

# 3rd DIA Cell and Gene Therapy Products Symposium in Japan

## - Development and Practical Use of Cell and Gene Therapy Products in Japan -

December 13-14, 2018

Day 1: Evolution of Japan Environment for Cell Therapy Products

Day 2: Challenges for Gene Therapy Product Development and Manufacture in Japan

KFC Hall | Ryogoku, Tokyo

Accelerated by new regulatory and legal systems that came into practice in 2013, the development of regenerative medicine in Japan has attracted considerable international attention. Today, research has progressed to the point that many cell therapy products are now entering clinical development by companies both within and outside Japan. This has revealed a number of issues in the development, distribution, and post-market management of these products.

DIA Japan has brought together stakeholders involved in developing cell therapy products, particularly from industry and academia, for our annual *Cell Therapy Products Symposium* since 2016. Its mission then, as it is now, is to exchange insights and ideas with relevant regulatory and other government authorities in order to deepen mutual understanding and resolve issues of concern about these products. Our third annual offering adds gene therapy products to its agenda, reflecting scientific progress in this area as well as requests from these stakeholders, and has been renamed as our *Cell and Gene Therapy Products Symposium*.

In the keynote lecture, Professor Jun Takahashi of Kyoto University will talk about product development with induced pluripotent stem (iPS) cells before commercialization, and the Cabinet Office will present its perspective on the future prospects of gene therapy products in Japan.

*Evolution of Japan Environment for Cell Therapy Products*, the first day of this two-day symposium, will follow the frameworks from the first and second annual symposiums and cover issues from the quality and non-clinical use of cell therapy products to commercialization and post-marketing measures. These conversations will compare the current state of regulations and related frameworks between Japan, Europe, and the US.

On day two, *Challenges for Gene Therapy Product Development and Manufacture in Japan*, we will explore in an educational session the current state of research and development of gene therapy products in Japan. Our deep dive session will examine country-specific concerns such as the operation of biodiversity evaluation under the Cartagena Act, which requires a strategic approach to realize the practical commercialization and application of gene therapy products. International speakers have been invited for both days to share current activities and challenges in harmonized global development.

While this program has been prepared to give you the opportunity to attend either the first day or second day independently, we invite you to participate through both days; you will notice that many topics and concerns are common between both cell and gene therapy products.

The *DIA Cell and Gene Therapy Product Symposium* encourages open and ongoing discussion across industry, academia, and government stakeholders. We hope this Symposium will continue to grow into the best place for exchanging knowledge and sharing insights about these products and as a highly valued networking opportunity for you and your colleagues. We look forward to your active participation in Tokyo.

### Tabletop Exhibit Opportunities Available

For information, contact DIA Japan  
Nihonbashi Life Science Building 6F,  
2-3-11 Nihonbashihoncho, Chuo-ku, Tokyo 103-0023 Japan  
Tel: +81.3.6214.0574 | Fax: +81.3.3278.1313  
Email: Japan@DIAglobal.org



**DIA Japan**  
Nihonbashi Life Science Building 6F,  
2-3-11 Nihonbashihoncho, Chuo-ku, Tokyo 103-0023 Japan  
Tel: +81.3.6214.0574 Fax: +81.3.3278.1313 Email: Japan@DIAglobal.org

**Drug Information Association**

Global Center: Washington, DC | Americas | Europe, Middle East & Africa | China | Japan | India



- **PROGRAM CHAIR**
- **Yoji Sato, PhD**
- National Institute of Health Sciences (NIHS)
- **PROGRAM VICE-CHAIR**
- **Yasuko Terao, PhD**
- Janssen Pharmaceutical K.K.
- **PROGRAM COMMITTEE**
- **Teruyo Arato, PhD**
- Hokkaido University Hospital
- **Masaki Kasai, PhD**
- Pharmaceuticals and Medical Devices Agency (PMDA)
- **Satoru Hayata**
- GlaxoSmithKline K.K.
- **Keiji Miyamoto**
- Daiichi Sankyo Co., Ltd.
- **Sumimasa Nagai, MD, PhD**
- The University of Tokyo
- **Hiromi Okabe, PhD**
- Daiichi Sankyo Co., Ltd.
- **Masafumi Onodera, MD**
- National Center for Child Health and Development
- **Hiroyuki Suda**
- Oncolys BioPharma Inc.
- **Kazuhiro Takekita**
- Osaka University
- **Yoshie Tsurumaki**
- Novartis Pharma K.K.
- **PROGRAM ADVISOR**
- **Akiko Ikeda**
- Janssen Pharmaceutical K.K.
- **OPERATION TEAM**
- **Aya Yamada**
- Janssen Pharmaceutical K.K.

### Simultaneous Translation Available

- **WHO SHOULD ATTEND?**
- Cell therapy/gene therapy product development professionals in biopharmaceutical companies, medical devices companies, venture capital companies, regulatory agencies, or academia.

- DIA volunteers, members, and staff provide a comprehensive catalogue of conferences, workshops, training courses, scientific publications, and educational materials, throughout the year, all around the world.

**DIAglobal.org**

**Evolution of Japan Environment for Cell Therapy Products****9:30-10:00 REGISTRATION****10:00-10:15 WELCOME AND OPENING REMARKS****Akio Uemura, PhD**

Senior Vice President &amp; Managing Director, DIA Japan

**Yoji Sato, PhD**

Program Chair

Head, Division of Cell-Based Therapeutic Products, National Institute of Health Sciences (NIHS)

**10:15-12:15 SESSION 1****Non-clinical Safety Assessment of Cell Therapy Products****SESSION CO-CHAIRS****Sumimasa Nagai, MD, PhD**

Senior Assistant Professor, Translational Research Center, The University of Tokyo Hospital

**Yoji Sato, PhD**

Head, Division of Cell-Based Therapeutic Products, National Institute of Health Sciences (NIHS)

In the non-clinical safety assessment of cell therapy products, a xenogeneic immune response can be the points to consider.

