

日米欧で承認された遺伝子治療製品

(2025年6月4日更新)

in vivo遺伝子治療製品（アデノ随伴ウイルス(AAV)ベクター製品）

製品名 (INN/一般名)	販売企業	おもな適応	ベクター	導入遺伝子	投与	承認国・年
Beqvez (fidanacogene elaparvovec)	Pfizer	血友病B	AAV-Spark100	F9 (Padua変異)	静脈内	カナダ・2024 ^{*1} 米国・2024 ^{*1} 欧州・2024 ^{*1,2}
Elevidys/エレビジス (delandistrogene moxeparvovec/ デランジストロゲン モキセパ°ルボ°ハ°ク)	Sarepta Therapeutics	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	AAVrh74	micro- dystrophin	静脈内	米国・2024 ^{*3} 日本・2025 ^{*4}
Hemgenix (etranacogene dezaparvovec)	CSL Behring	血友病B	AAV5	F9 (Padua変異)	静脈内	米国・2022 欧州・2023 ^{*3}
Roctavian (valoctocogene roxaparvovec)	BioMarin	血友病A	AAV5	F8	静脈内	欧州・2022 ^{*3} 米国・2023
Kebilidi (US)/Upstaza (EU) (eladocogene exuparvovec)	PTC Therapeutics	AADC 欠損症	AAV2	AADC	被殻内	欧州・2022 米国・2024 ^{*5}
Zolgensma/ゾルゲンスマ (onasemnogene abeparvovec/ オナセムノゲン アハ°ルボ°ハ°ク)	Novartis	脊髄性筋萎縮症	AAV9	SMN1	静脈内	米国・2019 欧州・2020 日本・2020
Luxturna/ルクスターナ (voretigene neparvovec/ ボレチゲン ネパ°ルボ°ハ°ク)	Spark Therapeutics(米国)/ Novartis	両アレル性RPE65変異 遺伝性網膜ジストロフィー	AAV2	RPE65	網膜下	米国・2017 欧州・2018 日本・2023
Glybera (alipogene tiparvovec)	UniQure	リポ蛋白リパーゼ(LPL)欠損症	AAV1	LPL	筋肉内	欧州・2012 ^{*4}

^{*1}販売終了 ^{*2}条件付承認 ^{*3}一部迅速承認 ^{*4}条件及び期限付き承認 ^{*5}迅速承認

日米欧で承認された遺伝子治療製品

(2025年6月4日更新)

in vivo遺伝子治療製品（AAVベクター製品以外）

製品名 (INN/一般名)	販売企業	おもな適応	ベクター	導入遺伝子	投与	承認国・年
Adstiladrin (nadofaragene firadenovec)	Ferring Pharmaceuticals	筋層非浸潤性膀胱癌	アデノウイルス5型	IFNα-2b	膀胱内	米国・2022
Vyjuvek (beremagene geperpavec)	Krystal Biotech	栄養障害型表皮水疱症	改変HSV1	COL7A1	経皮	米国・2023 欧州・2025
デリタクト (teserpaturev/テセルパ® ヲルブ®)	第一三共	悪性神経膠腫	腫瘍溶解性HSV1 (γ34.5, ICP6, α47欠損)	LacZ	腫瘍内	日本・2021 ^{*1}
コラテジェン (beperminogene perplasmid/ ベパールミナゲン® ペールプラスミド®)	アンジェス/田辺三菱	慢性動脈閉塞症(潰瘍の改善)	プラスミド	HGF	筋肉内	日本・2019 ^{*1*2}
Imlygic (talimogene laherparepvec)	Amgen	悪性黒色腫	腫瘍溶解性HSV1 (ICP34.5, ICP47欠損)	GM-CSF	腫瘍内	米国・2015 欧州・2015

^{*1}条件及び期限付き承認 ^{*2}承認失効、販売終了

日米欧で承認された遺伝子治療製品

(2025年6月4日更新)

ex vivo遺伝子治療製品 (CAR-T, TCR-T)

