

# 臨床開発中もしくは既承認のmRNA医薬

1. 感染症予防mRNAワクチン(COVID-19) ..... (1/9)
2. 感染症予防mRNAワクチン(COVID-19以外) ..... (4/9)
3. がん治療mRNAワクチン ..... (7/9)
4. 疾患治療mRNA医薬(非ワクチン) ..... (8/9)

- ✓ 本リストにおける「mRNA医薬」には、mRNAで構成されるモダリティのうち、感染症予防mRNAワクチン、がん治療mRNAワクチン、疾患治療mRNA医薬(非ワクチン)に分類される開発品を含んでいる。
- ✓ DNA編集酵素(Cas9など)をコードするmRNAを含む in vivo ゲノム編集製品は本リストには含まない。
- ✓ 細菌・培養細胞等を用いて生物学的に製造されるVRP(viral replicon particle)などの開発品は本リストには含まない。
- ✓ 体外に取り出した細胞にmRNAを導入することで作製される ex vivo製品(細胞加工製品)は本リストには含まない。
- ✓ 本リストの「開発段階」の列における「承認」は、日本、米国、欧州のいずれかで承認されたことを示す。

# 感染症予防mRNAワクチン(COVID-19) (2024年11月21日更新)

開発企業/ 共同開発企業(機関)	開発コード/ 商品名/ 一般名	mRNAコードタンパク質	対象疾患/ 対象ウイルス	開発段階
Pfizer/ BioNTech	BNT162b2/ コミナティ	SARS-CoV-2 スパイクタンパク質(起源株) (起源株 + Omicron BA.1株) (起源株 + Omicron BA.4/5 株) (Omicron XBB.1.5株) (Omicron JN.1株)	COVID-19	承認
	トジナメラン			一変
	トジナメラン + リルトジナメラン			一変
	トジナメラン + ファムトジナメラン			一変
Moderna	ラクストジナメラン	SARS-CoV-2 スパイクタンパク質(起源株) (起源株 + Omicron株 BA.1株) (起源株 + Omicron BA.4/5 株) (Omicron XBB.1.5株) (Omicron JN.1株)	COVID-19	承認
	Unnamed			一変
	mRNA-1273/ スパイクボックス			一変
	エラソメラン			一変
Daiichi Sankyo	エラソメラン + イムエラソメラン	SARS-CoV-2 スパイクタンパク質(RBDドメイン) (起源株) (Omicron XBB.1.5株) (Omicron BA.4/5株) (Omicron JN.1株)	COVID-19	承認
	エラソメラン + ダベソメラン			一変
	アンデュソメラン			一変
	Unnamed			一変
Meiji Seika Pharma/ Arcturus Therapeutics	DS-5670/ ダイチロナ	SARS-CoV-2 スパイクタンパク質 (D614G変異を有するB.1株) (起源株 + Omicron BA.4/5 株) (Omicron XBB.1.5株) (Omicron JN.1株)	COVID-19	承認
	ウフレンメラン			一変
	ベムレメラン			P3
	テグレンメラン			一変
CureVac/ BAYER/ CEPI	ARCT-154/ コスタイベ	SARS-CoV-2 スパイクタンパク質 (起源株 + Beta株) (起源株 + Delta株)	COVID-19	承認
	ザボメラン			P3
	ARCT-2301			P3
	ARCT-2303			一変
Walvax Biotechnology/ Suzhou Abogen Biosciences	Unnamed	SARS-CoV-2 スパイクタンパク質(RBDドメイン)	COVID-19	P3
	CVnCoV			P3
Moderna	ARCoV	SARS-CoV-2のスパイクタンパク質 (Delta株)	COVID-19	P2/3
	mRNA-1273.617			P2/3
Moderna	mRNA-1273.211	SARS-CoV-2のスパイクタンパク質 (起源株 + Beta株)	COVID-19	P2/3
	mRNA-1273.213			P2/3
Moderna	mRNA-1273.351	SARS-CoV-2のスパイクタンパク質 (起源株 + Delta株)	COVID-19	P2
	mRNA-1273.529/ イムエラソメラン			SARS-CoV-2のスパイクタンパク質 (Beta株)

