

# 第8回DIA再生医療製品・遺伝子治療用製品シンポジウム

新たな成長ステージに入った

再生医療製品・遺伝子治療用製品の開発

English follows Japanese

2024年1月15日(月)～16日(火)

ハイブリッド開催 | 日本橋ライフサイエンスハブ およびオンライン

本シンポジウムではこれまで、新たなサイエンスや技術を治療方法として確立する“実用化”、確実かつ安定的に患者さんに製品を届ける“産業化”、医療現場での使用に目線を置いた“実装化”などのテーマで、新法制定後における「導入期」の種々の課題について議論を継続してきました。この「導入期」では、新しい技術の継続的な導入を可能にする研究開発や薬事制度の基盤が構築・整備され、再生医療製品・遺伝子治療用製品が治療の選択肢になりうる疾患領域も増えてきました。そして昨年、“新法の策定から10年目”という節目の年には、今後の更なる飛躍へ向けて、関係者の熱い想いと共にこれまでの製品開発の進歩を振り返りました。

「導入期」の様々な経験の中には、開発初期には想像もなかったことや、実際に取り組んでみて初めて気付いたことも数多くあったのではないのでしょうか。また、製品の有効性や安全性をさらに高めたいという想いを強くした関係者も多かっただろうと想像しています。そこで今年のシンポジウムでは、それらの気付きや想いをこれからの「成長期」に活かすべく、その第一歩にふさわしい企画を盛り込みました。

本年は基調講演として、経済産業省生物化学産業課 下田 裕和 課長より再生医療Grand Designについて、株式会社VC Cell Therapy 高橋 政代 先生より臨床医およびビジネスパーソンの両方の立場で再生医療を推進した経験について、それぞれで講演をいただきます。また、産業側からも日本の再生医療を牽引してきた方々をパネリストに迎え、再生医療の産業化と次世代のビジネスモデル構築をテーマにスペシャルディスカッションを企画しております。テーマ別のセッションでは、開発から市販後まで様々なトピックについて、最近の動向を踏まえて議論を行います。まず、DIA日本年会でも取り挙げる、開発中に得られたデータを踏まえてどのように条件期限付き承認における市販後の有効性・安全性評価計画を計画するべきか、厚生労働省研究班のガイドライン案を基に、シンポジウムでは議論を深める予定です。また、昨年も好評だった国際標準のセッションでは、認証制度による活用促進、さらにはモダリティの多様化、応用分野への展開と軸を拡げて議論を展開します。市販後のトピックについては、品質・臨床それぞれの視点でのセッションを企画しました。品質セッションでは、変更計画の確認申請(PACMP)制度の活用について、承認後の製法変更等に係る薬事手続きをスムーズに進めるための議論を、臨床のセッションでは、産官学連携の在り方という視点で市販後の臨床現場における有効性・安全性データの収集および利活用に関する議論を、それぞれ展開していく予定です。さらに教育講演では、組織・細胞の指向性・特異性を有するin vivo遺伝子治療製品の開発や製品のウイルス安全性確保の考え方に関する講演を予定しております。

再生医療等製品・遺伝子治療用製品の開発は、「導入期」から「成長期」へとステージの変わり目を迎えています。本シンポジウムはこれまでと同様に、産官学での課題の共有、解決策へ向けた建設的な議論の場でありつづけたいと考えています。

なお昨年と同様に、本年もハイブリッド開催を予定しております。ネットワーキングにはスペシャルゲストとして厚生労働省・佐藤大作様をお迎えする予定です！ドリンクを片手に、これからの再生医療を語りましょう。発表資料(PDFファイル)のダウンロードサービスや講演録画の配信サービスも予定しておりますので\*、皆さまのニーズやご都合に合わせて本シンポジウムの機会を十分に活用いただきたく思います。本年も一人でも多くの皆さまのご参加をお待ちしております。

\*各セッションや講演の内容・性質によっては資料・録画共に制限がかかることがありますことをご承知おきください。

## 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



DIA Japan  
Nihonbashi Life Science Building 6F,  
2-3-11 Nihonbashihoncho, Chuo-ku, Tokyo 103-0023 Japan  
Tel: +81.3.6214.0574 Email: 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

