



第9回DIA再生医療製品・遺伝子治療用製品 シンポジウム

次世代の再生医療製品・遺伝子治療用製品の開発
～既存製品の発展期に見る課題と次世代製品の実用化の展望～

2024年12月11日(水) – 12日(木)

ハイブリッド開催 | 日本橋ライフサイエンスビルディングおよびオンライン

シンポジウム概要

本シンポジウムでは、日本における再生医療・遺伝子治療の進展を、時には先取りし、時には振り返りながら、産業化・実装化に向けた様々なステージで課題となるトピックを議論してきました。再生医療製品・遺伝子治療用製品は、国内の承認製品も順調に増え、治療選択肢のひとつとして存在感が高まっています。また、製造技術の改良やサプライチェーンの効率化などが検討され、産業としても成長が見込まれています。さらに、既存の製品モダリティの枠にとらわれない、新規の作用機序や治療コンセプトを持つ製品の研究・開発も進んでおり、“次世代”と呼べる新たな製品の実用化にも期待がかかります。

一方、新しい治療法・治療製品の普及には、常に新しい課題が伴います。例えば、医療関係者はその使用法や取り扱い方について、企業は製品の開発や製造等について、規制当局においては評価方法やレギュラトリーサイエンスなどについて、それぞれの立場で課題に直面することがあると思います。

本シンポジウムは、これまで同様、産官学で課題を共有し、解決策に向けた建設的な議論の場でありたいと考えています。

本年は、産業として再生医療製品・遺伝子治療用製品が更なる発展を遂げるための課題、さらには次世代の新しい製品を効率的に開発していくための取組みについて、皆さんと議論を深めていきたいと思います。

そこで、今回のシンポジウムでは、以下の5つのセッションを企画しています。

- ・規格外となった自家細胞製品の臨床使用における課題
- ・CMC薬事の役割とCMC薬事戦略の重要性
- ・アデノ随伴ウイルスベクター製品の周辺技術と課題
- ・再生医療等製品の価格と経済性
- ・細胞外小胞製品への期待と課題

さらに、次世代製品の実用化を目指すアカデミアの研究者や、日本の再生医療製品・遺伝子治療製品の開発を支える政府／規制当局の担当者から、基調講演等にて最新の話題をご提供頂く予定です。

皆さまのニーズやご都合に合わせて本シンポジウムをご活用いただけるよう、今回もハイブリッド形式で開催するほか、シンポジウム終了後の発表資料の配布や講演動画の配信を予定しています(注)。また、1日目の夜には参加者間で自由な意見交換のためのネットワーキングイベントを実施いたします。

本年多くの皆さまのご参加をお待ちしております。

注: 講演の内容により資料等の配布ができないことがあります。予めご承知おきください。



プログラム委員長

大阪大学

岡田 潔

プログラム副委員長

合同会社KORTUC JAPAN

須田 浩幸

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

第一三共株式会社

平澤 龍太郎

KalVista Pharmaceuticals Japan株式会社

池田 晶子

富士フィルムホールディングス株式会社

河内 幾生

第一三共株式会社

宮本 恵司

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 優一

タカラバイオ株式会社

田中 舞紀

ノバルティス ファーマ株式会社

弦巻 好恵

国立医薬品食品衛生研究所

安田 智

ヤンセンファーマ株式会社

吉松 美佳

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

DIA Japan Operation Team

PPGサービス株式会社

永田 双葉

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

新美 満洋

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

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6階

Tel: 03-6214-0574 Email: Japan@DIAGlobal.org



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

DIA Global Center: Washington, DC, USA | Basel, Switzerland | Beijing, China Horsham, PA, USA | Mumbai, India | Tokyo, Japan



9:30–10:00

受付

10:00–10:10

開会の挨拶

一般社団法人 ディー・アイ・エー・ジャパン

新美 満洋

プログラム委員長/大阪大学

岡田 潔

10:10–10:30

インスパイアリングセミナー

遺伝子治療用製品の開発現状と課題

座長:

