

4th DIA Cell and Gene Therapy Products Symposium in Japan

- Development and Practical Use of Cell and Gene Therapy Products in Japan and Across the Globe -

December 16-17, 2019

Day 1: New Challenges in Global Development

Day 2: Reality of "From Bench to Bedside"

KFC Hall | Ryogoku, Tokyo

Accelerated by new regulatory and legal systems that came into practice in 2013, development of regenerative medicine in Japan has attracted considerable international attention. Many recent advances in the development of cell therapy products in Japan have been reported in articles not only in scientific journals but in more general publications. These advancements and reports have revealed numerous issues in the development, distribution, and post-market management of these products.

Since 2016, DIA Japan has brought together stakeholders involved in developing cell therapy products, particularly from industry and academia, for our annual Cell Therapy Products Symposium, and we announce with great pleasure that our 4th Cell and Gene Therapy Products Symposium is scheduled for December 16-17, 2019.

The mission of this Symposium – to exchange insights and ideas with relevant regulatory and other government authorities that deepen mutual understanding and resolve issues of concern around these products – has remained unchanged since 2016. But in 2018, we expanded our agenda to include gene therapy, reflecting scientific progress in this area as well as requests from these stakeholders. Our agenda for 2019 has further expanded to cover essential challenges and issues encountered in each stage of development, in a global development strategy, for these novel therapeutics.

For 2019, three key opinion leaders will deliver keynote addresses on their cutting-edge research; Professor Kounosuke Mitani, Saitama Medical University, on genome editing; Professor Koji Eto, CiRA, on platelet production from iPS cells; and Professor Hiroshi Shiku, Mie University, on CAR-T research. In addition, speakers from PMDA will be joined by speakers from FDA and EMA to share through lectures and joint panel discussions the current state of regulatory and related frameworks across Japan, Europe, and the US.

While this program presents the opportunity to attend either the first or second day independently, we invite you to participate through both days. For example, approaching the comparability of cell/gene products will be discussed on day one; day two will discuss updates on the Cartagena Act and on the concepts and requirements for long-term post-marketing follow-up.

We hope that our 4th Cell and Gene Therapy Products Symposium will continue to provide the best framework for exchanging knowledge and sharing insights about these products in Japan, and also provide high-value networking opportunities for you and your colleagues. We look forward to your active participation in Tokyo.



PROGRAM CHAIR

• Daisaku Sato, PhD
• Pharmaceuticals and Medical Devices Agency (PMDA)

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, MS

• 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, PhD

• National Center for Child Health and Development

Hiroyuki Suda, MSc

• Cuorips Inc.

Yoshie Tsurumaki

• Novartis Pharma K.K.

PROGRAM ADVISORS

• Akiko Ikeda

• Janssen Pharmaceutical K.K.

Yoji Sato, PhD

• National Institute of Health Sciences (NIHS)

OPERATION TEAM

• Junpei Kozaki

• PAREXEL International

Simultaneous Translation Available

WHO SHOULD ATTEND?

• Cell and 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.



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 Email: Japan@DIAglobal.org

Drug Information Association

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

DIAglobal.org

10:00-10:30 REGISTRATION

10:30-10:45 WELCOME AND OPENING REMARKS

Akio Uemura, PhD

Senior Vice President & Managing Director, DIA Japan

Daisaku Sato, PhD

Program Chair

Associate Center Director for Advanced Evaluation with Electronic Data and Medical Informatics and Epidemiology / Chief Management Officer, Pharmaceuticals and Medical Devices Agency (PMDA)

10:45-11:15 EDUCATIONAL LECTURE

SESSION CHAIR

Teruyo Arato, PhD

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

Perspective of Genome Editing Tool

Teruhide Yamaguchi, PhD

Professor, Kanazawa-Institute of Technology

Genome-editing technology that is used for modification and editing of target gene, is widely developing and already applied to many clinical studies in worldwide. The genome editing has several risks such as off-target effect, chromosome translocation/deletion, and so on. As he will touch not only the promise of this new technology, but also clinical effects, aspect on safety of genome editing will be also discussed.

11:15-12:00 KEYNOTE ADDRESS 1

SESSION CHAIR

Masafumi Onodera, MD, PhD

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

Challenges towards Therapeutic Genome Editing

Kohnosuke Mitani, PhD

Division Head / Professor, Gene Therapy Division, Research Center for Genomic Medicine, Saitama Medical University

Genome editing is an ideal strategy for gene therapy to treat various disorders. In contrast to the overexpression of therapeutic cDNA, genome editing enables precise gene repair as well as ensures the stable and regulated expression of the edited gene. The recent development of artificial nucleases, such as CRISPR-Cas9, has made it possible to overcome the low efficiency of targeted DNA integration, gene repair and gene knockout, which are not feasible with conventional gene addition therapy. Genome editing has already been used in clinical applications for cancer and AIDS therapy, where the benefits outweigh the associated risks. However, genome editing using donor DNA for homology-directed repair (HDR) still has challenges with regard to its efficiency and safety. Off-target mutations have not been fully evaluated concerning the infidelity of nucleases or random chromosomal integration of donor DNA. Careful consideration is necessary to establish clear criteria for when gene editing therapy should be selected over current gene addition therapy.