In the PSEHB/MDELD technical guidance, it is stated that the testing is required within the scope that is "technologically possible and scientifically reasonable". However, the interpretation of "scientifically reasonable" can be ambiguous. In this session, we will try to investigate the actual situation through the comparison of guidance and/or review reports from the agencies. In addition, we can expect the updates from MEASURE. Further, we will have a speaker who will present his experiences and perspectives on xeno-islet cell transplantation. The panel discussion will follow the points to consider and approaches to the current issues.

**Positioning of General Toxicology Studies in Cell Therapy Products****Satoshi Yasuda, PhD**

Chief, Division of Cell-Based Therapeutic Products, National Institute of Health Sciences (NIHS)

**Points to Consider for the Standardization of Tumorigenicity Testing****Hiroto Bando, PhD, MBA**

Global Head of Cell Manufacturing Strategy, Head of Alliance Strategy Takeda Pharmaceutical Company Limited

**Viral Safety for Porcine Islet Xenotransplantation****Masayuki Shimoda, MD, PhD**

Project Leader, Research Institute National Center for Global Health and Medicine

**Panel Discussion****All Session Speakers and****Mizuho Nonaka, DVM, PhD**

Principal Reviewer, Office of Cellular and Tissue-based Products, Pharmaceuticals and Medical Devices Agency (PMDA)

**12:15-13:45 LUNCH BREAK/INTRODUCTION OF EXHIBITORS****13:45-14:30 KEYNOTE ADDRESS 1****SESSION CHAIR****Teruyo Arato, PhD**

Professor, Clinical Research and Medical Innovation Center, Hokkaido University Hospital

**Stem Cell-based Therapy for Parkinson's Disease****Jun Takahashi, MD, PhD**

Professor, Center for iPS Cell Research and Application (CiRA), Kyoto University

**14:30-16:10 SESSION 2****Points to Consider from Comparability of Cell Therapy Products Subject to Changes in Their Manufacturing Process****SESSION CHAIR****Kazuhiro Takekita**

Associate Professor, Division of Cardiovascular Surgery, Department of Surgery, Osaka University Graduate School of Medicine

The manufacturing process of cell therapy products is changed during the development and after approval.

As an approach to explain comparability, it may not be appropriate to follow the experience with biotechnological products since it is difficult to identify CQA of cell therapy products. It is an issue how to evaluate the impact caused by the manufacturing process change as it related to safety and efficacy.

In this session, having speakers from regulatory bodies and industries in Japan and overseas, insights into quality control of cell therapy products, where the comparability are particularly focused, will be shared based on their standpoints and experiences. The panel discussion will follow the points to consider and approaches to the current issues which will come up with each presentation.

**Quality Aspects of Regenerative Medical Products****Kanako Watanabe, PhD**

Reviewer, Office of Cellular and Tissue-based Products, Pharmaceuticals and Medical Devices Agency (PMDA)

**Points to Consider on ATMPs' Comparability Assessment on Manufacturing Change in Europe (Tentative)****Margarida Menezes-Ferraria, PhD**

Member of the Committee for Advanced Therapies and of the Biologics Working Party, European Medicines Agency (EMA)

Senior Assessor, Medicines Evaluation Department /National Scientific Advice Coordinator, INFARMED - National Authority of Medicines and Health Products, I.P. Portugal

**Manufacturing Change Approach on Allogeneic Cell Therapy Products****Kiwamu Imagawa, PhD**

JCR Pharmaceuticals Co., Ltd.

**Panel Discussion****All Session Speakers and****Ken-ichiro Hata, DDSc, PhD**

President and CEO, Japan Tissue Engineering Co., Ltd.

**16:10-16:40 COFFEE BREAK****16:40-17:10 KEYNOTE ADDRESS 2****SESSION CHAIR****Sumimasa Nagai, MD, PhD**

Senior Assistant Professor, Translational Research Center, The University of Tokyo Hospital

**Regulation of Regenerative Medicine in Japan - Towards Industrialization of Japan-Origin Innovative Regenerative Medical Products****Kiyohito Nakai, PhD**

Director, Pharmaceutical and Food Safety Bureau, Ministry of Health, Labour and Welfare (MHLW)

Regenerative medical products are expected to cure the intractable, severe, and/or low quality of life diseases. Therefore, it is positioned as one of important tools to challenge Unmet Medical Needs. In this session, current regulatory situations in Japan will be shared. Further, the approaches towards industrialization of innovative regenerative medical products on the basis of Japan-origin state-of-the-art technology will be introduced.

**17:10-18:40 SESSION 3****Challenges for Industrialization and Launch Phase Efforts of Regenerative Medicine****SESSION CO-CHAIRS****Keiji Miyamoto**

Principal, Regulatory Affairs &amp; Planning Group, New Drug Regulatory Affairs Department, R&amp;D Division, Daiichi Sankyo Co., Ltd.

**Kazuhiro Takekita**

Associate Professor, Division of Cardiovascular Surgery, Department of Surgery, Osaka University Graduate School of Medicine

Though many companies are launching and developing regenerative medicines and these numbers are increasing gradually, there are still various challenges in many areas. This session provides actual challenges from companies which are acting for commercialization. Also, the session provides the current status of National Regenerative Medicine Database (NRMDB) by Japan Society of Regenerative Medicine (JSRM). In the panel discussion, future direction for commercialization and data collection at launch will be discussed.

**Issues Recognized through the Development of Epithelial Cell Sheet for Esophageal Regeneration (CLS2702C/D)****Setsuko Hashimoto, PhD**

President and CEO, CellSeed Inc.

**Post-Marketing Activities for Autologous Cultured Epidermis and Cartilage****Ken-ichiro Hata, DDSc, PhD**

President and CEO, Japan Tissue Engineering Co., Ltd.

**Current Situation and Operational Issues for National Regenerative Medicine Database****Kiyoshi Okada, MD, PhD**

Project Associate Professor, Osaka University

**Panel Discussion****All Session Speakers and****Masaki Kasai, PhD**

Reviewer, Office of Cellular and Tissue-based Products, Pharmaceuticals and Medical Devices Agency (PMDA)

**Kiyohito Nakai, PhD**

Director, Pharmaceutical and Food Safety Bureau, Ministry of Health, Labour and Welfare (MHLW)

**Yoshie Tsurumaki**

Senior Incubator Program Manager, CTL019 Incubator Department, Oncology Dev. &amp; Medical Affairs Dept., Oncology Division, Novartis Pharma K.K.