大阪大学  
岡田 潔

## プログラム副委員長

ノバルティスファーマ株式会社  
岡部 裕美  
武田薬品工業株式会社  
寺尾 寧子

## プログラム委員

北海道大学病院  
荒戸 照世

早田 悟

第一三共株式会社

平澤 竜太郎

ヤンセンファーマ株式会社

池田 晶子

富士フイルムホールディングス株式会社

河内 幾生

京都大学

永井 純正

独立行政法人 医薬品医療機器総合機構

野田 慎一

株式会社KORTUC

須田 浩幸

ノバルティス ファーマ株式会社

弦巻 好恵

## AD-HOC MEMBER

第一三共株式会社

宮本 恵司

## プログラムアドバイザー

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

国立医薬品食品衛生研究所

佐藤 陽治

## Operation Team

ノバルティスファーマ株式会社

西岡 明子

## 一般社団法人ディー・アイ・イー・ジャパン

中森 省吾

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

## 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  
中森 省吾  
プログラム委員長 / 大阪大学  
岡田 潔

## 10:15-10:45 基調講演 1

座長

大阪大学  
岡田 潔

**経済産業省の創薬・再生医療分野の取り組み**  
経済産業省  
下田 裕和

## 10:45-11:25 基調講演 2

座長

大阪大学  
岡田 潔

**アカデミアからビジネスへ - 持続可能な再生医療のために -**  
株式会社VC Cell Therapy  
高橋 政代

## 11:25-11:40 ショートブレイク

## 11:40-12:40 スペシャルパネルディスカッション

**再生医療の提供方法の改善と新たな開発を加速させるために**

座長

大阪大学  
岡田 潔

再生医療は、従来の医療では治療が困難であった疾患の治療に新たな可能性をもたらすとして注目されている。本邦での再生医療の提供には薬機法と安全確保法の2つの法律の適用がある。前者では、薬事承認を得て、保険医療下で提供されるが、治験の実施や承認申請等、患者に届けるまでに時間がかかるという課題がある。後者では、臨床研究以外の多くは自由診療として提供され、早く患者に届けることができる一方で、治療費の全額負担を要し、患者の負担が大きいという課題がある。本セッションでは、提供方法のあり方、必要とする患者に広く届けるために必要なこと、新たな開発のための今後の課題と展望、について議論する。

**パネリスト**  
経済産業省  
下田 裕和

株式会社VC Cell Therapy  
高橋 政代

株式会社資生堂  
尾郷 正志

一般社団法人再生医療イノベーションフォーラム / アステラス製薬株式会社  
志鷹 義嗣

## 12:40-13:55 ランチブレイク

## 13:55-15:35 セッション 1

**国際標準 ～活用促進と多様化～**

座長

独立行政法人 医薬品医療機器総合機構  
野田 慎一

富士フィルムホールディングス株式会社  
河内 幾生

本セッションでは、ISO/TC 276で開発・発行される再生医療分野の国際標準について、昨年のシンポジウムからの進捗を中心に概説する。また、標準を積極的に活用するための施策として、培地・試薬等の製造補助材料、製造装置、輸送サービス等の周辺産業の製品・サービスに対する認証制度について概説する。さらに、モダリティーの多様化、再生医療技術の応用に対応する標準開発として、遺伝子治療及びMPS (Micropysiological system) に関わる標準化の状況について説明する。パネルディスカッションでは、認証制度への期待、遺伝子治療及びMPSに関わる標準への期待効果を中心に議論を行う。

**再生医療分野の国際標準**

株式会社資生堂  
松本 哲典

**適合性評価による標準の実装**

富士フィルムホールディングス株式会社  
河内 幾生

**モダリティー多様化への対応 ～遺伝子治療関連の標準開発状況～**

株式会社日立ハイテク  
吉田 博史

**再生医療応用分野への展開 ～Microphysiological System～**

筑波大学  
伊藤 弓弦

**パネルディスカッション**

本セッションの講演者

## 15:35-15:55 コーヒーブレイク

## 15:55-17:45 セッション 2

**再生医療等製品の市販後における臨床現場の取り組み**

座長

国立成育医療研究センター  
小野寺 雅史

ノバルティスファーマ株式会社  
弦巻 好恵

再生医療等製品は治験時のデータが限られている場合が多いこと、また細胞治療製品ではmode of actionが明確ではない場合があること等から、市販時も臨時的な安全性・有効性の評価を継続していくことが重要である。このセッションでは、再生医療等製品を扱う各疾患の専門家・専門学会での取り組みを共有していただき、今後、再生医療等製品としてどのように市販後の評価の仕組みを考えるべきかについて議論したい。

**再生医療等製品の市販後安全性情報の収集・評価等の現状について**

独立行政法人 医薬品医療機器総合機構  
河西 正樹

**CAR-T細胞治療レジストリとレギュラトリー利活用 - 産学連携の取り組み**

日本造血細胞移植データセンター  
熱田 由子

**AMED難病プラットフォームを基盤とした市販後調査に使用可能なデータベースの構築**

東京医科歯科大学  
森尾 友宏

**遺伝性神経筋疾患を対象とした遺伝子治療**

国立精神神経医療研究センター  
小牧 宏文

**パネルディスカッション**

本セッションの講演者

## 17:45-18:00 ショートブレイク

## 18:00-19:00 情報交換会

ゲスト

厚生労働省  
佐藤 大作

9:30-9:45 オープニング(2日目)