大阪大学

岡田 潔

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

10:30–12:15

セッション1

自己細胞加工製品の規格外品提供の人道的観点と産官学の取り組み

本セッションでは、自己細胞加工製品の規格外品提供に関する人道的観点と、産官学の取り組みについて議論する。細胞加工製品は生きた細胞を含むため、品質にはらつきが生じる。特に自己由来製品は患者毎の特性の違いにより原料の不均一性が高く、規格外品が発生する。承認後も、規格外品を含む品質情報に基づく製造方法の改良や規格の見直しが重要だが、他に治療法がなく再製造が不可能な場合、人道的観点から規格外品の提供が検討される。本セッションでは、規格外品提供のあり方について産官学の立場から意見を交換し、市販後の新たな課題に対する取り組みについても議論する。

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

ノバルティスファーマ株式会社

弦巻 好恵

規格外品への患者アクセスの課題への取り組み

ノバルティスファーマ株式会社

北脇 弥生

テーマ① (ドラッグロスや供給不足などの医薬品等へのアクセスの課題

に対応した安全かつ迅速な承認制度の確立) について

厚生労働省

飯野 栄

再発難治性DLBCLおよびB-ALI日本人患者を対象としたチサゲンレクルーセルの

規格外製品(Out-of-Specification: OO)の臨床試験: Phase 3b B2302 trial

九州大学

加藤 光次

パネルディスカッション

本セッションの座長、講演者および

大阪大学

岡田 潔

12:15–13:40

ランチブレイク

13:40–14:10

教育講演1

JSRM再生医療認定施設制度について
～再生医療の質を担保するためには?～

座長:

大阪大学

岡田 潔

東海大学

佐藤 正人

14:10–14:30

コーヒーブレイク

ショートプレゼンテーション/日本マイクロバイオファーマ株式会社

14:30–15:10

教育講演2

CRISPR–Cas3で切り拓く国産mRNA創薬の未来

座長:

合同会社KORTUC JAPAN

須田 浩幸

東京大学

真下 知士

15:10–17:10

セッション2

CMC薬事～再生医療製品・遺伝子治療用製品開発の成功を支えるキーフレイヤー～

CMC薬事の、CMC薬事による、CMC薬事のためのセッション。Scott Gottlieb元FDA長官曰く、「従来の医薬品審査は臨床80%・品質20%だが、遺伝子・細胞治療製品ではその割合が逆転する」。すなわち、遺伝子・細胞治療製品ではCMCの審査ウエイトが高く、規制側・開発側共にCMCに精通した薬事人材の必要性は増すと言えよう。本シンポジウムではこれまで、ウイルス安全性、同等性・同質性、市販後の製法変更など、様々なCMCトピックについて議論してきた。今回は、それらのトピックに精通し、CMC薬事戦略や規制コミュニケーションをリードする「CMC薬事人材」にスポットを当て、遺伝子・細胞治療製品の開発において期待される役割や人材育成に関する課題について議論したい。

座長:

第一三共株式会社

平澤 竜太郎

合同会社オーリオンバイオテック・ジャパン

藤川 明世

再生医療等製品のCMC関連課題における規制当局とのコミュニケーション

独立行政法人 医薬品医療機器総合機構

前田 憲一郎

アカデミアでの再生医療等製品開発で求められるCMC薬事人材の役割

大阪大学

笹井 雅夫

新モダリティ医薬品の開発におけるCMC薬事戦略の留意点

入澤コンサルティング合同会社

入澤 朗

製薬企業におけるCMC薬事人材の育成に向けた取組み

第一三共株式会社

佐藤 昌之

パネルディスカッション

本セッションの座長、講演者

17:10–17:15

DAY 1 WRAP-UP

プログラム副委員長/武田薬品工業株式会社

寺尾 寧子

17:30–19:00

情報交換会

9:00–9:30

受付

9:30–11:15

セッション 3

AAVベクター遺伝子治療における課題とその整理

アデノ随伴ウイルス (AAV) は、*in vivo* 遺伝子治療のベクターとして広く利用されている。現在、世界中で様々な疾患を対象とした AAV ベクターを用いた遺伝子治療の臨床試験が多数進行中で、いくつかの遺伝子治療薬は既に上市され、実用化されている。AAV ベクターの安全性と有効性に関するデータが蓄積されつつある中、本セッションでは、AAV ベクターを用いた遺伝子治療の開発トレンドとその課題について、各分野の専門家が最新の研究成果と実例を交えて解説する。臨床応用に向けた、初期開発から非臨床試験、製造、品質試験、臨床試験の各段階における多岐にわたるテーマを取り上げ、AAV ベクター遺伝子治療の実用化における課題を整理し、その解決策について議論する。

