日米欧のいずれかで承認された核酸医薬品（2026年11月20日更新）

商品名	一般名	分類	オリゴ核酸の化学修飾等	DDS等		承認国/年			標的	適応	投与
				付加修飾	送達キャリア	US	EU	JP			
Vitravene	fomivirsen	アンチセンス	PS(full)	-	-	1998	1999	-	CMV IE2 mRNA	CMV性網膜炎（AIDS患者）	硝子体内
Macugen	pegaptanib	アプタマー	2’-OMe, 2’-F	PEG	-	2004	2006	2008	VEGF165（タンパク質）	滲出型加齢黄斑変性症	硝子体内
Kynamro	mipomersen	アンチセンス	PS(full), 2’-MOE	-	-	2013	-	-	ApoB-100 mRNA	ホモ接合型家族性高コレステロール血症	皮下
Exondys 51	eteplirsen	アンチセンス	モルフォリノ核酸	-	-	2016	-	-	Dystrophin pre-mRNA	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	静脈内
Spinraza	nusinersen	アンチセンス	PS(full), 2’-MOE	-	-	2016	2017	2017	SMN2 pre-mRNA	脊髄性筋萎縮症	髄腔内
Tegsedi	inotersen	アンチセンス	PS(full), 2’-MOE	-	-	2018	2018	-	TTR mRNA	ATTRアミロイドーシス	皮下
Onpattro	patisiran	siRNA	2’-OMe	-	LNP	2018	2018	2019	TTR mRNA	ATTRアミロイドーシス	静脈内
Waylivra	volanesorsen	アンチセンス	PS(full), 2’-MOE	-	-	-	2019	-	ApoCIII mRNA	家族性高カイロミクロン血症	皮下
Givlaari	givosiran	siRNA	PS(partial), 2’-OMe, 2’-F	GalNAc	-	2019	2020	2021	ALAS1 mRNA	急性肝性ポルフィリン症	皮下
Vyondys 53	golodirsen	アンチセンス	モルフォリノ核酸	-	-	2019	-	-	Dystrophin pre-mRNA	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	静脈内
Viltepso	viltolarsen	アンチセンス	モルフォリノ核酸	-	-	2020	-	2020	Dystrophin pre-mRNA	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	静脈内
Oxlumo	lumasiran	siRNA	PS(partial), 2’-OMe, 2’-F	GalNAc	-	2020	2020	-	HAO1 mRNA	原発性高シュウ酸尿症Ⅰ型	皮下
Leqvio	inclisiran	siRNA	PS(partial), 2’-OMe, 2’-F	GalNAc	-	2021	2020	2023	PCSK9 mRNA	高コレステロール血症 混合型脂質異常症	皮下
Amondys 45	casimersen	アンチセンス	モルフォリノ核酸	-	-	2021	-	-	Dystrophin pre-mRNA	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	静脈内
Amvuttra	vutrisiran	siRNA	PS(partial), 2’-OMe, 2’-F	GalNAc	-	2022	2022	2022	TTR mRNA	ATTRアミロイドーシス	皮下
Qalsody	tofersen	アンチセンス	PS(partial), 2’-MOE	-	-	2023	2024	2024	SOD1 mRNA	筋萎縮性側索硬化症	髄腔内
Izervay	avacincaptad pegol	アプタマー	2’-OMe, 2’-F	PEG	-	2023	-	2025	補体因子C5（タンパク質）	地図状萎縮を伴う加齢黄斑変性	硝子体内
Rivfloza	nedosiran	siRNA	PS(partial), 2’-OMe, 2’-F	GalNAc	-	2023	-	-	LDHA mRNA	原発性高シュウ酸尿症Ⅰ型	皮下
Wainua	eplontersen	アンチセンス	PS(partial), 2’-MOE	GalNAc	-	2023	2025	-	TTR mRNA	ATTRアミロイドーシス	皮下
Rytelo	imetelstat	アンチセンス	*thio*-phosphoramidate	C16	-	2024	2025	-	テロメラーゼに含まれるRNA鎖	輸血依存性貧血を伴う骨髄異形成症候群	静脈内
Tryngolza	olezarsen	アンチセンス	PS(full), 2’-MOE	GalNAc	-	2024	2025	-	ApoCIII mRNA	家族性高カイロミクロン血症	皮下
Qfitlia	fitusiran	siRNA	PS(partial), 2’-OMe, 2’-F	GalNAc	-	2025	-	-	Antithrombin mRNA	血友病A又はB	皮下
Dawnzera	donidalorsen	アンチセンス	PS(partial), 2’-MOE	GalNAc	-	2025	2026	-	PKK mRNA	遺伝性血管性浮腫	皮下
Redemplo	plozasiran	siRNA	PS(partial), 2’-OMe, 2’-F	GalNAc	-	2025	2026	-	ApoCIII mRNA	家族性高カイロミクロン血症	皮下
Hibsago	bepirovirsen	アンチセンス	PS(full), 2’-MOE	-	-	2026	-	2026	HBV mRNA	B型肝炎ウイルス持続感染	皮下
Zanvastro	zilganersen	アンチセンス	PS(partial), 2’-MOE	-	-	2026	-	-	GFAP pre-mRNA	アレキサンダー病	髄腔内
Livsayis	cemdisiran	siRNA	PS(partial), 2’-OMe, 2’-F	GalNAc	-	2026	-	-	C5 mRNA	全身型重症筋無力症	皮下

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）を明示して頂けますと幸いです。