukan kolaborasi dengan perusahaan bioteknologi dan farmasi dalam peningkatan skala produksi dan distribusi. Saat ini, beberapa terapi gen telah mendapatkan persetujuan sebagai obat resmi, dan lebih dari selusin terapi lainnya memperoleh status "terapi terobosan" oleh regulator, termasuk Food and Drug Administration (FDA) di Amerika Serikat (Dunbar dkk., 2018). Pada Januari 2020, FDA melaporkan telah menerima lebih dari 900 aplikasi obat baru dalam tahap investigasi terkait terapi gen (Bateman-House, 2024).

Namun, meski menawarkan harapan baru, terapi gen memunculkan berbagai tantangan ilmiah dan etika. Kompleksitas biologis dan teknis dalam perancangan, produksi, serta pengujian terapi gen berpotensi menimbulkan risiko bagi pasien (Sivagourounadin dkk., 2021). Oleh karena itu, uji klinis yang ketat sangat diperlukan untuk memastikan keamanan dan meminimalkan risiko. Ketidakpastian mengenai jenis dan dampak intervensi baru ini masih menjadi perhatian (Bateman-House, 2024). Selain tantangan teknis, terapi gen juga memerlukan titik akhir klinis baru untuk mengukur keberhasilan pengobatannya. Beberapa terapi yang telah disetujui didasarkan pada titik akhir pengganti, artinya efektivitas terapi pada populasi luas masih memerlukan pembuktian lebih lanjut. Karena itu, transparansi dalam pelaporan dan pemantauan keamanan terapi gen sangat diperlukan untuk membangun kepercayaan publik (Bateman-House, 2024).

Tantangan lain terkait dengan akses dan keadilan. Kesenjangan terjadi antara mereka yang memiliki akses ke terapi gen dengan mereka yang tidak, akibat faktor seperti biaya tinggi, keterbatasan geografis, atau kebijakan pemerintah. Hal ini menimbulkan dilema etika dalam pengembangan dan distribusi terapi gen, karena terapi ini cenderung hanya dapat diakses oleh kelompok tertentu dengan sumber daya yang memadai. Literatur mengenai etika terapi gen berkembang pesat dan menyoroti pentingnya memastikan akses yang adil dan berkelanjutan (Bateman-House, 2024).

Oleh karena itu, penelitian ini bertujuan untuk menganalisis keamanan, kesesuaian etika, dan regulasi dalam penerapan terapi gen, dengan fokus pada bagaimana teknologi ini dapat dimanfaatkan secara optimal tanpa mengabaikan aspek etika dan keadilan akses.

METODE

Penelitian ini mengumpulkan literatur yang berfokus pada etika dan regulasi dalam praktik terapi gen, menggunakan analisis tematik dan pendekatan kualitatif. Proses pengumpulan data dilakukan melalui akses online terhadap tiga basis utama, yaitu *Google Scholar*, *PubMed*, dan *ScienceDirect*. Penelitian ini akan memilih artikel yang relevan dengan topik dan memenuhi kriteria inklusi. Artikel harus dipublikasikan dari tahun 2014 hingga 2024 dan mencakup kata kunci seperti "*Gene Therapy*", "*Gene Therapy Regulation*", dan "*Gene Therapy Ethnic*". Untuk memastikan bahwa referensi disusun dengan teratur dan mudah

diakses, peneliti ini akan menggunakan perangkat lunak Mendeley.

Analisis data dilakukan dengan mengidentifikasi tema penting seperti regulasi, keamanan, akses, dan isu etika terkait terapi gen. Kemudian, setiap temuan dari literatur yang dipilih di analisis secara menyeluruh. Hasil penelitian disajikan bentuk narasi terstruktur dengan pembahasan mendalam tentang setiap tema untuk menekankan aspek penting dari penelitian. Karena penelitian ini tidak melibatkan subjek manusia langsung, peneliti tetap mematuhi etika akademik saat menyusun dan menggunakan sumber.

