

■がん領域 ■免疫疾患領域 ■神経疾患領域 ■血液疾患領域 ■眼科領域 ■その他の領域

開発パイプライン[本表](2025 年 4 月 24 日現在)

開発コード 創製元	一般名 販売名	予定適応症 #適応拡大 (併用薬)	国/地域	予定申請時期	作用機序 モダリティ(剤形)	共同開発
<b>申請済</b>						
RG7446 ロシュ	アテゾリズマブ テセントリク	再発または難治性の節外性 NK/T 細胞リンパ腫・鼻型 #	日本	2024 年 10 月	改変型抗 PD-L1 モノクローナル抗体 抗体(静注)	-
RG6356/SRP-9001 Sarepta	delandistrogene moxeparvovec -	デュシェンヌ型筋ジストロフィー(DMD)(歩行可能)	日本	2024 年 8 月	マイクロジストロフィン遺伝子治療 遺伝子治療(静注)	Sarepta*
RG7716 ロシュ	ファリシマブ パビースモ	網膜色素線条 #	日本	2024 年 9 月	抗 VEGF/抗 Ang-2 パイスペシフィック抗体 抗体(硝子体注射)	-
- ロシュ	ミコフェノール酸モフェチル セルセプト	難治性のネフローゼ症候群 #	日本	2025 年 3 月	免疫抑制剤 低分子(経口)	-
<b>第Ⅲ相</b>						
AF802/RG7853 自社	アレクチニブ塩酸塩 アレセンサ	非小細胞肺がん(ステージⅢ)化学放射線療法後の維持療法 #	グローバル	-	ALK 阻害剤 低分子(経口)	ロシュ
RG7446 ロシュ	アテゾリズマブ テセントリク	非小細胞肺がん(周術期) #	日本	2026 年	改変型抗 PD-L1 モノクローナル抗体 抗体(静注)	ロシュ
		筋層浸潤性膀胱がん(アジュバント) #	日本	2025 年		ロシュ
		肝細胞がん(intermediate ステージ) # (アバステン) #	日本	2025 年		ロシュ
		肝細胞がん[二次治療] # (レンバチニブまたはソラフェニブ)	日本	-		ロシュ
RG6058 ロシュ	チラゴルマブ -	非小細胞肺がん(ステージⅢ) (テセントリク) #	日本	2025 年	抗 TIGIT ヒトモノクローナル抗体 抗体(静注)	ロシュ
		食道がん (テセントリク) #	日本	2025 年		ロシュ
		肝細胞がん[一次治療] (テセントリク/アバステン)	日本	2026 年		ロシュ

■がん領域 ■免疫疾患領域 ■神経疾患領域 ■血液疾患領域 ■眼科領域 ■その他の領域

開発コード 創製元	一般名 販売名	予定適応症 #適応拡大 (併用薬)	国/地域	予定申請時期	作用機序 モダリティ(剤形)	共同開発
RG6171 ロシュ	ギレDESTラント酒石酸 塩 —	乳がん(アジュバント)	日本	2027 年	選択的エストロゲン受容体分解薬 低分子(経口)	ロシュ
		乳がん[一次治療] (パルボシクリブ+レトロゾール)	日本	2026 年		ロシュ
		乳がん[一次治療～三次治療] (エベロリムス)	日本	2026 年		ロシュ
RG7828 ロシュ	モスネツズマブ ルンスミオ	濾胞性リンパ腫[二次治療] # (レナリドミド)	日本	2026 年	抗 CD20/CD3 バイスペシフィック抗体 抗体(静注)	ロシュ
		再発または難治性のアグレッシブ B 細胞性 非ホジキンリンパ腫 # (ポライビー) #	日本	2025 年	抗 CD20/CD3 バイスペシフィック抗体 抗体(皮下注)	ロシュ
		未治療の濾胞性リンパ腫 #	日本	2028 年以降	抗 CD20/CD3 バイスペシフィック抗体 抗体(静注)	ロシュ
RG6026 ロシュ	glofitamab —	初発大細胞型 B 細胞リンパ腫 (ポライビー)	日本	2028 年以降	抗 CD20/CD3 バイスペシフィック抗体 抗体(静注)	ロシュ
RG6330 ロシュ	divarasib —	非小細胞肺がん[二次治療]	日本	2027 年	KRAS G12C 阻害剤 低分子(経口)	ロシュ
RG7159 GlycArt Biotechnology	オビヌツズマブ ガザイバ	ループス腎炎 #	日本	2026 年	糖鎖改変型タイプ II 抗 CD20 モノクローナル抗体 抗体(静注)	日本新薬
		小児特発性ネフローゼ症候群 #	日本	2026 年		日本新薬
		腎症を伴わない全身性エリテマトーデス #	日本	2027 年		日本新薬
RG6299/ASO factor B Ionis Pharmaceuticals	sefaxersen	IgA 腎症	日本	2028 年以降	補体 B 因子 mRNA に対するアンチセンスオリゴヌクレオ チド 核酸(皮下注)	ロシュ
RG6631 ロシュ	— —	潰瘍性大腸炎	日本	2027 年	抗 TL1A 抗体 抗体(—)	ロシュ
SA237/RG6168 自社	サトラリズマブ エンスプリング	抗ミエリンオリゴデンドロサイト糖タンパク質 抗体関連疾患(MOGAD) #	グローバル	2026 年	pH 依存的結合性ヒト化抗 IL-6 レセプターモノクローナ ル抗体 抗体(皮下注)	ロシュ
		自己免疫介在性脳炎(AIE) #	グローバル	2027 年		ロシュ

