

臨床試験段階の核酸医薬品

1. 臨床試験段階のアンチセンス医薬	1/10
2. 臨床試験段階のsiRNA医薬	5/10
3. 臨床試験段階の核酸アプタマー	10/10

本リストでは、上記の核酸医薬モダリティのみを掲載しており、miRNA医薬、RNA編集核酸、デコイ核酸など臨床開発品目数が限定的なモダリティは、除外している。

開発者	一般名/開発コード	標的	対象疾患	開発段階
Ultragenyx Pharmaceutical	GTX-102	UBE3A-ATS RNA	アンジェルマン症候群	P3
Ionis Pharmaceuticals	Donidalorsen	PKK RNA	遺伝性血管性浮腫	P3
GlaxoSmithKline	Bepirovirsen	HBV RNA	B型慢性肝炎	P3
Ionis Pharmaceuticals	Zilganersen	mutant GFAP RNA	アレキサンダー病	P3
Biogen	Ulefnersen	mutant FUS RNA	筋萎縮性側索硬化症	P3
Novartis Pharmaceuticals	Pelacarsen	Apolipoprotein(a) RNA	循環器疾患	P3
Ionis Pharmaceuticals	IONIS-FB-LRx	Complement FB RNA	IgA腎症	P3
Oncotelic	OT-101	TGF-β2 RNA	膵管腺がん	P3
			胸膜中皮腫	P2
Ionis Pharmaceuticals	IONIS-MAPTRx	MAPT RNA	軽度アルツハイマー病	P2
Wave Life Sciences	WVE-003	mHTT RNA	ハンチントン病	P2
Bayer	Fesomersen	Factor XI RNA	血栓性疾患	P2
Ionis Pharmaceuticals	ION904	Angiotensinogen RNA	治療抵抗性高血圧	P2
Ionis Pharmaceuticals	ION224	DGAT2 RNA	代謝異常関連脂肪肝炎	P2
Ionis Pharmaceuticals	Sapablursen	TMPRSS6 RNA	真性多血症	P2
Percheron Therapeutics	ATL1103	GHR RNA	先端巨大症	P2
Percheron Therapeutics	ATL1102	CD49d RNA	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	P2
			多発性硬化症	P2

開発者	一般名/開発コード	標的	対象疾患	開発段階
Isarna Therapeutics	ISTH0036	TGF-β2 RNA	血管新生加齢黄斑変性, 糖尿病黄斑浮腫	P2
			緑内障手術	P1
Ausper Biopharma	AHB-137	非開示	B型慢性肝炎	P2
Dyne Therapeutics	DYNE-101	DMPK RNA	筋緊張性ジストロフィー1型	P2
Flamingo Therapeutics	Danvatirsen	STAT3 RNA	頭頸部扁平上皮癌	P2
Ionis Pharmaceuticals	ION582	UBE3A RNA	アンジェルマン症候群	P2
Ionis Pharmaceuticals	ION269	APP RNA	アルツハイマー病	P2
Ionis Pharmaceuticals	ION717	PrP RNA	プリオン病	P2
Ionis Pharmaceuticals	ION356	PLP1 RNA	ペリツェウス・メルツバツハ病	P2
Biogen	ION859	LRRK2 RNA	パーキンソン病	P2
Ionis Pharmaceuticals	ION464	SNCA RNA	多系統萎縮症, パーキンソン病	P2
Ionis Pharmaceuticals	ION440	MECP2 RNA	MECP2重複症候群	P2
Hoffmann-La Roche	Tominersen	mHTT RNA	ハンチントン病	P2
Biogen	ION306	SMN2 RNA	脊髄性筋萎縮症	P2
AstraZeneca	ION839	PNPLA3 RNA	代謝異常関連脂肪肝炎	P2
OliPass Corporation	OLP-1002	SCN9A RNA	変形性関節症に伴う疼痛	P2
Avidity Biosciences	Delpacibart zotadirsen	DMD RNA exon 45	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	P2
BioMarin Pharmaceutical	BMN 351	DMD RNA	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	P2