HASIL

Tabel 1 menyajikan ringkasan artikel yang ditelusuri dengan kata kunci “Terapi Gen”, “Regulasi Terapi Gen”, dan “Etika Terapi Gen”.

Tabel 1. Hasil Penelusuran Artikel

Penulis	Judul Jurnal	Metode	Hasil
Baas L, Meijer K, Driessens M, et al.	Ethical aspects of hemophilia gene therapy: a qualitative interview study with stakeholders. <i>Research and Practice in Thrombosis and Haemostas</i> is. 2023;7(7):102237 ⁴	Kualitatif dengan wawancara semi-terstruktur	Ada kekhawatiran bahwa terapi gen akan meningkatkan ketergantungan pasien pada pusat pengobatan. Partisipasi dalam uji coba didorong oleh kepercayaan tinggi terhadap tenaga medis dan penelitian ilmiah, sebagian besar karena altruisme. Meskipun demikian, terdapat keraguan mengenai manfaat terapi gen dibandingkan pengobatan konvensional yang sudah ada.
Bainbridge JWB, Mehat MS, Sundaram V, et al.	Long-Term Effect of Gene Therapy on Leber's Congenital Amaurosis. <i>New England Journal of Medicine</i> . 2015;372(20):1887-1897 ⁵	Eksperimental dengan partisipan 12	(Meskipun ada manfaat jangka pendek dari hasil terapi gen dengan vektor rAAV2/2, secara etis, terdapat risiko efek samping seperti peradangan dan penurunan penglihatan, dan untuk memastikan keamanannya diperlukan penelitian lebih lanjut.
Eskes ECB, Beishuizen CRL, Corazolla EM, et al.	Patients' view on gene therapy development for lysosomal storage disorders: a qualitative study. <i>Orphanet J Rare Dis</i> . 2022;17(1) ⁶	Diskusi kelompok fokus wawancara semi-struktur	Studi ini menunjukkan bahwa memahami kebutuhan dan kekhawatiran pasien sebelum membuat pengobatan baru sangat penting untuk memastikan penggunaan sumber daya yang tepat dan efisien.
Fear VS, Forbes CA, Anderson D, et al.	Functional validation of variants of unknown significance using CRISPR gene editing and transcriptomics: A Kleefstra syndrome case study. <i>Gene</i> . 2022;821 ⁷	Eksperimental	(Ada masalah etika terkait teknologi CRISPR/Cas9 ini, seperti persetujuan yang diinformasikan, potensi penggunaan teknologi, dan efek buruk yang mungkin terjadi pada generasi mendatang. Untuk memastikan bahwa pengeditan gen menggunakan CRISPR tidak hanya efektif tetapi juga aman bagi pasien, peraturan yang jelas diperlukan.