■がん領域 ■免疫疾患領域 ■神経疾患領域 ■血液疾患領域 ■眼科領域 ■その他の領域

開発コード 創製元	一般名 販売名	予定適応症 #適応拡大 (併用薬)	国/地域	予定申請時期	作用機序 モダリティ(剤形)	共同開発
RG6356/SRP-9001 Sarepta	delandistrogene moxeparvovec —	デュシェンヌ型筋ジストロフィー(DMD)(歩行 不能)	日本	2027年	マイクロジストロフィン遺伝子治療 遺伝子治療(静注)	Sarepta*
SKY59/RG6107 自社	クロバリマブ ピアスカイ	非典型溶血性尿毒症症候群(aHUS) #	グローバル	2026年	抗補体 C5 リサイクリング抗体 抗体(皮下注)	ロシュ
SA237/RG6168 自社	サトラズマブ エンスプリング	甲状腺眼症(TED) #	グローバル	2026年	pH 依存的結合性ヒト化抗 IL-6 レセプターモノクロー ナル抗体 抗体(皮下注)	ロシュ
RG6179 ロシュ	vamikibart —	非感染性ぶどう膜炎に伴う黄斑浮腫(UME)	日本	2026年	抗 IL-6 モノクローナル抗体 抗体(硝子体注射)	ロシュ
<b>第Ⅱ/Ⅲ相</b>						
GYM329/RG6237 自社	— —	脊髄性筋萎縮症 (エブリスディ)	グローバル	2028年以降	抗潜在型ミオスタチンスイーピング抗体 抗体(皮下注)	ロシュ
<b>第Ⅱ相</b>						
GYM329/RG6237 自社	— —	顔面肩甲上腕型筋ジストロフィー(FSHD)	グローバル	2028年以降	抗潜在型ミオスタチンスイーピング抗体 抗体(皮下注)	ロシュ
SA237/RG6168 自社	サトラズマブ エンスプリング	デュシェンヌ型筋ジストロフィー(DMD) #	グローバル	2028年以降	pH 依存的結合性ヒト化抗 IL-6 レセプターモノクロー ナル抗体 抗体(皮下注)	ロシュ
RG6042 Ionis Pharmaceuticals	トミネルセン —	ハンチントン病	日本	—	H77mRNA に対するアンチセンスオリゴヌクレオチド 核酸(静注)	ロシュ
SKY59/RG6107 自社	クロバリマブ ピアスカイ	鎌状赤血球症(SCD) #	グローバル (日本除く)	2028年以降	抗補体 C5 リサイクリング抗体 抗体(皮下注)	ロシュ
AMY109 自社	— —	子宮内膜症	グローバル	—	抗 IL-8 リサイクリング抗体 抗体(皮下注)	—
<b>第Ⅰ/Ⅱ相</b>						
RG6102 MorphoSys	trontinemab —	アルツハイマー病	日本	—	抗アミロイドベータ/TfR1 融合蛋白 抗体(静注)	ロシュ

