

Gene Therapy Research Institution Co., Ltd.

株式会社遺伝子治療研究所

会社概要

創 立 2014年5月16日
 本社所在地 川崎市川崎区殿町3-25-22
 代 表 者 浅井 克仁
 会社 情報 <https://www.genetherapy-ri.com/>

株式会社遺伝子治療研究所は、アデノ随伴ウイルス(AAV)ベクターを利用した遺伝子治療の開発を主たる事業目的として、2014年5月に設立された。

AAVベクターを利用した遺伝子治療は、特に中枢神経疾患・筋肉疾患の治療においては、単回投与で長期間に渡り効果が持続し、安全性が高いという特徴を有している。

当社では、対症療法のみで根本的な治療薬のない孤発性ALS(筋萎縮性側索硬化症)、パーキンソン病、AADC欠損症、脊髄小脳失調症(1型)、ティ-サックス病、アルハイマー病等の神経変性疾患、先天性代謝疾患を含む単一遺伝子病等、豊富なパイプラインの遺伝子治療開発に取り組んでおり、2023年4月時点でこれらのうち3品目が治験段階で、2025年には国内製造販売承認取得を目指している。

		POC		Regulatory Procedure				Commercial Rights		
		With mouse	With human	CMC	Pre-clinical	Ph1/2	Ph3	JP	US EU	RoW
GT0001X	ALS (孤発性)	▶		█	▶	▶		Gene Therapy Research Institution		
GT0002X	AADC欠損症	▶	▶	█	▶	▶		Gene Therapy Research Institution *		
GT0002X	パーキンソン病 (AADC)	▶	▶	█	▶	▶		Gene Therapy Research Institution EU (joint) Joint		
GT0003X	パーキンソン病 (3種酵素)	▶		█	▶			Gene Therapy Research Institution		
GT0004X	脊髄小脳失調症1型	▶		█	▶			Gene Therapy Research Institution		
GT0005X	ティ-サックス病	▶		█	▶			Gene Therapy Research Institution		
GT0006X	GLUT1欠損症	▶		█	▶			Gene Therapy Research Institution		
GT0007X	アルツハイマー病	▶		█	▶			Gene Therapy Research Institution		
GT0008X	OTC欠損症	▶		█	▶			Gene Therapy Research Institution		
GT0009X	ニーマンピック病C型	▶		█	▶			Gene Therapy Research Institution		
GT0010X	脊髄損傷	▶		█	▶			Gene Therapy Research Institution		
GT0011X	難治性てんかん	▶		█	▶			Gene Therapy Research Institution		
GT1001X	髄腔内投与用カテーテル							Gene Therapy Research Institution		
GT1002X	脳内投与用カテーテル							Gene Therapy Research Institution		

*PTC社とのライセンスオプション契約