Landrum Peay H, Fischer R, Tzeng JP, et al.	Gene therapy as a potential therapeutic option for Duchenne muscular dystrophy: A qualitative preference study of patients and parents. Published online 2019 ⁸	Analisis kualitatif dengan wawancara	Meskipun peserta menunjukkan optimisme terhadap terapi gen untuk Duchenne, mereka memiliki sikap beragam tentang realisme dan manfaatnya, serta kekhawatiran terkait risiko dan kelayakan terapi tersebut. Stabilisasi fungsi otot rangka dan fungsi tambahan otot dianggap sebagai manfaat utama, dengan prioritas tinggi pada pemeliharaan fungsi jantung dan paru-paru.
Wu X, Bai Z, Wang H, et al.	CRISPR-Cas9 gene editing	Eksperimental	Uji histopatologi menunjukkan bahwa organ utama seperti jantung, hati, limpa, paru-paru, dan ginjal tidak mengalami kerusakan setelah terapi, sehingga menegaskan keamanan platform nanomedicine ini.
Robillard JM, Roskams-Edris D, Kuzeljevic B, Illes J.	Prevailing Public Perceptions of the Ethics of Gene Therapy. <i>Hum Gene Ther.</i> 2014;25(8):740-746 ¹⁰	Metode Survei secara online	Sebagian besar responden menerima terapi gen sebagai pengobatan penyakit parah. kekhawatiran terbesar dalam penerapan terapi gen adalah ketakutan tidak mendapatkan informasi cukup sebelum menjalani perawatan. Kekhawatiran etika yang utama adalah potensi kesenjangan dalam alokasi sumber daya, akses ke prosedur, serta diskriminasi.
Dubé K, Kanazawa J, Patel H, et al.	Ethical and practical considerations for cell and gene therapy toward an HIV cure: findings from a qualitative in-depth interview study in the United States. <i>BMC Medical Ethics.</i> 2022;23(1) ¹¹	Studi kualitatif dengan wawancara mendalam	Informan memberikan pertimbangan etis mengenai penelitian pengobatan HIV yang sebagian besar mengatakan bahwa perlu untuk menekankan juga memaksimalkan manfaat ilmiah jangka panjang bagi komunitas HIV. Perlu adanya keseimbangan antara penyediaan akses pengobatan dan pencegahan HIV di seluruh dunia dengan harapan adanya keadilan dan kesetaraan akses global.
Pipe SW, Leebeek FWG, Recht M, et al.	Gene Therapy with Etranacogene Dezaparvovec for Hemophilia B. <i>New England Journal of Medicine.</i> 2023;388(8):706-718 ¹²	Eksperimental (Uji Klinis) fase 1 dengan partisipan 54	Terapi gen dapat mengurangi beban perawatan dan meningkatkan kualitas hidup pada pasien dengan Hemofilia B. Namun, tetap perlu diperhatikan keamanan penggunaan vektor virus yang tidak terintegrasi pada dosis yang digunakan. Perlu tindak lanjut untuk memahami potensi risiko jangka panjang genotoksitas, agar tidak ada

			penyimpangan etik dari terapi gen tersebut.
MacLaren RE, Groppe M, Barnard AR, et al.	Retinal gene therapy in patients with choroideremia: Initial findings from a phase 1/2 clinical trial. <i>The Lancet</i> . 2014;383(9923):1129-1137 ¹³	Eksperimental (Uji Klinis) fase 1-2 dengan enam partisipan	Tidak ada efek yang merugikan yang jelas dari pengobatan fovea, namun tetap diperlukan perhatian dan kehati-hatian dalam melakukan terapi gen tersebut. Peneliti memilih AAV2 untuk uji coba karena diketahui aman digunakan pada retina manusia, ini menunjukkan perhatian terhadap etik pada partisipan yaitu menjaga keamanan partisipan dalam melakukan penelitian terapi gen.

Hasil analisis menunjukkan bahwa terapi gen menawarkan banyak manfaat medis yang signifikan. Misalnya, terapi pada fovea tidak menunjukkan efek samping yang jelas setelah diterapkan (MacLaren dkk., 2014). Selain itu, terapi gen telah terbukti mengurangi beban perawatan bagi pasien dan keluarganya, sekaligus meningkatkan kualitas hidup secara signifikan. Salah satu contohnya adalah pada pasien dengan Hemofilia B, yang sebelumnya membutuhkan perawatan seumur hidup. Dengan terapi gen, mereka dapat hidup lebih bebas tanpa perlu bergantung pada perawatan konvensional (Pipe dkk., 2023). Terapi gen juga membuka peluang untuk menyembuhkan penyakit progresif yang sebelumnya tidak dapat diobati, memberikan harapan baru bagi pasien dengan kondisi sulit disembuhkan (Robillard dkk., 2014). Penelitian lainnya menunjukkan bahwa terapi gen aman dalam beberapa kasus karena tidak menyebabkan infeksi sistemik yang membahayakan (Wu dkk., 2024). Dengan demikian, terapi ini menciptakan peluang baru untuk menangani penyakit genetik yang kompleks dan memperbaiki kualitas hidup pasien.

