臨床開発段階にあるもしくは既承認のゲノム編集製品

（2025年4月4日更新）

in vivoゲノム編集製品

開発コード(INN)	主な開発者	ゲノム編集酵素	標的遺伝子	目的とする編集	対象疾患	開発段階
NTLA-2001 (nexiguran ziclumeran)	Intellia Therapeutics	SpCas9	TTR	ノックアウト	遺伝性トランスサイレチンアミロイドーシス	Phase 3
NTLA-2002	Intellia Therapeutics	SpCas9	KLKB1	ノックアウト	遺伝性血管性浮腫	Phase 3
EDIT-101, AGN-151587	Editas Medicine	SaCas9	CEP290	異常部位除去	レーバー先天性黒内障 10	Phase 1/2
EBT-101	Excision BioTherapeutics	Cas9	HIV-1	配列除去	HIV-1感染症	Phase 1
CTX310	CRISPR Therapeutics	Cas9	ANGPTL3	ノックアウト	難治性脂質異常症	Phase 1
CTX320	CRISPR Therapeutics	Cas9	LPA	ノックアウト	高リポ蛋白(a)血症	Phase 1
REGV131-LNP1265	Regeneron Pharmaceuticals	Cas9	ALB	ノックイン（F9遺伝子）	血友病B	Phase1/2
ABO-101	Arbor Biotechnologies	Cas12i2	HAO1	ノックアウト	原発性高シュウ酸尿症	Phase 1/2
ECUR-506, GTP-506	iECURE	engineered I-CreI	不明	ノックイン（OTC遺伝子）	オルニチントランスカルバミラーゼ欠損症	Phase 1/2
PBGENE-HBV	Precision BioSciences	engineered I-CreI	HBV	ノックアウト	慢性B型肝炎	Phase 1

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）を明示して頂けますと幸いです。

臨床開発段階にあるもしくは既承認のゲノム編集製品

（2025年4月4日更新）

in vivoゲノム編集製品

開発コード	主な開発者	ゲノム編集酵素	標的遺伝子	目的とする編集	対象疾患	開発段階
VERVE-101	Verve Therapeutics	ABE8.8	PCSK9	ノックアウト（塩基編集）	家族性高コレステロール血症（ヘテロ）	Phase 1
VERVE-102	Verve Therapeutics	ABE8.8	PCSK9	ノックアウト（塩基編集）	家族性高コレステロール血症（ヘテロ）	Phase 1
VERVE-201	Verve Therapeutics	ABE	ANGPTL3	ノックアウト（塩基編集）	高コレステロール血症	Phase 1
BEAM-301	Beam Therapeutics	ABE	G6PC1	遺伝子修復(塩基編集)	糖原病I型	Phase 1/2
BEAM-302	Beam Therapeutics	ABE	SERPINA1	遺伝子修復(塩基編集)	α1-アンチトリプシン欠乏症	Phase 1/2
GEN6050X	GenAssist	CBE	DMD	エキソンスキップ（塩基編集）	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	Phase 1
CK8e.dSaCas9.VP64.U6.sgRNA	Cure Rare Disease	dSaCas9-VP64	DMD	-（転写活性化）	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	-
LBP-EC01	Locus Biosciences	Cas3	大腸菌ゲノムDNA	ノックアウト	尿路感染症 (大腸菌の殺菌)	Phase 2/3

ABE: adenine base editor, CBE: cytosine base editor

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）を明示して頂けますと幸いです。

臨床開発段階にあるもしくは既承認のゲノム編集製品

（2025年4月4日更新）

ex vivoゲノム編集製品 (CAR-T, TCR-T)

開発コード(INN)	主な開発者	ゲノム編集酵素	標的遺伝子	導入遺伝子	対象疾患	開発段階
UCART20x22	Cellectis	TALEN	TRAC/CD52	anti-CD20 CAR/ anti-CD22 CAR	B細胞性非ホジキンリンパ腫	Phase 1/2
UCART123	Cellectis	TALEN	TRAC/CD52	anti-CD123 CAR/RQR8	急性骨髄性白血病	Phase 1
UCART22	Cellectis	TALEN	TRAC/CD52	anti-CD22 CAR/RQR8	B細胞性急性リンパ芽球性白血病	Phase 1/2
UCARTCS1A	Cellectis	TALEN	TRAC/CS1	anti-CS1 CAR/RQR8	多発性骨髄腫	Phase 1
ALLO-316	Allogene Therapeutics	TALEN	TRAC/CD52	anti-CD70 CAR	淡明細胞型腎細胞がん	Phase 1
ALLO-501, UCART19[*1]	Allogene Therapeutics	TALEN	TRAC/CD52	anti-CD19 CAR/RQR8	大細胞型B細胞性リンパ腫	Phase 1
ALLO-501A (cemacabtagene ansegedleucel)	Allogene Therapeutics	TALEN	TRAC/CD52	anti-CD19 CAR	大細胞型B細胞性リンパ腫	Phase 2
ALLO-605	Allogene Therapeutics	TALEN	TRAC/CD52	anti-BCMA CAR/ Chimeric Cytokine Receptor	多発性骨髄腫	Phase 1/2
ALLO-715	Allogene Therapeutics	TALEN	TRAC/CD52	anti-BCMA CAR	多発性骨髄腫	Phase 1
bbT369	2seventy bio	megaTAL	CBLB	anti-CD20 CAR/ anti-CD79a CAR	びまん性大細胞型B細胞性リンパ腫	Phase 1/2
PBCAR0191, Azer-cel (azercabtagene zapreleucel)	Imugene Limited/ TG Therapeutics	engineered I-CreI	TRAC	anti-CD19 CAR	非ホジキンリンパ腫/ B細胞介在性自己免疫疾患	Phase 1/2