開発者	一般名/開発コード	標的	対象疾患	開発段階
Dyne Therapeutics	DYNE-251	DMD RNA exon 51	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	P2
PepGen	PGN-EDO51	DMD RNA exon 51	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	P2
PepGen	PGN-EDODM1	DMPK RNA	筋緊張性ジストロフィー1型	P2
Sarepta Therapeutics	Vesleteplirsen	DMD RNA exon 51	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	P2
Sqy Therapeutics	SQY51	DMD RNA exon 51	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	P2
Wave Life Sciences	WVE-N531	DMD RNA exon 53	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	P2
日本新薬	Brogidirsen	DMD RNA exon 44	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	P2
日本新薬	NS-050	DMD RNA exon 50	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	P2
SpliSense	SPL84 (3849 Mut.)	CFTR RNA	嚢胞性線維症	P2
Stoke Therapeutics	Zorevunersen	SCN1A RNA	ドラベ症候群	P2
ARTHEX Biotech	ATX-01	miR-23b	筋緊張性ジストロフィー1型	P2
TransCode Therapeutics	TTX-MC138	miR-10b	固形がん	P2
Cardior Pharmaceuticals	CDR132L	miR-132	急性心筋梗塞	P2
	SB010		好酸球性の慢性閉塞性肺疾患	P2
Sterna Biologicals		GATA-3 RNA	喘息	P2
	SB011		アトピー性皮膚炎	P2
	SB012		潰瘍性大腸炎	P2
Praxis Precision Medicines	Elsunersen	SCN2A RNA	てんかん性脳症	P2

開発者	一般名/開発コード	標的	対象疾患	開発段階
Bio-Path Holdings	Prexigebersen	Grb2 RNA	急性骨髄性白血病	P2
	BP1001-A		固形がん	P1
Vico Therapeutics	VO659	CAG repeat expansion	脊髄小脳変性症1型, 3型, およびハンチントン病	P2
Andes Biotechnologies	Andes-1537	ncmtRNA	固形がん	P1
Lipigon Pharmaceuticals	P1 Lipisense	ANGPTL4 RNA	高トリグリセリド血症	P1
AstraZeneca	ION532	APOL1 RNA	慢性腎臓病	P1
TAK-Circulator	TAKC-02	Mex3B RNA	難治重症喘息	P1
NANO MRNA	TUG1 ASO	TUG1 RNA	膠芽腫	P1
Montefiore Medical Center	Danvatirsen	STAT3 RNA	急性骨髄性白血病/ 骨髄異形成 症候群	P1
PYC Therapeutics	VP-001	CNOT3 RNA exon 17	網膜色素変性症	P1
PYC Therapeutics	PYC-001	OPA1 RNA	常染色体優性視神経萎縮症	P1
Entrada Therapeutics	ENTR-601-44	DMD RNA exon 44	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	P1
QurAlis Corporation	QRL-201	STMN2 RNA	筋萎縮性側索硬化症	P1
Regulus Therapeutics	RGLS8429	miR-17	常染色体優性多発性嚢胞腎	P1
Resalis Therapeutics	RES-010	miR-22	肥満	P1
			代謝異常関連脂肪性肝疾患 / 代謝異常関連脂肪肝炎	P1
CAMP4 Therapeutics Corporation	CMP-CPS-001	CPS1-specific regulatory RNA	尿素サイクル異常症	P1
Quiver Bioscience	非開示	非開示	筋萎縮性側索硬化症	不明 (Clinical)

