

日米欧で承認された核酸医薬品 (2022年10月時点)

商品名	一般名	分類	化学修飾等	DDS等	承認国/年	標的	適応	投与
Vitravene	fomivirsen	アンチセンス	PS (full)	Naked	米国 1998 欧州 1999	CMV IE2 mRNA	CMV性網膜炎 (AIDS患者)	硝子体内
Macugen	pegaptanib	アプタマー	2'-OMe, 2'-F	Naked (PEG-conjugate)	米国 2004 欧州 2006 日本 2008	VEGF165 (タンパク質)	滲出型加齢黄斑変性症	硝子体内
Kynamro	mipomersen	アンチセンス	PS (full) 2'-MOE	Naked	米国 2013	ApoB-100 mRNA	ホモ接合型家族性高コレステロール血症	皮下
Exondys 51	eteplirsen	アンチセンス	モルフォリノ核酸	Naked	米国 2016	Dystrophin pre-mRNA	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	静脈内
Spinraza	nusinersen	アンチセンス	PS (full) 2'-MOE	Naked	米国 2016 欧州 2017 日本 2017	SMN2 pre-mRNA	脊髄性筋萎縮症	髄腔内
HEPLISAV-B	— (注CpG1018)	CpGオリゴ	PS (full)	Naked	米国 2017 欧州 2021	TLR9 (タンパク質)	B型肝炎 (予防)	筋肉内
Tegsedi	inotersen	アンチセンス	PS (full) 2'-MOE	Naked	米国 2018 欧州 2018	TTR mRNA	遺伝性ATTR アミロイドーシス	皮下
Onpattro	patisiran	siRNA	2'-OMe	Lipid nanoparticle	米国 2018 欧州 2018 日本 2019	TTR mRNA	遺伝性ATTR アミロイドーシス	静脈内
Waylivra	volanesorsen	アンチセンス	PS (full) 2'-MOE	Naked	欧州 2019	ApoCIII mRNA	家族性高カイロミクロン血症	皮下
Givlaari	givosiran	siRNA	PS (partial) 2'-OMe, 2'-F	Naked (GalNAc-conjugate)	米国 2019 欧州 2020 日本 2021	ALAS1 mRNA	急性肝性ポルフィリン症	皮下
Vyondys 53	golodirsen	アンチセンス	モルフォリノ核酸	Naked	米国 2019	Dystrophin pre-mRNA	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	静脈内
Viltepso	viltolarsen	アンチセンス	モルフォリノ核酸	Naked	日本 2020 米国 2020	Dystrophin pre-mRNA	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	静脈内
Oxlumo	lumasiran	siRNA	PS (partial) 2'-OMe, 2'-F	Naked (GalNAc-conjugate)	米国 2020 欧州 2020	HAO mRNA	原発性高シュウ酸尿症 I 型	皮下
Leqvio	inclisiran	siRNA	PS (partial) 2'-OMe, 2'-F	Naked (GalNAc-conjugate)	欧州 2020 米国 2021	PCSK9 mRNA	高コレステロール血症 混合型脂質異常症	皮下
Amondys 45	casimersen	アンチセンス	モルフォリノ核酸	Naked	米国 2021	Dystrophin pre-mRNA	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	静脈内
Amvuttra	vutrisiran	siRNA	PS (partial) 2'-OMe, 2'-F	Naked (GalNAc-conjugate)	米国 2022 欧州 2022 日本 2022	TTR mRNA	遺伝性ATTR アミロイドーシス	皮下

- 注CpG1018は、B型肝炎ウイルスワクチン(HEPLISAV-B)にアジュバントとして添加されたオリゴ核酸(CpGオリゴ)である。ここでは、CpG1018を核酸医薬の一種とみなして本表に組み込んだ。
- 上記のほかに、オリゴ核酸で構成される既承認医薬品としてDefibrotide(ブタ腸粘膜から単離したDNAを脱重合した製品)があるが、化学合成品ではないため、本表では除外している。

「HEPLISAV-B」の欧州での承認年に誤りがございました。2022年8月17日付けで修正しております。

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。