## 感染症予防mRNAワクチン(COVID-19) (2024年11月21日更新)

開発企業/ 共同開発企業(機関)	開発コード/ 一般名	mRNAコードタンパク質	対象疾患/ 対象ウイルス	開発段階
Arcturus Therapeutics	ARCT-021	SARS-CoV-2 スパイクタンパク質(起源株)	COVID-19	P3
Arcturus Therapeutics	ARCT-165	SARS-CoV-2 スパイクタンパク質 (Beta株)	COVID-19	P2
Translate Bio/ Sanofi	MRT5500	SARS-CoV-2 スパイクタンパク質	COVID-19	P2
Providence Therapeutics	PTX-COVID19-B	SARS-CoV-2 スパイクタンパク質	COVID-19	P3
Moderna	mRNA-1283	SARS-CoV-2 スパイクタンパク質 (RBDドメインとN末端ドメイン)	COVID-19	P3
Elixirgen Therapeutics	EXG-5003	SARS-CoV-2 スパイクタンパク質(RBDドメイン)	COVID-19	P1/2
EyeGene Inc.	EG-COVID-003	SARS-CoV-2 スパイクタンパク質	COVID-19	P1/2
Imperial College London	LNP-nCoV saRNA	SARS-CoV-2 スパイクタンパク質	COVID-19	P1
Chulalongkorn University	ChulaCov19	SARS-CoV-2 スパイクタンパク質	COVID-19	P2
GlaxoSmithKline (GSK)	CoV2 SAM (GSK4184258A)	SARS-CoV-2 タンパク質	COVID-19	P1
SENAI CIMATEC	HDT-301/ repRNA-CoV2S	SARS-CoV-2 スパイクタンパク質	COVID-19	P2/3
Stemirna Therapeutics/ Shanghai East Hospital	SW-BIC-213	SARS-CoV-2 タンパク質	COVID-19	P3
MRC/UVRI & LSHTM Uganda Research Unit	LNP-nCoV saRNA-02	SARS-CoV-2 スパイクタンパク質	COVID-19	P1
Gritstone bio	GRT-R910	SARS-CoV-2 タンパク質	COVID-19	P1
VLP Therapeutics	VLPCOV-04	SARS-CoV-2 スパイクタンパク質(RBDドメイン) (Omicron XBB.1.5株)	COVID-19	P3
Gritstone bio	SAM-LNP-S-TCE	SARS-CoV-2 タンパク質/ 高度に保存された非スパイクT細胞エピトープ (TCE)	COVID-19	P2
AIM Vaccine/ LIVERNA Therapeutics	LVRNA009	SARS-CoV-2 タンパク質	COVID-19	P3
AIM Vaccine/ LIVERNA Therapeutics	LVRNA010	SARS-CoV-2 タンパク質	COVID-19	P1
CureVac/ GSK	CV0701	SARS-CoV-2 スパイクタンパク質(修飾RNA) (起源株 + Omicron BA.4/5 株)	COVID-19	P2
CureVac/ GSK	CV0601	SARS-CoV-2 スパイクタンパク質(修飾RNA) (Omicron BA.4/5 株)	COVID-19	P2
CureVac/ GSK	CV0501	SARS-CoV-2 スパイクタンパク質(修飾RNA) (Omicron BA.1株)	COVID-19	P1
CureVac/ GSK	CV2CoV (GSK4396687A)	SARS-CoV-2 スパイクタンパク質(非修飾RNA)	COVID-19	P1