■がん領域 ■免疫疾患領域 ■神経疾患領域 ■血液疾患領域 ■眼科領域 ■その他の領域

開発コード 創製元	一般名 販売名	予定適応症 #適応拡大 (併用薬)	国/地域	予定申請時期	作用機序 モダリティ(剤形)	共同開発
NXT007/RG6512 自社	— —	血友病 A	グローバル	2028 年以降	抗血液凝固第Ⅸa/X 因子バイスペシフィック抗体 抗体(皮下注)	ロシュ
RG6321 ロシュ	ラニズマブ (Port delivery system)	新生血管を伴う加齢黄斑変性	日本	2026 年	ヒト化抗 VEGF モノクローナル抗体 Fab 断片 抗体(注射剤(インプラント経由))	—
	—	糖尿病黄斑浮腫	日本	2026 年		—
RG6615 アルナイラム	zilebesiran —	高血圧	日本	—	アンジオテンシンノーゲンに対する RNAi 治療薬 RNAi(皮下注)	アルナイラ ム
<b>第 I 相</b>						
LUNA18 自社	paluratide —	固形がん	グローバル	—	RAS 阻害剤 中分子(経口)	—
GC33 自社	codrituzumab —	肝細胞がん	グローバル	—	抗グリピカン 3 ヒト化モノクローナル抗体 抗体(静注)	—
STA551 自社	— —	固形がん	グローバル	—	抗 CD137 アゴニストスイッチ抗体 抗体(静注)	—
SOF10/RG6440 自社	— —	固形がん	グローバル	—	抗潜在型 TGF-β 1 モノクローナル抗体 抗体(静注)	ロシュ
ALPS12 自社	— —	固形がん	グローバル	—	抗 DLL3/CD3/CD137 トリスペシフィック抗体 抗体(静注)	—
SAIL66 自社	— —	CLDN6 陽性固形がん	グローバル	—	抗 CLDN6/CD3/CD137 トリスペシフィック抗体 抗体(静注)	—
ROSE12 自社	— —	固形がん	グローバル	—	抗 CTLA-4 スwitch抗体 抗体(静注)	—
MINT91 自社	— —	固形がん	グローバル	—	— 低分子(経口)	—
RG7421 Exelixis	コピメチニブマル酸塩 —	固形がん	日本	—	MEK 阻害剤 低分子(経口)	—
RG6026 ロシュ	glofitamab —	血液がん	日本	—	抗 CD20/CD3 バイスペシフィック抗体 抗体(静注)	—
RG6160 ロシュ	cevostamab —	再発または難治性の多発性骨髄腫	日本	—	抗 FcRH5/CD3 バイスペシフィック抗体 抗体(静注)	—

■がん領域 ■免疫疾患領域 ■神経疾患領域 ■血液疾患領域 ■眼科領域 ■その他の領域

開発コード 創製元	一般名 販売名	予定適応症 #適応拡大 (併用薬)	国/地域	予定申請時期	作用機序 モダリティ(剤形)	共同開発
DONQ52 自社	— —	セリアック病	グローバル	—	抗 HLA-DQ2.5/グルテンペプチドマルチスペシフィック抗体 抗体(皮下注)	—
RAY121 自社	— —	自己免疫疾患	グローバル	—	抗補体 C1s リサイクリング抗体 抗体(皮下注)	—
RG7935 Prothena	prasinezumab —	パーキンソン病	日本	—	抗 $\alpha$ -シヌクレインモノクローナル抗体 抗体(静注)	—
REVN24 自社	— —	急性疾患	グローバル	—	— 低分子(静注)	—
GYM329/RG6237 自社	— —	肥満症	グローバル	—	抗潜在型ミオスタチンスイーピング抗体 抗体(皮下注)	ロシュ
BRY10 自社	— —	慢性疾患	グローバル	—	— 抗体(皮下注)	—
RAY121 自社	— —	—	グローバル	—	抗補体 C1s リサイクリング抗体 抗体(—)	—
開発中止						
開発コード 創製元	一般名 販売名	予定適応症 #適応拡大 (併用薬)	国/地域	開発ステージ	作用機序 モダリティ(剤形)	共同開発
RG435 ロシュ	ベバシズマブ アバスタチン	小細胞肺癌[一次治療] # (テセントリク)	日本/中国	第Ⅲ相	抗 VEGF(血管内皮増殖因子)ヒト化モノクローナル抗体 抗体(静注)	ロシュ (中国)