Meskipun menjanjikan, terapi gen menghadapi tantangan besar, terutama dalam keadilan akses. Biaya terapi yang sangat tinggi membuatnya hanya bisa dijangkau oleh kelompok masyarakat dengan sumber daya finansial dan infrastruktur medis yang memadai (Dubé dkk., 2022; Robillard dkk., 2014). Akibatnya, sebagian besar pasien di negara-negara dengan sumber daya terbatas kesulitan mengakses pengobatan ini. Selain itu, banyak pasien merasa khawatir karena kurangnya pemahaman mengenai risiko dan efek samping terapi gen (Baas dkk., 2023; Bainbridge dkk., 2015; Eskes dkk., 2022; Fear dkk., 2022; Landrum Peay dkk., 2019). Ketidakpastian ini membuat terapi gen menjadi kurang diminati dan mempengaruhi penerimaannya di masyarakat global. Oleh karena itu, perlu ada langkah konkret untuk memastikan akses yang adil dan edukasi yang memadai agar terapi gen dapat diterima dengan lebih baik oleh masyarakat.

PEMBAHASAN

Terapi gen adalah modifikasi genom yang dilakukan dengan introduksi, penghapusan, atau perubahan susunan kode genetik melalui transfer materi genetik. Tujuannya adalah untuk merawat atau menyembuhkan penyakit yang sebelumnya sulit diobati atau bahkan tidak dapat disembuhkan (Mahendra, 2022). Sebagai salah satu inovasi kesehatan paling menjanjikan dalam beberapa dekade terakhir, terapi gen membuka peluang baru dalam pengobatan penyakit kronis dan genetik. Namun, teknologi ini menghadirkan sejumlah tantangan, terutama terkait etika dan regulasi. Kedua aspek ini sangat penting untuk memastikan penerapannya berjalan dengan aman, efektif, dan dapat diakses secara adil.

Etika Dalam Terapi Gen

Tantangan etika dalam terapi gen mencakup beberapa aspek berikut:

Keselamatan Pasien dan Prinsip *Non-Maleficence*

Keselamatan pasien merupakan prinsip fundamental dalam praktik medis, termasuk terapi gen. Berdasarkan Peraturan Menteri Kesehatan Nomor 308 Tahun 2017, keselamatan pasien mencakup penilaian risiko, identifikasi dan mitigasi risiko, serta pelaporan dan analisis insiden untuk mencegah cedera akibat kesalahan (Kementerian Kesehatan, 2017). Dalam terapi gen, risiko jangka panjang sulit diprediksi. Mutasi tidak terduga yang dapat memicu kanker atau efek samping serius adalah salah satu kekhawatiran utama. Oleh karena itu, penggunaan teknologi ini harus didasarkan pada evaluasi yang cermat dan didukung oleh uji klinis ketat untuk memastikan bahwa manfaat yang diberikan lebih besar daripada risiko yang mungkin timbul.

Persetujuan Informasi (*Informed Consent*)

Sebagaimana diatur dalam UU Pasal 293 Nomor 17 Tahun 2023, setiap tindakan medis harus mendapatkan persetujuan pasien setelah penjelasan yang jelas mengenai diagnosis, risiko, manfaat, alternatif, dan prognosis pengobatan (Pemerintah Pusat, t.t.). Dalam konteks terapi gen, penting bagi pasien untuk memahami keuntungan dan risiko yang mungkin terjadi, mengingat sifat intervensi ini sangat kompleks dan berpotensi menimbulkan efek jangka panjang. Ketika pasien anak-anak atau individu dengan keterbatasan mental dilibatkan, persetujuan menjadi lebih rumit dan harus mempertimbangkan prinsip otonomi individu serta kesejahteraan pasien sebagai prioritas utama.