## 感染症予防mRNAワクチン(COVID-19) (2024年11月21日更新)

開発企業/ 共同開発企業(機関)	開発コード/ 一般名	mRNAコードタンパク質	対象疾患/ 対象ウイルス	開発段階
University of Melbourne	MIPSCo-mRNA-RBD-1	SARS-CoV-2(Beta株) スパイクタンパク質 (RBDドメイン)	COVID-19	P1
Jiangsu Recbio Technology	R520A	SARS-CoV-2 タンパク質(Omicron株)	COVID-19	P1
CSPC ZhognQi Pharmaceutical Technology	SYS6006	SARS-CoV-2 タンパク質	COVID-19	P2
Genova Biopharmaceuticals Limited	GEMCOVAC-19	SARS-CoV-2 タンパク質	COVID-19	P2/3
Wuhan Recogen Biotechnology	RH109	SARS-CoV-2 タンパク質	COVID-19	P1
CanSino Biologics Inc.	COVID-19 mRNA	SARS-CoV-2 タンパク質	COVID-19	P3
ImmunityBio, Inc.	AAHI-SC2/ AAHI-SC3	SARS-CoV-2 スパイクタンパク質/ ヌクレオカプシドタンパク質	COVID-19	P1/2
Walvax Biotechnology/ Shanghai RNACure Biopharma	RQ3013	SARS-CoV-2 スパイクタンパク質	COVID-19	P1
RVAC Medicines	RVM-V001	SARS-CoV-2 タンパク質	COVID-19	P1
Suzhou Abogen Biosciences	ABO1009-DP	SARS-CoV-2 タンパク質(Omicron株)	COVID-19	P1
GreenLight Biosciences	GLB-COV2-043	SARS-CoV-2 スパイクタンパク質	COVID-19	P1/2
ReNAP Technology	COReNAPCIN	SARS-CoV-2 スパイクタンパク質	COVID-19	P1
Immorna Biotherapeutics, Inc.	JCXH-221	SARS-CoV-2 スパイクタンパク質	COVID-19	P1/2
Pfizer/ BioNTech	BNT162b5	SARS-CoV-2 スパイクタンパク質 (起源株 + Omicron BA.2 株)	COVID-19	P2
Pfizer/ BioNTech	BNT162b4	SARS-CoV-2 N, M, ORF1abタンパク質	COVID-19	P1
Pfizer/ BioNTech	BNT162c2	SARS-CoV-2 スパイクタンパク質(RBDドメイン)	COVID-19	P1/2
Gristone bio	CORAL (GRT-R912/GRT-R914/ GRT-R918)	SARS-CoV-2 スパイクタンパク質/ 非スパイクタンパク質(TCE)	COVID-19	P2
Lemonex Inc.	LEM-mR203	SARS-CoV-2 スパイクタンパク質	COVID-19	P1
RNAimmne Inc.	RV-1730	SARS-CoV-2 スパイクタンパク質	COVID-19	P1

# 感染症予防mRNAワクチン(COVID-19) (2024年11月21日更新)

開発企業/ 共同開発企業(機関)	開発コード/ 一般名	mRNAコードタンパク質	対象疾患/ 対象ウイルス	開発段階
Moderna	mRNA-1647	CMV五量体複合体のサブユニット/ 糖タンパク質B	サイトメガロウイルス (CMV)	P3
Moderna	mRNA-1443	pp65リン酸化変異タンパク質	サイトメガロウイルス (CMV)	P1
Moderna	mRESVIA (mRNA-1345)	RSVの融合前のF糖タンパク質	呼吸器合胞体ウイルス (RSV)	承認
Moderna	mRNA-1010	インフルエンザHAタンパク質	インフルエンザA (H1N1/H3N2) インフルエンザB (Yamagata/Victoria)	P3
Moderna	mRNA-1020	インフルエンザHA/NAタンパク質 (8種のmRNA)	インフルエンザA (H1N1/H3N2) インフルエンザB (Yamagata/Victoria)	P2
Moderna	mRNA-1030	インフルエンザHA/NAタンパク質 (8種のmRNA)	インフルエンザA (H1N1/H3N2) インフルエンザB (Yamagata/Victoria)	P2
Moderna	mRNA-1011	インフルエンザHA/NAタンパク質 (9種のmRNA)	インフルエンザA (H1N1/H3N2) インフルエンザB (Yamagata/Victoria)	P2
Moderna	mRNA-1012	インフルエンザHA/NAタンパク質 (10種のmRNA)	インフルエンザA (H1N1/H3N2) インフルエンザB (Yamagata/Victoria)	P2
Moderna	mRNA-1083 (mRNA-1283 + mRNA-1010)	SARS-CoV-2 スパイクタンパク質 (RBDドメインとN末端ドメイン) / インフルエンザHAタンパク質	COVID-19 インフルエンザA (H1N1/H3N2) インフルエンザB (Yamagata/Victoria)	P3
Moderna	mRNA-1073 (mRNA-1273 + mRNA-1010)	SARS-CoV-2 スパイクタンパク質 (起源株) / インフルエンザHAタンパク質	COVID-19 インフルエンザA (H1N1/H3N2) インフルエンザB (Yamagata/Victoria)	P1/2
Moderna	mRNA-1230 (mRNA-1273 + mRNA-1010 + mRNA1345)	SARS-CoV-2 スパイクタンパク質 (起源株) / インフルエンザHAタンパク質 / RSVの融合前のF糖タンパク質	COVID-19 インフルエンザA (H1N1/H3N2) インフルエンザB (Yamagata/Victoria) RSV	P1/2
Moderna	mRNA-1045 (mRNA-1010 + mRNA1345)	インフルエンザHAタンパク質 /RSVの融合前のF糖タンパク質	インフルエンザA (H1N1/H3N2) インフルエンザB (Yamagata/Victoria) RSV	P1/2
Moderna	mRNA-1851	膜結合型H7タンパク質	インフルエンザH7N9	P1
Moderna	mRNA-1018	インフルエンザ由来タンパク質	パンデミックインフルエンザ	P2
Moderna	mRNA-1653	hMPV関連ウイルス抗原タンパク質 / PIV3関連ウイルス抗原タンパク質	ヒトメタニューモウイルス (hMPV) /パラインフルエンザウイルス3 (PIV3)	P1
Moderna	mRNA-1365	RSV/ hMPV関連ウイルス抗原タンパク質	RSV/ヒトメタニューモウイルス (hMPV)	P1
Pfizer/ BioNTech	modRNA/ BNT161	インフルエンザHAタンパク質 (4価)	インフルエンザA (H1N1) インフルエンザB (Yamagata)	P3
Pfizer	PF-07252220	インフルエンザ由来タンパク質	インフルエンザ	P3