各相の臨床試験は、原則として投与の開始をもってパイプライン入りとしています \* Sarepta 社が日本を含むグローバルでの臨床試験を主導

前回公表(2025 年 1 月 30 日)からの変更点

がん領域

- ・RG7446 申請済(胞巣状軟部肉腫) → 承認
- ・MINT91 第Ⅰ相(固形がん) 開発開始
- ・RG435 第Ⅲ相(小細胞肺癌[一次治療](テセントリクとの併用)) → 開発中止

免疫疾患領域

- ・セルセプト 申請済（難治性のネフローゼ症候群）
- ・RG6631 第Ⅲ相（潰瘍性大腸炎）開発開始

神経疾患領域

- ・SA237/RG6168 第Ⅱ相（デュシェンヌ型筋ジストロフィー）開発開始

その他の領域

- ・RAY121 第Ⅰ相 開発開始

研究開発活動の進捗状況

2025 年 1 月 1 日～2025 年 3 月 31 日:2025 年 12 月期第 1 四半期 決算短信[IFRS](連結)P.4 の記載を参照ください。

2025 年 4 月 1 日～2025 年 4 月 24 日:

「がん領域」

・「MINT91」は、2025 年 4 月に、固形がんを対象として第Ⅰ相臨床試験を開始しました。

「神経疾患領域」

・pH 依存的結合性ヒト化抗 IL-6 レセプターモノクローナル抗体「SA237/RG6168」(製品名:「エンズプリング」)は、2025 年 4 月にデュシェンヌ型筋ジストロフィーを対象として第Ⅱ相臨床試験を開始しました。

「免疫疾患領域」

・抗 TL1A 抗体「RG6631」は、2025 年 4 月に、潰瘍性大腸炎を対象として第Ⅲ相国際共同治験を開始しました。

開発パイプライン[別表](ロシュ以外の第三者に導出した主な自社創製品)

開発コード 導出先/自社	一般名 販売名	予定適応症 #適応拡大 (併用薬)	ステージ 国/地域	作用機序 モダリティ(剤形)	導出先 (権利範囲)
VS-6766/CK127	avutometinib —	KRAS 変異陽性の再発の低悪性度漿液性 卵巣がん (defactinib)	第Ⅲ相／申請済* 海外／米国 第Ⅱ相 日本	RAF/MEK clamp(遮断) 低分子(経口)	Verastem Oncology (全世界の製造・開発・販売の独占的实施権)
		KRAS G12C 変異陽性の進行非小細胞肺 がん (sotorasib±defactinib)	第Ⅰ/Ⅱ相 海外・米国		
		転移性膵管腺がん [一次治療] (defactinib+化学療法)	第Ⅰ/Ⅱ相 米国		
LY3502970/OWL833	orforglipron —	2 型糖尿病	第Ⅲ相 グローバル	非ペプチド型経口 GLP-1 受容体 作動薬 低分子(経口)	Eli Lilly and Company (全世界の開発・販売権)
		肥満症	第Ⅲ相 グローバル		
		睡眠時無呼吸症候群	第Ⅲ相 グローバル		
AP306/EOS789	— —	高リン血症	第Ⅱ相 中国	経口リン酸輸送体阻害剤 低分子(経口)	Alebund (全世界の製造・開発・販売の独占的实施権)

\* 迅速承認を求めた新薬承認申請(NDA)。優先審査の対象に指定され、処方せん薬ユーザーフィー法(PDUFA)に基づく審査終了の目標期日が 2025 年 6 月 30 日に設定されている

ロシュ以外の第三者に導出した主な自社創製品の研究開発活動の状況(2025 年 1 月 1 日から 2025 年 4 月 24 日まで)

- ・抗 IL-31 レセプターA ヒト化モノクローナル抗体「CIM331」(欧州販売名:「NEMLUVIO<sup>®</sup>(nemolizumab)」)は、2025 年 2 月に欧州において、中等症から重症のアトピー性皮膚炎および結節性痒疹を効能・効果として承認を取得しました。

未承認薬・適応外薬の開発要請への対応状況(2025年4月24日現在)

