

公開講演

—我が国の難病疾患の遺伝子治療体制確立に向けて—

# 第1回 国際協力遺伝病遺伝子治療フォーラム

1st International Collaborative Forum of Human Gene Therapy for Genetic Diseases

開催日：平成 23 年 1 月 26 日 (水) 13:00-19:00

会場：女性と仕事の未来館

〒108-0014 東京都港区芝5丁目 35-3

Tel. 03-5444-4151 FAX: 03-5444-4152

参加費：無料

総合司会 奥山虎之 (国立成育医療研究センター)

● 挨拶 13:00~13:45

フォーラム実行委員長 衛藤義勝 (東京慈恵会医科大学)  
厚生労働省健康局疾病対策課 課長 難波 吉雄  
日本遺伝子治療学会 理事長 金田 安史 (大阪大学)

● 講演：欧米における遺伝子治療体制 13:45~14:30

司会 小澤 敬也 (自治医科大学)  
『遺伝子治療における我が国と欧米との違い』  
小野寺 雅史 (国立成育医療研究センター)

● 講演：ヨーロッパにおける遺伝治療体制 14:30~16:10

司会 小野寺 雅史 ((国立成育医療研究センター) 大橋十也 (東京慈恵会医科大学)

◆イタリア

『Hematopoietic stem cell gene therapy for primary immunodeficiencies』  
Dr. Alessandro Aiuti, HSR-TIGET, Milano and University of Rome Tor Vergata

◆フランス

『cGMP production of clinical grade vectors at Genethon: current and prospective applications for the gene therapy of monogenic diseases』

Dr. Mehdi Gasmi, VP Product Development and Manufacturing, Genethon  
Dr. A. Galy, Head of Molecular Immunology, Inserm/Genethon

● 講演：米国における遺伝子治療体制 16:20~17:00

司会 島田 隆 (日本医科大学)  
Genzyme Corporation

● 講演：企業での遺伝子治療創薬 17:00~17:40

司会 藤本 純一郎 (国立成育医療研究センター)  
『タカラバイオにおける遺伝子治療臨床開発の現状について』  
峰野 純一 (タカラバイオ)  
『遺伝子治療の Regulation』  
山口 照英 (医薬品医療機器総合機構 / 国立医薬品食品衛生研究所)

● 講演：我国の難病研究の現状と将来 17:40~18:10

司会 衛藤義勝 (東京慈恵会医科大学)  
岡本充功 衆議院議員 (厚生労働省大臣政務官)

● 総合討論：今後の展望 18:10~18:50

司会 小野寺 雅史、奥山 虎之、衛藤 義勝  
Commentator: 藤本純一郎・大橋 十也・島田 隆

主催：厚生労働省難治性疾患調査研究班ライソソーム病調査研究班 (衛藤班)