製品名 (INN/一般名)	販売企業	おもな適応	製品の種類 (使用バクター)	導入遺伝子	投与	承認国・年
Aucatzyl (obecabtagene autoleucel)	Autolus Limited	B細胞性急性リンパ性白血病	自己CAR-T細胞 (レンチウイルス)	CD19-CAR	点滴静注	米国・2024 英国・2025 ^{*2} 欧州・2025 ^{*2}
Tecelra (afamitresgene autoleucel)	Adaptimmune	滑膜肉腫	自己TCR-T細胞 (レンチウイルス)	MAGE-A4 TCR	点滴静注	米国・2024 ^{*1}
Carvykti/カービクティ (ciltacabtagene autoleucel/ シルタカブ タゲン オートリュール)	Janssen	多発性骨髄腫	自己CAR-T細胞 (レンチウイルス)	BCMA-CAR	点滴静注	米国・2022 欧州・2022 ^{*2} 日本・2022
Abecma/アベクマ (idecabtagene vicleucel/ イデ カブ タゲン ビクルール)	Bristol-Myers Squibb	多発性骨髄腫	自己CAR-T細胞 (レンチウイルス)	BCMA-CAR	点滴静注	米国・2021 欧州・2021 ^{*2} 日本・2022
Breyanzi/ブレヤンジ (lisocabtagene maraleucel/ リカブ タゲン マラルール)	Bristol-Myers Squibb	大細胞型B細胞リンパ腫 濾胞性リンパ腫	自己CAR-T細胞 (レンチウイルス)	CD19-CAR	点滴静注	米国・2021 日本・2021 欧州・2022
Tecartus (brexucabtagene autoleucel)	Kite Pharma	マントル細胞リンパ腫	自己CAR-T細胞 (レトロウイルス)	CD19-CAR	点滴静注	米国・2020 ^{*1} 欧州・2020 ^{*2}
Yescarta/イエスカルタ (axicabtagene ciloleucel/ アキシカブ タゲン シロルール)	Kite Pharma/ ギリアド(国内)	大細胞型B細胞リンパ腫	自己CAR-T細胞 (レトロウイルス)	CD19-CAR	点滴静注	米国・2017 欧州・2018 日本・2021
Kymriah/キムリア (tisagenlecleucel/チサゲ ンクルール)	Novartis	B細胞性急性リンパ芽球性白血病 大細胞型B細胞リンパ腫 濾胞性リンパ腫	自己CAR-T細胞 (レンチウイルス)	CD19-CAR	点滴静注	米国・2017 欧州・2018 日本・2019

^{*1}迅速承認 ^{*2}条件付承認; 灰色は日米欧以外での承認品目

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。

日米欧で承認された遺伝子治療製品

(2025年6月4日更新)

ex vivo遺伝子治療製品 (CAR-T, TCR-T以外)

製品名 (INN/一般名)	販売企業	おもな適応	製品の種類 (使用ベクター)	導入遺伝子	投与	承認国・年
Zevaskyn (prademagene zamikeracel)	Abeona Therapeutics	常染色体劣性栄養障害型表皮水疱症	角化細胞 (レトロウイルス)	COL7A1	傷害部位に シートとして適用	米国・2025
Encelto (revakinagene taroretcel)	Neurotech Pharmaceuticals	黄斑部毛細血管拡張症2型	同種カプセル化 RPE細胞株 (プラスミド安定発現)	CNTF	硝子体内	米国・2024
Casgevy (exagamglogene autotemcel)	Vertex Pharmaceuticals/ CRISPR Therapeutics	鎌状赤血球症 βサラセミア	自己CD34+細胞 (Cas9 エレクトロポレーション)	なし (BCL11A 発現抑制)	点滴静注	英国・2023 米国・2023 欧州・2024 ^{*2}
Lyfgenia (lovotibeglogene autotemcel)	bluebird bio	鎌状赤血球症	自己CD34+細胞 (レンチウイルス)	β ^{A-T87Q} -globin	点滴静注	米国・2023
Skysona (elivaldogene autotemcel)	bluebird bio	早期大脳型副腎白質ジストロフィー	自己CD34+細胞 (レンチウイルス)	ABCD1	点滴静注	欧州・2021 ^{*3} 米国・2022 ^{*1}
Libmeldy (EU)/ Lenmeldy (US) (atidarsagene autotemcel)	Orchard Therapeutics	異染性白質ジストロフィー	自己CD34+細胞 (レンチウイルス)	ARSA	点滴静注	欧州・2020 米国・2024
Zynteglo (betibeglogene autotemcel)	bluebird bio	βサラセミア	自己CD34+細胞 (レンチウイルス)	β ^{A-T87Q} -globin	点滴静注	欧州・2019 ^{*3} 米国・2022
Strimvelis	GlaxoSmithKline	アデノシンデアミナーゼ(ADA)欠損症	自己CD34+細胞 (レトロウイルス)	ADA	点滴静注	欧州・2016
Zalmoxis	MolMed	造血器悪性腫瘍 (ドナーT細胞輸注時のGVHD予防)	同種T細胞 (レトロウイルス)	HSV-TK, ΔLNGFR	点滴静注	欧州・2016 ^{*3}

^{*1}迅速承認 ^{*2}条件付承認 ^{*3}販売終了

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。