

# ゲノム編集製品の臨床開発状況

(2024年4月23日更新)

(1/6)

## 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	導入形態	キャリア	標的臓器	投与経路	標的遺伝子	目的とする編集	対象疾患	開発段階
NTLA-2001	Intellia Therapeutics	SpCas9	mRNA/sgRNA	LNP	肝臓	静脈内	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	mRNA/sgRNA	LNP	肝臓	静脈内	KLKB1	ノックアウト	遺伝性血管性浮腫	Phase 1/2
EDIT-101, AGN-151587	Editas Medicine	SaCas9	DNA	AAV5	眼	網膜下	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	DNA	AAV9	T細胞など	静脈内	HIV-1	配列除去	HIV-1感染症	Phase 1
CTX310	CRISPR Therapeutics	Cas9	mRNA/sgRNA	LNP	肝臓	静脈内	ANGPTL3	ノックアウト	難治性脂質異常症	Phase 1
CTX320	CRISPR Therapeutics	Cas9	mRNA/sgRNA	LNP	肝臓	静脈内	LPA	ノックアウト	高リポ蛋白(a)血症	Phase 1
VERVE-101	Verve Therapeutics	ABE8.8	mRNA/sgRNA	LNP	肝臓	静脈内	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	mRNA/sgRNA	GalNAc-LNP	肝臓	静脈内	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
BEAM-302	Beam Therapeutics	ABE	mRNA/gRNA	LNP	肝臓	静脈内	SERPINA1	遺伝子修復 (塩基編集)	$\alpha$ 1-アンチトリプシン欠乏症	Phase 1
ECUR-506, GTP-506	iECURE	engineered I-Crel	DNA	AAV	肝臓	静脈内	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
HMI-103	Homology Medicines	- (HDR)	DNA	AAVHSC15	肝臓	静脈内	PAH	遺伝子修復	フェニルケトン尿症	Phase 1
CK8e.dSaCas9.VP64.U6.sgRNA	Cure Rare Disease	dSaCas9-VP64	DNA	AAV9	筋肉	静脈内	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	DNA	Phage	大腸菌	尿道内	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, LNP: lipid nanoparticle

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。

# ゲノム編集製品の臨床開発状況

(2024年4月23日更新)

(2/6)

## 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	導入形態/ 導入方法	標的遺伝子	導入遺伝子	導入部位	導入方法	対象疾患	開発段階
UCART20x22	Cellectis	TALEN	mRNA/EP	TRAC/CD52	anti-CD20 CAR/ anti-CD22 CAR	非特異的	LV	B細胞性非ホジキンリンパ腫	Phase 1/2
UCART123	Cellectis	TALEN	mRNA/EP	TRAC/CD52	anti-CD123 CAR/RQR8	非特異的	LV	急性骨髄性白血病	Phase 1
UCART22	Cellectis	TALEN	mRNA/EP	TRAC/CD52	anti-CD22 CAR/RQR8	非特異的	LV	B細胞性急性リンパ芽球性白血病	Phase 1
UCARTCS1A	Cellectis	TALEN	mRNA/EP	TRAC/CS1	anti-CS1 CAR/RQR8	非特異的	LV	多発性骨髄腫	Phase 1
ALLO-316	Allogene Therapeutics	TALEN	mRNA/EP	TRAC/CD52	anti-CD70 CAR	非特異的	LV	淡明細胞型腎細胞がん	Phase 1
ALLO-501, UCART19*1	Allogene Therapeutics	TALEN	mRNA/EP	TRAC/CD52	anti-CD19 CAR/RQR8	非特異的	LV	大細胞型B細胞性リンパ腫	Phase 1
ALLO-501A (cemacabtagene ansegedleucel)	Allogene Therapeutics	TALEN	mRNA/EP	TRAC/CD52	anti-CD19 CAR	非特異的	LV	大細胞型B細胞性リンパ腫	Phase 1/2
ALLO-605	Allogene Therapeutics	TALEN	mRNA/EP	TRAC/CD52	anti-BCMA CAR/ Chimeric Cytokine Receptor	非特異的	LV	多発性骨髄腫	Phase 1/2
ALLO-715	Allogene Therapeutics	TALEN	mRNA/EP	TRAC/CD52	anti-BCMA CAR	非特異的	LV	多発性骨髄腫	Phase 1
bbT369	2seventy bio	megaTAL	mRNA/EP	CBLB	anti-CD20 CAR/ anti-CD79a CAR	非特異的	LV	びまん性大細胞型B細胞性リンパ腫	Phase 1/2
PBCAR0191, Azer-cel (azercabtagene zapreleucel)	Precision BioSciences	engineered I-CreI	mRNA/EP	TRAC	anti-CD19 CAR	TRAC locus	AAV6	非ホジキンリンパ腫	Phase 1/2
PBCAR19B	Precision BioSciences	engineered I-CreI	不明	TRAC	anti-CD19 CAR/ B2M shRNA/HLA-E	TRAC locus	不明	CD19発現悪性腫瘍	Phase 1