Keadilan akses

Prinsip keadilan dalam etika kesehatan menekankan bahwa setiap orang, tanpa memandang status sosial, ekonomi, atau geografis, berhak mendapatkan manfaat dari inovasi medis. Namun, biaya terapi gen yang tinggi membuat aksesnya terbatas pada kalangan tertentu, terutama di negara maju atau kelompok masyarakat dengan ekonomi kuat. Sebagai contoh, di Amerika Serikat, biaya perawatan terapi gen dapat mencapai jutaan dolar untuk satu kali pengobatan (Koulianos, 2021). Untuk mengurangi ketimpangan ini, perusahaan asuransi kesehatan perlu mengembangkan model pembayaran berbasis kinerja, bekerja sama dengan berbagai pemangku kepentingan untuk menemukan solusi yang memastikan akses lebih merata bagi semua kelompok masyarakat.

Regulasi Dalam Terapi Gen

Regulasi diperlukan untuk memastikan bahwa terapi gen aman, efektif, dan dapat diterapkan secara bertanggung jawab. Organisasi Kesehatan Dunia (WHO) telah menetapkan standar regulasi yang ketat untuk terapi gen dan produk terapi lanjutan lainnya, termasuk terapi seluler dan rekayasa jaringan (WHO, 2023). Setiap tahap pengembangan terapi gen, mulai dari fase penelitian hingga pasca-pemasaran, harus melalui pengawasan mutu, uji klinis, dan pemantauan keamanan jangka panjang untuk mengidentifikasi efek samping.

Pendekatan berbasis risiko yang diterapkan WHO mengharuskan regulator untuk menyesuaikan tingkat pengawasan dengan tingkat manipulasi dan risiko yang terkait dengan setiap produk (WHO, 2023). Negara-negara dengan pengalaman terbatas dalam pengembangan terapi gen dianjurkan untuk bekerja sama melalui mekanisme ketergantungan regulasi. Kerja sama ini bertujuan untuk mempercepat akses global terhadap terapi gen yang aman dan efektif. Selain itu, proses manufaktur terapi gen memerlukan fasilitas khusus yang memenuhi standar Good Manufacturing Practice (GMP), dan setiap perubahan dalam prosedur harus dievaluasi untuk menjaga konsistensi dan keamanan produk. Terapi gen merupakan

inovasi medis yang menjanjikan, namun penerapannya harus memperhatikan aspek keamanan, etika, dan regulasi. Tantangan utama yang dihadapi adalah keselamatan pasien, persetujuan informasi, dan keadilan akses, yang harus dipenuhi agar terapi ini dapat diterima oleh masyarakat. Regulasi yang ketat dan transparan diperlukan untuk meminimalkan risiko dan memastikan bahwa terapi gen tidak disalahgunakan.

KESIMPULAN

Terapi gen merupakan terobosan penting dalam bidang kesehatan yang membuka peluang baru untuk pengobatan penyakit genetik dan kronis, terutama penyakit yang sebelumnya sulit atau bahkan tidak dapat diobati. Teknologi ini menawarkan manfaat signifikan, seperti peningkatan kualitas hidup dan pengurangan beban perawatan bagi pasien dan keluarga. Namun, penerapan terapi gen tidak terlepas dari tantangan ilmiah, etika, dan regulasi. Secara ilmiah, masih terdapat ketidakpastian jangka panjang mengenai risiko terapi, seperti kemungkinan mutasi genetik dan efek samping yang tidak diinginkan. Dari perspektif etika, terapi gen harus memastikan keselamatan pasien, transparansi dalam pemberian informasi, dan keadilan akses agar tidak hanya tersedia bagi kelompok tertentu. Keterlibatan pasien dalam proses persetujuan informasi sangat penting untuk membangun kepercayaan dan mengurangi kekhawatiran publik.

