

# 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“产业化”、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しなかったことや、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が「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、それぞれご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、再生医療の产业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が、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いと思います。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る方

再生医療等製品の薬事申請業務にかかる方など

日本語・英語間の同時通訳あり

DIA Japan

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



### 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 健一

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・エー・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.



Drug Information Association

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

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、従来の医療では治癒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、早く患者に届く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

富士フイ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) に関す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に関す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

富士フイ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、市販時も臨床的な安全性・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

2日目 | 1月16日(火)

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、その期待と課題に關し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めざし、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。また具体的な事例として、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 健一

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1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いる。細胞治療製品においても同様に有効なアプローチとなろう。

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ント含有培地を例に、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](http://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まれる方のみに適用されます。会員資格が失効している方および非会員の方は、この機会には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)

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)

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

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られる場合があります。)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。