**遺伝子治療用製品の開発現状と課題**国立成育医療研究センター  
小野寺 雅史

9:45-11:45 セッション 3

**再生医療等製品の市販後変更管理における『変更計画の  
確認申請』制度の活用**座長  
北海道大学病院  
荒戸 照世第一三共株式会社  
平澤 竜太郎

再生医療等製品は、製造方法や品質管理の知見が未成熟であり、短期間の臨床開発でより早期の承認を目指すことにより、十分なCMC開発の期間が取れないまま上市に至るケースも想定される。そのため、製法改良やスケールアップなどを検討する必要性が市販後においても発生し、その薬事手続きを円滑に進めることは製品の安定供給の鍵となる。この市販後の変更管理については、国内でも令和元年の薬機法改正により、ICH Q12に基づいた『変更計画の確認申請』制度が導入された。

本セッションでは、再生医療等製品の市販後変更管理の在り方と制度の活用方法について、企業および当局の両方の視点を踏まえて議論を展開したい。

**再生医療等製品におけるPACMP制度の導入について**独立行政法人 医薬品医療機器総合機構  
松本 潤**グローバル変更管理におけるPACMP/CP制度の活用事例**第一三共株式会社  
石井 祐理子**再生医療等製品の変更計画の確認申請(日本版PACMP)を活用するために考慮すべき視点**住友ファーマ株式会社  
河邊 圭吾**ヒト細胞加工製品の変更管理～PACMPの活用と今後の展望～**ノバルティスファーマ株式会社  
花田 直之**パネルディスカッション**

本セッションの講演者

11:45-12:00 ショートブレイク

12:00-12:30 教育講演 1

**遺伝子細胞治療製品開発についてのPMDA科学委員会  
提言**座長  
京都大学  
永井 純正

独立行政法人医薬品医療機器総合機構(PMDA)では、業務から独立した「科学委員会」を立ち上げ、親委員会の下、最先端科学技術等を応用した製品の審査にあたっての留意事項について、トピックに応じた外部専門家による専門部会と共にこれまでに17報の取りまとめ報告書を公開してきた。

本シンポジウムでは、現在、開発が急速に進み、実用化の可能性が極めて高いゲノム編集技術を用いた遺伝子治療製品に焦点を当て、その期待と課題に関して2020年に公開した「ゲノム編集」専門部会報告書と現在進行中の「標的特異性を有するin vivo遺伝子治療用製品」に関する議論に触れ、科学委員会の活動を紹介したい。

**ゲノム編集製品の品質・安全性に関する考え方**金沢工業大学  
山口 照英**標的特異性を有する in vivo 遺伝子治療用製品**自治医科大学附属病院  
久米 晃啓

12:30-13:50 ランチブレイク

13:50-15:50 セッション 4

**再生医療等製品の審査の方向性 ～「承認」取得のためにすべき事・できる事～**

座長

大阪大学  
岡田 潔京都大学  
永井 純正

薬機法改正後の10年間で再生医療等製品の承認品目が増加し、審査の考え方も成熟されつつある。再生医療等製品の開発促進のため、これまで産学官で様々な議論がなされ、その成果のひとつとして、厚生労働省研究班による「期限条件付き承認後の製販後評価のガイドライン案作成」が本年度中には作成される予定である。このガイドラインには、再生医療等製品の承認基準の明確化をにらみ、制度の条件、適用範囲、市販後臨床試験の考え方等が盛り込まれる。

そこで、本セッションでは、このガイドラインの考え方を理解することに加え、再生医療等製品の承認取得のためにすべき事・できる事や、現時点では実施困難なこと等を改めて考えていきたい。また具体的事例として、大阪大学から宮川教授をお呼びし、リアルワールドデータを用いた市販後有効性評価の経験についてもご紹介頂く予定である。

**RWDを用いた心不全に対する自己筋芽細胞シートの有効性  
評価**大阪大学  
宮川 繁**再生医療等製品の条件及び期限付き承認とその後の製造販売  
後調査に関するガイドライン案の概要**国立医薬品食品衛生研究所  
佐藤 陽治**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  
野田 慎一アンジェス株式会社  
中條 光章ニプロ株式会社  
吉川 義洋

15:50-16:10 コーヒーブレイク

16:10-16:40 教育講演 2

座長

旭化成メディカル株式会社  
渡辺 直人

細胞治療製品のウイルス安全性の確保においては、製造工程におけるウイルス不活化・除去が困難であることから、原材料等に対する適格性評価を徹底するというアプローチがとられる。培養培地は典型的なウイルス混入ルートの一つであるが、バイオ医薬品製造においては、培地に対する事前のウイルス不活化・除去処理がウイルス混入防止に効果的という認識が高まっており、細胞治療製品においても同様に有効なアプローチとなる。