座長:

北海道大学病院
荒戸 照世

タカラバイオ株式会社
田中 舞紀

AAVベクターを用いた遺伝子治療の課題と対策

東京大学
岡田 尚巳

遺伝性難聴を標的としたAAV遺伝子治療の開発

順天堂大学
神谷 和作

各開発ステージにおけるAAVベクターの製造と品質分析の現状と課題

大阪大学
内山 進

遺伝子治療用製品の開発

– AAVベクターを用いた遺伝子治療における非臨床評価 –

ノバルティスファーマ株式会社

香川 雄輔

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

岸岡 康博

11:15–11:25

ショートブレイク

11:25–12:05 スペシャルセッション：基調講演1+パネルディスカッション

再生医療の今後の発展

座長:

独立行政法人 医薬品医療機器総合機構
野田 慎一

第一三共株式会社
宮本 恵司

独立行政法人 医薬品医療機器総合機構

丸山 良亮

パネルディスカッション

本セッションの講演者および

大阪大学

岡田 潔

三井不動産株式会社

加納 浩之

12:05–13:00

ランチブレイク

13:00–15:00

セッション 4

再生医療等製品の価格と経済性について考える

再生医療等製品においても、海外で開発されているものの、日本では着手されていない製品が複数あり、ドラッグロスの課題はまだ解決されていない。本セッションでは、その原因を考えるとともに、要因のひとつとして、内外価格差、薬価制度の改革を含め、適正な価格設定の課題を改めて整理し、望ましい方向は何かを議論したい。ドラッグロスの現状把握するために現状分析、再生医療等製品に対する国の取り組み及び医療経済性の観点から再生医療等製品の問題点をご講演頂き、その後、産業界と医療機関のそれぞれの立場から、より多くの患者様が再生医療等製品を使用できるための理想的な体制と現状の課題についてお話を伺う予定である。

座長:

大阪大学
岡田 潔

KalVista Pharmaceuticals Japan株式会社

池田 晶子

ドラッグロスと再生医療等製品の開発GAP

ボストンコンサルティンググループ

柳本 岳史

グローバル市場を見据えた再生医療の産業化

経済産業省

小松 廉太

再生医療等製品の価値と価格について（業界から）

三井不動産株式会社

加納 浩之

持続可能な再生医療

神戸市立神戸アイセンター病院 / 株式会社VC Cell Therapy

高橋 政代

パネルディスカッション

本セッションの座長、講演者

15:00–15:15

コーヒーブレイク

15:15–17:15

セッション 5

細胞外小胞の治療用途における産業化に向けて

細胞外小胞 (Extracellular Vesicles: EVs) は、「細胞から放出され、脂質二重層によって区切られ、自ら複製できない粒子」として定義され、細胞間の情報伝達物質や組織の再生を促す成長因子等を含み、バイオマーカーや治療用途としての期待が大きい。

本セッションでは治療用途を中心に、前半に EVs に対する期待と実用化に向けた課題、治療製品の開発事例とそれに伴う課題について、後半に特性評価、精製といった想定される課題に対応する技術・ガイダンス等の検討状況についての説明を行う。パネルディスカッションでは、講演の中で挙がった課題を整理し、それらの解決のために何が必要なのか、議論を行う。

座長:

独立行政法人 医薬品医療機器総合機構 富士フイルムホールディングス株式会社
野田 慎一

河内 幾生

細胞外小胞による治療に対する期待と課題

東京医科大学

落谷 孝広

細胞外小胞を用いた治療製品の開発事例とそれに伴う課題

東京慈恵医科大学

藤田 雄

エクソソームを含む細胞外小胞 (EV) を利用した医薬品の品質審査で想定される論点について

独立行政法人 医薬品医療機器総合機構

櫻井 陽

細胞外小胞の特性評価

国立医薬品食品衛生研究所

西村 仁孝

細胞外小胞に関する国際標準の開発

富士フイルムホールディングス株式会社

河内 幾生

パネルディスカッション

本セッションの座長、講演者

17:15–17:55

基調講演 2

iPS細胞を用いた免疫細胞療法の開発

座長:

第一三共株式会社

平澤 龍太郎

京都大学

金子 新

17:55–18:00

閉会の挨拶

プログラム副委員長/合同会社KORTUC JAPAN

須田 浩幸

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9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 #24313]

