

FT 指定のタイミング: 最近の製品、CBER (遺伝子/細胞療法、ワクチン)

製品	適応症	付与日	段階
EryDex System (Quince) (リン酸デキサメタゾンナトリウムを患者自身の赤血球に封入し、その後再輸注)	毛細血管拡張性運動失調症 (コルチコステロイドの有効性を維持しながら、慢性コルチコステロイド療法に伴う重大な有害事象を軽減・排除するように設計されている)	6/3/2024	第 3 相ビボタル試験が開始された。以前の第 3 相のデータが有望な有効性を示した。
VCN-01 (Theriva) (腫瘍溶解性ウイルス) ゲムシタビンおよび nab- パクリタキセルとの併用	転移性膵臓腺癌	5/23/2024	第 2b 相 (2022 年第 4 四半期に開始)。2022 年 2 月、独立データモニタリング委員会は、反復投与の可能性の最初のエビデンスとして第 2b 相試験の継続を推奨した。
ECUR-506 (iECURE) (遺伝子編集療法)	新生児期発症オルニチン トランスカルバミラーゼ (OTC) 欠損症	5/7/2024	前臨床結果に基づいている。FIH 第 1/2 相試験で現在積極的に被験者を登録中。
LX2006 (Lexeo) (AAV ベースの遺伝子治療)	フリードライヒ運動失調症による心筋症	4/16/2024	「利用可能な前臨床データ」に基づいている。
IDP-023 (Indapta) (同種 g-NK 細胞療法)	非ホジキンリンパ腫とミエローマ	2/29/2024	第 1 相試験。初期第 1 相データは 2024 年後半に発表予定。
CABA-201 (Cabaletta) (CAR-T 細胞療法) (2 件の FT 指定)	皮膚筋炎の疾患活動性の改善および全身性硬化症の関連臓器機能障害の改善	1/8/2024	第 1/2 相試験 4 件 (9 つのコホート) (皮膚筋炎対象試験を含む)。皮膚 / 臓器コホートを対象とした前臨床試験において、IND 承認を取得。
SurVaxM (MimiVax)	新たに診断された神経膠芽細胞腫	10/13/2023	第 2a 相 SURVIVE 試験の結果に基づいている。
AlloNK (Artiva) (AB-101) リツキシマブまたはオビヌツズマブとの併用 (OTS 同種ナチュラルキラー細胞ベースの治療)	ループス腎炎	2/22/2024	現在、標準治療に反応しない / 標準治療後に再発したループス腎炎患者を対象とした第 1 相非盲検試験の実施中。
CAN-3110 (Candel)(HSV-1 腫瘍溶解性ウイルス免疫療法)	再発性高悪性度神経膠腫	2/13/2024	研究者主導の第 1b 相試験: 発表された試験で、単回注射後の予想 OS 中央値は、この治療抵抗性疾患におけるこれまでの報告では 6 ~ 9 か月未満であったのに対し、ほぼ 2 倍になり、約 12 か月に達したことがわかった。CAN-3110 群の生存期間は 14 か月を超えた。
吸入 KB707 (Krystal) (ヒト IL-12 と IL-2 をコードする遺伝子を腫瘍微小環境に送達する改変 HSV-1 ベクター)	標準治療に再発・難治性を示した肺転移を伴う固形腫瘍	2/13/2024	厳密な同系マウスモデルの PC データに基づいている。
UV1 (Ultimovacs) イビリムマブ/ニボルマブとの併用 (がんワクチン)	切除不能悪性胸膜中皮腫患者の治療	2/5/2024	IPI または Nivo 免疫療法にワクチンを追加使用した場合に OS が改善したことを示した、無作為化第 2 相試験の結果に基づいている。
BST02 (Biosyngen) (TIL 細胞療法)	肝細胞癌および胆管癌を含む局所進行肝癌の全生存率の改善	2/1/2024	前臨床データに基づいていると思われる。FDA は 2023 年 10 月に第 1/2 相試験に対して IND を承認した。
KYV-101 (Kyverna) (自家 CAR-T 細胞療法)	難治性進行性多発性硬化症	1/19/2024	第 1 相試験。2024 年 1 月 4 日、同社は難治性進行性多発性硬化症患者を対象とした第 2 相試験に対する FDA の IND 承認を発表した。
LX2020 (Lexeo) (AAV ベースの遺伝子治療)	PKP2 不整脈源性心筋症 (ACM)	12/18/2023	前臨床データに基づいていると思われる。ファストトラックの発表で「第 1/2 相試験の計画」について説明した。
KYV-101 (Kyverna) (自家 CAR-T 細胞療法)	難治性重症筋無力症	12/13/2023	ループス腎炎を対象とした第 1 相 KYSA-1 試験 (米国) および第 1/2 相 KYSA-3 試験 (ドイツ) によって裏付けられていると思われる。2023 年 11 月、Kyvera は、重症筋無力症を対象とした第 2 相非盲検試験で使用する KYV-101 について、FDA の IND 承認を取得した。 自己免疫疾患における KY-101 の可能性を強調した、患者 20 名を対象とした第 1/2 相オンコロジー試験によって裏付けられていると思われる。