開発者	一般名/開発コード	標的	対象疾患	開発段階
Sylentis	Tivanisiran	TRPV1 RNA	ドライアイ	P3
Takeda	Fazirsiran	Z-AAT RNA	α 1アンチトリプシン欠損症 (に伴う肝疾患)	P3
Regeneron Pharmaceuticals	Cemdisiran	C5 RNA	地図状萎縮*	P3
			重症筋無力症	P3
			発作性夜間ヘモグロビン尿症	P3
Suzhou Ribo Life Science	RBD1007	Caspase 2 RNA	非動脈炎性前部虚血性視神経症	P3
Genzyme	Fitusiran	AT RNA	血友病	P3
Avidity Biosciences	Delpacibart etedesiran	DMPK RNA	筋緊張性ジストロフィー1型	P3
TMEセラピューティックス	STNM01	CHST15 RNA	一次化学療法不応の切除不能膵がん	P3
Amgen	Olpasiran	Apolipoprotein(a) RNA	アテローム動脈硬化性心血管疾患	P3
			高トリグリセリド血症	P3
Arrowhead Pharmaceuticals	Plozasiran	ApoC3 RNA	家族性カイロミクロン血症症候群	P3
			脂質異常症	P2
Visirna Therapeutics	Zodasiran	ANGPTL3 RNA	ホモ接合性家族性高コレステロール血症	P3
Arrowhead Pharmaceuticals			脂質異常症	P2
Arrowhead Pharmaceuticals	ARO-HBV	HBV RNA	ホモ接合性家族性高コレステロール血症	P2
Arrowhead Pharmaceuticals			B型肝炎	P2
Silence Therapeutics	Zerlasiran	LPA RNA	循環器疾患	P2

開発者	一般名/開発コード	標的	対象疾患	開発段階
Sirnaomics	STP705	TGF- β 1 RNA, COX-2 RNA	扁平上皮内がん	P2
			基底細胞がん	P2
			腹部肥満	P1
Olix Pharmaceuticals	OLX101A	CTGF RNA	肥厚性瘢痕, およびケロイド	P2
Sylentis	SYL1801	Nrarp RNA	滲出型加齢黄斑変性症	P2
Vir Biotechnology	Elebsiran	HBV RNA	B型肝炎	P2
			D型肝炎	P2
Arbutus Biopharma	Imdusiran	HBV RNA	B型慢性肝炎	P2
			B型慢性肝炎	P2
Suzhou Ribo Life Science	RBD1016	HBV-X RNA	B型肝炎	P2
Ribocure Pharmaceuticals			D型肝炎	P2
Avidity Biosciences	Delpacibart braxlosiran	DUX4 RNA	顔面肩甲上腕型筋ジストロフィーI型	P2
Silence Therapeutics	Divesiran	TMPRSS6 RNA	真性多血症	P2
Silexion Therapeutics	SIL-204	KRAS (G12D/G12V) RNA	膵がん	P2
Arrowhead Pharmaceuticals	ARO-C3	C3 RNA	補体関連疾患	P2
Anylam Pharmaceuticals	Mivelsiran	APP RNA	脳アミロイド血管症	P2
			アルツハイマー病	P1
Ribocure Pharmaceuticals	RBD4059	Factor XI RNA	血栓塞栓症	P2
Suzhou Ribo Life Science	RBD5044	APOC3 RNA	高コレステロール血症	P2

開発者	一般名/開発コード	標的	対象疾患	開発段階
Tuo Jie Biotech	TJ040	非開示	非開示	P2
Alnylam Pharmaceuticals	Zilebesiran	Angiotensinogen RNA	高血圧	P2
Argo Biopharma	BW-01	非開示	心血管系疾患	P2
GlaxoSmithKline	GSK4532990	HSD17B13 RNA	代謝異常関連脂肪肝炎	P2
Regeneron Pharmaceuticals	ALN-HSD	HSD17B13 RNA	代謝異常関連脂肪肝炎	P2
ADARx Pharmaceuticals	ADX-038	Complement FB RNA	発作性夜間ヘモグロビン尿症	P2
Argo Biopharma	非開示	PKK RNA	遺伝性血管性浮腫	P1
Aro Biotherapeutics	ABX1100	Gys1 RNA	ポンペ病	P1
Olix Pharmaceuticals	OLX301A	非開示	血管新生加齢黄斑変性 (萎縮型, 滲出型の両方)	P1
Argo Biopharma	非開示	HBV RNA	B型肝炎	P1
Arrowhead Pharmaceuticals	ARO-DUX4	DUX4 RNA	顔面肩甲上腕型筋ジストロフィーI型	P1
Arrowhead Pharmaceuticals	ARO-DM1	DMPK RNA	筋緊張性ジストロフィー1型	P1
Alnylam Pharmaceuticals	ALN-BCAT	β -catenin RNA	肝細胞がん	P1
Sirnaomics	STP707	TGF- β 1 RNA, COX-2 RNA	複数種の固形がん	P1
Arrowhead Pharmaceuticals	ARO-CFB	Complement FB RNA	補体関連疾患	P1
Suzhou Sanegene Bio	SGB-9768	C3 RNA	補体関連疾患	P1
Empirico	EMP-012	非開示	慢性肺疾患	P1
Alnylam Pharmaceuticals	ALN-HTT02	HTT RNA	ハンチントン病	P1