EP: electroporation, LV: lentivirus vector, 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)を明示して頂けると幸いです。

## ゲノム編集製品の臨床開発状況

(2024年4月23日更新)

(3/6)

## 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	導入形態/ 導入方法	標的遺伝子	導入遺伝子	導入部位	導入方法	対象疾患	開発段階
CTX110	CRISPR Therapeutics	Cas9	不明	TRAC/B2M	anti-CD19 CAR	TRAC locus	不明	B細胞性悪性腫瘍	Phase 1
CTX112	CRISPR Therapeutics	Cas9	不明	TRAC/B2M/ ZC3H12A/ TGFBRII	anti-CD19 CAR	TRAC locus	不明	B細胞性悪性腫瘍	Phase 1/2
CTX120	CRISPR Therapeutics	Cas9	不明	TRAC/B2M	anti-BCMA CAR	TRAC locus	不明	多発性骨髄腫	Phase 1
CTX130	CRISPR Therapeutics	Cas9	不明	TRAC/B2M/ CD70	anti-CD70 CAR	TRAC locus	不明	T細胞性リンパ腫, 腎細胞がん	Phase 1
CTX131	CRISPR Therapeutics	Cas9	不明	TRAC/B2M/ CD70/ZC3H12A/T GFBRII	anti-CD70 CAR	TRAC locus	不明	複数の固形がん	Phase 1/2
PBLTT52CAR19	Great Ormond Street Hospital	Cas9	LV	TRAC/CD52	anti-CD19 CAR	非特異的	LV	B細胞性急性リンパ芽球性白血病	Phase 1
WU-CART-007	Wugen	Cas9	不明	TRAC/CD7	anti-CD7 CAR	不明	不明	T細胞性急性リンパ芽球性白血病	Phase 1/2
FT819	Fate Therapeutics	Cas9	RNP/EP	TRAC	anti-CD19 CAR	TRAC locus	AAV6	B細胞性リンパ腫	Phase 1

RNP: ribonucleoprotein, EP: electroporation, LV: lentivirus vector

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。

# ゲノム編集製品の臨床開発状況

(2024年4月23日更新)

(4/6)

## 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	導入形態/ 導入方法	標的遺伝子	導入遺伝子	導入部位	導入方法	対象疾患	開発段階
CB-010	Caribou Biosciences	Cas9/ chRDNA	RNP/EP	TRAC/PD1	anti-CD19 CAR	TRAC locus	AAV6	B細胞性非ホジキンリンパ腫	Phase 1
CB-011	Caribou Biosciences	Cas12a/ chRDNA	RNP/不明	TRAC/B2M	anti-BCMA CAR/ B2M-HLA-E	TRAC locus/ B2M locus	AAV6	多発性骨髄腫	Phase 1
CB-012	Caribou Biosciences	Cas12a/ chRDNA	RNP/不明	TRAC/B2M/PD1	anti-CLL1 CAR/ B2M-HLA-E	不明	不明	急性骨髄性白血病	Phase 1
P-BCMA-ALLO1	Poseida Therapeutics	dCas9- Clo051	mRNA/EP	TRBC/B2M	anti-BCMA CAR	非特異的 (PiggyBac)	EP(plasmid+ transposase mRNA)	多発性骨髄腫	Phase 1
P-MUC1C-ALLO1	Poseida Therapeutics	dCas9- Clo051	mRNA/EP	TRBC/B2M	anti-MUC1-C CAR	非特異的 (PiggyBac)	EP(plasmid+ transposase mRNA)	上皮がん	Phase 1
P-CD19CD20-ALLO1	Poseida Therapeutics	dCas9- Clo051	mRNA/EP	TRBC/B2M	anti-CD19 CAR/ anti-CD20 CAR	非特異的 (PiggyBac)	EP(plasmid+ transposase mRNA)	びまん性大細胞型B細胞性リンパ腫	Phase 1
BEAM-201	Beam Therapeutics	CBE	mRNA/EP	TRAC/CD7/ CD52/PD1	anti-CD7 CAR	非特異的	LV	リンパ芽球性白血病	Phase 1/2
TvT CAR7	Great Ormond Street Hospital	CBE	mRNA/EP	TRBC/CD52/ CD7	anti-CD7 CAR	非特異的	LV	T細胞性急性リンパ性白血病	Phase 1
SC291	Sana Biotechnology	Cas12b	不明	TRAC/B2M/ CIITA	anti-CD19 CAR/CD47	不明	不明	非ホジキンリンパ腫 自己免疫疾患	Phase 1
SC262	Sana Biotechnology	Cas12b	不明	TRAC/B2M/ CIITA	anti-CD22 CAR/CD47	不明	不明	非ホジキンリンパ腫	Phase 1
AB-1015	Arsenal Bioscience	Cas9	RNP/EP	GS94	anti-MSLN CAR/ ALPG receptor/ FAS shRNA/PTPN2 shRNA	GS94	plasmid	卵巣がん 卵管がん 腹膜がん	Phase 1

