日米欧のいずれかで承認された核酸医薬品（2025年4月2日更新）

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-oligo	Naked	US 1998 EU 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)	US 2004 EU 2006 JP 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-oligo 2’-MOE	Naked	US 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	US 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-oligo 2’-MOE	Naked	US 2016 EU 2017 JP 2017	SMN2 pre-mRNA	脊髄性筋萎縮症	髄腔内
Tegsedi	inotersen	アンチセンス	PS-oligo 2’-MOE	Naked	US 2018 EU 2018	TTR mRNA	遺伝性ATTR アミロイドーシス	皮下
Onpattro	patisiran	siRNA	2’-OMe	LNP	US 2018 EU 2018 JP 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-oligo 2’-MOE	Naked	EU 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)	US 2019 EU 2020 JP 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	US 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	JP 2020 US 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)	US 2020 EU 2020	HAO1 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)	EU 2020 US 2021 JP 2023	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	US 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)	US 2022 EU 2022 JP 2022	TTR mRNA	遺伝性ATTR アミロイドーシス	皮下
Qalsody	tofersen	アンチセンス	PS (partial) 2’-MOE	Naked	US 2023 EU 2024 JP 2024	SOD1 mRNA	筋萎縮性 側索硬化症	髄腔内
Izervay	avacincaptad pegol	アプタマー	2’-OMe, 2’-F	Naked (PEG-conjugate)	US 2023	補体因子C5 （タンパク質）	地図状萎縮を伴う 加齢黄斑変性	硝子体内
Rivfloza	nedosiran	siRNA	PS (partial) 2’-OMe, 2’-F	Naked (GalNAc-conjugate)	US 2023	LDHA mRNA	原発性 高シュウ酸尿症Ⅰ型	皮下
Wainua	eplontersen	アンチセンス	PS (partial) 2’-MOE	Naked (GalNAc-conjugate)	US 2023 EU 2025	TTR mRNA	遺伝性ATTR アミロイドーシス	皮下
Rytelo	imetelstat	アンチセンス	*thio*- phosphoramidate	Naked (C16-conjugate)	US 2024 EU 2025	テロメラーゼ に含まれるRNA鎖	輸血依存性貧血を伴う 骨髄異形成症候群	静脈内
Tryngolza	olezarsen	アンチセンス	PS-oligo 2’-MOE	Naked (GalNAc-conjugate)	US 2024	ApoCIII mRNA	家族性 高カイロミクロン血症	皮下
Qfitlia	fitusiran	siRNA	PS (partial) 2’-OMe, 2’-F	Naked (GalNAc-conjugate)	US 2025	Antithrombin mRNA	血友病A又はB	皮下

注オリゴ核酸（CpGオリゴ）がアジュバントとして添加されたワクチン（HEPLISAV-B および CYFENDUS）は、本表では除外している.

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.