















製薬企業／研究機関		開発製品名	アプローチ	前臨床	治験第1相	治験第2相	治験第3相	製造販売
AMO Pharma		AMO-02 (タイドグルーシブ)	RNA結合タンパク量制御 (低分子薬 GSK3β阻害剤)					
大阪大学大学院		MYD-0124 (エリスロマイシン)	RNA結合タンパク凝集抑制 (低分子薬)					
Avidity Biosciences		AOC 1001	異常RNA分解 (アンチセンスオリゴヌクレオチド)		* MARINA試験			
Expansion Therapeutics		ERX-963	RNA結合タンパク凝集抑制 (低分子薬)					
Dyne Therapeutics		DYNE-101	異常RNA分解 (アンチセンスオリゴヌクレオチド)					* 2022年第1四半期にFDAにIND申請予定
NeuBase Therapeutics		NT-0200	異常RNA分解 (アンチセンスオリゴヌクレオチド)					* 2022年第1四半期にFDAにIND申請予定
Arthex Biotech		ATX-01	RNA結合タンパク量制御 (miRNA阻害)					* FDAにIND申請を調整中
Ionis Pharmaceuticals		ISIS-486178	異常RNA分解 (アンチセンスオリゴヌクレオチド)					
Locanabio		AAV-PIN dCas9など	遺伝子治療 (dCas9など)					
アステラス製薬 (Astellas Gene Therapies)		AT466	遺伝子治療 (アンチセンスオリゴヌクレオチド)					
Genethon		AAV-CRISPR-Cas9	遺伝子治療 (CRISPR/Cas9)					
Design Therapeutics			リピート伸長治療 (低分子薬)					
Triplet Therapeutics		TTX-3360、TTX-DM1	リピート伸長治療					
PepGen		EDODM1	ペプチド結合アンチセンスオリゴヌクレオチド					
オックスフォード大学		Pip6a-PMO-CAG	ペプチド複合オリゴヌクレオチド治療					