CBE: cytosine base editor, RNP: ribonucleoprotein, EP: electroporation, LV: lentivirus vector

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。

## ゲノム編集製品の臨床開発状況

(2024年4月23日更新)

(5/6)

## ex vivoゲノム編集製品 (造血幹細胞製品)

開発コード	主な開発者	細胞種	ゲノム編集酵素	導入形態/ 導入方法	標的遺伝子	導入遺伝子	導入部位	導入方法	目的とする編集	対象疾患	開発段階
Casgevy (exagamglogene autotemcel)	Vertex Pharmaceuticals /CRISPR Therapeutics	HSC	Cas9	RNP/EP	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	HSC	ZFN	mRNA/EP	CCR5	-	-	-	ノックアウト	HIV感染症	Phase 1
SAR445136, BIVV003	Sangamo Therapeutics	HSC	ZFN	不明	BCL11A	-	-	-	ノックアウト	鎌状赤血球症	Phase 1/2
VOR33, Trem-cel (tremtelectogene empogeditemcel)	Vor Biopharma	HSC	Cas9	RNP/EP	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	HSC	Cas9	RNP/EP	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	HSC	Cas9	RNP/EP	HBB	HBB	HBB	不明	遺伝子修復	鎌状赤血球症	Phase 1/2
EDIT-301	Editas Medicine	HSC	AsCas12a	RNP/EP	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	HSC	ABE	mRNA/EP	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	HSC	不明	不明	CYBB	-	-	-	遺伝子修復	X連鎖慢性肉芽腫症	Phase 1/2

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)を明示して頂けると幸いです。

## ゲノム編集製品の臨床開発状況

(2024年4月23日更新)

(6/6)

## 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	導入形態/ 導入方法	標的遺伝子	導入遺伝子	導入部位	導入方法	目的とする編集	対象疾患	開発段階
CNTY-101	Century Therapeutics	NK	MAD7	不明	B2M/CIITA	anti-CD19 CAR/ HLA-E/IL15+sEGFR	AAVS1/ B2M/CIITA	不明	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	不明	CD38	anti-BCMA CAR/ IL15RF/hnCD16	不明	不明	ノックアウト	多発性骨髄腫	Phase 1
IOV-4001	Iovance Biotherapeutics	TIL	TALEN	mRNA/EP	PD1	-	-	-	ノックアウト	黒色腫, 非小細胞肺癌	Phase 1/2
-	Intima Bioscience	TIL	Cas9	不明	CISH	-	-	-	ノックアウト	消化器がん, 非小細胞肺癌	Phase 1/2
KSQ-001EX	KSQ Therapeutics	TIL	Cas9	不明	SOCS1	-	-	-	ノックアウト	黒色腫, 非小細胞肺癌, 頭頸部がん	Phase 1/2
VCTX210A, PEC-QT	CRISPR Therapeutics	CyT49	Cas9	不明	TXNIP/B2M	HLA-E/PD-L1	不明	不明	ノックアウト	1型糖尿病	Phase 1/2
VCTX211	CRISPR Therapeutics	CyT49	Cas9	不明	TXNIP/B2M	HLA-E/PD-L1/ A20/MANF	不明	不明	ノックアウト	1型糖尿病	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)を明示して頂けると幸いです。