本表を執筆や講演等に利用される際には、国立医薬品食品衛生研究所 遺伝子医薬部ホームページからの引用であることを明示して頂けると幸いです。

## 感染症予防mRNAワクチン(COVID-19以外) (2024年11月21日更新)

開発企業/ 共同開発企業(機関)	開発コード/ 一般名	mRNAコードタンパク質	対象疾患/ 対象ウイルス	開発段階
Translate Bio/ Sanofi	MRT5400/MRT5401	インフルエンザA/H3N2株HAタンパク質	インフルエンザA (H3N2)	P1
Sanofi	MRT5407/MRT5410 (SP0273)	4種のインフルエンザ株由来タンパク質	インフルエンザ	P1/2
Pfizer/ BioNTech	トジナメラン + ファムトジナメラン +BNT161	SARS-CoV-2 スパイクタンパク質 (起源株 + Omicron BA.4/5 株) /インフルエンザHAタンパク質(4価)	COVID-19 インフルエンザA (H1N1) インフルエンザB (Yamagata)	P1/2
Pfizer	PF-07926307	SARS-CoV-2 スパイクタンパク質 /インフルエンザHAタンパク質	COVID-19 インフルエンザ	P1
Pfizer	PF-07845104	インフルエンザ由来タンパク質	インフルエンザ	P1
CureVac/ GSK	GSK4382276A (FLU SV)	インフルエンザ由来タンパク質	インフルエンザ	P2
CureVac/ GSK	CVSQIV	4種のインフルエンザ株由来タンパク質	インフルエンザ	P1
Arcturus Therapeutics	ARCT-2138	4種のインフルエンザ株由来タンパク質	インフルエンザ	P1
National Institute of Allergy and Infectious Diseases (NIAID)	H1ssF-3928	インフルエンザ由来タンパク質	インフルエンザ	P1
Tiba Biotech	Unnamed	インフルエンザ由来タンパク質	インフルエンザA (H7N9)	P2
Arcturus Therapeutics	ARCT-2304	インフルエンザ株由来タンパク質	インフルエンザ	IND
Moderna	mRNA-1893	ジカウイルスの構造タンパク質 (prM・E)	ジカ熱	P2
Moderna	mRNA-1325	ジカウイルスの構造タンパク質	ジカ熱	P1
CureVac	CV7202	狂犬病ウイルス糖タンパク質 (RABV-G)	狂犬病	P1
GSK	RG SAM (GSK3903133A)	狂犬病ウイルス膜糖タンパク質G	狂犬病	P1
Replicate Bioscience	RBI-4000	狂犬病ウイルスタンパク質	狂犬病	P1
Moderna	mRNA-1189	EBVの4種のエンベロープ糖タンパク質 (gH, gL, gp42, gp220)	伝染性単核球症/ Epstein-Barrウイルス (EBV)	P1
Moderna	mRNA-1195	EBVの4種のエンベロープ糖タンパク質 (gH, gL, gp42, gp220)+追加の抗原	伝染性単核球症/ Epstein-Barrウイルス (EBV)	P1