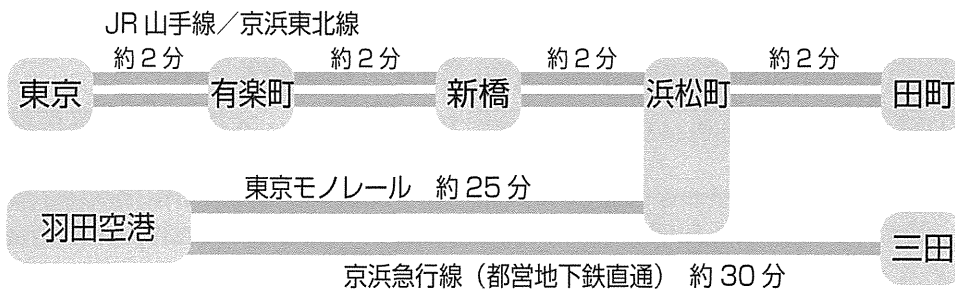
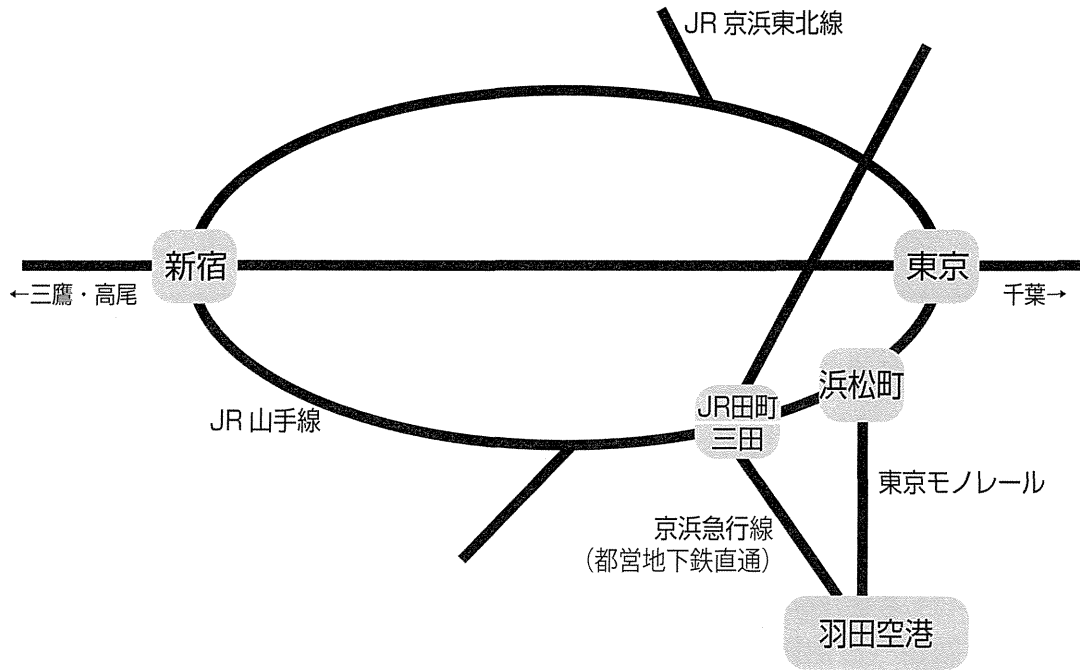
国際協力遺伝病遺伝子治療フォーラム実行委員会

共催：厚生労働科学研究費補助金 (難治性疾患克服研究事業) (小野寺班)

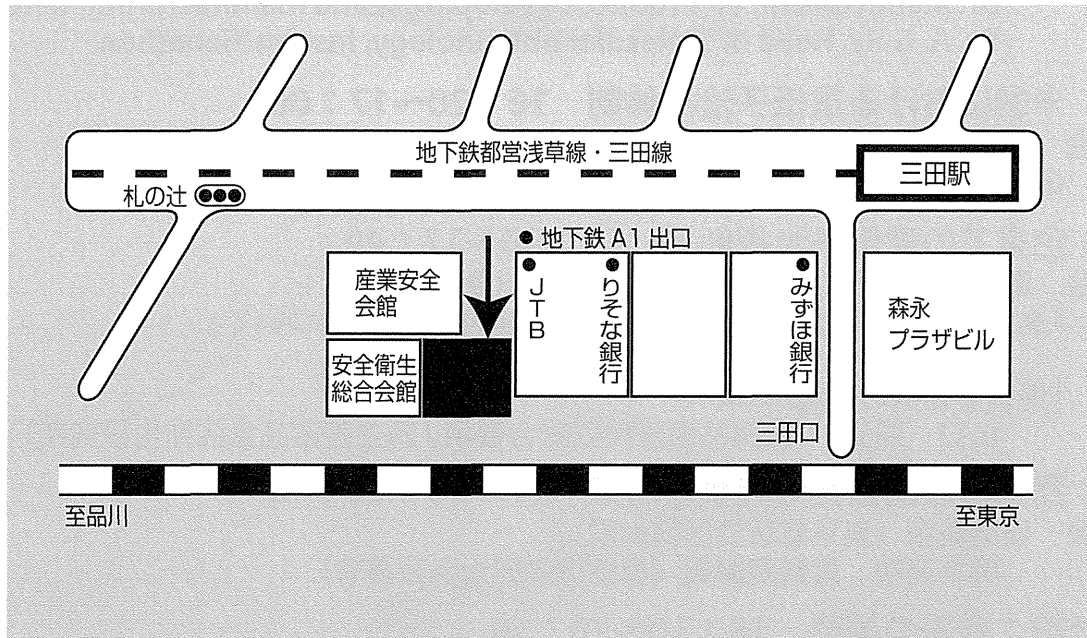
厚生労働科学研究費補助金 (医療技術実用化総合研究事業) (奥山班)