RQR8: marker/suicide gene

[*1] 日本でも開発

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）を明示して頂けますと幸いです。

臨床開発段階にあるもしくは既承認のゲノム編集製品

（2025年4月4日更新）

ex vivoゲノム編集製品 (CAR-T, TCR-T)

開発コード	主な開発者	ゲノム編集酵素	標的遺伝子	導入遺伝子	対象疾患	開発段階
CTX112	CRISPR Therapeutics	Cas9	TRAC/B2M/ ZC3H12A/TGFBRII	anti-CD19 CAR	B細胞性悪性腫瘍	Phase 1/2
CTX131	CRISPR Therapeutics	Cas9	TRAC/B2M/CD70 /ZC3H12A/TGFBRII	anti-CD70 CAR	複数の固形がんおよび血液がん	Phase 1/2
PBLTT52CAR19	Great Ormond Street Hospital	Cas9	TRAC/CD52	anti-CD19 CAR	B細胞性急性リンパ芽球性白血病	Phase 1 （終了）
WU-CART-007	Wugen	Cas9	TRAC/CD7	anti-CD7 CAR	T細胞性急性リンパ芽球性白血病	Phase 2
CTD402	Bioheng Therapeutics	Cas9	TRAC/CD7/RFX5	anti-CD7 CAR/ NK inhibitory ligand	T細胞性急性リンパ芽球性白血病	Phase 1/2
AB-1015	Arsenal Bioscience	Cas9	GS94	anti-MSLN CAR/ ALPG receptor/ FAS shRNA/PTPN2 shRNA	卵巣がん 卵管がん 腹膜がん	Phase 1
FT819	Fate Therapeutics	Cas9	TRAC	anti-CD19 CAR	B細胞性リンパ腫	Phase 1

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）を明示して頂けますと幸いです。

臨床開発段階にあるもしくは既承認のゲノム編集製品

（2025年4月4日更新）

ex vivoゲノム編集製品 (CAR-T, TCR-T)

開発コード	主な開発者	ゲノム編集酵素	標的遺伝子	導入遺伝子	対象疾患	開発段階
CB-010	Caribou Biosciences	Cas9/ chRDNA	TRAC/PD1	anti-CD19 CAR	B細胞性非ホジキンリンパ腫 全身性エリテマトーデス	Phase 1
CB-011	Caribou Biosciences	Cas12a/ chRDNA	TRAC/B2M	anti-BCMA CAR/ B2M-HLA-E	多発性骨髄腫	Phase 1
CB-012	Caribou Biosciences	Cas12a/ chRDNA	TRAC/B2M/PD1	anti-CLL1 CAR/ B2M-HLA-E	急性骨髄性白血病	Phase 1
SC291	Sana Biotechnology	Cas12b	TRAC/B2M/CIITA	anti-CD19 CAR/CD47	非ホジキンリンパ腫 自己免疫疾患	Phase 1
SC262	Sana Biotechnology	Cas12b	TRAC/B2M/CIITA	anti-CD22 CAR/CD47	非ホジキンリンパ腫	Phase 1
ALLO-329	Allogene Therapeutics	Engineered Cas12i2	TRAC/CD52	anti-CD19 CAR/ anti-CD70 CAR	全身性エリテマトーデス	Phase 1
P-BCMA-ALLO1	Poseida Therapeutics	dCas9-Clo051	TRBC/B2M	anti-BCMA CAR	多発性骨髄腫	Phase 1
P-MUC1C-ALLO1	Poseida Therapeutics	dCas9-Clo051	TRBC/B2M	anti-MUC1-C CAR	上皮がん	Phase 1
P-CD19CD20-ALLO1	Poseida Therapeutics	dCas9-Clo051	TRBC/B2M	anti-CD19 CAR/ anti-CD20 CAR	びまん性大細胞型B細胞性リンパ腫	Phase 1
BEAM-201	Beam Therapeutics	CBE	TRAC/CD7/ CD52/PD1	anti-CD7 CAR	リンパ芽球性白血病	Phase 1/2
TvT CAR7	Great Ormond Street Hospital	CBE	TRBC/CD52/CD7	anti-CD7 CAR	T細胞性急性リンパ性白血病	Phase 1