**18:40-20:00 NETWORKING RECEPTION**

**9:00-9:30 REGISTRATION****9:30-9:50 KEYNOTE ADDRESS 3**

## SESSION CHAIR

**Masafumi Onodera, MD**

Head of Genetic Research Department, National Center for Child Health and Development

***Japanese Policy on Genomic Medicine*****Katsumi Doi**

Counsellor, Cabinet Secretariat

In recent years, it has been possible to realize personalized medical care for patients of cancer and rare diseases by using big data of genome and Artificial Intelligence (AI). At the government, the "Council for Promotion of Genome Medicine Implementation" established in the Cabinet Secretariat Health and Medical Strategy Office discusses various issues for promoting the realization of genome medical care and Japan policies.

In this session, the outline and future direction will be explained.

**9:50-10:40 SPECIAL LECTURE**

## SESSION CHAIR

**Masafumi Onodera, MD**

Head of Genetic Research Department, National Center for Child Health and Development

***Current State of Gene Therapy Product Development in Japan and Abroad - How to Nurture Gene Therapy in Japan?*****Noriaki Imanishi, PhD**

AMED Program Officer, Department of Research Promotion, Japan Agency for Medical Research and Development (AMED)

Gene cell therapy is a fundamental treatment in various diseases by intervention in causative genes.

Practical use is progressing in EU and the United States continuously for cancer area because of high efficacy.

Since establishment in 2015, AMED has considered the role through the inspection of several overseas gene cell therapy research and exchange of information at the International Rare Disease Consortium.

In this presentation, I would like to introduce the development trend of research in this area, the key viral vector production, regulation status/issues, and measures for nurturing gene therapy in Japan.

**10:40-11:00 COFFEE BREAK****11:00-11:40 EDUCATIONAL LECTURE**

## SESSION CHAIR

**Akiko Ikeda, RPh**

Senior Manager, Policy Intelligence Department, Janssen Pharmaceutical K.K.

***Basic Knowledge on Quality and Safety of Gene Therapy Products - Differences from Drug Development -*****Teruyo Arato, PhD**

Professor, Clinical Research and Medical Innovation Center, Hokkaido University Hospital

Gene therapy products are classified as regenerative medical products in Japan and there are specific different between cell products and recombinant protein products.

In this session, the points to consider for the development and manufacturing gene products will be explained.

**11:40-13:10 LUNCH BREAK****13:10-14:30 SESSION 4****Approach to CMC and Non-clinical Activities**

## SESSION CHAIR

**Teruyo Arato, PhD**

Professor, Clinical Research and Medical Innovation Center, Hokkaido University Hospital

For commercialization of gene therapy products, several kinds of realistic discussions have been progressed outside of Japan. In Japan, some of the companies contribute to development of gene therapy products.

In this session, Takara bio and Merck as an example of domestic or foreign company in Japan will introduce their development activities and scope in Japan business. According to their experiences in CMC and non-clinical field, Japan specific regulatory issues for efficient clinical initiation will be discussed from domestic or foreign company's views.

***Efforts to Manufacturing of Quality Ensured Gene Therapy Products*****Junichi Mineno, PhD**

Managing Director, President of Bioindustry Business Unit, Takara Bio Inc.

***Challenges on the Gene Therapy Vector Manufacturing and Quality Testing*****Sadao Ozawa, PhD**

Technology Manager, Process Solutions, Merck Japan

**14:30-15:00 COFFEE BREAK****15:00-17:00 SESSION 5****Gene Therapy Products and Procedures for the Cartagena Law**

## SESSION CO-CHAIRS

**Masafumi Onodera, MD**

Head of Genetic Research Department, National Center for Child Health and Development

**Teruhide Yamaguchi, PhD**

Professor, Nihon Pharmaceutical University

In recent years, although the development of gene therapy products has been increasing year by year. On the other hand, products with genetic modification need to be considered in accordance with the Cartagena law, and biodiversity evaluation.

What is the necessary procedure to carry out clinical trial? How do you judge the impact on the environment when gene therapy products are used?

In this session, We learn point to consider for application of Type 1 usage regulations and discuss differences in regulations between Japan, the US and EU and issue in Japan in implementation of Cartagena law.

***Operation and issues of Cartagena law in Japan*****Masafumi Onodera, MD**

Head of Genetic Research Department, National Center for Child Health and Development

***Environmental Assessments and Shedding Studies for Gene Therapy Products in the US and Japan*****Teruhide Yamaguchi, PhD**

Professor, Nihon Pharmaceutical University

***Genetically Modified Vaccines:European and US Regulations*****Myra Widjoatmodjo, PhD**

Scientific Affairs Leader, Respiratory Infections, Viral Vaccines, Janssen Vaccines &amp; Prevention B.V., Johnson and Johnson

***Points to Consider for Environmental Risk Assessment of the Use of Living Modified Organisms; PMDA Perspectives on Type 1 Use Approval under "Cartagena Law"*****Kazunobu Oyama, PhD**

Principle Reviewer, Office of Cellular and Tissue-based Products, Pharmaceuticals and Medical Devices Agency (PMDA)

***Panel Discussion*****All Session Speakers and****Satoru Hayata**

EFPIA Japan

Head of Center, Rare Diseases Medicines Development Center, Development &amp; Medical Affairs Division, GlaxoSmithKline K.K.

**17:00-17:10 CLOSING REMARKS****Yasuko Terao, PhD**

Director, Head of New Compound &amp; Development Planning Department, Clinical Science Division, Research &amp; Development Division, Janssen Pharmaceutical K.K..

Unless otherwise disclosed, DIA acknowledges that the statements made by speakers are their own opinion and not necessarily that of the organization they represent, or that the DIA.

Speakers and agenda are subject to change without notice.

Recording of any DIA tutorial/workshop/meeting information in any type of media, is prohibited without prior written consent from DIA.