後援：NPO 法人日本ライソソーム病研究センター

# 女性と仕事の未来館



※乗り継ぎ時間は含みません。



〒108-0014 東京都港区芝 5-35-3 TEL : 03-5444-4151 FAX : 03-5444-4152  
 JR 田町駅三田口 (西口) から徒歩 3 分  
 地下鉄 (都営浅草線、都営三田線) 三田駅  
 A1 出口から徒歩 1 分

# 第2回国際協力 遺伝病遺伝子治療フォーラム

日時：2012年1月19日（木曜日）

場所：女性就業支援センター（東京都港区芝5-35-3）

## 13:00 ■ 開催挨拶 ■

小野寺雅史（国立成育医療研究センター）  
山本 尚子（厚生労働省健康局疾病対策課 課長）  
小澤 敬也（日本遺伝子治療学会 副理事長）

## 13:25 ~ 14:05 ■ 特別講演 1：海外での遺伝子治療 ■

司会 島田 隆（日本医科大学）  
Prof. N. Cartier (Hospital Saint-Vincent de Paul-University Paris)

## 14:05 ~ 14:45 ■ 特別講演 2：海外での遺伝子治療 ■

司会 小野寺雅史（国立成育医療研究センター）  
Dr. Joong Gon Kim

## 14:45 ~ 15:25 ■ 特別講演 3：海外での遺伝子治療 ■

司会 小澤 敬也（自治医科大学）  
Gene Therapy for Macular Degeneration by AAV vector  
Dr. Abraham Scaria (Genzyme)

## 15:40 ~ 16:40 ■ 臓器別遺伝子治療 1 ■

司会 遠藤 文夫（熊本大学）・河合 利尚（国立成育医療研究センター）  
1. 骨形成不全を呈する致死型低ファスファターゼ症の遺伝子治療  
島田 隆先生（日本医科大学）  
2. 骨髄間葉系幹細胞による皮膚再生機序を利用した表皮水疱症治療  
玉井 克人先生（大阪大学）

## 16:40 ~ 17:40 ■ 臓器別遺伝子治療 2 ■

司会 山口 照英（医薬品医療機器総合機構）・大橋 十也（東京慈恵会医科大学）  
3. 網膜色素変性に対する視細胞保護遺伝子治療  
池田 康博先生（九州大学）  
4. 筋ジストロフィーに対するエクソン・スキップ療法の現状と未来  
武田 伸一先生（国立精神神経医療研究センター）

## 17:40 ~ 18:10 ■ 患者会から ■

司会 金田 安史（大阪大学）・藤本純一郎（国立成育医療研究センター）  
1. 本間りえ様（ALD 親の会代表）  
2. 小林信秋様（難病のこども支援全国ネットワーク）  
3. 川元正司様（MPS 親の会）

## 18:10 ~ 18:30 ■ 総合討論 ■

司会 衛藤 義勝先生（東京慈恵会医科大学）

## 18:30 ■ 閉会の挨拶 ■

衛藤 義勝（代表幹事）

主催：厚生労働省難治性疾患調査研究班ライソゾーム病調査研究班（衛藤班）  
国際協力遺伝病遺伝子治療フォーラム実行委員会  
共催：厚生労働科学研究費補助金（難治性疾患克服研究事業）（小野寺班）  
厚生労働科学研究費補助金（医療技術実用化総合研究事業）（奥山班）  
後援：NPO 法人日本ライソゾーム病研究センター

# 第3回国際協力 遺伝病遺伝子治療フォーラム

日時：2013年1月17日(木) 13:00-18:30

会場：女性就業支援センター  
(東京都港区芝 5-35-3 Tel.:03-5444-4151)

参加費  
無料

[http://www.jikei-idennbyou.jp/3rd\\_gt-forum.html](http://www.jikei-idennbyou.jp/3rd_gt-forum.html)

