

日本で臨床開発段階にある主な遺伝子治療製品

(2025年5月7日更新)

in vivo遺伝子治療製品 (第3相)

開発名又は製品名 (INN)	開発者	製品の種類 (使用ベクター)	導入遺伝子	対象疾患	開発段階
Elevidys, SRP-9001 ^{*1} (delandistrogene moxeparvovec)	サレプタ・セラピューティックス	AAVrh74	マイクロジストロフィン	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	申請中
DTX301 (avalotcagene ontaparvovec)	ウルトラジェニクス	AAV8	OTC	オルニチントランスカルバミラーゼ欠損症	第3相
DTX401 ^{*1} (pariglasgene breccaparvovec)	ウルトラジェニクス	AAV8	G6Pase	糖原病Ia型	第3相
UX701	ウルトラジェニクス	AAV9	ATP7B	ウィルソン病	第1/2/3相
PF-06939926 (fordadistrogene movaparvovec)	ファイザー	AAV9	ミニジストロフィン	歩行可能なデュシェンヌ型筋ジストロフィー	第3相
PF-07055480 (giroctocogene fitelparvovec)	ファイザー	AAV6	第VIII因子 (Bドメイン欠失型)	血友病A	第3相
CG0070 (cretostimogene grenadenorepvec)	キッセイ薬品工業	腫瘍溶解性アデノウイルス	E2F-1プロモーター GM-CSF	BCG不応のCISを有する筋層非浸潤性膀胱がん	第3相
Adstiladrin, FE 999326 (nadofaragene firadenovec)	フェリング・ファーマ	アデノウイルス	IFN-α2b	非筋肉浸潤性膀胱癌	第3相
JNJ-74765340, AAV5-hRKp.RPGR	ヤンセンファーマ	AAV5	RPGR	X連鎖性網膜色素変性症	第3相
Hemgenix, CSL222 ^{*1} (etranacogene dezaparvovec)	CSLベーリング	AAV5	第IX因子 (Padua変異)	血友病B	第3相
Vyjuvek, B-VEC ^{*1} (beremagene geperpavec)	クリスタルバイオテック	改変HSV1	COL7A1	栄養障害型表皮水疱症	第3相
Roctavian (valoctocogene roxaparvovec)	BioMarin	AAV5	第VIII因子 (Bドメイン欠失型)	血友病A	第3相
V940, mRNA-4157	MSD	脂質ナノ粒子-mRNA	個別がん抗原	悪性黒色腫 非小細胞肺癌	第3相
ABBV-RGX-314	アッヴィ	AAV8	anti-VEGF Fab	加齢黄斑変性	第3相
NTLA-2001 (nexiguran ziclumeran)	Intellia Therapeutics	脂質ナノ粒子-mRNA- ガイドRNA	SpCas9	野生型トランスサイレチン型心アミロイドーシス又は 遺伝性トランスサイレチン型アミロイドーシス	第3相

*1 希少疾病用再生医療等製品指定

本表を執筆や講演スライド等に利用される際には、出典(国立医薬品食品衛生研究所 遺伝子医薬部ホームページ)を明示して頂けると幸いです。

日本で臨床開発段階にある主な遺伝子治療製品

(2025年5月7日更新)

in vivo遺伝子治療製品 (第3相以外)

開発名又は製品名 (INN)	開発者	製品の種類 (使用ベクター)	導入遺伝子	対象疾患	開発段階
OBP-301, テロメライシン ^{*1}	オンコリス	腫瘍溶解性アデノウイルス	テロメラゼプロモーター	頭頸部癌、食道癌、非小細胞肺癌	第2相
mRNA-3927	モデルナ	脂質ナノ粒子-mRNA	PCCA, PCCB	プロピオン酸血症	第1/2相
RV-001	レストアビジョン	AAV6	キメラロドプシン	網膜色素変性症	第1/2相
DVC1-0101	九州大/IDファーマ	センダイウイルス	FGF2	間欠性跛行	第2b相 医師主導治験
Surv.m-CRA-1	鹿児島大	腫瘍溶解性アデノウイルス	サバイビンプロモーター	原発悪性骨腫瘍	第2相 医師主導治験
DVC1-0401	九州大/宮崎大/ IDファーマ	サル免疫不全ウイルス	hPEDF	網膜色素変性	第1/2a相 医師主導治験 (終了)
Ad-SGE-REIC	岡山大	アデノウイルス	REIC/Dkk3	再発悪性神経膠腫	第1/2相 医師主導治験
				肝臓癌	第1/1b相 医師主導治験
T-hIL12	信州大/東大医科研	腫瘍溶解性HSV1	IL12	悪性黒色腫	第1/2相 医師主導治験
GT0001X	自治医大 /遺伝子治療研究所	AAV.GTX (改変型AAV9)	ADAR2	孤発性筋萎縮性側索硬化症	第1/2相 医師主導治験
GT0003X	自治医大 /遺伝子治療研究所	AAV2	AADC, TH, GCH	パーキンソン病	第1/2相 医師主導治験
GT0006X	自治医大 /遺伝子治療研究所	改変型AAV9	SLC2A1	グルコーストランスポーター1欠損症	第1/2相 医師主導治験
UT-MeV1	東京大	腫瘍溶解性麻疹ウイルス	—	固形癌	第1相
M1-c6v1	Guangzhou Virotech Pharmaceutical	腫瘍溶解性アルファウイルス	—	固形癌	第1相
G47Δ	東京大	腫瘍溶解性HSV1	—	嗅神経芽細胞腫	臨床研究(中断)
	杏林大			前立腺癌	臨床研究