本教育講演では、間葉系幹細胞などの培養に用いられるヒト血小板ライセート含有培地を例に、ウイルス不活化・除去処理の適用可能性の検討結果についてご講演いただき、より頑健なウイルス安全性確保戦略について考えてみたい。

**Safeguarding the Virus Safety of Xeno-Free Culture Media  
for Human Cell Propagation**Taipei Medical University  
Thierry Burnouf

16:40-17:00 閉会の挨拶

プログラム副委員長 / 武田薬品工業株式会社  
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

〒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8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 #23313]

2024年1月15日(月)-16日(火) | ハイブリッド開催 | 日本橋ライフサイエンスハブおよびオンライン

### ◆ 参加申込方法

DIAウェブサイト(www.DIAglobal.org)よりお申し込みいただくか、この申込書に必要事項をご記入の上、メールに添付してJapan@DIAglobal.orgまで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□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て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だけに適用されます。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・ジャパンまでメールにてお送りください。

Membership (有効期間:1年間)	<input type="checkbox"/>	¥ 29,150 (税込)
2-Year Membership (有効期間:2年間/10%割引)	<input type="checkbox"/>	¥ 52,470 (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"/>	¥ 21,450 (税込)
Academia 2-Year Membership ** (対象:大学関係・医療従事者、有効期間:2年間/10%割引)	<input type="checkbox"/>	¥ 38,610 (税込)

DIA Japan 使用欄	
Date	
No.	
受領書 送付	
Invoice	
入金	

②参加費 所属カテゴリー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。

会員 ***	一般	早期割引*:2023年12月28日までのお申込み	<input type="checkbox"/>	¥ 55,440 (税込)
		2023年12月29日以降のお申込み	<input type="checkbox"/>	¥ 63,360 (税込)
	政府関係 非営利団体 大学関係 医療従事者	早期割引*:2023年12月28日までのお申込み	<input type="checkbox"/>	¥ 29,700 (税込)
		2023年12月29日以降のお申込み	<input type="checkbox"/>	¥ 33,000 (税込)
非会員	一般	<input type="checkbox"/>	¥ 86,460 (税込)	
	政府関係	<input type="checkbox"/>	¥ 56,100 (税込)	
	非営利団体/大学関係/医療従事者	<input type="checkbox"/>	¥ 48,840 (税込)	

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。□にチェックしてください。

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(どちらかにチェック)  VISA  MasterCard

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、振込人負担でお願いいたします。

### 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、会期28日前にあたる2023年12月18日までは手数料として一般会員・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円を申し受けますのでご注意ください。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、その際はお早めにディー・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。

\* 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。

\* 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。

# 8th DIA Cell and Gene Therapy Products Symposium in Japan

## “Development of Cell and Gene Therapy Products in the New Growth Phase”

January 15-16, 2024

Hybrid | Nihonbashi Life Science HUB & Virtual

In previous *Cell and Gene Therapy Products* symposia, we have discussed various challenges in the “introductory stage” following enactment of the Regenerative Medicine Promotion Act, such as “practical use” that turns a new scientific or technological concept to a therapeutic application, “industrialization” that enables reliable and stable delivery of therapeutic products to patients, and “mastering / implementation” that fulfills healthcare professionals’ requirements in use of these new therapeutic modalities. During the “introductory” stage, the basic infrastructures for research and development have been established, in addition to the regulatory infrastructure which enabled the continued innovative activities to translate seeds of technologies to new therapeutic approaches. As a consequence, the number of disease areas in which cell and gene therapy products are considered one of the treatment options has increased.

As the milestone, tenth anniversary since the enactment of the Regenerative Medicine Promotion Act, we organized last year’s 2022 *Symposium* to make a further leap forward, look back on our initial passion, and review the progress of product development in the past decade. By looking back over the decade of the “introductory stage,” many participants realized something new or gained a stronger desire to enhance the efficacy and safety of these product. Organizers assumed this year’s Symposium as the “first step” of the upcoming “growing phase,” which provides growth opportunities for all the persons concerned.

This 2023 *Symposium* will feature the Director of Bio-Industry Division, Ministry of Economy, Trade and Industry Hirokazu Shimoda’s keynote speech on the grand design of regenerative medical products, and VC Cell Therapy President Masayo Takahashi’s lecture on her experience in promoting regenerative medical products as both a clinician and a business person. In addition, we plan a special discussion on the themes of industrialization of regenerative medical products and establishment of the next generation’s business model with panelists who have led regenerative medical products in Japan from the industry side.