# 感染症予防mRNAワクチン(COVID-19以外) (2024年11月21日更新)

開発企業/ 共同開発企業(機関)	開発コード/ 一般名	mRNAコードタンパク質	対象疾患/ 対象ウイルス	開発段階
Moderna	mRNA-1644 /mRNA-1644v2-Core	HIV-1エンベロープ糖タンパク質 (eOD-GT8 60mer/Core-g28v2 60mer)	ヒト免疫不全ウイルス(HIV)	P1
Moderna/ NIAID	mRNA-1574 (BG505 MD39.3/ BG505 MD39.3 gp151/ BG505 MD39.3 gp151 CD4KO)	HIV-1エンベロープの可溶性/ 膜結合性の3量体	ヒト免疫不全ウイルス(HIV)	P1
Moderna	mRNA-1215	ニパウイルス由来タンパク質	ニパウイルス	P1
BioNTech	BNT165b1	マラリア原虫スポロゾイド表面タンパク質(CSP)	マラリア	P1
Moderna	mRNA-1468	糖タンパク質(gE)	水痘帯状疱疹ウイルス(VZV)	P2
Pfizer/ BioNTech	BNT167	糖タンパク質(gE)	水痘帯状疱疹ウイルス(VZV)	P2
Immorna	JCXH-105	人工VZV抗原	水痘帯状疱疹ウイルス(VZV)	P1
Moderna	mRNA-1403	ノロウイルス由来タンパク質	ノロウイルス	P3
Moderna	mRNA-1405	ノロウイルス由来タンパク質	ノロウイルス	P2
Moderna	mRNA-1975	OspA SR1-7 (米国及びヨーロッパにおける4つの主要なボレリア種に対する抗原タンパク質)	ライム病	P2
Moderna	mRNA-1982	OspA SR1 (米国における全てのライム病の原因となるボレリア・ブルグドルフェリに対する抗原タンパク質)	ライム病	P2
BioNTech	BNT164	結核菌由来タンパク質	結核	P2
Moderna	mRNA-1769	モンキーポックスウイルスタンパク質	エムポックス(サル痘)	P1
RNAimmne Inc.	RV-1770	RSVタンパク質	呼吸器合胞体ウイルス(RSV)	P1
GSK	GSK4108771A	HSV-2タンパク質	2型単純ヘルペスウイルス(HSV-2)	P1

# がん治療mRNAワクチン(2024年11月21日更新)

開発企業/ 共同開発企業(機関)	開発コード/ 一般名	mRNAコードタンパク質	対象疾患/ 対象ウイルス	開発段階
Moderna/ Merck	mRNA-4157/V940	個別がん抗原	固形がん/メラノーマ	P3 <sup>注1)</sup>
BioNTech/ Genentech	RO7198457 (BNT122)	患者特異的がん抗原	1次治療メラノーマ 固形がん(大腸がん)	P2 P2
BioNTech	BNT111	共有がん抗原(コンビネーション)	進行性のメラノーマ	P2
Moderna/ Merck	mRNA-5671 (Merck V941)	がん抗原(KRAS)	大腸がん, 非小細胞肺がん, 膵臓がん	P1
Moderna	Claudin18.2 mRNA	claudin18.2	固形がん	P1 <sup>注2)</sup>
BioNTech	BNT112	共有がん抗原(コンビネーション)	前立腺がん	P1
BioNTech	BNT113	共有がん抗原(コンビネーション)	HPV16陽性頭頸部がん	P2
BioNTech	BNT114	共有がん抗原(コンビネーション)	トリプルネガティブ乳がん	P1
BioNTech	BNT115	共有がん抗原(コンビネーション)	卵巣がん	P1
BioNTech	BNT116	共有がん抗原(コンビネーション)	非小細胞肺がん(NSCLC)	P2
CureVac/ Boehringer Ingelheim	BI1361849 (CV9202)	非小細胞肺がんので一般的に発現するがん抗原(6種)	非小細胞肺がん(NSCLC)	P1
eTheRNA	ECI-006	メラノーマ関連抗原(5種) + 抗原提示細胞活性化分子	メラノーマ	P1
Gritstone bio	GRANITE (GRT-C901/GRT-R902)	個別(患者特異的)がん抗原	固形がん	P2
Gritstone bio	SLATE-KRAS (GRT-C903/GRT-R904)	KRASネオアンチゲン	固形がん	P2
CureVac	CVGBM	HLAクラスI, クラスII + 共有がん抗原	神経膠芽腫	P1
BioNTech	CARVac	claudin-6	メラノーマ	P1 <sup>注3)</sup>
National Cancer Institute	NCI-4650	最大15種類のがん関連抗原	メラノーマ, 上皮がん	P1/2
Stemirna Therapeutics	SW1115C3	患者特異的がん抗原	固形がん	P1
NeoCura	NeoCura Ag-IND	ネオアンチゲン	胃がん, 食道がん, 肝臓がん	P1
WestGene	WGc-043	Epstein-Barr (EB) ウイルス抗原	EBウイルス陽性進行がん	P1

