

承認申請中・第3相臨床試験段階にある主な遺伝子治療製品（2025年6月4日更新）

in vivo遺伝子治療製品（AAVベクター製品）

開発コード等	開発者	ベクター	導入遺伝子	対象疾患
UX111, ABO-102 (rebisufligene etisparvovec)	Ultragenyx	AAV9	SGSH	ムコ多糖症 IIIA型
RGX-121 (clemidsogene lanparvovec)	Regenxbio	AAV9	IDS	ムコ多糖症II型
ST-920 (isaralgagene civaparovvec)	Sangamo Therapeutics	AAV6	GLA	ファブリー病
Melpida, AAV9/AP4M1	Elpida Therapeutics	AAV9	AP4M1	遺伝性痙性対麻痺 (SPG50)
SRP-9003 (bidridistrogene xeboparovvec)	Sarepta Therapeutics	AAVrh74	SGCB	肢帯型筋ジストロフィー 2E/R4型
SRP-9005	Sarepta Therapeutics	AAVrh74	SGCG	肢帯型筋ジストロフィー 2C/R5型
Lumevoq, GS010 (lenadogene nolparvovec)	GenSight	AAV2	ND4	レーベル遺伝性視神経症
AGTC-501 (laruparetigene zovaparovvec)	Applied Genetic Technologies	AAV2tYF	RPGR	X連鎖性網膜色素変性症
PF-06939926 (fordadistrogene movaparovvec)	Pfizer	AAV9	mini-dystrophin	デュシェンヌ型筋ジストロフィー
PF-07055480, SB-525 (giroctocogene fitelparovvec)	Sangamo Therapeutics	AAV6	F8	血友病A

承認申請中・第3相臨床試験段階にある主な遺伝子治療製品

(2025年6月4日更新)

in vivo遺伝子治療製品（AAVベクター製品）

開発コード等	開発者	ベクター	導入遺伝子	対象疾患
RGX-202	Regenxbio	AAV8	microdystrophin	デュシェンヌ型筋ジストロフィー
RGX-314	Regenxbio	AAV8	anti-VEGF Fab	滲出型加齢黄斑変性
AAV5-hRKp.RPGR (botaretigene sparoparvovec)	Janssen	AAV5	RPGR ORF15	X連鎖網膜色素変性症
DTX301 (avalotcagene ontaparvovec)	Ultragenyx	AAV8	OTC	オルニチントランスカルバミラーゼ欠損症
DTX401 (pariglasgene breCAPARVovec)	Ultragenyx	AAV8	G6Pase	グルコース-6-ホスファターゼ欠損症
UX701	Ultragenyx	AAV9	ATB7B	ウィルソン病
GS-100	Grace Science	AAV9	NGLY1	NGLY1欠損症
OCU400, AAV-NR2E3	Ocugen	AAV5	NR2E3	網膜色素変性症
OCU410ST	Ocugen	AAV5	RORA	スタルガルト病
MCO-010	Nanoscope Therapeutics	AAV2	MCO	網膜色素変性症 スタルガルト病
4D-150	4D Molecular Therapeutics	R100 (改変型AAV)	Aflibercept VEGF-C shRNA	滲出型加齢黄斑変性
Ixo-vec, ADVm-022 (ixoberogene soroparvovec)	Adverum Biotechnologies	AAV.7m8	Aflibercept	滲出型加齢黄斑変性
AT132 (resamirigene bilparvovec)	Astellas	AAV8	MTM1	X連鎖性ミオチューブラーミオパチー

承認申請中・第3相臨床試験段階にある主な遺伝子治療製品

(2025年6月4日更新)

in vivo遺伝子治療製品（AAVベクター以外の製品）

開発コード等	開発者	ベクター	導入遺伝子	対象疾患
PRGN-2012 (zopapogene imadenovec)	Precigen	アデノウイルス (非増殖性)	HPV抗原	再発性呼吸器乳頭腫症
RP1 (vusolimogene oderparepvec)	Replimune	単純ヘルペスウイルス1型	GALV-GP R-, GM-CSF	悪性黒色腫
RP2	Replimune	単純ヘルペスウイルス1型	GALV-GP R-, GM-CSF, CTLA-4抗体	ぶどう膜悪性黒色腫
NTLA-2001 (nexiguran ziclumeran)	Intellia Therapeutics	脂質ナノ粒子-mRNA	Cas9	遺伝性トランスサイレチンアミロイドーシス
NTLA-2002	Intellia Therapeutics	脂質ナノ粒子-mRNA	Cas9	遺伝性血管性浮腫
CG0070 (cretostimogene grenadenorepvec)	CG Oncology	アデノウイルス	GM-CSF	筋層非浸潤性膀胱癌
ProstAtak, CAN-2409 (aglatimagene besadenovec)	Candel Therapeutics	アデノウイルス (非増殖性)	HSV-TK	前立腺癌
olvi-vec, GL-ONC1, GLV-1h68 (olvimulogene nanivacirepvec)	Genelux	ワクシニアウイルス	-	卵巣癌、卵管癌、腹膜癌
HB-202/HB-201, HB-200, eseba-vec	Hookipa Biotech	ピチンデウイルス- リンパ球性脈絡髄膜炎 ウイルス	HPV16抗原	中咽頭扁平上皮癌
VM202, NL003 (donaperminogene seltoplasmid)	Helixmith	プラスミド	HGF	糖尿病性足潰瘍 糖尿病性末梢神経障害

承認申請中・第3相臨床試験段階にある主な遺伝子治療製品（2025年6月4日更新）

ex vivo遺伝子治療製品

開発コード等	開発者	細胞	導入遺伝子	対象疾患
RP-L102 (mozafancogene autotemcel)	Rocket Pharma	造血幹細胞	FANCA	ファンconi貧血
RP-L201 (marnetegrane autotemcel)	Rocket Pharma	造血幹細胞	ITGB2	白血球接着不全症
anito-cel (anitocabtagene autoleucel)	Kite Pharma	T細胞	BCMA CAR	多発性骨髄腫
ADP-A2M4CD8	Adaptimmune	T細胞	MAGE-A4 TCR CD8α	卵巣癌
D-Fi, FCX-007 (debcoemagene autoficel)	Castle Creek Biosciences	線維芽細胞	COL7A1	劣性栄養障害型表皮水疱症
Invossa, TG-C	Kolon TissueGene	軟骨細胞	TGF-β1	変形性膝関節症
OTL-103	Orchard Therapeutics	造血幹細胞	WAS	Wiskott-Aldrich症候群
OTL-203	Orchard Therapeutics	造血幹細胞	IDUA	ムコ多糖症I型
BMS-986393	Juno Therapeutics	T細胞	GPRC5D CAR	多発性骨髄腫
Bria-IMT, SV-BR-1-GM	BriaCell Therapeutics	ヒト乳がん細胞株	GM-CSF	乳がん