Sessions will include various topics ranging from development to post-marketing based on recent trends. The Symposium will also address a topic that will be covered at the *DIA Japan Annual Meeting* by deepening discussions on how to develop the post-marketing efficacy and safety evaluation plan considering the data obtained during development, based on the draft guideline of the MHLW research group. In the international standards session that was highly evaluated last year, we will discuss promoting the use of international standards through the certification system, diversifying modalities, and expanding to application fields. Post-marketing sessions will address the quality and clinical perspectives. The quality session will discuss how to utilize the post-approval change management (PACMP) system to smoothly proceed with regulatory procedures after approval. The clinical session will discuss the involvement of disease experts in collecting and evaluating efficacy and safety data in post-marketing clinical practice and cooperation among industry, government, and academia. Additional educational lectures will explore development of in vivo gene therapies with tissue / cell specificity as well as the concept of ensuring viral safety.

The stage for the development of cell and gene therapy products is changing from the “introductory stage” to the “growth phase”. While the stage is changing, this Symposium will continue to provide the platform where industry, government, and academia share issues and discuss constructive solutions.

We plan to hold a hybrid meeting. Drinks and snacks will be provided at the venue during networking breaks. In addition to a service for downloading presentation materials (PDF files), we are also planning a service for distributing the recordings of each session and keynote speech\* so you can make full use of the Symposium contents according to your needs. We look forward to seeing as many participants as possible this year.

\* Please note that there may be restrictions on recording and sharing materials based on the content and nature of each session or lecture.

**Simultaneous Translation Available**



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

**Drug Information Association**

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



### PROGRAM CHAIR

**Kiyoshi Okada, MD, PhD**  
Osaka University

### PROGRAM VICE-CHAIR

**Hiroimi Okabe, PhD**  
Novartis Pharma K.K.

**Yasuko Terao, PhD**  
Takeda Pharmaceutical Co., Ltd.

### PROGRAM COMMITTEE

**Teruyo Arato, PhD**  
Hokkaido University Hospital  
**Satoru Hayata, MS**

**Ryutaro Hirasawa, PhD**  
Daiichi Sankyo Co., Ltd.

**Akiko Ikeda**  
Janssen Pharmaceutical K.K.

**Ikuo Kawauchi**  
FUJIFILM Holdings Corporation

**Sumimasa Nagai, MD, PhD**  
Kyoto University

**Shinichi Noda, PhD**  
Pharmaceuticals and Medical Devices Agency (PMDA)

**Hiroyuki Suda, MS**  
KORTUC Inc.

**Yoshie Tsurumaki**  
Novartis Pharma K.K.

### AD-HOC MEMBER

**Keiji Miyamoto**  
Daiichi Sankyo Co., Ltd.

### PROGRAM ADVISER

**Masafumi Onodera, MD, PhD**  
National Center for Child Health and Development

**Yoji Sato, PhD**  
National Institute of Health Sciences (NIHS)

### OPERATION TEAM

**Akiko Nishioka**  
Novartis Pharma K.K.

**SH DIA JAPAN**  
**Shogo Nakamori, MSc, RPh, MBA**

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**

**10:00-10:15 WELCOME AND OPENING REMARKS**

**Shogo Nakamori, MSc,RPh, MBA**  
DIA Japan

**Kiyoshi Okada,MD, PhD**  
Program Chair  
Osaka University Hospital, Osaka University

**10:15-10:45 KEYNOTE ADDRESS 1****SESSION CHAIR**

**Kiyoshi Okada,MD, PhD**  
Osaka University Hospital, Osaka University

***Japan's Bio-Industry Ecosystem***

**Hirokazu Shimoda**  
Director, Bio-Industry Division, Commerce and Service Industry Policy Group, Commerce and Information Policy Bureau, Ministry of Economy, Trade and Industry (METI)

**10:45-11:25 KEYNOTE ADDRESS 2****SESSION CHAIR**

**Kiyoshi Okada,MD, PhD**  
Osaka University Hospital, Osaka University

***From Academia To Business - For the Sustainable Regenerative Medicine -***

**Masayo Takahashi, MD, PhD**  
President, VCCT Inc.

**11:25-11:40 SHORT BREAK****11:40-12:40 SPECIAL PANEL DISCUSSION*****Accelerating the Development and Access of Regenerative Medicine*****SESSION CHAIR**

**Kiyoshi Okada,MD, PhD**  
Osaka University Hospital, Osaka University

Regenerative medicine, which has the potential to cure diseases that were previously considered incurable, is regulated by two laws in Japan: the Pharmaceutical and Medical Devices Act (PMD Act) and the Act on the Safety of Regenerative Medicine (Safety Act).