※2024年2月1日付をもってチエブラファーム株式会社に製造販売承認承継済み

開発要請	製品	適応症など	開発状況
第4回開発要請分	ゼローダ*	神経内分泌腫瘍	開発要請に対する企業見解につき検討会議での評価待ち
	アバステン	放射線脳壊死に起因する脳浮腫	開発要請に対する企業見解につき検討会議での評価待ち
	セルセプト	難治性のネフローゼ症候群(頻回再発型あるいはステロイド依存性を示す場合)	公知申請済み
	ミルセラ	生後3か月以上の小児における腎性貧血	開発要請に対する企業見解につき検討会議での評価待ち

【主要な臨床試験】

プロジェクト	予定適応症	試験デザイン	試験名	ステージ	臨床試験情報
<b>がん領域</b>					
AF802/RG7853 「アレセンサ」	非小細胞肺癌(ステージⅢ)化学放射線療法後の維持療法	ALK融合遺伝子陽性: アレセンサ vs. デュルバルマブ	HORIZON01	第Ⅲ相	NCT05170204
RG7446 「テセントリク」	非小細胞肺癌(周術期)	化学療法±テセントリク	IMpower030	第Ⅲ相	NCT03456063
	筋層浸潤性膀胱がん(アジュバント)	テセントリク vs. プラセボ	IMvigor011	第Ⅲ相	NCT04660344
	肝細胞がん(intermediate ステージ)	テセントリク+アバステン+肝動脈化学塞栓療法 vs. 肝動脈化学塞栓療法	TALENTACE	第Ⅲ相	NCT04803994
	肝細胞がん[二次治療]	テセントリク+レンパチニブ or ソラフェニブ vs. レンパチニブ or ソラフェニブ	IMbrave251	第Ⅲ相	NCT04770896
RG6058 (チラゴルマブ)	非小細胞肺癌[ステージⅢ]	テセントリク+RG6058 vs. デュルバルマブ	SKYSCRAPER-03	第Ⅲ相	NCT04513925
	食道がん	テセントリク+RG6058 vs. テセントリク vs. プラセボ	SKYSCRAPER-07	第Ⅲ相	NCT04543617
	肝細胞がん[一次治療]	テセントリク+アバステン±RG6058	IMbrave152/SKYSCRAPER-14	第Ⅲ相	NCT05904886
RG6171/SERD (ギレドストラント酒石酸塩)	乳がん(アジュバント)	ホルモン受容体陽性: RG6171 vs. 内分泌療法	lidERA	第Ⅲ相	NCT04961996
	乳がん[一次治療]	ホルモン受容体陽性: RG6171 + パルボシクリブ±レトロゾール	persevERA	第Ⅲ相	NCT04546009
	乳がん[一次治療～三次治療]	ホルモン受容体陽性: RG6171+エベロリムス vs 内分泌療法+エベロリムス	evERA	第Ⅲ相	NCT05306340
RG7828 「ルンスミオ」	濾胞性リンパ腫[二次治療]	RG7828+レナリドミド vs. リツキサン+レナリドミド	CELESTIMO	第Ⅲ相	NCT04712097
	再発または難治性のアグレッシブ B 細胞性非ホジキンリンパ腫	RG7828+ポライビー vs. リツキシマブ+化学療法	SUNMO	第Ⅲ相	NCT05171647