2024年12月11日(水) - 12日(木) | ハイブリッド開催 日本橋ライフサイエンスビルディングおよびオンライン

◆ 参加申込方法

DIAウェブサイト(www.DIAglobal.org)よりお申し込み頂くか、この申込書に必要事項をご記入の上、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。

◆ 年会費・参加費用(該当する□にチェックしてください)

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、ぜひこの機会にぜひ登録ください。

**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"/>	¥ 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:会員・非会員共通

お申込み日程、また所属カテゴリーにより異なります。該当欄に印を入れてください。

会員 ***	一般	早期割引*:2024年11月27日までの申込み	<input type="checkbox"/>	¥ 55,440 (税込)
		2024年11月28日以降の申込み	<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*:2024年11月27日までの申込み	<input type="checkbox"/>	¥ 29,700 (税込)
		2024年11月28日以降の申込み	<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"/>	¥ 55,100 (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下さい。

***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1つにチェック) 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)

* 参加のキャンセルは、お申し込み受理後、2024年11月13日までは手数料として一般会員・非会員とも20,000円、政府/非営利団体/大学関係者/医療関係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。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是可能ですが、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。**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(メール:Japan@DIAglobal.org)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て参加いただくよう、お願いしております。

**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使用させていただきます。また当日は、ご参加いただく皆様の会社名または組織名とご氏名を記載したリストを参加者・講演者・関係者(プログラム委員)に限り配布する場合があります。本申込書の提出をもって以上の個人情報のお取扱いにご同意いただいたものと解釈いたしますが、ご同意いただけない場合はDIA Japanまでご連絡ください。



9th DIA Cell and Gene Therapy Products Symposium in Japan

Development of Next-Generation Cell and Gene Products

- Issues in Development of Existing Products and Prospects for Practical Application of Next Generation Products -

December 11-12, 2024

Hybrid | Nihonbashi Life Science Building & Online



Previous symposiums have discussed issues in research and development of cell and gene therapy products at various stages toward industrialization and implementation, sometimes anticipating and sometimes reflecting on the progress of regenerative medicine. Cell and gene therapy products have been increasingly recognized among treatment options with a steady increase in the number of marketing approved products in Japan. In addition, improvements in manufacturing technologies and efficiency in the product supply chain are being considered, and this aspect of industry is also expected to grow. Furthermore, research and development of products with new mechanisms of action and therapeutic concepts that are beyond the framework of existing product modalities are progressing, and there are high expectations for the practical application of new products that can be called as "next generation" products.

On the other hand, the spread of new therapies and products always comes with new challenges and issues: healthcare professionals are facing issues from their respective positions on how to use and handle them, companies are tackling issues in product development and manufacturing, and regulatory authorities are managing evaluation methods, regulatory science, and other matters.

This symposium will continue to provide a forum for sharing issues among industry, government, and academia, and for constructive discussions on solutions.

This year, we would like to deepen our discussions about the issues necessary to achieve further development of cell/gene therapy products as an industry, as well as initiatives to efficiently develop next-generation products. The following five sessions are planned.

- Issues in Clinical Use of Out-of-Specification Autologous Cell Products
- Role of CMC Regulatory Affairs and Importance of CMC Regulatory Strategy
- New Technologies and Challenges of Adeno-Associated Viral Vector Products
- Consider the Price and Economics of Regenerative Medicinal Products
- Expectations and Challenges for Extracellular Vesicles

Keynote lectures and other presentations will deliver the latest topics from academic researchers who are pursuing the practical application of next-generation products, and from government and regulatory authorities who support development of cell and gene therapy products.

To make this symposium useful according to the needs and convenience of everyone, this symposium will be held in a hybrid format. Presentation materials and lecture videos will be distributed after the symposium*. Our annual networking event will be held on the evening of Day 1 for participants to freely exchange opinions.

We look forward to seeing many participants 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.

• PROGRAM CHAIR

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

• PROGRAM VICE-CHAIR

- **Hiroyuki Suda, MSc**
KORTUC JAPAN LLC.
- **Yasuko Terao, PhD**
Takeda Pharmaceutical Co., Ltd.

