

第9回国際協力 遺伝病遺伝子治療フォーラム

会期：2019年1月17日(木曜日)

会場：東京慈恵会医科大学大学1号館 講堂(3階)

〒105-8461 東京都港区西新橋3-25-8

総合司会：小林 博司

アナウンス：三輪 沙織

プログラム

09:00-09:15

開会挨拶

大橋 十也 (当番幹事/東京慈恵会医科大学・総合医科学研究センター長)

ご挨拶

加藤 勝信 (自由民主党 総務会長)

09:15-10:15

Genome Editing Session

司会：小野寺 雅史 (国立成育医療研究センター)・鐘ヶ江 裕美 (東京慈恵会医科大学)

1. "Molecular mechanism of CRISPR and structure-based development of genome editing tool toward medical applications"

黒木 理 (東京大学)

2. "Therapeutic potential of genome editing for genetic disorders"

内山 徹 (国立成育医療研究センター)

3. "Regulatory Aspects of gene therapy by gene editing tool"

山口 照英 (日本薬科大学/金沢工業大学)

10:15-11:45

Foreign Biotech Companies I

司会：小林 博司 (東京慈恵会医科大学)・小須賀 基通 (国立成育医療研究センター)

1. "Gene silencing in Huntington's disease"

Sander van Deventer (uniQure)

2. "Advances in *ex vivo* lentiviral gene therapy for Fabry disease"

Nerissa Kreher (Avrobio)

11:45-12:45

企業セミナー

司会：高蔵 晃 (タカラバイオ株式会社)

"Gene transduced cell manufacturing and cell processing facility"

榎谷 育術 (タカラバイオ株式会社)

13:00-14:00

Novel Newborn Screening for Genetic Diseases

司会：奥山 虎之 (国立成育医療研究センター)・久米 晃啓 (自治医科大学)

1. "Newborn screening for lysosomal storage diseases"

奥山 虎之 (国立成育医療研究センター)

2. "Newborn screening for X-linked adrenoleukodystrophy"

真嶋 隆一 (国立成育医療研究センター)

3. "Newborn screening for spinal muscular atrophy"

西尾 久英 (神戸学院大学)

14:00-15:00

Foreign Biotech Companies II

司会：小澤 敬也 (自治医科大学)

1. "Pfizer perspectives on gene therapy

~Now and future to drive transformation for healthier world~

星野 優子 (ファイザーR&D合同会社)

2. "Preclinical assessment of valoctogene roxaparvovec (BMN270)"

Gordon Vehar (BioMarin)

15:00-15:30

Invited Lecture I

司会：山形 崇倫 (自治医科大学)

"Regulation of neural crest fate specification for regenerative medicine"

Ronald J. Parchem (Baylor College of Medicine)

15:30-15:40

Coffee Break

15:40-16:40

Foreign Biotech Companies III

司会：村松 慎一 (自治医科大学)

1. "AVXS-101 gene replacement therapy in spinal muscular atrophy"

Douglas M. Sproule (Avexis)

2. "Shire's liver-targeted AAV gene therapy platform to tackle monogenic rare genetic diseases"

Friedrich Scheiflinger (Shire)

16:40-17:30

Invited Lecture II

司会：大橋 十也 (第9回フォーラム当番幹事/東京慈恵会医科大学)

"Advancing gene therapy strategies for genetic diseases: *ex vivo* gene editing of hematopoietic stem cells and liver-directed gene transfer"

Luigi Naldini (San Raffaele Telethon Institute for Gene Therapy)

17:30-17:40

Coffee Break

17:40-18:10

Evening Seminar

司会：武田 伸一 (国立精神・神経医療研究センター)

"Recent advances of lysosomal storage diseases-Toward to gene therapy"

衛藤 義勝 (脳神経疾患研究所/東京慈恵会医科大学)

18:10-18:30

閉会挨拶

藤堂 真紀 (日本遺伝子細胞治療学会理事長・東京大学医科学研究所)

衛藤 義勝 (次期会長/第10回フォーラム当番幹事)

参加費

一般：3,000円/学生：無料(要・学生証提示)/企業：30,000円

(※)本フォーラムは以下の皆さまを対象としております。

- ・日本遺伝子細胞治療学会や日本先天代謝異常学会の会員等の遺伝子治療に関する研究や医療に従事している方(研究者、医師、看護師、検査技師、遺伝カウンセラーなどの医療関係者)
 - ・遺伝子治療関連医薬品の開発に関係する法人・企業及び団体の方
 - ・遺伝子治療などの先進的医療に関連する行政関係の方(厚生労働省、AMED、PMDAなど)
 - ・先天代謝異常症や免疫不全症など、本フォーラムで対象としている遺伝性疾患の患者家族会に所属しておられる方(参加費無料)
- ◎上記以外でご参加を希望される方は、事前に下記事務局にご相談ください。

第9回フォーラム事務局：東京慈恵会医科大学 総合医科学研究センター

遺伝子治療研究部・小児科学講座・小林博司

電話:03-3433-1111(内線2385) FAX:03-3433-1230 Email:9icforum@jsgt.jp

主催：国際協力遺伝病遺伝子治療フォーラム実行委員会

実行委員長：衛藤 義勝(脳神経疾患研究所/東京慈恵会医科大学)

後援：・厚生労働省難治性疾患等政策研究事業 ライソゾーム病(ファブリー病を含む) 研究代表者：衛藤義勝

・日本医療研究開発機構(AMED)委託費「難治性疾患実用化研究事業」「医薬品等規制調和・評価研究事業」研究開発代表者：小野寺雅史

・日本医療研究開発機構(AMED)委託費 成育疾患克服等総合研究事業—

BIRTH DAY「先進的治療法が確立した新たな成育疾患のスクリーニング法の開発とその適応基準の作成に関する研究」研究代表者：奥山虎之

・日本医療研究開発機構(AMED)委託費「難治性疾患実用化研究事業」「ムコ多糖症II型の造血幹細胞を標的とした遺伝子治療法の実用化研究」研究開発代表者：大橋十也

・NPO法人日本ライソゾーム病研究センター

・日本遺伝子細胞治療学会