

No.	疾患名（和名）	疾患名（英語名）	疾患分類(参考)	モダリティ
1	低ホスファターゼ症	Hypophosphatasia	代謝・内分泌疾患	細胞医療
2	低ホスファターゼ症	Hypophosphatasia	代謝・内分泌疾患	遺伝子治療
3	オルニチントランスカルバミラーゼ欠損症	Ornithine transcarbamylase (OTC) deficiency	代謝・内分泌疾患	遺伝子治療
4	グルコーストランスポーター 1 欠損症	GLUT1 deficiency syndrome	代謝・内分泌疾患	遺伝子治療
5	ムコ多糖症Ⅱ型	Mucopolysaccharidosis type II (MPS II)	代謝・内分泌疾患	遺伝子治療
6	先天性食道閉鎖・狭窄症	Congenital esophageal atresia and stenosis	消化器疾患	細胞医療
7	造血細胞移植後の難治性アデノウイルス感染症	Refractory adenovirus infection following hematopoietic stem cell transplantation	感染症	細胞医療
8	IKAROS欠損症	IKAROS deficiency	免疫疾患	遺伝子治療
9	栄養障害型表皮水疱症	Dystrophic epidermolysis bullosa	皮膚疾患	遺伝子治療
10	拡張型心筋症	Dilated cardiomyopathy	循環器疾患	遺伝子治療
11	拘束型心筋症	Restrictive cardiomyopathy	循環器疾患	遺伝子治療
12	福山型筋ジストロフィー	Fukuyama congenital muscular dystrophy	神経・筋疾患	遺伝子治療
13	脳内鉄沈着神経変性症	Neurodegeneration with brain iron accumulation	神経変性疾患	遺伝子治療

※同一疾患、同一モダリティであっても、開発者等が異なる治療法については、個別に付番している。

※疾患分類、モダリティについては、事務局で整理したもの。