• PROGRAM COMMITTEE

- **Teruyo Arato, PhD**
Hokkaido University Hospital
- **Ryutaro Hirasawa, PhD**
Daiichi Sankyo Co., Ltd.
- **Akiko Ikeda**
Kalvista Pharmaceuticals Japan K.K.
- **Ikuo Kawauchi**
FUJIFILM Holdings Corporation
- **Keiji Miyamoto**
Daiichi Sankyo Co., Ltd.
- **Sumimasa Nagai, MD, PhD**
Kyoto University
- **Shinichi Noda, PhD**
Pharmaceuticals and Medical Devices Agency
- **Maki Tanaka**
Takara Bio Inc.
- **Yoshie Tsurumaki**
Novartis Pharma K.K.
- **Satoshi Yasuda, PhD**
National Institute of Health Sciences
- **Mika Yoshimatsu, PhD**
Janssen Pharmaceutical K.K.

• PROGRAM ADVISER

- **Masafumi Onodera, MD, PhD**
National Center for Child Health and Development (NCCHD)

• DIA Japan Operation Team

- **Futaba Nagata**
PPG Service K.K.
- **Akiko Nishioka**
Novartis Pharma K.K.
- **SH DIA JAPAN**
Mitsuhiro Niimi, PhD

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.



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

DIA Global Center: Washington, DC, USA | Basel, Switzerland | Beijing, China Horsham, PA, USA | Mumbai, India | Tokyo, Japan

DIAGlobal.org

9:30-10:00	REGISTRATION	14:10-14:30	COFFEE BREAK
10:00-10:10	WELCOME AND OPENING REMARKS	Short Presentation/ MicroBiopharm Japan Co., Ltd.	 MicroBiopharm Japan
Mitsuhiro Niimi, PhD DIA Japan Kiyoshi Okada, MD, PhD Program Chair/Osaka University			
10:10-10:30	INSPIRING SEMINAR	14:30-15:10	EDUCATIONAL LECTURE 2
	Development Status and Future Challenges for Gene Therapy Products	Pioneering the Future of mRNA Therapeutics with CRISPR-Cas3 Technology	
SESSION CHAIR: Kiyoshi Okada, MD, PhD Osaka University		SESSION CHAIR: Hiroyuki Suda, MSc KORTUC Japan LLC.	
Masafumi Onodeara, MD, PhD National Center for Child Health and Development (NCCHD)		Tomoji Mashimo, PhD The University of Tokyo	
10:30-12:15	SESSION 1	15:10-17:10	SESSION 2
	Ethical Perspectives and Industry-Academia-Government Initiatives on the Provision of out of Specification Products of Autologous Cell Products	CMC Regulatory Affairs Professionals - a Key Player for Successful Development of Cell and Gene Therapy Products -	
This session discusses the ethical aspects and industry-academia-government efforts regarding the provision of out of specification products (OOS) occurred for autologous cell products. Due to the variability in quality, especially in patient-derived raw material based products, OOS arise. It is important to improve manufacturing methods and specifications based on the information at post-approval, but OOS provision sometimes needs to be considered in the case that no available treatment remains and re-manufacturing is difficult. The session exchanges opinions on an appropriate way of OOS provision from industry-government-academia perspectives and discusses how to approach new challenges at post-approval.		This is a session of CMC-RA, by CMC-RA, for CMC-RA. Ex-commissioner of FDA, Dr. Scott Gottlieb mentioned "In contrast to traditional drug review, where 80% of the review is focused on the clinical portion of that process, and maybe 20% is focused on the product issues, I'd say that this general principal is almost completely inverted when it comes to cell and gene therapy." In other words, CMC review is more weighted in cell/gene therapy products, and necessity of regulatory professionals with CMC expertise would be increased. CMC sessions of the past symposium have covered several CMC-related topics such as virus safety, compatibility, change control. This year, we would like to focus on "role and responsibility of CMC-RA professionals" and discuss on cultivation and training of CMC-RA expertise in the cell and gene therapy field.	
SESSION CHAIR: Masafumi Onodeara, MD, PhD National Center for Child Health and Development (NCCHD) Yoshie Tsurumaki Novartis Pharma K.K.		SESSION CHAIR: Ryutaro Hirasawa, PhD Daiichi Sankyo Co., Ltd. Akiyo Fujikawa Aurion Biotech Japan, LLC.	
<i>Initiatives to Address Patient Access to Out-of-Specification Products</i> Yayoi Kitawaki, MSc, Meng Novartis Pharma K.K. <i>About Theme (1) (Safety which Corresponds to a Problem of Access and Establishment of a Quick Approval System to Drug Losses and Medical Products of a Short Supply, etc.).</i> Akira Iino Ministry of Health, Labour and Welfare, Japan(MHLW) <i>First Results of Out-of-Specification Tisagenlecleucel in Japanese Patients With R/R B-ALL and R/R DLBCL</i> Koji Kato, MD, PhD Kyushu University <i>Panel Discussion</i> All Session Speakers, and Kiyoshi Okada, MD, PhD Osaka University		<i>Communication with Regulatory Authorities on CMC-related Issues for Regenerative Medical Products</i> Kenichiro Maeda, PhD Pharmaceuticals and Medical Devices Agency(PMDA) <i>The Role of CMC Regulatory Personnel Required for Regenerative Medicine Development in Academia</i> Masao Sasai, PhD Osaka University <i>Points to Consider for CMC Regulatory Strategy in New Modality Drugs</i> Rou Irisawa Irisawa Consulting, LLC. <i>Efforts for Expertise Cultivation of CMC Regulatory Affairs Professionals</i> Masayuki Sato, PhD Daiichi Sankyo Co., Ltd. <i>Panel Discussion</i> All Session Speakers	
12:15-13:40	LUNCH BREAK	17:10-17:15	DAY 1 WRAP-UP
	EDUCATIONAL LECTURE 1		
	Board Certified Institution for Regenerative Medicine (Tentative)		
SESSION CHAIR: Kiyoshi Okada, MD, PhD Osaka University		Yasuko Terao, PhD Program Vice-Chair/Takeda Pharmaceutical Co., Ltd.	
Masato Sato Tokai University Tokyo Hospital		17:30-19:00	NETWORKING

