

対象地域	承認薬剤	発売元	対象疾患	導入遺伝子	ベクター	標的組織	特記事項
中国 (2002)	Gendicine	SiBiono社	頭頸部扁平上皮がん(HNSCC)	ヒト野生型p53遺伝子	アデノウイルスベクター	腫瘍内注射	http://www.gelifesciences.co.jp/newsletter/downstream/39_28_gendicine.html
フィリピン (2006)	RexinG	Epeius Biotechnology社	化学療法耐性化 膀胱癌、乳癌、肉腫(sarcoma)	dominant negative cyclin G1	レトロウイルスベクター	静脈内投与	
中国 (2006)	Oncorine H101	Sunway Biotech社	鼻咽頭癌		複製型 E1B-55K欠損アデノウイルス (腫瘍溶解性ウイルス)	腫瘍内注射	http://inci.oxfordjournals.org/content/98/5/298.full
ロシア (2011)	Neovasculgen	HSC社	アテローム性動脈硬化症に起因する 末梢動脈疾患(PAD)を含む 重症虚血肢(CLI)	Vascular Endothelial Growth Factor (VEGF) 遺伝子	プラスミドベクター	筋肉内投与	http://eng.hsci.ru/products/neovasculgen
欧州 (2012)	Glybera alipogene tiparvovec	Uniqure社	リポ蛋白質リパーゼ欠損症 (LPLD: lipoprotein lipase deficiency、 別名: 家族性高カイロミクロン血症 familial hyperchylomicronemia)	リポタンパク質リパーゼ(LPL)遺伝子	アデノ随伴ウイルスAAV (sero type 1)	筋肉内投与	欧州地域で 初めて承認された 遺伝子治療薬 (日・米 未承認)

**p53遺伝子: 正常細胞に存在する最も重要ながん抑制遺伝子の一種。正常細胞では、p53遺伝子のごく低レベルで発現している。発がん遺伝子の活性化、増殖因子の欠乏、低酸素症、DNA損傷がp53遺伝子の発現を活性化。p53遺伝子発現の活性化により細胞周期の停止もしくはアポトーシス細胞死が起こる。p53遺伝子はヒト腫瘍の約50~70%で突然変異もしくは欠失(無発現変異)している。p53遺伝子の変異型は必ずしも不活性とは限らず、発がん性を持ち、腫瘍形成に寄与する可能性がある。外来性野生型p53遺伝子を導入し、p53遺伝子を過剰発現すると、増殖周期の停止またはアポトーシスにより腫瘍細胞の増殖を抑制し、排除する。さらに、野生型p53遺伝子の過剰発現が放射線療法や化学療法と相乗効果を発揮する。

**VEGF: 血管内皮細胞増殖因子は、脈管形成(胚形成期に、血管がないところに新たに血管がつくられること)および血管新生(既存の血管から分枝伸長して血管を形成すること)に関与する一群の糖タンパク。VEGFは主に血管内皮細胞表面にある血管内皮細胞増殖因子受容体(VEGFR)にリガンドとして結合し、細胞分裂や遊走、分化を刺激したり、微小血管の血管透過性を亢進させたりする働きをもつが、その他単球・マクロファージの活性化にも関与する。正常な体の血管新生に関わる他、腫瘍の血管形成や転移など、悪性化の過程にも関与している

**LPLD: 非常にまれな遺伝性疾患。急性で再発を伴う膵炎の発作に至り、多くの患者においては若年性糖尿病(early onset diabetes)や心血管合併症(cardiovascular complications)を引き起こす。脂肪代謝の正常化を助けることで、グリベラは膵炎を防ぎ、結果として炎症に関連する痛みと苦しみを回避することができる。