According to the PMD Act, regulated regenerative medicine is covered by public health insurance, but the regulatory approval process can be lengthy and complex, leading to delays in making regenerative medicine available to patients. According to the Safety Act, regulated regenerative medicine is generally provided on a fee-for-service basis, which can be expensive for patients.

This session will discuss how to make regenerative medicine more accessible to patients, including streamlining the approval process and expanding public health insurance coverage, in Japan.

***Panelist***

**Hirokazu Shimoda**  
Director, Bio-Industry Division, Commerce and Service Industry Policy Group, Commerce and Information Policy Bureau, Ministry of Economy, Trade and Industry (METI)

**Masayo Takahashi, MD, PhD**  
President, VCCT Inc.

**Masashi Ogo**  
Director, Regenerative Medicine Research & Business Development Department, Shiseido Company, Limited

**Yoshitsugu Shitaka, PhD**  
Representative Director, Chairperson, Forum for Innovative Regenerative Medicine / Chief Scientific Officer, Astellas Pharma Inc.

**12:40-13:55 LUNCH BREAK****13:55-15:35 SESSION 1*****International Standards : Promoting Utilization and Responding to Diversification*****SESSION CO-CHAIRS**

**Shinichi Noda, PhD**  
Deputy Review Director, Office of Cellular and Tissue-based Products, Pharmaceuticals and Medical Devices Agency(PMDA)

**Ikuo Kawauchi, MS**  
International Standards Promotion Office, Intellectual Property Div.  
FUFIFILM Holdings Corporation

This session will outline international standards in the field of regenerative medicine to be developed and published by ISO/TC 276, focusing on the progress made since last symposium. In addition, certification systems, the measures to actively utilize these standards, for products and services of supporting industries and ancillary materials such as culture media and reagents, manufacturing equipment, and transportation services will be explained. Further, we will explain the status of standardization for gene therapy and MPS (Micropysiological System) as standards development responds to the diversification of modalities and the application of regenerative medicine technology, respectively.

Panel discussion will focus on expectations for the certification system and the expected effects on standards related to gene therapy and MPS.

***International Standard in the Field of Regenerative Medicine***

**Tetsunori Matsumoto**  
Manager, MIRAI Technology Institute, Shiseido CO., LTD.

***Implementation of Standards Through Conformity Assessment***

**Ikuo Kawauchi, MS**  
International Standards Promotion Office, Intellectual Property Div.  
FUFIFILM Holdings Corporation

***Responding to Diversification of Modalities : Status of Standard Development Related to Gene Therapy***

**Hiroshi Yoshida, PhD**  
Chief Engineer, Life & Medical Systems Product Division, Hitachi High-Tech Corporation

***Expansion to Regenerative Medicine Application Fields : Microphysiological System***

**Yuzuru Ito, PhD**  
Professor, Faculty of Life and Environmental sciences, University of Tsukuba

***Panel Discussion***

All Session Speakers

**15:35-15:55 COFFEE BREAK****15:55-17:45 SESSION 2*****Post-Marketing Clinical Practice of Cell and Gene Products*****SESSION CO-CHAIRS**

**Masafumi Onodera, MD, PhD**  
Director, Gene & Cell Therapy Promotion Center, NCCHD

**Yoshie Tsurumaki, RPh**  
Senior Medical Lead, Novartis Pharma K.K.

The data available from clinical trials of regenerative medical products (RMPs) are often limited, and the mode of action for cellular therapy are sometimes not fully understood. As a result, it is important to continue to evaluate the safety and effectiveness of RMPs post-market. This symposium will bring together experts and professional associations from various disease areas to share their experiences and insights to collaboratively discuss how to develop a more effective post-market evaluation system for RMPs in the future.

Specific topics to be discussed: a) The challenges of post-market evaluation for RMPs; b) Current approaches to post-market evaluation; and c) Future directions for post-market evaluation.

Expected outcomes: a) Increased understanding of the challenges and opportunities of post-market evaluation for RMPs; and b) Development of a roadmap for improving the post-market evaluation system for RMPs.

### ***Current Status of Collection and Evaluation of Post-Marketing Safety Information on Regenerative Medical Products***

**Masaki Kasai, PhD**

Deputy Review Director, Office of Pharmacovigilance II, Pharmaceuticals and Medical Devices Agency (PMDA)

### ***CAR-T Cellular Therapy Registry and Its Use for Regulatory Decision Making, Focusing on Industry-Academia Collaboration***

**Yoshiko Atsuta, MD, PhD**

Director, Japanese Data Center for Hematopoietic Cell Transplantation

### ***Establishment of Primary Immunodeficiency Database that Can be Used for Post-Marketing Surveillance Based on the AMED Rare Disease Data Registry of Japan***