9:00-9:30

REGISTRATION

9:30-11:15

SESSION 3**AAV Gene Therapy - Now and Then**

Adeno-associated virus (AAV) is widely used as a vector for *in vivo* gene therapy. Currently, numerous clinical trials using AAV vectors for gene therapy targeting various diseases are underway worldwide, and several gene therapy products have been approved and are in practical use. As data on the safety and efficacy of AAV vectors accumulate, this session will bring together experts from various fields to discuss the latest research findings and examples of development trends and challenges in AAV gene therapy. Topics will cover a wide range of stages from early development to non-clinical testing, manufacturing, quality control, clinical trials, challenges in the practical application of AAV gene therapy, and discussion of solutions.

SESSION CHAIR:

Teruyo Arato, PhD

Hokkaido University Hospital

Maki Tanaka

Takara Bio Inc.

Challenges and Expected Solutions for Gene Therapy Using AAV Vectors**Takashi Okada, MD, PhD, DipWSET**

The University of Tokyo

Development of AAV Gene Therapy Targeting Hereditary Deafness**Kazusaku Kamiya, PhD**

Juntendo University Faculty of Medicine

The Current State and Issues of Manufacturing and Quality Analysis of AAV vectors at Each Stage of Development**Susumu Uchiyama, PhD**

Osaka University

Development of Gene Therapy Products-In Gene Therapy Using AAV Vectors Nonclinical Assessments -**Yusuke Kagawa**

Novartis Pharma K.K.

Panel Discussion

All Session Speakers, and

Yasuhiro Kishioka, PhD

Pharmaceuticals and Medical Devices Agency(PMDA)

11:15-11:25

SHORT BREAK**11:25-12:05 SPECIAL SESSION:KEYNOTE ADDRESS 1 +DISCUSSION****The Future Development of Regenerative Medicine**

SESSION CHAIR:

Shinichi Noda, PhD

Pharmaceuticals and Medical Devices Agency(PMDA)

Keiji Miyamoto

Daiichi Sankyo Co., Ltd.

Yoshiaki Maruyama, PhD

Pharmaceuticals and Medical Devices Agency(PMDA)

Panel Discussion

All Session Speakers, and

Kiyoshi Okada, MD, PhD

Osaka University

Hiroyuki Kanoh

Mitsui Fudosan Co., Ltd.