**REGISTRATION FORM: Register online or forward to**  
**DIA Japan, Nihonbashi Life Science Building 6F, 2-3-11 Nihonbashi-**  
**honcho, Chuo-ku, Tokyo 103-0023 Japan**  
**tel +81-3-6214-0574 • fax +81-3-3278-1313**

### 3rd DIA Cell Therapy and Gene Therapy Products Symposium in Japan

Event #1813 | December 13-14, 2018 | KFC Hall, Ryogoku, Tokyo

Address: 1-6-1 Yokoami, Sumida-ku, Tokyo 130-0015

DIA will send participants a confirmation letter within 10 business days after receipt of their registration.

**Registration Fees** If DIA cannot verify your membership, you will be charged the nonmember fee. Registration fee includes refreshment breaks and reception (if applicable), and will be accepted by mail, fax, or online.

Join DIA now to save on future meetings and to enjoy the benefits of membership for a full year: [www.DIAglobal.org/Membership](http://www.DIAglobal.org/Membership)

- I DO want to be a DIA member  
 I DO NOT want to be a DIA member

		8% CONSUMPTION TAX INCLUDED			
		2 DAYS	DAY 1 ONLY	DAY 2 ONLY	
MEMBER *	Industry	Early Bird (Until Nov. 21, 2018)	¥45,360 <input type="checkbox"/>	¥31,320 <input type="checkbox"/>	¥31,320 <input type="checkbox"/>
		On of After Nov.22,2018	¥51,840 <input type="checkbox"/>	¥34,560 <input type="checkbox"/>	¥34,560 <input type="checkbox"/>
	Government, Non Profit, Academia, Medicals	Early Bird (Until Nov. 21, 2018)	¥24,300 <input type="checkbox"/>	¥14,580 <input type="checkbox"/>	¥14,580 <input type="checkbox"/>
		On of After Nov.22,2018	¥27,000 <input type="checkbox"/>	¥16,200 <input type="checkbox"/>	¥16,200 <input type="checkbox"/>
NONMEMBER	Industry	¥70,740 <input type="checkbox"/>	¥44,010 <input type="checkbox"/>	¥44,010 <input type="checkbox"/>	
	Government, Non Profit, Academia, Medicals	¥39,960 <input type="checkbox"/>	¥22,680 <input type="checkbox"/>	¥22,680 <input type="checkbox"/>	
MEMBERSHIP	Membership	¥18,900 <input type="checkbox"/>			
	2-Year Membership	¥34,020 <input type="checkbox"/>			
	Academia Membership (Academia, Medicals)**	¥12,960 <input type="checkbox"/>			

Early Bird Deadline: November 21, 2018

\* Including members of Forum for Innovative Regenerative Medicine (FIRM).

\*\* To register for Academia Membership, please send this form to DIA Japan office by fax or e-mail.

#### Please check the applicable category:

- Academia  Government  Industry  Medicals  
 CSO (Contract research/service organization)  Student (Call for registration information)

Last Name \_\_\_\_\_

First Name \_\_\_\_\_ M.I. \_\_\_\_\_

Degrees \_\_\_\_\_  Dr.  Mr.  Ms.

Job Title \_\_\_\_\_

Company \_\_\_\_\_

Address (As required for postal delivery to your location) \_\_\_\_\_

City \_\_\_\_\_ State \_\_\_\_\_ Zip/Postal \_\_\_\_\_ Country \_\_\_\_\_

email **Required for confirmation** \_\_\_\_\_

Phone Number **Required** \_\_\_\_\_ Fax Number \_\_\_\_\_

#### TRAVEL AND HOTEL

Dai-ichi Hotel Ryogoku is convenient accommodation adjacent to the venue. To reserve, please contact the Dai-ichi Hotel Ryogoku below.

Address: 1-6-1 Yokoami, Sumida-ku, Tokyo 130-0015, Japan  
 Telephone: +81-(0)3-5611-5211 / Fax: +81-(0)3-5611-5212  
 email: [daiichi-hotel@dh-ryogoku.com](mailto:daiichi-hotel@dh-ryogoku.com)  
 URL: <http://www.dh-ryogoku.com/english/index.html>

#### DIA Terms and Conditions

##### CANCELLATION POLICY: On or before December 6, 2018

Administrative fee that will be withheld from refund amount:  
**Member or Nonmember = ¥20,000(2 days)/ ¥10,000(1 day)**  
**Government/Academia/Nonprofit**

**(Member or Nonmember) = ¥10,000(2 days)/ ¥5,000(1 day)**

Cancellations must be in writing and be received by the cancellation date above. Registrants who do not cancel by that date and do not attend will be responsible for the full registration fee paid.

Registrants are responsible for cancelling their own hotel and airline reservations. You may transfer your registration to a colleague at any time but **membership is not transferable**. Please notify DIA of any such substitutions as soon as possible. Substitute registrants will be responsible for nonmember fee, if applicable.

DIA does NOT allow registrants to pass name badges to others. DIA may ask attendees to show identifications, if necessary.

DIA reserves the right to alter the venue, if necessary. If an event is cancelled, DIA is not responsible for any airfare, hotel or other costs incurred by registrants.

##### EVENT STREAM AND RECORDING

If you attend a DIA event, we make video and audio recordings of events (both face to face and online) that may include your participation in the event, including your image, questions and comments. To view our full photography and video recording policy, click [here](https://www.DIAglobal.org/general/photography-policy). (<https://www.DIAglobal.org/general/photography-policy>)

##### PRIVACY STATEMENT

DIA respects the privacy of all of its members and customers. To view our privacy policy, click [here](https://www.DIAglobal.org/about-us/privacy-policy). (<https://www.DIAglobal.org/about-us/privacy-policy>) You agree that your personal data will be transferred to DIA in the US.

The personal information provided when you register for an event will be used to contact you with information about upcoming events, programs, products and services of DIA. In addition, your name and organization name will be listed in the Attendee List which will be distributed on site to the participants of an event for which you have registered. By submitting this information with a registration you are regarded as having agreed to this handling of information, but if you do not agree, please contact DIA Japan.