開発者	一般名/開発コード	標的	対象疾患	開発段階
Regeneron Pharmaceuticals	ALN-SOD	SOD1 RNA	SOD1 筋萎縮性側索硬化症	P1
Alynham Pharmaceuticals	ALN-TTRsc04	TTR RNA	トランスサイレチン型心アミロイドーシス	P1
Suzhou Sanegene Bio	SGB-3403	PCSK9 RNA	高コレステロール血症	P1
Suzhou Ribo Life Science	RBD7022	PCSK9 RNA	高コレステロール血症	P1
Comanche Biopharma	CBP-4888	sFlt1 RNA	妊娠高血圧腎症	P1
OliX Pharmaceuticals	OLX104C	AR RNA	アンドロゲン性脱毛症	P1
Sirnaomics	STP122G	Factor XI RNA	抗凝固/ 血栓症	P1
Suzhou Ribo Life Science	RBD7007	C5 RNA	IgA腎症	P1
Immunohelix	IH-001	CD40 RNA	移植片対宿主病(GvHD)	P1
Arrowhead Pharmaceuticals	ARO-RAGE	RAGE RNA	喘息	P1
Arrowhead Pharmaceuticals	ARO-MMP7	MMP7 RNA	特発性肺線維症	P1
Apellis Pharmaceuticals	APL-3007	C3 RNA	非開示	P1
Tuo Jie Biotech	TJ038	非開示	非開示	P1
Regeneron Pharmaceuticals	ALN-ANG3	Angiopoietin like 3 RNA	健常人	P1
Argo Biopharma	BW-02	非開示	心血管系疾患	P1
Argo Biopharma	BW-05	非開示	心血管系疾患	P1
Suzhou Sanegene Bio	SGB-3908	AGT RNA	高血圧	P1
Arrowhead Pharmaceuticals	ARO-PNPLA3	PNPLA3 RNA	代謝異常関連脂肪肝炎	P1

開発者	一般名/開発コード	標的	対象疾患	開発段階
Regeneron Pharmaceuticals	ALN-PNP	PNPLA3 RNA	代謝異常関連脂肪肝炎	P1
OliX Pharmaceuticals	OLX702A	非開示	代謝異常関連脂肪肝炎	P1
ADARx Pharmaceuticals	ADX-324	PKK RNA	---	P1
ADARx Pharmaceuticals	ADX-850	不明	---	P1
東京大学, 他	PRDM14 siRNA	PRDM14 RNA	乳がん	不明

開発者	一般名/開発コード	標的	対象疾患	開発段階
Band Therapeutics	BT200	VWF A-1 domain	フォン・ヴィルブランド病 2B型	P3
			(軽・中等症)血友病A	P3
			フォン・ヴィルブランド病 3型	P2
			フォン・ヴィルブランド病 1型	P2
			(重症)血友病A	P2
リボミック	RBM-007	FGF2	軟骨無形成症	P2
			滲出型加齢黄斑変性症	P2
Berlin Cures	BC 007	Functional autoantibodies against GPCRs	COVID-19後遺症	P2
			拡張型心筋症	P2
Aptarion Biotech AG	AON-D21	C5a	肺炎	P2
Basking Biosciences	BB-031	VWF	急性虚血発作	P2
TME Pharma	Olaptesed pegol	CXCL12	神経膠芽腫	P2
			膵がん	P2
Aummune	AM003	非開示	固形がん	P1