総合司会：小林 博司 (東京慈恵会医科大学 DNA 医学研究所)

## 第1部：神経難病に対する遺伝子治療臨床研究の現状

13:15-15:00

座長：大橋 十也 (東京慈恵会医科大学 DNA 医学研究所)

奥山 虎之 (国立成育医療研究センターライソゾーム病センター)

『Clinical trial of intra-cerebral gene therapy for lysosome storage diseases』  
Karen Aiach (CEO/Founder Lysogene)

『Hematopoietic stem cell gene therapy for lysosomal storage disorders』  
Alessandra Biffi (The San Raffaele Telethon Institute for Gene Therapy (TIGET))

## 第2部：遺伝子治療臨床研究の今

15:10-16:00

座長：遠藤 文夫 (熊本大学大学院医学薬学研究部小児科学分野)

藤本 純一郎 (国立成育医療研究センター臨床研究センター)

『慢性肉芽腫症の遺伝子治療 日本における取り組み』

小野寺雅史 (国立成育医療研究センター 成育遺伝研究部長)

『アデノ随伴ウイルスベクターによる血友病Bの遺伝子治療』

Friedrich Scheiflinger (PhD, Vice President, Global Biologics Research, Baxter)

## 第3部：シンポジウム「遺伝性希少疾患に対する遺伝子治療の実施に向けて —国際共同治験体制をいかに構築していくか—」

16:00-18:30

司会：衛藤 義勝 (東京慈恵会医科大学遺伝病研究講座)

小野寺 雅史 (国立成育医療研究センター成育遺伝研究部)

『国内外の遺伝子治療臨床研究に関する審査体制の違いについて』

島田 隆 (日本医科大学学生化学)

『国内外の遺伝子治療に関する指針及びICH 遺伝子治療専門家会議について』

内田 恵理子 (国立医薬品食品衛生研究所遺伝子細胞医薬品第一室)

『我が国の遺伝子治療治験に関する手続きについて』

PMDA (予定)

『欧州の遺伝子治療治験に関する手続きについて』

Lysogene 社 (予定)

『遺伝子治療関係の開発を行った企業からの提言・その1』

タカラバイオ社 (予定)

『遺伝子治療関係の開発を行った企業からの提言・その2』

アンジェス MG 社 (予定)

主催：

国際協力遺伝病遺伝子治療フォーラム実行委員会

厚生労働科学研究費「難治性疾患等克服研究事業 (代表：衛藤義勝)」

厚生労働科学研究費「成育疾患克服等次世代育成基盤研究事業 (代表：小野寺雅史)」

厚生労働科学研究費「政策創薬マッチング研究事業 (代表：奥山虎之)」

後援：

NPO 法人日本ライソゾーム病研究センター・

日本遺伝子治療学会・日本先天代謝異常学会

食細胞機能異常症研究会

# 第4回国際協力遺伝病遺伝子治療フォーラム

4th International Collaborative Forum of Human Gene Therapy for Genetic Diseases

会場：東京慈恵会医科大学大学一号館講堂 〒100-5184 東京都港区西新橋三丁目二五番八

日時：平成二十六年一月一六日（木曜日）一三時～一八時三〇分

参加費：三〇〇〇円

当番幹事：東京慈恵会医科大学 大橋十也

PROGRAM  
&  
ABSTRACTS

# プログラム

総司会 小林博司 (東京慈恵会医科大学)

## 13:00 ~ 13:20 挨拶

東京慈恵会医科大学 大橋十也  
厚生労働省健康局疾病対策課長 田原克志  
内閣官房副長官 加藤勝信

## 13:20 ~ 14:20 第一部 本邦の遺伝子治療臨床研究の今

司会 島田 隆 (日本医科大学)

山口照英 (医薬品医療機器総合機構 / 国立医薬品食品衛生研究所)

### 国際共同研究に基づく遺伝子治療の治験実施を目指して

小野寺雅史 (国立成育医療研究センター)

### 網膜色素変性に対する視細胞保護遺伝子治療

池田康博 (九州大学)

### 表皮水疱症に対する間葉系幹細胞移植治療

玉井克人 (大阪大学)