Dari sisi regulasi, diperlukan pengawasan ketat dan pemantauan jangka panjang untuk memastikan keamanan dan efektivitas terapi gen. Selain itu, biaya tinggi dan keterbatasan infrastruktur menjadi hambatan bagi akses yang merata. Untuk itu, diperlukan kerja sama antara pemerintah, perusahaan farmasi, dan lembaga asuransi dalam merumuskan model pembiayaan inovatif, seperti pembayaran berbasis kinerja, agar terapi gen dapat diakses oleh semua lapisan masyarakat. Secara keseluruhan, meskipun terapi gen memiliki potensi besar, penerapannya memerlukan pendekatan yang komprehensif dan terintegrasi. Keseimbangan antara manfaat klinis, etika, dan regulasi sangat penting untuk memastikan bahwa teknologi ini memberikan manfaat maksimal dan dapat diakses secara adil dan merata di seluruh dunia.

UCAPAN TERIMA KASIH

Terimakasih kepada dosen Mata Kuliah Etika dan Hukum Kesehatan atas bimbingan dan dukungannya dalam penyusunan artikel ini. Kami juga berterima kasih kepada teman-teman sekelas atas diskusi dan kontribusinya dalam setiap sesi pertemuan.

DAFTAR PUSTAKA

- Baas, L., Meijer, K., Driessens, M., Bredenoord, A. L., van der Graaf, R., Cnossen, M. H., & Reitsma, S. H. (2023). Ethical aspects of hemophilia gene therapy: a qualitative interview study with stakeholders. *Research and Practice in Thrombosis and Haemostasis*, 7(7), 102237. <https://doi.org/https://doi.org/10.1016/j.rpth.2023.102237>
- Bainbridge, J. W. B., Mehat, M. S., Sundaram, V., Robbie, S. J., Barker, S. E., Ripamonti, C., Georgiadis, A., Mowat, F. M., Beattie, S. G., Gardner, P. J., Feathers, K. L., Luong, V. A., Yzer, S., Balaggan, K., Viswanathan, A., de Ravel, T. J. L., Casteels, I., Holder, G. E., Tyler, N., ... Ali, R. R. (2015). Long-Term Effect of Gene Therapy on Leber's Congenital Amaurosis. *New England Journal of Medicine*, 372(20), 1887–1897. <https://doi.org/10.1056/nejmoa1414221>
- Bateman-House, A. (2024). Somatic Gene Therapy: Ethics and Access. *Annual review of genomics and human genetics*, 25(1), 421–438. <https://www.annualreviews.org/content/journals/10.1146/annurev-genom-021623->