**Tomohiro Morio, MD, PhD**

Vice president, Tokyo Medical and Dental University

### ***Gene Therapy for Hereditary Neuromuscular Diseases***

**Hirofumi Komaki, MD, PhD**

Director of the Translational Medical Center, National Center of Neurology and Psychiatry

### ***Panel Discussion***

All Session Speakers

**17:45-18:00 SHORT BREAK**

**18:00-19:00 NETWORKING**

**9:30-9:45 OPENING - DAY2**

### ***Development Status and Issues of Gene Therapy Products***

**Masafumi Onodera, MD, PhD**

Director, Gene & Cell Therapy Promotion Center, NCCHD

**9:45-11:45 SESSION 3**

### ***Utilization of the J-PACMP System for Cell and Gene Therapy Products***

SESSION CO-CHAIRS

**Teruyo Arato, PhD**

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

**Ryutaro Hirasawa, PhD**

CMC Regulatory Affairs, Manager, Daiichi Sankyo Co., Ltd.

If there is a poor experience of manufacturing and quality control in development of cell and gene therapy products, it is conceivable that the product is launched without sufficient consideration regarding CMC development in the context of short-term clinical development focusing on earlier approval. Therefore, even in the post-approval phase, it is reasonable to expect that regulatory change procedures are required to improve the manufacturing process, whether based on clinical data or scale-up due to increased demand. Regarding post-approval change management in Japan, the J-PACMP system based on ICH Q12 has been implemented, driven by amendment of the Pharmaceuticals and Medical Devices Law in 2019.

This session will discuss how to effectively utilize the J-PACMP system for post-approval change management of cell and gene therapy products, from the industry and health authority perspectives.

### ***Introduction of PACMP System in Regenerative Medical Products***

**Jun Matsumoto, PhD**

Review director, Department of Cellular and tissue derived products, Pharmaceuticals and Medical Devices Agency (PMDA)

### ***Case Study of PACMP/CP in Global Change Control***

**Yuriko Ishii, MS**

CMC Regulatory Affairs Department, Associate Director, Daiichi Sankyo Co., Ltd

### ***Perspectives to be Considered for Utilizing the Japanese PACMP for Regenerative Medical Products***

**Keigo Kawabe, PhD**

Sumitomo Pharma Co., Ltd.

### ***Change Control for Cell Therapy Product : Utilization of PACMP and Future Perspective***

**Naoyuki Hanada**

Novartis Pharma K.K.

### ***Panel Discussion***

All Session Speakers

**11:45-12:00 SHORT BREAK**

**12:00-12:30 EDUCATIONAL LECTURE 1**

### ***PMDA Scientific Committee Recommendations for Gene and Cell Therapy Products***

SESSION CHAIR

**Sumimasa Nagai, MD, PhD**

Professor, Department of Medical Development, Kyoto University Hospital, Kyoto University

The Pharmaceuticals and Medical Devices Agency (PMDA) has established a Scientific Committee independent from its operations, which has published 17 reports regarding points to consider when reviewing products that apply cutting-edge science and technology in collaboration with specialized committees of external experts. Recent Committees have focused on gene therapy products, using genome editing technology, with extremely high potential for practical application.



This session will discuss the expectations and challenges of these products by explaining the Expert Subcommittee report on Genome Editing published in 2020 and introducing the current Committee for “Target-specific in vivo gene therapy products.”

### ***White-paper for Quality and Safety of Therapeutic Products Using Genome Editing Technology***

**Teruhide Yamaguchi, PhD**

Director, Institute of advance Medical and Engineering technology, Kanazawa Institute of Technology

### ***Points to Consider for in vivo Gene Therapy Targeting Specific Cells/Tissues***

**Akihiro Kume, MD, PhD**

Professor, Center for Clinical Investigation, Jichi Medical University Hospital

## **12:30-13:50 LUNCH BREAK**

## **13:50-15:50 SESSION 4**

### ***Direction to Review of Regenerative Medicine Products - What we should/can do to obtain “True approval” -***

SESSION CO-CHAIRS

**Kiyoshi Okada, MD, PhD**

Osaka University Hospital, Osaka University

**Sumimasa Nagai, MD, PhD**

Professor, Department of Medical Development, Kyoto University Hospital, Kyoto University

In the 10 years since the revision of the PMD Act, the number of approved regenerative medical products has increased and the concept of regulatory review has matured. Until now, industry, academia, and government have held various discussions to promote development of regenerative medicine products; one of the initiatives growing from these discussions is for MHLW’s research group to prepare draft guidelines for post-marketing evaluation after time-limited approval, during this fiscal year.

This session will explain the concept of this guideline and also discuss what we should/can do to obtain approval by using approved products as examples.

In addition, Professor Miyagawa from Osaka University will explain post-market efficacy evaluation using real-world data (RWD).