*1 先駆け審査指定制度の対象品

日本で臨床開発段階にある主な遺伝子治療製品

(2025年5月7日更新)

ex vivo遺伝子治療製品 (CAR-T, TCR-T)

開発名又は製品名 (INN)	開発者	製品の種類 (使用ベクター)	導入遺伝子	対象疾患	開発段階
BMS-986393	ブリストル・マイヤーズスクイブ	自己CAR-T細胞 (不明)	GPRC5D-CAR	多発性骨髄腫	第3相
anito-cel (anitocabtagene autoleucel)	ギリアド・サイエンシズ	自己CAR-T細胞 (レンチウイルス)	BCMA CAR	多発性骨髄腫	第3相
Tecartus, KTE-X19 (brexucabtagene autoleucel)	ギリアド・サイエンシズ	自己CAR-T細胞 (レトロウイルス)	CD19-CAR	マンテル細胞リンパ腫 B細胞性急性リンパ芽球性白血病	第2相
PHE885	ノバルティス	自己CAR-T細胞 (レンチウイルス)	BCMA-CAR	多発性骨髄腫	第2相
YTB323 (rapcabtagene autoleucel)	ノバルティス	自己CAR-T細胞 (レンチウイルス)	CD19-CAR	びまん性大細胞リンパ腫 急性リンパ芽球性白血病 慢性リンパ性白血病	第1/2相
OPC-415	大塚製薬	自己CAR-T細胞 (レトロウイルス)	MMG49-CAR	多発性骨髄腫	第1/2相
TBI-1301 ^{*1*2} (mipetresgene autoleucel)	タカラバイオ 三重大他	自己TCR-T細胞 (レトロウイルス)	NY-ESO-1-TCR	滑膜肉腫 難治性軟部肉腫	第1/2相 第1/2相 医師主導治験
GMR CAR-T	信州大	自己CAR-T細胞 (PiggyBacトランスポゾンプラ スミド)	GM-CSF受容体 (CD116/CD131複合体; GMR)-CAR	CD116陽性骨髄系腫瘍	第1/2相 医師主導治験
JPCAR019	名古屋大学/J-TEC	自己CAR-T細胞 (PiggyBacトランスポゾンプラ スミド)	CD19-CAR	悪性リンパ腫	第1/2相 医師主導治験
BP2301	信州大/ ブライトパス・バイオ	自己CAR-T細胞 (PiggyBacトランスポゾンプラ スミド)	HER2-CAR	骨・軟部肉腫 婦人科悪性腫瘍	第1相 医師主導治験
CART001	国立がん研究センター	自己CAR-T細胞 (レトロウイルス)	CD20-CAR	B細胞性非ホジキンリンパ腫	第1相

*1 希少疾病用再生医療等製品指定 *2 先駆け審査指定制度の対象品

日本で臨床開発段階にある主な遺伝子治療製品

(2025年5月7日更新)

ex vivo遺伝子治療製品 (CAR-T, TCR-T)

開発名又は製品名 (INN)	開発者	製品の種類 (使用ベクター)	導入遺伝子	対象疾患	開発段階
UCART19/ALLO-501	日本セルヴィエ	同種CAR-T細胞 (レンチウイルス)	CD19-CAR	急性リンパ性白血病	第1相
NIB102, TAK-102	ノイルイミューン	自己CAR-T細胞 (レトロウイルス)	GPC3-CAR, CCL19, IL-7	固形癌	第1相
NIB103, TAK-103	ノイルイミューン	自己CAR-T細胞 (レトロウイルス)	MSLN-CAR, CCL19, IL-7	固形癌	第1相
NIB101	ノイルイミューン	自己CAR-T細胞 (レトロウイルス)	GM2-CAR, CCL19, IL-7	固形癌	第1相
MU-MA402C	三重大	自己CAR-T細胞 (レトロウイルス)	MAGE-A4-CAR	固形癌	第1相
AP8901	国立がん研究センター	自己CAR-T細胞 (PiggyBacトランスポゾン プラスミド)	EPHB4-CAR	ユーイング肉腫 固形癌	第1相 医師主導治験
TBI-1201	三重大他	自己TCR-T細胞 (レトロウイルス)	MAGE-A4-TCR, siTCR	固形癌	第1相 医師主導治験
—	名古屋大	自己CAR-T細胞 (PiggyBacトランスポゾン プラスミド)	CD19-CAR	B細胞性急性リンパ性白血病	臨床研究

*1 希少疾病用再生医療等製品指定 *2 先駆け審査指定制度の対象品

日本で臨床開発段階にある主な遺伝子治療製品

(2025年5月7日更新)

ex vivo遺伝子治療製品 (CAR-T, TCR-T以外)

開発名又は製品名 (INN)	開発者	製品の種類 (使用ベクター)	導入遺伝子等	対象疾患	開発段階
WASP LV	国立成育医療研究セ	自己造血幹細胞 (レンチウイルス)	WAS	ウイスコット・アルドリッチ症候群	第1/2相 医師主導治験
CGT-HPAC-LCAT	千葉大/ セルジェンテック	自己前脂肪細胞 (レトロウイルス)	LCAT	家族性LCAT欠損症	第1/2相 医師主導治験
iCAR-ILC-N101	国立がん研究センター	同種iPSC由来CAR-NK細胞 (不明)	GPC3-CAR	卵巣明細胞癌	第1相 医師主導治験
rejT-H01	順天堂大学	同種HPV16特異的T細胞由来 iPSC由来T細胞 (ゲノム編集)	HLA-E/ HLA-A24 導入, B2M ノックアウト	子宮頸がん	第1相 医師主導治験