By signing below I confirm that I agree with DIA's Terms and Conditions of booking. These are available from the office or online by clicking [here](https://www.diajapan.org/General/Terms-and-Conditions?productIDs=7575682). (<https://www.diajapan.org/General/Terms-and-Conditions?productIDs=7575682>)

Signature \_\_\_\_\_

Date \_\_\_\_\_

#### PAYMENT OPTIONS

Register online at [www.DIAglobal.org](http://www.DIAglobal.org) or check payment method.

##### BANK TRANSFER:

**You will receive an invoice with bank information detail by email after registration completion.**

*All local and overseas charges incurred for the bank transfer must be borne by payer.*

##### CREDIT CARD (VISA, MASTERCARD OR JCB ONLY)

VISA  MC  JCB Exp. (mm/yy) \_\_\_\_\_

Card No. \_\_\_\_\_

Cardholder Name \_\_\_\_\_

Signature \_\_\_\_\_

#### CONTACT INFORMATION

Contact the DIA Japan office in Tokyo for further information.

tel: +81.3.6214.0574 | fax: +81.3.3278.1313

email: [Japan@DIAglobal.org](mailto:Japan@DIAglobal.org)

[www.diajapan.org](http://www.diajapan.org)



# 第3回DIA再生医療製品・遺伝子治療用製品シンポジウム

～All Japanの再生医療開発と実用化 細胞と遺伝子～

2018年12月13日(木)～14日(金)

Day 1: 13日(木) 細胞加工製品を取り巻く環境の進化

Day 2: 14日(金) 遺伝子治療用製品の製造と開発をめぐる諸問題

KFCホール(両国) <http://www.tokyo-kfc.co.jp/access/>

## プログラム概要

我が国における再生医療の開発は、2013年に早期の実用化を目指した新しい法律が策定されて以来、国際的にも高い関心をもって注目されています。また多くの国内・海外発の再生医療等製品の研究が進み、さらに臨床開発ステージに入ることによって、製品開発はもとより流通、上市後の諸課題がより明確に認識されるようになってきました。

DIA Japanでは、再生医療等製品の開発の際、企業やアカデミアが直面する課題について、当局担当者を含めた関係者間で共有し、より具体的な議論を通じて共に解決策を探る機会として、2016年より再生医療製品シンポジウムを開催してまいりました。第3回を迎える本年は新たな取り組みとして、国内外の研究開発の進展状況や関係者の要望を踏まえ、細胞加工製品に加えて遺伝子治療用製品もメインテーマとし、それに伴い開催期間も2日間に拡大しました。また、シンポジウムの名称も「再生医療製品・遺伝子治療用製品シンポジウム」と改めました。

基調講演では、京都大学 iPS細胞研究所 高橋淳教授より商品化目前のiPS細胞による製品開発について、また、内閣府からは、遺伝子治療用製品を含む国の取り組みを今後の展望も含めてお話いただく予定です。

Day 1「細胞加工製品を取り巻く環境の進化」では、第1回、第2回シンポジウムの内容を踏襲し、細胞加工製品の品質や非臨床に加え、商業化への課題や市販後対策を網羅したトピックとし、日欧米三極の比較や規制における課題、レジストリの現状等、最新の知見の共有と議論を予定しています。

Day 2「遺伝子治療用製品の製造と開発をめぐる諸問題」では、教育セッションとして、国内での研究開発の現状とその課題を共有します。特に遺伝子治療の実用化や製品化に向けて戦略的な対応が必要となる生物多様性評価(カルタヘナ法)の運用に関する各国の比較と理解及び今後改善すべき点等に対するDeep Diveセッションは注目の企画です。

両日とも海外からのスピーカーを招聘して、グローバルにおける開発の現状と課題と商業化への動きについて議論する内容としております。

今回は、細胞加工製品と遺伝子治療用製品の開発について、興味あるセッションを各々単独でご参加いただけるプログラムとしておりますので、どちらか一方聴講されたい方も是非ご参加ください。なお、2日間を通してご参加いただくことで、この分野全体の方向性や細胞加工製品と遺伝子治療用製品の双方に共通する知識と課題についての学びがある企画としておりますので是非2日間を通してご参加いただければ幸いです。

DIA再生医療製品・遺伝子治療用製品シンポジウムは、産学官の継続的な議論の場であると同時に、参加者全員にとって実務に役立つ最新の製品開発の課題、課題解決へ向けた知識とインサイトを持ち帰りいただける場であり、さらには貴重なネットワーキングの場として成長し続けます。一人でも多くの皆様のご参加をお待ちしております。

参加対象者:

- ・製薬又は医療機器企業等で再生医療等製品の開発にかかわる方
- ・ベンチャー企業又はアカデミアで再生医療等製品の開発にかかわる方
- ・再生医療等製品の薬事申請業務にかかわる方

など

日本語・英語間の同時通訳あり

卓上展示申し込み受付中

詳細については、ディー・アイ・エー ジャパンまでお問い合わせ下さい。

〒103-0023 東京都中央区日本橋本町2-3-11

日本橋ライフサイエンスビルディング6F

Tel: 03-6214-0574 Fax: 03-3278-1313

Email: [Japan@DIAglobal.org](mailto:Japan@DIAglobal.org)



DIA Japan

Nihonbashi Life Science Building 6F,

2-3-11 Nihonbashihoncho, Chuo-ku, Tokyo 103-0023 Japan

Tel: +81.3.6214.0574 Fax: +81.3.3278.1313 Email: [Japan@DIAglobal.org](mailto:Japan@DIAglobal.org)

Drug Information Association

Global Center: Washington, DC | Americas | Europe, Middle East & Africa | China | Japan | India

プログラム委員長

国立医薬品食品衛生研究所

佐藤 陽治

プログラム副委員長

ヤンセンファーマ株式会社

寺尾 寧子

プログラム委員

北海道大学病院

荒戸 照世

独立行政法人 医薬品医療機器総合機構

河西 正樹

グラクソ・スミスクライン株式会社

早田 悟

第一三共株式会社

宮本 恵司

東京大学

永井 純正

第一三共株式会社

岡部 裕美

国立研究開発法人 国立成育医療研究センター

小野寺 雅史

オンコリス バイオ ファーマ 株式会社

須田 浩幸

大阪大学

嶽北 和宏

ノバルティス ファーマ株式会社

弦巻 好恵

プログラムアドバイザー

ヤンセンファーマ株式会社

池田 晶子

DIA Japan Operation Team

ヤンセンファーマ株式会社

山田 彩

DIA volunteers, members, and staff provide a comprehensive catalogue of conferences, workshops, training courses, scientific publications, and educational materials, throughout the year, all around the world.