12:05-13:00

LUNCH BREAK

13:00-15:00

SESSION 4**Considering the Price and Economic Viability of Regenerative Medicine Products**

There are also several regenerative medicine products that have been developed overseas but have not yet been started in Japan, and the issue of drug-loss has not yet been resolved. In this session, we will consider the causes of this, we would like to discuss the issue of fair pricing as one factor of this problem, including the price difference between Japan and overseas and re-consider the drug price system, and discuss what the desirable direction is. We will have a lecture on the current situation analysis to grasp the current situation of drug-loss, the government's approach to regenerative medicine products, and the problems from the perspective of medical economics. After that, we would like to hear from both the industry and medical institutions about the ideal system and current issues for more patients to use regenerative medicine products.

SESSION CHAIR:

Kiyoshi Okada, MD, PhD

Osaka University

Akiko Ikeda

Kalvista Pharmaceuticals Japan K.K.

Drug Lag & Loss in New Modalities**Takeshi Yanagimoto**

Boston Consulting Group Japan

Industrialization of Regenerative Medicine for the Global Market**Keita Komatsu**

Ministry of Economy, Trade and Industry (METI)

The Value and Price of Regenerative Medicine Products (from the Industry's Perspective)**Hiroyuki Kanoh**

Mitsui Fudosan Co., Ltd.

Sustainable Regenerative Medicine**Masayo Takahashi, MD, PhD**

Kobe City Eye Hospital/VCCT Inc.

Panel Discussion

All Session Speakers

15:00-15:15

COFFEE BREAK

15:15-17:15

SESSION 5**Toward the Industrialization of Extracellular Vesicles for Therapeutic Use**

Extracellular vesicles (EVs) is defined as "particles that are released from cells, are delimited by a lipid bilayer, and cannot replicate on their own." They contain substances that transmit information between cells and growth factors that promote tissue regeneration, and are expected to be used as biomarkers and for therapeutic purposes.

Focusing on therapeutic applications, the first half of this session will explain expectations for EVs and challenges for their practical application, examples of therapeutic product development and associated issues, and the second half will explain the status of studies on technologies and guidance to address assumed issues such as characterization and purification. In the panel discussion, issues raised in the lectures will be organized and what is needed to solve them will be discussed.

SESSION CHAIR:

Shinichi Noda, PhD

Pharmaceuticals and Medical Devices Agency(PMDA)

Ikuro Kawauchi

FUJIFILM Holdings Corporation

Expectation and Challenges for the Therapy by Extracellular Vesicles**Takahiro Ochiya, PhD**

Tokyo Medical University

Development of Therapeutic Products using Extracellular Vesicles and Associated Challenges**Yu Fujita, MD, PhD**

The Jikei University School of Medicine

Early Consideration: Discussion Points of Quality Control of the Product Derived from EVs**Akira Sakurai, PhD**

Pharmaceuticals and Medical Devices Agency(PMDA)

Characterization Methods for EV Therapeutics**Hirotaka Nishimura**

National Institute of Health Sciences

Development of International Standards for Extracellular Vesicles**Ikuro Kawauchi**

FUJIFILM Holdings Corporation

Panel Discussion

All Session Speakers

17:15-17:55

KEYNOTE ADDRESS 2**Developing iPS Cell-Derived immunotherapy Products**

SESSION CHAIR:

Ryutaro Hirasawa, PhD

Daiichi Sankyo Co., Ltd.

Shin Kaneko, MD, PhD

Kyoto University

17:55-18:00

CLOSING REMARKS**Hiroyuki Suda, MSc**

Program Vice-Chair/KORTUC Japan LLC.

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

9th DIA Cell Therapy and Gene Therapy Products Symposium in Japan

Event #24313 • December 11-12, 2024 | Hybrid | Nihonbashi Life Science Building & Online

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, online.

Join DIA now to save on future meetings and to enjoy the benefits of membership for a full year: 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 Nov. 27, 2024)	¥55,440	<input type="checkbox"/>
		On or After Nov. 28, 2024	¥63,360	<input type="checkbox"/>
	Government, Non Profit, Academia, Medicals	Early Bird (Until Nov. 27, 2024)	¥29,700	<input type="checkbox"/>
		On or After Nov. 28, 2024	¥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 e-mail.

Please check the applicable category:

- Academia Government Industry Medicals

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**

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 November 13, 2024

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.DIAglobal.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.DIAglobal.org/General/Terms-and-Conditions?productIDs=9276679>)

Signature

Date

PAYMENT OPTIONS

Register online at 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
www.diajapan.org