### ***Efficacy Evaluation Using RWD For Skeletal Myoblast Sheet for Heart Failure***

**Shigeru Miyagawa, MD, PhD**

Professor, Cardiovascular surgery, Osaka University Hospital, Osaka University

### ***The Outline of the Draft Guideline Document on Conditional and Term-limited Approval and Subsequent Post-marketing Surveillance for Regenerative Medical Products***

**Yoji Sato, PhD**

Head, Division of Drugs, National Institute of Health Sciences

### ***Panel Discussion***

All Session Speakers and

**Shinichi Noda, PhD**

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

**Mitsuaki Chujo, PhD**

Pharmacovigilance Department, AnGes Inc.

**Yoshihiro Yoshikawa**

Regenerative Medicine Reserchcenter, NIPRO Corporation

## **15:50-16:10 COFFEE BREAK**

## **16:10-16:40 EDUCATIONAL LECTURE 2**

SESSION CHAIR

**Naoto Watanabe**

Asahi Kasei Medical Co., Ltd.

Cell therapy products are often subjected only to minimal purification prior to formulation, and thus the removal or inactivation of potential viral contaminants is often not available. Therefore, in the case of cell therapy products, thorough qualification control of raw materials should be required to reduce virus contamination risks. It is known that cell culture media is one of the typical virus contamination routes. Among biopharmaceutical manufacturers, it becomes gradually recognized that application of virus clearance for cell culture media can provide effective reduction of virus contamination risks, and this can be a workable approach for cell therapy products as well.

In this educational lecture, the lecturer introduces his recent study on applicability of the virus clearance process for a human platelet lysate-contained culture media, which is often used for mesenchymal stem cell propagation. The lecture may lead us to consider more robust virus safety control strategy.

### ***Safeguarding the Virus Safety of Xeno-Free Culture Media for Human Cell Propagation***

**Thierry Burnouf, PhD**

Vice-Dean, distinguished Professor, College of Biomedical Engineering, Taipei Medical University

## **16:40-17:00 CLOSING REMARKS**

**Yasuko Terao, PhD**

Program VICE-Chair

Takeda Pharmaceutical Co., Ltd.

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**

**8th DIA Cell Therapy and Gene Therapy Products Symposium in Japan**

**Event #23313 • January 15-16, 2024 | Hybrid | Nihonbashi Life Science HUB**  
 (Virtual)

**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

			10% CONSUMPTION TAX INCLUDED	
MEMBER *	Industry	Early Bird (Until Dec. 28, 2023)	¥55,440	<input type="checkbox"/>
		On of After Dec.29, 2023	¥63,360	<input type="checkbox"/>
	Government, Non Profit, Academia, Medicals	Early Bird (Until Dec. 28, 2023)	¥29,700	<input type="checkbox"/>
		On of After Dec.29, 2023	¥33,000	<input type="checkbox"/>
NONMEMBER	Industry		¥86,460	<input type="checkbox"/>
	Government		¥56,100	<input type="checkbox"/>
	Non Profit, Academia, Medicals		¥48,840	<input type="checkbox"/>
MEMBERSHIP * * *	Membership		¥29,150	<input type="checkbox"/>
	2-Year Membership		¥52,470	<input type="checkbox"/>
	Academia Membership (Academia, Medicals)**		¥21,450	<input type="checkbox"/>
	2-year Academia Membership (Academia, Medicals)**		¥38,610	<input type="checkbox"/>

Consumption tax will not be added to participants from outside Japan  
 \* 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 \_\_\_\_\_

**Expected contributors:**

- Individuals involved in the development of regenerative medical products in pharmaceutical or medical device companies and related industries.
- Individuals involved in the development of regenerative medical products in venture companies or academic institutions.
- Individuals involved in regulatory submissions work for regenerative medical products.

**DIA Terms and Conditions**

**CANCELLATION POLICY: On or before December 18, 2023**

**Administrative fee that will be withheld from refund amount:**

Member or Nonmember = ¥20,000

Government/Academia/Nonprofit

(Member or Nonmember) = ¥10,000

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.

**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.diajapan.org/general/photography-policy). (https://www.diajapan.org/general/photography-policy)

**PRIVACY STATEMENT**

The personal information you request will be used for the purpose of sending conference information from DIA. In addition, in the web conference, we will use the information with the name of the company or organization and the name of everyone who participates, and it will be used for networking with participants, related parties, exhibiting companies for the period and about two weeks after the event. .. By submitting this application form, it is interpreted that you have consented to the above handling of personal 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=9276679). (https://www.diajapan.org/General/Terms-and-Conditions?productIDs=9276679)

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 OR MASTERCARD ONLY)**

**VISA**  **MC**

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

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

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