プロジェクト	予定適応症	試験デザイン	試験名	ステージ	臨床試験情報
	未治療の濾胞性リンパ腫	RG7828+レナリドミド vs. リツキサン+化学療法	-	国内第Ⅲ相	JRCT2011240017
RG6026 (glofitamab)	初発大細胞型B細胞リンパ腫	RG6026+ポライビ―+リツキシマブ+化学療法 vs ポライビ―+リツキシマブ+化学療法	SKYGLO	第Ⅲ相	NCT06047080
RG6330 (divarasib)	非小細胞肺がん[二次治療]	divarasib vs. sotorasib or adagrasib	Krascendo 1	第Ⅲ相	NCT06497556
<b>免疫疾患領域</b>					
RG7159 「ガザイバ」	ループス腎炎	標準治療±ガザイバ	-	国内第Ⅲ相	JRCT2011210059
	小児特発性ネフローゼ症候群	ガザイバ vs. MMF	INShore	第Ⅲ相	NCT05627557
	腎症を伴わない全身性エリテマトーデス	ガザイバ vs. プラセボ	-	国内第Ⅲ相	JRCT2071230031
RG6299 (sefaxersen)	IgA 腎症	RG6299 vs. プラセボ	IMAGINATION	第Ⅲ相	NCT05797610
RG6631	潰瘍性大腸炎	RG6631 vs. プラセボ	Ametrine-1	第Ⅲ相	NCT06589986
<b>神経疾患領域</b>					
SA237/RG6168 「エンズプリング」	抗ミエリンオリゴデンドロサイト糖タンパク質抗体関連疾患	エンズプリング vs. プラセボ	METEOROID	第Ⅲ相	NCT05271409
	自己免疫介在性脳炎	エンズプリング vs. プラセボ	CIELO	第Ⅲ相	NCT05503264
GYM329/RG6237	脊髄性筋萎縮症	GYM329±エブリスディ	MANATEE	第Ⅱ/Ⅲ相	NCT05115110
RG6356/SRP-9001 (delandistrogene moxeparovvec)	デュシェンヌ型筋ジストロフィー(歩行不能)	RG6356 vs. プラセボ	ENVISION	第Ⅲ相	NCT05881408
<b>血液疾患領域</b>					
SKY59/RG6107 「ピアスカイ」	非典型溶血性尿毒症症候群	ピアスカイ(単群)	COMMUTE-a	第Ⅲ相	NCT04861259
			COMMUTE-p	第Ⅲ相	NCT04958265
<b>眼科領域</b>					
SA237/RG6168 「エンズプリング」	甲状腺眼症	エンズプリング vs. プラセボ	SatraGo 1 / SatraGo 2	第Ⅲ相	NCT05987423 NCT06106828

プロジェクト	予定適応症	試験デザイン	試験名	ステージ	臨床試験情報
RG6179 (vamikibart)	非感染性ぶどう膜炎に伴う黄斑浮腫	RG6179(単群)	Sandcat	第Ⅲ相	NCT05642325
RG6321 (ラニビズマブ(PDS))	新生血管を伴う加齢黄斑変性/ 糖尿病黄斑浮腫	RG6321(単群)	-	国内第Ⅰ/Ⅱ相	JRCT2071210073

【自社創製品の臨床試験】 ※開発パイプラインのうち、主要な臨床試験に記載の試験は除く。中外またはロシュ主導の臨床試験のみ記載

プロジェクト	予定適応症	ステージ	被験者数* (2025年3月31日時点)	開発開始時期	臨床試験情報
<b>がん領域</b>					
LUNA18	固形がん	第Ⅰ相	195名	2021年10月	NCT05012618
GC33	肝細胞がん	第Ⅰ相	27名	2008年11月	NCT00746317
		第Ⅰ相	42名	2009年10月	NCT00976170
		国内第Ⅰ相	18名	2010年10月	JRCT2080221218
		第Ⅱ相	185名	2012年5月	NCT01507168
		第Ⅰ相	27名	2016年8月	JRCT2080223270
STA551	固形がん	第Ⅰa/Ⅰb相	160名	2020年3月	2023-508764-30-00
SOF10/RG6440	固形がん	国内第Ⅰ相	66名	2021年6月	JRCT2031200407
		第Ⅰb相	102名	2023年10月	NCT05867121
ALPS12	固形がん	第Ⅰ相	41名	2023年1月	NCT05619744
SAIL66	CLDN6陽性固形がん	第Ⅰ相	231名	2023年4月	NCT05735366
ROSE12	固形がん	第Ⅰa/Ⅰb相	219名	2023年6月	NCT05907980
MINT91	固形がん	第Ⅰ相	122名	2025年4月	JRCT2031240713
<b>免疫疾患領域</b>					
DONQ52	セリアック病	第Ⅰa/Ⅰb相	56名	2022年9月	NCT05425446
		第Ⅰc相	56名	2024年7月	ACTRN12624000316505
RAY121	自己免疫疾患	国内第Ⅰ相(健康成人のみ)	40名	2022年10月	JRCT2071220036
		第Ⅰb相	144名	2024年8月	JRCT2041240035
<b>神経疾患領域</b>					
GYM329/RG6237	顔面肩甲上腕型筋ジストロフィー	第Ⅱ相	48名	2023年3月	NCT05548556