[DIAglobal.org](http://DIAglobal.org)



## 9:30-10:00 受付

## 10:00-10:15 開会の挨拶

一般社団法人 ディー・アイ・エー・ジャパン  
植村 昭夫

国立医薬品食品衛生研究所  
佐藤 陽治

## 10:15-12:15 セッション1

## 再生医療製品の非臨床安全性—開発での課題—

座長

東京大学医学部附属病院  
永井 純正

国立医薬品食品衛生研究所  
佐藤 陽治

再生医療製品の開発段階での非臨床試験の実施には、種の違いも課題となる。日本では技術的に可能かつ科学的合理性のある範囲において動物試験を実施することとされているが、「科学的合理性のある範囲」を明確に定めることは難しい。本セッションでは、欧米とのガイドライン比較あるいは審査報告書の比較を通じ、ガイドライン上での書かれ方と実際の運用における実態の比較を試みる。また、AMED-MEASUREで明らかとなった技術的課題、異種動物由来細胞製品の臨床開発を目指した安全性の確保の考え方について、経験によって得られた見識を共有いただく。パネルディスカッションでは、そこから見出される現状の課題に対してどのような検討をすべきか、議論を行いたい。

## 一般毒性試験はどのくらい必要なのか?—「指針上での書かれ方」と「現実の運用」を比較する—

国立医薬品食品衛生研究所  
安田 智

## 造腫瘍性評価のための試験を標準化するには?

武田薬品工業株式会社  
坂東 博人

## ブタ臍臓の異種移植に向けたウイルス安全性確保について

国立国際医療研究センター研究所  
霜田 雅之

## パネルディスカッション

本セッションの講演者および

独立行政法人 医薬品医療機器総合機構  
野中 瑞穂

## 12:15-13:45 ランチブレイク/展示ブース紹介

## 13:45-14:30 基調講演1

座長

北海道大学病院  
荒戸 照世

## パーキンソン病根治を目指した幹細胞治療

京都大学  
高橋 淳

本年8月、世界初のiPS細胞によるパーキンソン病治療薬の医師主導型臨床試験の開始がアナウンスされた。本品は「先駆け審査指定制度」の指定品目にも選ばれており、一刻も早く患者さんに届けるべき画期的治療法として期待が高まる。本品のリーダーであり、幹細胞を用いた神経変性疾患の治療法の開発と確立に、臨床医のマインドで取組んでこられた高橋 淳先生より、基礎から臨床開発にいたる今日までの研究と、その際直面した課題につきご講演いただく。

## 14:30-16:10 セッション2

## 再生医療等製品の製法変更と同等性/同質性評価の考え方

座長

大阪大学  
嶽北 和宏

再生医療製品の製品ライフサイクルの中で、製造工程の変更がたびたび行われる場合が想定される。再生医療製品は重要品質特性の特定が困難であることから、変更前後の同等性/同質性を説明するためのアプローチとして、バイオ医薬品での経験をそのまま踏襲することが適切でない場合が考えられ、製法変更の影響をどのように評価すべきかが課題である。このセッションでは、国内外の規制当局及び開発企業を招聘し、再生医療製品の品質管理、特に同等性/同質性評価に関し、各々の立場、経験によって得られた見識を共有いただく。パネルディスカッションでは、そこから見出される留意点、また、現状の課題に対してどのような検討をすべきか、議論を行いたい。

## 再生医療等製品の品質に係る留意点

独立行政法人 医薬品医療機器総合機構  
渡邊 可奈子

## 欧州のATMPs(細胞治療)の製法変更時の同等性/同質性評価の考え方(仮題)

European Medicines Agency (EMA)  
National Authority of Medicines and Health Products (INFARMED), Portugal  
Margarida Menezes-Ferraria

## 同種細胞治療製品における製法変更のアプローチ

JCRファーマ株式会社  
今川 究

## パネルディスカッション

パネリスト

本セッションの講演者および  
株式会社ジャパン・ティッシュ・エンジニアリング  
島 賢一郎

## 16:10-16:40 コーヒーブレイク

## 16:40-17:10 基調講演2

座長

東京大学医学部附属病院  
永井 純正

## 我が国の再生医療製品のレギュレーション—我が国発の革新的再生医療製品創生を目指して—

厚生労働省  
中井 清人

再生医療等製品は、難治性疾患・重篤疾患やQOL改善が必要な疾患を克服するものと期待されており、メディカルアンメットニーズへの挑戦の重要なツールともいえる。そこで、我が国の再生医療製品のレギュレーションの状況と、それらを踏まえた世界をリードする我が国の再生医療技術に基づいた革新的再生医療製品の創生にかかる取り組みについて、ご講演いただく。

## 17:10-18:40 セッション3

## 再生医療等製品の商業化への課題と市販後対策

座長

第一三共株式会社  
宮本 恵司

大阪大学  
嶽北 和宏

薬機法改正以降、再生医療等製品を市販・開発している企業は年々増えてきている一方で、商業化を進める、または準備するにあたり、まだまだ多くの課題が存在する。今回、商業化に取り組む企業から課題を共有した上で、今後の方向性について議論したい。また、再生医療学会による再生医療レジストリの現状を共有することにより、市販後の情報収集について議論したい。