## 14:30 ~ 16:00 第二部 副腎白質ジストロフィー症の遺伝子治療の臨床研究と治験

司会 大橋十也 (東京慈恵会医科大学)

### Gene therapy for rare CNS and cardiac diseases come to age

Patrick Aubourg (University Paris-Sud)

司会 奥山虎之 (国立成育医療センター)

### ELA, an association of patients at the heart of the fight against the disease

Guy Alba (The European Leukodystrophies Association (ELA))

## 16:00 ~ 17:30 第三部 遺伝子治療企業の取り組み

司会 藤本純一郎 (国立成育医療研究センター)

小野寺雅史 (国立成育医療研究センター)

### 造血幹細胞遺伝子治療の進展

峰野純一 (タカラバイオ株式会社)

### ウイルス工学の進歩が可能にする難病への挑戦：センダイウイルスのケース

長谷川護 (ディナベック株式会社)

司会 小澤敬也 (自治医科大学)

### Glybera: the successful regulatory approval process in Europe and planning steps to approach areas outside the EU

Harald Petry (uniQure)

## 17:30 ~ 18:30 第四部 特別講演

司会 衛藤義勝 (脳神経疾患研究所 / 東京慈恵会医科大学)

### Towards a Gene Therapy for Neurological and Somatic MPSIIIA

Fátima Bosch (Universidad Autónoma de Barcelona, Spain)

## 閉会の挨拶

日本遺伝子治療学会理事長 金田安史 (大阪大学)

# Program

Moderator: Hiroshi Kobayashi (The Jikei University School of Medicine)

## 13 : 00 ~ 13 : 20 Greetings

Toya Ohashi (The Jikei University School of Medicine)

Katsushi Tahara

(Director, Specific Disease Control Division Health Service Bureau, Ministry of Health, Labour and Welfare)

Katsunobu Kato (Deputy Chief Cabinet Secretary)

## 13 : 20 ~ 14 : 20 The current status of clinical gene therapy in Japan

Chairman: Takashi Shimada (Nippon Medical School)

: Shouei Yamaguchi (PMDA)

### Toward implementation of gene therapy clinical trials based on international collaboration

Masafumi Onodera (National Center for Child Health and Development)

### Phase I clinical study of a third-generation simian immunodeficiency virus (SIV)-based lentiviral vector carrying human pigment epithelium-derived factor (PEDF) gene for patients with retinitis pigmentosa

Yashuhiro Ikeda (Graduate School of Medical Sciences, Kyushu University)

### Allogeneic mesenchymal stem cell transplantation for epidermolysis bullosa

Katsuto Tamai (Graduate School of Medicine, Osaka University)

## 14 : 30 ~ 16 : 00 Clinical study of gene therapy for adrenoleukodystrophy (ALD)

Chairman: Toya Ohashi (The Jikei University School of Medicine)

### Gene therapy for rare CNS and cardiac diseases come to age

Patric Aubourg (Paris-Sud.)

Chairman: Torayuki Okuyama (National Center for Child Health and Development)

### ELA, an association of families which is central to the fight against leukodystrophies

Guy Alba (The European Leukodystrophies Association [ELA], France)

## 16 : 00 ~ 17 : 30 The effort of biotechnology company

Chairman: Junichiro Fujimoto (National Center for Child Health and Development)

: Masafumi Onodera (National Center for Child Health and Development)

### Development of hematopoietic stem cell gene therapy

Junichi Mineno (Takara Bio co-ltd.)

### Fighting against intractable diseases through advancing virus engineering: Cases with Sendai virus

Mamoru Hasegawa (DNAVEC Corporation)

Chairman: Keiya Ozawa (Jichi Medical University)

### Glybera: the successful regulatory approval process in Europe and planning steps to approach areas outside the EU

Harald Petry (uniQure)

## 17 : 30 ~ 18 : 30 Special Lecture

Chairman: Yoshikatsu Eto (Advanced Clinical Research Center, Institute of Neurological Disorders/ The Jikei University School of Medicine)

### Towards a gene therapy for neurological and somatic MPS IIIA

Fatima Bosch (Universitat Autònoma de Barcelona)

## Closing remark

Yasufumi Kaneda (The President of Japan Society of Gene Therapy, Osaka University)