注1) 抗PD-1抗体(キイトルーダ)との併用。

注2) CARsgen Therapeutics社のclaudin18.2標的キメラ抗原受容体発現T細胞(CAR-T)療法候補(CT041)との併用。

注3) Caudin-6標的キメラ抗原受容体発現T細胞(CAR-T)細胞療法候補(BNT211)との併用。

併用に関しては確認されたもののみ記載している。



# 疾患治療mRNA医薬 (2024年11月21日更新)

開発企業/ 共同開発企業 (機関)	開発コード/ 一般名	mRNAコードタンパク質	対象疾患/ 対象ウイルス	開発段階
Moderna	mRNA-2752	OX40リガンド, IL-23, IL-36gamma	固形がん, リンパ腫	P1
AstraZeneca/ Moderna	MEDI1191 (mRNA-2905)	IL-12	固形がん	P1
BioNTech/ Sanofi	SAR441000 (BNT131)	IL-12sc, IL15sushi, GM-CSF, IFNalpha	固形がん	P1
BioNTech	BNT141	抗claudin18.2モノクロー抗体	固形がん	P1
BioNTech	BNT142	抗CD3/抗CLDN6二重特異性抗体	固形がん	P1
BioNTech	BNT151	Optimized IL-2	固形がん	P1
BioNTech	BNT152, BNT153	IL-7, IL-2	固形がん	P1
Immorna Biotherapeutics, Inc.	JCXH-211	IL-12	固形がん	P1
Omega Therapeutics	OTX-2002	c-Mycの発現を減少させるタンパク質 (ZF-DTMT, ZF-KRAB)	固形がん	P1/2
Moderna	mRNA-4359	インドールアミン2,3ジオキシゲナーゼ (IDO), PD-L1	進行・転移性固形がん	P2
Stand Therapeutics	STX-001	IL-12	固形がん	P1/2

# 疾患治療mRNA医薬 (2024年11月21日更新)

開発企業/ 共同開発企業 (機関)	開発コード/ 一般名	mRNAコードタンパク質	対象疾患/ 対象ウイルス	開発段階
Moderna	AZD8601	VEGF-A	心血管疾患, 虚血性血管疾患	P2
Arcturus Therapeutics	ARCT-810	オルニチントランスカルバミラーゼ (OTC)	オルニチントランスカルバミラーゼ欠損症	P2
Moderna	mRNA-1944	チクングニアウイルスに対するIgG抗体	チクングニア熱	P1
Moderna	mRNA-3927	プロピオニルCoAカルボキシラーゼalpha/beta	プロピオン酸血症 (PA)	P2
Translate Bio/ Sanofi	MRT5005	完全機能型CFTR	嚢胞性線維症 (CF)	P1/2
ReCode Therapeutics	RCT2100	完全機能型CFTR	嚢胞性線維症 (CF)	P1
Moderna	mRNA-6231	ヒト血清アルブミン融合IL-2変異体 (HSA-IL2m)	自己免疫疾患	P1
Moderna	mRNA-3705	ヒトメチルマロニルCoAムターゼ (hMUT)	次世代のメチルマロン酸血症 (MMA)	P2
Moderna	mRNA-3745	グルコース-6-ホスファターゼ (G6Pase)	糖原病I型 (GSD-1a)	P1
Ultragenyx	UX053	グリコーゲン脱分枝酵素 (AGL)	糖原病III型 (GSDIII)	P1/2
Moderna	mRNA-0184	Relaxin	心不全	P1
Vertex Pharmaceuticals Inc.	VX-522 (mRNA-3692)	完全機能型CFTR	嚢胞性線維症 (CF)	P1
Arcturus Therapeutics	ARCT-032	完全機能型CFTR	嚢胞性線維症 (CF)	P1
Ethris GmbH	ETH47	III 型インターフェロン	呼吸器ウイルス感染症	P1
NIAID	gp91 Grans	NADPHオキシダーゼサブユニット	慢性肉芽腫性疾患	P1
Versameb AG	VMB-100	ヒトインスリン様成長因子-1 (IGF-1)	腹圧性尿失禁症 (SUI)	P2