## 食道再生上皮シート(CLS2702C/D)の開発から見えてきた課題

株式会社セルシード  
橋本 せつ子

## 自家細胞を用いた培養表皮・培養軟骨の市販後対応

株式会社ジャパン・ティッシュ・エンジニアリング  
島 賢一郎

## 再生医療等データ登録システム(National Regenerative Medicine Database: NRMD)の進捗と運用上の課題

大阪大学医学部附属病院  
岡田 潔

## パネルディスカッション

パネリスト

本セッションの講演者および

独立行政法人 医薬品医療機器総合機構  
河西 正樹  
厚生労働省  
中井 清人  
ノバルティス ファーマ株式会社  
弦巻 好恵

## 18:40-20:00 情報交換会

9:00-9:30 受付

9:30-9:50 基調講演3

座長

国立研究開発法人 国立成育医療研究センター

小野寺 雅史

**ゲノム医療をめぐる我が国の政策**

内閣官房

土肥 克己

近年、ビッグデータやAIを利用したゲノム医療等の推進により、がん及び希少疾病克服に向けた個別化医療の実現が可能となってきた。政府では内閣官房健康・医療戦略室に設置された「ゲノム医療実現推進協議会」において、ゲノム医療実現推進に向けた様々な課題に対し議論を行い、政策の推進を図っている。本日は、その概要および今後の方向性についてお話しする。

9:50-10:40 特別講演

座長

国立研究開発法人 国立成育医療研究センター

小野寺 雅史

**国内外における遺伝子治療研究開発の現在と未来ー日本における遺伝子細胞治療を如何に育成するか？ー**

国立研究開発法人 日本医療研究開発機構

今西 典昭

遺伝子細胞治療は、原因遺伝子への介入により、様々な疾患における根本治療となり、高い奏功率が期待され、がん領域を含み欧米では相次いで実用化されている。

AMEDは、2015年の設立以降、当該領域の育成を意図し、複数の海外の遺伝子細胞治療研究開発拠点の視察、国際希少疾患コンソーシアム等での情報交換などを通じて、その取り組み状況を調べ、AMEDが果たすべき役割を検討してきた。本講演では、当該領域における研究開発動向、そのキーとなるウイルスベクターの製造、レギュレーションの状況等を紹介し、日本の遺伝子細胞治療の育成に向けた課題と施策を紹介したい。

10:40-11:00 コーヒーブレイク

11:00-11:40 教育講演

座長

ヤンセンファーマ株式会社

池田 晶子

**遺伝子治療用製品の品質と安全性に関する基礎知識ー医薬品開発との違いー**

北海道大学病院

荒戸 照世

遺伝子治療用製品は日本では再生医療等製品に分類されるが、細胞製品とも遺伝子組換えタンパク質性医薬品とも異なる特殊性がある。このため、遺伝子治療製品として、開発時または製造時に、特に考慮すべき点や検討すべき点をわかりやすく解説する。

11:40-13:10 ランチブレイク

13:10-14:30 セッション4

**品質・非臨床へのアプローチ**

座長

北海道大学病院

荒戸 照世

遺伝子治療用製品の商用化に際して、欧米では活発な議論が進んでいる。一方、日本においても各企業が開発に取り組んでおり、今般、内資系の例としてタカラバイオ社、外資系の例としてメルク社より遺伝子治療用製品の開発におけるこれまでの取り組みと展望をご紹介いただく。また、臨床試験に向けた品質あるいは非臨床試験を実施する上での問題点などをご提示いただき、内資あるいは外資からみた国内規制に対する懸念の相違点などを考察する。

**遺伝子治療用製品等の製造と品質確保への取り組み**

タカラバイオ株式会社

峰野 純一

**遺伝子治療用ベクターの製造技術と品質試験の課題**

メルク株式会社

小沢 貞雄

14:30-15:00 コーヒーブレイク

15:00-17:00 セッション5

**遺伝子治療用製品とカルタヘナ法**

座長

国立研究開発法人 国立成育医療研究センター

小野寺 雅史

日本薬科大学

山口 照英

近年、遺伝子治療製品の開発が年々増加している一方で、遺伝子改変を伴う製品は、カルタヘナ法に従い、生物多様性評価とその影響について考慮する必要がある。

治験を実施するうえで、必要な手続きとは何か？遺伝子治療製品を用いた場合の環境に及ぼす影響はどのように判断するのか？

本セッションでは、日米欧の規制の違いについて、また、カルタヘナ法に伴う第1種使用規定申請に必要な留意事項について、説明をいただき、日本の現状と課題について議論する。

**日本におけるカルタヘナ法の運用と課題**

国立研究開発法人 国立成育医療研究センター

小野寺 雅史

**日米における遺伝子治療製品の生物多様性評価**

日本薬科大学

山口 照英

**遺伝子組み換えワクチンにおける生物多様性環境評価に関する欧米の規制(仮題)**

Janssen Vaccines &amp; Prevention B.V., Johnson and Johnson

Myra Widjoatmodjo

**遺伝子組換え生物等の第一種使用規程承認申請における論点と課題**

独立行政法人 医薬品医療機器総合機構

尾山 和信

**パネルディスカッション**

本セッションの講演者および

欧州製薬団体連合会

グラクソ・スミスクライン株式会社

早田 悟

17:00-17:10 閉会の挨拶

ヤンセンファーマ株式会社

寺尾 寧子

DIAのプログラムにて発表される内容は発表者本人の見解であり、所属する組織あるいはDIAのものとは限りません。

プログラム及び講演者は予告なく変更される場合があります。

書面による事前の合意なく、DIAのプログラムの情報を録音もしくは撮影することは、いかなる形態であっても禁止されています。

# 会議参加申込書

一般社団法人ディー・アイ・エー・ジャパン

Fax:03-3278-1313

〒103-0023 東京都中央区日本橋本町2-3-11  
日本橋ライフサイエンスビルディング6F

Tel:03-6214-0574

## 第3回DIA再生医療製品・遺伝子治療用製品シンポジウム

[カンファレンスID #18313]

2018年12月13-14日 | 両国 KFC ホール

〒130-0015 東京都墨田区横網1丁目6-1

### ◆ 参加申込方法

DIAウェブサイト(www.DIAglobal.org)よりお申し込み頂くか、この申込書に必要事項をご記入の上、FAXまたはメール添付Japan@DIAglobal.orgにてお申し込みください。受理後、10営業日以内にEメールにて申込受領書を送付いたします。