CBE: cytosine base editor

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）を明示して頂けますと幸いです。

臨床開発段階にあるもしくは既承認のゲノム編集製品

（2025年4月4日更新）

ex vivoゲノム編集製品 (造血幹細胞製品)

開発コード(INN)	主な開発者	ゲノム編集酵素	標的遺伝子	導入遺伝子	目的とする編集	対象疾患	開発段階
Casgevy (exagamglogene autotemcel)	Vertex Pharmaceuticals/ CRISPR Therapeutics	Cas9	BCL11A	-	ノックアウト	βサラセミア 鎌状赤血球症	承認 (米・欧)
SB-728mR-HSPC	City of Hope Medical Center	ZFN	CCR5	-	ノックアウト	HIV感染症	Phase 1
SAR445136, BIVV003	Sangamo Therapeutics	ZFN	BCL11A	-	ノックアウト	鎌状赤血球症	Phase 1/2
VOR33, Trem-cel (tremtelectogene empogeditemcel)	Vor Biopharma	Cas9	CD33	-	ノックアウト	急性骨髄性白血病 (Mylotargによる有害作用軽減)	Phase 1/2
-	German Cancer Research Center	Cas9	CD33	-	ノックアウト	急性骨髄性白血病 (Mylotargによる有害作用軽減)	Phase 1
CRISPR_SCD001	University of California	Cas9	HBB	HBB	遺伝子修復	鎌状赤血球症	Phase 1/2
nula-cel (nulabeglogene autogedtemcel)	Kamau Therapeutics	Cas9	HBB	HBB	遺伝子修復	鎌状赤血球症	Phase 1/2
EDIT-301 (renizgamglogene autogedtemcel)	Editas Medicine	AsCas12a	HBG	-	サイレンサー除去	βサラセミア, 鎌状赤血球症	Phase 1/2
BEAM-101	Beam Therapeutics	ABE	HBG	-	サイレンサー除去 （塩基編集）	鎌状赤血球症	Phase 1/2
-	National Institute of Allergy and Infectious Diseases	不明	CYBB	-	遺伝子修復 （塩基編集）	X連鎖慢性肉芽腫症	Phase 1/2
-	National Institute of Allergy and Infectious Diseases	不明	IL2RG	-	遺伝子修復 （塩基編集）	X連鎖重症複合免疫不全症	Phase 1/2
PM359	Prime Medicine	PE	NCF1	-	遺伝子修復 (Prime editing)	慢性肉芽腫症	Phase 1/2

ABE: adenine base editor, PE: prime editor

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）を明示して頂けますと幸いです。

臨床開発段階にあるもしくは既承認のゲノム編集製品

（2025年4月4日更新）

ex vivoゲノム編集製品 (その他)

開発コード	主な開発者	細胞種	ゲノム編集酵素	標的遺伝子	導入遺伝子	目的とする編集	対象疾患	開発段階
CNTY-101	Century Therapeutics	NK	MAD7	B2M/CIITA	anti-CD19 CAR/ HLA-E/IL15+sEGFR	ノックアウト、ノックイン	B細胞性リンパ腫	Phase 1
FT576	Fate Therapeutics	NK	不明	CD38	anti-BCMA CAR/ IL15RF/hnCD16	ノックアウト	多発性骨髄腫	Phase 1
IOV-4001	Iovance Biotherapeutics	TIL	TALEN	PD1	-	ノックアウト	黒色腫, 非小細胞肺がん	Phase 1/2
-	Intima Bioscience	TIL	Cas9	CISH	-	ノックアウト	消化器がん, 非小細胞肺がん	Phase 1/2
KSQ-001EX	KSQ Therapeutics	TIL	Cas9	SOCS1	-	ノックアウト	黒色腫, 非小細胞肺がん, 頭頸部がん	Phase 1/2
VCTX211	CRISPR Therapeutics	CyT49	Cas9	TXNIP/B2M	HLA-E/PD-L1/ A20/MANF	ノックアウト	1型糖尿病	Phase 1
BE-101	Be Biopharma	B cells	Cas9	CCR5	F9 (Padua)	ノックイン	血友病B	Phase 1/2
rejT-H01	順天堂大学	HPV16特異的T細胞由来iPSC由来T細胞	SpCas9	B2M	HLA-E/HLA-A24	ノックアウト、ノックイン	子宮頸がん	Phase 1

TIL: Tumor Infiltrating Lymphocytes, CyT49: human embryonic stem cell line, RNP: ribonucleoprotein, EP: electroporation

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）を明示して頂けますと幸いです。