プロジェクト	予定適応症	ステージ	被験者数* (2025年3月31日時点)	開発開始時期	臨床試験情報
SA237/RG6168 「エンズプリング」	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	第II相	50名	2025年4月	NCT06450639
<b>血液疾患領域</b>					
SKY59/RG6107 「ピアスカイ」	鎌状赤血球症	第IIa相	90名	2022年3月	NCT05075824
		第Ib相	30名	2022年3月	NCT04912869
NXT007/RG6512	血友病A	国内第I/II相	106名	2019年8月	jRCT2080224835
		国内第I相(健康成人のみ)	30名	2022年5月	jRCT2031220050
		第I/II相	60名	2023年10月	NCT05987449
<b>その他の領域</b>					
AMY109	子宮内膜症	国内第I相	100名	2018年10月	jRCT2080223785
		第II相	120名	2024年1月	ISCTRN15654320
REVN24	急性疾患	国内第I相(健康成人のみ)	210名	2023年10月	jRCT2071230074
BRY10	慢性疾患	国内第I相(健康成人のみ)	72名	2024年9月	jRCT2051240123
RAY121	-	第I相(健康成人のみ)	36名	2025年3月	2024-515151-38-00
GYM329/RG6237	肥満症	第I相	30~36名	2024年5月	—

\*被験者数は公開情報に基づいて掲載しており、原則、予定もしくは実績を示しています

FoundationOne CDx がんゲノムプロファイル: コンパニオン診断機能の状況 (2025年4月24日現在)

遺伝子変異等	がん種	関連する医薬品
活性型 EGFR 遺伝子変異	非小細胞肺癌	アファチニブマレイン酸塩、エルロチニブ塩酸塩、ゲフィチニブ、オシメルチニブメシル酸塩、ダコミチニブ水和物
EGFR エクソン 20 T790M 変異		オシメルチニブメシル酸塩
ALK 融合遺伝子		アレクチニブ塩酸塩、クリゾチニブ、セリチニブ、ブリグチニブ
ROS1 融合遺伝子		エヌトレクチニブ
MET 遺伝子エクソン 14 スキッピング変異		カブマチニブ塩酸塩水和物
BRAF V600E 及び V600K 変異	悪性黒色腫	ダブラフェニブメシル酸塩、トラメチニブ ジメチルスルホキシド付加物、ベムラフェニブ、エンコラフェニブ、ビニメチニブ
ERBB2 コピー数異常 (HER2 遺伝子増幅陽性)	乳癌	トラスツズマブ(遺伝子組換え)

AKT1 遺伝子変異		カピバセルチブ
PIK3CA 遺伝子変異		
PTEN 遺伝子変異		
KRAS/NRAS 野生型	結腸・直腸癌	セツキシマブ(遺伝子組換え)、パニツムマブ(遺伝子組換え)
高頻度マイクロサテライト不安定性		ニボルマブ(遺伝子組換え)
高頻度マイクロサテライト不安定性	固形癌	ペムブロリズマブ(遺伝子組換え)
腫瘍遺伝子変異量高スコア		ペムブロリズマブ(遺伝子組換え)
NTRK1/2/3 融合遺伝子		エヌトレクチニブ、ラロトレクチニブ硫酸塩、レポトレクチニブ
RET 融合遺伝子		セルペルカチニブ
BRCA1/2 遺伝子変異	卵巣癌	オラパリブ
BRCA1/2 遺伝子変異	前立腺癌	オラパリブ、タラゾパリプトシル酸塩
FGFR2 融合遺伝子	胆道癌	ペミガチニブ

\*下線: 現在申請中のコンパニオン診断機能および対応薬剤

FoundationOne Liquid CDx がんゲノムプロファイル: コンパニオン診断機能の状況 (2025 年 4 月 24 日現在)

遺伝子変異等	がん種	関連する医薬品
活性型 EGFR 遺伝子変異	非小細胞肺癌	アファチニブマレイン酸塩、エルロチニブ塩酸塩、ゲフィチニブ、オシメルチニブメシル酸塩
EGFR エクソン 20 T790M 変異		オシメルチニブメシル酸塩
ALK 融合遺伝子		アレクチニブ塩酸塩、クリゾチニブ、セリチニブ
ROS1 融合遺伝子		エヌトレクチニブ
MET 遺伝子エクソン 14 スキッピング変異		カプマチニブ塩酸塩水和物
NTRK1/2/3 融合遺伝子	固形癌	エヌトレクチニブ
BRCA1/2 遺伝子変異	前立腺癌	オラパリブ