### ◆ 参加費用 (該当する口にチェックしてください)

会員資格が失効している方および非会員の方は、会員登録(更新)することにより、会員価格にてご参加いただけます。会員資格はお支払いいただいでから翌年同月末まで1年間有効です。DIA各種機関紙の入手、DIAウェブサイトの会員専用ページへのアクセス等、種々の特典も得られます。不明な点がございましたら、ディー・アイ・エー・ジャパンまでお問い合わせください。

①年会費 現在会員でない方で、会員登録をされる場合は希望する年会費の欄に印を入れてください。

\* 参加費の早期割引価格は現会員の方または会員登録と同時に申し込みされる方のみ適用されます。会員資格が失効している方および非会員の方は、この機会に是非ご登録ください。

\*\* アカデミア会員資格にお申し込みの方は、本申込書をディー・アイ・エー・ジャパンまでFAXもしくはメールにてお送りください。

Membership (有効期間:1年間)	<input type="checkbox"/>	¥ 18,900 (税込)
2-Year Membership (有効期間:2年間/10%割引)	<input type="checkbox"/>	¥ 34,020 (税込)
Academia Membership ** (対象:大学関係・医療従事者、有効期間:1年間)	<input type="checkbox"/>	¥ 12,960 (税込)

②参加費 所属カテゴリと会員資格の有無により異なりますので、該当欄に印を入れてください。

		2日間のご参加		Day 1:細胞加工製品を取り巻く環境の進化		Day 2:遺伝子治療用製品の製造と開発をめぐる諸問題		
会員	一般	早期割引*:2018年11月21日までのお申込み	<input type="checkbox"/>	¥ 45,360 (税込)	<input type="checkbox"/>	¥ 31,320 (税込)	<input type="checkbox"/>	¥ 31,320 (税込)
		2018年11月22日以降のお申込み	<input type="checkbox"/>	¥ 51,840 (税込)	<input type="checkbox"/>	¥ 34,560 (税込)	<input type="checkbox"/>	¥ 34,560 (税込)
	政府関係 非営利団体 大学関係 医療従事者	早期割引*:2018年11月21日までのお申込み	<input type="checkbox"/>	¥ 24,300 (税込)	<input type="checkbox"/>	¥ 14,580 (税込)	<input type="checkbox"/>	¥ 14,580 (税込)
		2018年11月22日以降のお申込み	<input type="checkbox"/>	¥ 27,000 (税込)	<input type="checkbox"/>	¥ 16,200 (税込)	<input type="checkbox"/>	¥ 16,200 (税込)
非会員	一般	<input type="checkbox"/>	¥ 70,740 (税込)	<input type="checkbox"/>	¥ 44,010 (税込)	<input type="checkbox"/>	¥ 44,010 (税込)	
	政府関係/非営利団体/大学関係/医療従事者	<input type="checkbox"/>	¥ 39,960 (税込)	<input type="checkbox"/>	¥ 22,680 (税込)	<input type="checkbox"/>	¥ 22,680 (税込)	

\*\* \* 1日目のみ・2日目のみのお申し込みは、FAXもしくはメールのみで承ります。本申込書をディー・アイ・エー・ジャパンまでお送りください。

③合計金額(①+②):

合計 \_\_\_\_\_ 円

\* 最終確定金額はDIA Japanからお送りする受領書メールにてご確認ください。

※再生医療イノベーションフォーラム(FIRM)の会員の方は、会員価格にてご参加いただけます。□にチェックして下さい。

再生医療イノベーションフォーラム(FIRM)会員

### ◆ お支払方法

ご希望の支払方法にチェックを入れてください。

[支払方法]  銀行振込 請求書を送付しますので、その案内に従って振り込み手続きを行ってください。

クレジットカード 使用可能クレジットカード(どちらか1つにチェック)  VISA  MasterCard  JCB

カード有効期限(mm/yy) \_\_\_\_\_ カード番号 \_\_\_\_\_

カードご名義 \_\_\_\_\_ ご署名 \_\_\_\_\_

ご入金の際は、ご依頼人の欄に必ず参加者名もしくは請求書番号を記載してください。同一会社で複数名の参加費を同時に振り込まれる場合は、書面にて参加者名と振込日をディー・アイ・エー・ジャパンまでお知らせください。振込に関する手数料は、振込人負担をお願いいたします。

### アルファベット(英語)でご記入ください

Last Name (姓)  Dr.  Mr.  Ms. First name (名) Company

Job Title Department

Address City State Zip/Postal Country

email (必須) Phone Number (必須) Fax Number

\* 参加のキャンセルは、お申し込み受理後、2018年12月6日までは手数料として、2日間の場合、一般会員・非会員とも20,000円、政府/大学関係者/非営利団体/医療従事者については会員・非会員とも10,000円、何れか1日の場合、一般会員・非会員とも10,000円、政府/大学関係者/非営利団体/医療従事者については会員・非会員とも5,000円を申し受けます。それ以降のキャンセルについては参加費全額を申し受けますのでご注意ください。同一会社からの参加変更は可能ですが、その際はあらかじめディー・アイ・エー・ジャパンまでお知らせください。(会員資格の譲渡はできませんので、非会員としての参加費を申し受ける場合があります。) 参加をキャンセルされる際には、必ず書面にてディー・アイ・エー・ジャパンまでご連絡願います。会場は変更される場合がありますので予めご了承ください。

\* DIA主催の会議には、必ず登録者ご本人にご参加いただくよう、お願いしております。ネームバッジの貸し借りはご遠慮ください。必要に応じて、会場にてスタッフが本人確認をさせていただきます。

\* 本会議では、DIAの宣伝活動に使用する目的で、開催期間中に参加者を含む会場内の映像・写真を撮影することがあります。本会議の参加者は、DIAが記録した映像・写真等について、DIAの宣伝資料、出版物及びインターネット等への掲載その他一切の利用に係る権利(肖像権、パブリシティ権等を含みます)はDIAに帰属することを認め、DIAが無償で任意に利用できることを許諾するものとします。

【DIAが取り扱う個人情報について】お申し込みいただいた個人情報はDIAからの会議案内送付等の目的にのみ使用させていただきます。