SGT-003 (Solid) (合理的に設計されたカプシドを用いて短縮型のジストロフィンタンパク質をコードする DNA 配列を送達する遺伝子治療)	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	12/7/2023	前臨床データに基づいていると思われる。それぞれ患者 3 名以上を対象に 2 つのコホートで 1 回の静脈内注入を実施する第 1/2 相 FIH 試験の計画に対して、2023 年 11 月に FDA の IND 承認を取得した。
CG0070 (CG Oncology) (腫瘍溶解性免疫療法) (BTD 指定と同時にファストトラック指定を発表)	高リスクの BCG (がん) 不応性の上皮内癌を伴う筋層非浸潤性膀胱癌 (Ta または T1 (乳頭状) 腫瘍の有無を問わない)	12/5/2023	最低 3 か月の追跡調査で有効性の評価が可能な患者 (n=66) を対象とした第 3 相 BOND-003 単群試験の中間解析 (2023 年 11 月 30 日発表) に基づいていると思われる。 - 治療を受けた患者の完全奏効 (CR) 率は、いずれの時点でも 75.7% (66 名中 50 名) であった。 3 か月および 6 か月のランダム CR 率はそれぞれ 68.2% (66 名中 45 名) および 63.6% (66 名中 42 名) であった。
ANPD001 (Aspen) (個別化自家細胞療法)	パーキンソン病の運動機能の改善 (失われたドーパミンニューロンの補充により)	10/19/2023	前臨床 IND 有効化試験に基づいていると思われる。 FT の発表時点で、同社は、臨床試験用の細胞のスクリーニング、登録、製造開始を行う 2022 年のトライアルレディスクリーニングコホート試験に続いて、患者 (中等度から重度の PD) を対象とした最初の第 1/2a 相試験の計画を詳述した。
DOC1021 (Diakonon Oncology) (樹状細胞ワクチン)	神経膠芽細胞腫	10/15/2023	第 1 相試験の「肯定的な予備的」安全性および有効性データに基づいている。
BRG01 (Biosyngen) (養子免疫細胞療法)	エプスタイン・バーウイルス陽性再発・難治性上咽頭癌	07/26/2023	第 1 相試験。
KB707 (Krystal) (腫瘍内) (ヒト IL-12 と IL-2 をコードする遺伝子を腫瘍微小環境に送達する改変 HSV-1 ベクター)	抗 PD-1 再発・難治性局所進行性または転移性黒色腫患者の治療における疾患進行の遅延	7/17/2023	前臨床データに基づいていると思われる (同社は当時、2023 年後半に最初の患者への投与を予定していると発表していた)。
Reqorsa (Genprex) (遺伝子治療) テセントリクとの併用	進展期の小細胞肺癌	07/11/2023	2023 年第 3 四半期に第 1/2 相試験の登録を開始予定。
KYV-101 (Kyverna) (CAR-T 細胞療法)	難治性ループス腎炎	07/01/2023	第 1 相試験の被験者を積極的に登録中 (米国)、ループス腎炎を対象としたドイツの第 1/2 試験の CTA を申請済み。 また、自己免疫疾患における KY-101 の可能性を強調した、患者 20 名を対象とした第 1/2 相オンコロジー試験によって裏付けられていると思われる。
Neisseria-gonorrhoea ワクチン (GSK)	淋病の予防	06/07/2023	第 1 相の健康なボランティアを対象とした用量漸増安全性導入試験に基づいていると思われる。第 2 相 POC 試験が進行中。
TN-201 (Tenaya) (AAV ベースの遺伝子治療)	ミオシン結合タンパク質 C3 関連 (変異) 肥大型心筋症の治療	05/02/2023	前臨床試験に基づいていると思われる。2023 年 1 月に IND に承認された。
CABA-201 (Cabaletta) (CAR-T 細胞療法)	全身性エリテマトーデス	05/1/2023	第 1/2 相試験を開始。
RGX-202 (RegenexBio) (遺伝子治療)	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	04/11/2023	第 1/2 相試験の被験者募集中。
CB-011 (Caribou) (同種 CAR-T 細胞療法)	再発・難治性多発性骨髄腫	04/04/2023	指定時期の前後に投与された最初の患者の前臨床データに基づいていると思われる。
AB-101 (Artiva) (同種 NK 細胞ベースの治療) リツキシマブとの併用	B 細胞起源の再発・難治性非ホジキンリンパ腫	1/31/2023	第 1/2 相試験。