104458

- Dubé, K., Kanazawa, J., Patel, H., Louella, M., Sylla, L., Sheehy, J., Dee, L., Taylor, J., Adair, J., Anthony-Gonda, K., Dropulić, B., Saucedo, J. A., Peluso, M. J., Deeks, S. G., & Simoni, J. (2022). Ethical and practical considerations for cell and gene therapy toward an HIV cure: findings from a qualitative in-depth interview study in the United States. *BMC Medical Ethics*, 23(1). <https://doi.org/10.1186/s12910-022-00780-1>
- Dunbar, C. E., High, K. A., Joung, J. K., Kohn, D. B., Ozawa, K., & Sadelain, M. (2018). Gene therapy comes of age. Dalam *Science* (Vol. 359, Nomor 6372). American Association for the Advancement of Science. <https://doi.org/10.1126/science.aan4672>
- Eskes, E. C. B., Beishuizen, C. R. L., Corazolla, E. M., van Middelaar, T., Brands, M. M. M. G., Dekker, H., van de Mheen, E., Langeveld, M., Hollak, C. E. M., & Sjouke, B. (2022). Patients' view on gene therapy development for lysosomal storage disorders: a qualitative study. *Orphanet Journal of Rare Diseases*, 17(1). <https://doi.org/10.1186/s13023-022-02543-y>
- Fear, V. S., Forbes, C. A., Anderson, D., Rauschert, S., Syn, G., Shaw, N., Jones, M. E., Forrest, A. R., Baynam, G., & Lassmann, T. (2022). Functional validation of variants of unknown significance using CRISPR gene editing and transcriptomics: A Kleefstra syndrome case study. *Gene*, 821. <https://doi.org/10.1016/j.gene.2022.146287>
- Kementerian Kesehatan. (2017). *Peraturan Menteri Kesehatan Nomor 308 Tahun 2017 Tentang Keselamatan Pasien*. <https://www.peraturan.go.id/id/permenkes-no-308-tahun-2017>
- Koulianos, K. (2021). Gene therapy and US healthcare: Rationalizing the price of promise. Dalam *Molecular Therapy* (Vol. 29, Nomor 10, hlm. 2887–2888). Cell Press. <https://doi.org/10.1016/j.ymthe.2021.09.025>
- Landrum Peay, H., Fischer, R., Tzeng, J. P., Hesterlee, S. E., Morris, C., Strong, A., 5, M., Rensch, C., Smith, E., Ricotti, V., Beaverson, K., Wand Id, H., & Mansfield, C. (2019). *Gene therapy as a potential therapeutic option for Duchenne muscular dystrophy: A qualitative preference study of patients and parents*. <https://doi.org/10.1371/journal.pone.0213649>
- MacLaren, R. E., Groppe, M., Barnard, A. R., Cottrill, C. L., Tolmachova, T., Seymour, L., Reed Clark, K., During, M. J., Cremers, F. P. M., Black, G. C. M., Lotery, A. J., Downes, S. M., Webster, A. R., & Seabra, M. C. (2014). Retinal gene therapy in patients with choroideremia: Initial findings from a phase 1/2 clinical trial. *The Lancet*, 383(9923), 1129–1137. [https://doi.org/10.1016/S0140-6736\(13\)62117-0](https://doi.org/10.1016/S0140-6736(13)62117-0)
- Mahendra, C. (2022). *TERAPI BERBASIS SEL: TINJAUAN TERKINI*. <https://doi.org/10.55175/cdk.v49i3.207>
- Pemerintah Pusat. (t.t.). *Undang-Undang No. 17 Tahun 2023 Tentang Kesehatan*. Diambil 2 Oktober 2024, dari <https://peraturan.bpk.go.id/Details/258028/uu-no-17-tahun-2023>
- Pipe, S. W., Leebeek, F. W. G., Recht, M., Key, N. S., Castaman, G., Miesbach, W., Lattimore, S., Peerlinck, K., Van der Valk, P., Coppens, M., Kampmann, P., Meijer, K., O'Connell, N., Pasi, K. J., Hart, D. P., Kazmi, R., Astermark, J., Hermans, C. R. J. R., Klamroth, R., ... Monahan, P. E. (2023). Gene Therapy with Etranacogene Dezaparvovec for Hemophilia B. *New England Journal of Medicine*, 388(8), 706–718. <https://doi.org/10.1056/nejmoa2211644>
- Robillard, J. M., Roskams-Edris, D., Kuzeljevic, B., & Illes, J. (2014). Prevailing Public Perceptions of the Ethics of Gene Therapy. *Human Gene Therapy*, 25(8), 740–746. <https://doi.org/10.1089/hum.2014.030>
- Sivagourounadin, K., Ravichandran, M., & Rajendran, P. (2021). National guidelines for gene therapy product (2019): A road-map to gene therapy products development and clinical trials. Dalam *Perspectives in Clinical Research* (Vol. 12, Nomor 3, hlm. 118–125).

Wolters Kluwer Medknow Publications. https://doi.org/10.4103/picr.PICR_189_20

WHO. (2023). *Considerations in developing a regulatory framework for human cells and tissues and for advanced therapy medicinal products*. <https://www.who.int/publications/m/item/considerations-in-developing-a-regulatory-framework-for-human-cells-and-tissues-and-for-advanced-therapy-medicinal-products>

Wu, X., Bai, Z., Wang, H., Wang, H., Hou, D., Xu, Y., Wo, G., Cheng, H., Sun, D., & Tao, W. (2024). CRISPR-Cas9 gene editing strengthens cuproptosis/chemodynamic/ferroptosis synergistic cancer therapy. *Acta Pharmaceutica Sinica B*, 14(9), 4059–4072. <https://doi.org/10.1016/j.apsb.2024.05.029>