



パーキンソン病を対象とした遺伝子治療用製品「GT0003X」の
厚生労働省「先駆的再生医療等製品指定制度」対象品目への指定に関するお知らせ

2026年6月8日
株式会社 ONODERA GT Pharma

株式会社 ONODERA GT Pharma（以下「当社」）は、当社が開発中のパーキンソン病を対象とした遺伝子治療用製品「GT0003X」について、本日、厚生労働省より「先駆的再生医療等製品指定制度」の対象品目として指定を受けましたのでお知らせいたします。

1. 指定の概要

- 対象品目 : 遺伝子治療用製品「GT0003X」
- 対象となる疾患 : パーキンソン病
- 指定番号 : (R8 先駆再) 第5号

2. 「GT0003X」について

GT0003Xは、アデノ随伴ウイルス（AAV）ベクターを用いて、ドパミン合成に不可欠な3種の酵素（AADC、GCH、TH）の遺伝子を脳内の特定の部位に直接導入する、画期的な遺伝子治療用製品です。従来の治療法では、レボドパ製剤等の服用に伴う「オン・オフ現象^{*1}」や長期服用に伴う「ウェアリング・オフ現象^{*2}」、副作用（不随意運動等）が課題となっていました。GT0003Xは、脳内での持続的なドパミン合成能力を回復させることでこれらの課題を解決し、患者様はもとより、そのご家族の生活の質（QOL）の抜本的な改善のみならず、介助者の皆様の負担を軽減できる可能性があります。

3. 先駆的再生医療等製品指定制度とは

世界に先駆けて日本で開発され、早期の実用化が待望される革新的な医薬品・医療機器等について、独立行政法人医薬品医療機器総合機構（PMDA）による優先的な相談・審査を行い、承認までの期間を短縮することを目指す制度です。

4. 今後の見通し

当社独自の、3種の酵素を同時に導入し、脳内でドパミンを自律的に合成させる当社の独自技術が、この度「先駆的再生医療等製品指定制度」の対象として公的に評価されたことを大変光栄に思います。今回の指定は、本製品の画期性と、パーキンソン病治療における新たな選択肢としての可能性を認めていただいたものと受け止めております。

当社は、厚生労働省及びPMDAとの密接な連携のもと、優先相談・優先審査の枠組みを最大限に活用し、GT0003Xの再生医療等製品に対する条件及び期限付承認制度を活用した再生医療等製品としての製造販売の承認申請に向けた開発を加速させてまいります。患者様とそのご家族の期待に応えるべく、一日も早い実用化を目指して取り組んでまいります。

5. 株式会社 ONODERA GT Pharma について

当社は、「遺伝子治療の革新で、未来を豊かに。」を Purpose（存在意義）として掲げ、難治性疾患に対する革新的な遺伝子治療薬の開発を行うバイオテクノロジー企業です。国際戦略拠点である川崎市殿町地区（キングスカイフロント）において、独自の AAV ベクター技術を用いたパイプラインの開発を推進し、世界の医療の未来に貢献することを目指しています。

【会社概要】

- 社名 : 株式会社 ONODERA GT Pharma
- 所在地 : 神奈川県川崎市川崎区殿町三丁目 25 番地 22 号
- 代表者 : 代表取締役社長執行役員 佐久間 陽介
- 設立 : 2014 年 5 月 16 日
- 事業内容 : 遺伝子治療用製品の研究・開発
- URL : <https://onodera-gtp.com/>

以上

■注釈

*1：オン・オフ現象：パーキンソン病の症状が薬の効果で抑えられている状態（オン現象）と、薬の効果が見られない状態（オフ現象）が、突然切り替わる現象

*2：ウェアリング・オフ現象：薬を長期間服用し続けることにより、徐々に効果の持続時間が短くなる現象

■本件に関するお問い合わせ先

株式会社 ONODERA GT Pharma

管理部（広報）

電話 : 044-400-1290

E-mail : press@onodera-gtp.com