12:00-13:30 LUNCH BREAK/
INTRODUCTION OF EXHIBITORS

13:30-14:10 SESSION 1

Japanese Standards for Biological Raw Materials in the Development of Regenerative Medical Products: From Industry Viewpoints

SESSION CHAIR

Yoji Sato, PhD

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

We sometimes face to regulatory challenges related to the Standards for Biological Raw Materials, in the development of regenerative medical products in Japan.

In this session, after the introduction of the background and perspectives of the Standards, key operational issues and possible solutions will be discussed during the panel discussions from companies' viewpoints by the representatives from each industry group.

The Background and Perspectives of the Standards for Biological Raw Materials

Yoji Sato, PhD

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

Panel Discussion

Session Speaker and

Satoru Hayata, MS

Chair, Biological Products Sub-committee, EFPIA / GlaxoSmithKline K.K.

Shunsuke Saito, MS

SAMURAI Biotech Association / HEALIOS K.K.

Yasushi Shikata, PhD

Biopharmaceutical Committee, JPMA / Eisai Co., Ltd

Toshimitsu Tanaka, MS

Regulatory Committee, FIRM / Astellas Pharma Inc.

14:10-15:30 SESSION 2

Concept of Comparability in Cell and Gene Products

SESSION CO-CHAIRS

Masaki Kasai, PhD

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

Keiji Miyamoto

Principle, Regulatory Affairs Group, Post-Marketing Regulatory Affairs Department, R&D Division, Daiichi Sankyo Co., Ltd.

The manufacturers of regenerative medicines make changes during the development and after approval, for the purposes of improving the process, scale-up, site-changes, and so on.

As an approach to explain comparability, some cases are appropriate to follow the biotechnological products, while some cases are not, then the extent of requirement to demonstrate comparability is an issue.

In this session, we will have speakers who will share their insights and experiences.

The panel discussion will follow to figure out the general considerations and approaches to the current issues.

The Concept of Comparability in Cell and Gene Therapy

Akiyoshi Kunieda

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

Comparability in Manufacturing and Characterization of Regenerative Medical Products

Yoji Sato, PhD

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

Comparability Test for Cellular Products in the Case of Addition of Manufacturing Site

Shin Kawamata, MD, PhD

Director, Research & Development Center for Cell Therapy, The Foundation for Biomedical Research and Innovation

Points to Consider of Comparability in Viral Vectors

Masafumi Onodera, MD, PhD

Department Head, Department of Human Genetics, National Center for Child Health and Development

15:30-16:00 COFFEE BREAK/
INTRODUCTION OF EXHIBITORS

16:00-16:45 KEYNOTE ADDRESS 2

SESSION CHAIR

Daisaku Sato, PhD

Associate Center Director for Advanced Evaluation with Electronic Data and Medical Informatics and Epidemiology / Chief Management Officer, Pharmaceuticals and Medical Devices Agency (PMDA)

Industrial Scale Manufacturing Platelets Using iPS Cell Technology

Koji Eto, MD, PhD

Professor, Department of Clinical Application, Center for iPS Cell Research and Application, Kyoto University

16:45-17:25 SESSION 2 - PANEL DISCUSSION

SESSION CO-CHAIRS

Keiji Miyamoto

Principle, Regulatory Affairs Group, Post-Marketing Regulatory Affairs Department, R&D Division, Daiichi Sankyo Co., Ltd.

Daisaku Sato, PhD

Associate Center Director for Advanced Evaluation with Electronic Data and Medical Informatics and Epidemiology / Chief Management Officer, Pharmaceuticals and Medical Devices Agency (PMDA)

Panel Discussion

All Speakers for Session 2 and

Koji Eto, MD, PhD

Professor, Department of Clinical Application, Center for iPS Cell Research and Application, Kyoto University

17:30-19:00 NETWORKING RECEPTION

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.

8:30-9:00 REGISTRATION

9:00-9:10 OPENING - DAY 2

Current Status of Cell and Gene Therapy in the World**Masafumi Onodera, MD, PhD**

Department Head, Department of Human Genetics, National Center for Child Health and Development

9:10-11:20 SESSION 3

Correspondence to Cartagena Law – Operation for Type 1 Use Regulations and Evaluation of Any Risks from Environmental Impact**SESSION CHAIR****Eriko Uchida, PhD**

Section Chief, Section 1, Division of Molecular Target and Gene Therapy Products, National Institute of Health Sciences (NIHS)

A procedure in conformity with so-called Cartagena law is to take on the occasion of development and the commercialization of gene therapy products in Japan. Among them, for the products used without taking containment measures, it is necessary to take the approval of the Type 1 Use Regulation by the Minister of Health, Labour and Welfare and to establish the operational condition aligned with the regulation in advance of the beginning of a clinical trial.

In this session, we ask PMDA to explain the key points to note in the preparation of the application form and the biological diversity risk assessment report and help form a definite concept for the regulation. In addition, we also ask several presenters with such experiences from the companies and a medical institution to show their cases with problems and solutions and talk about the issues comprehensively as a panel discussion form.

Outline of Mock-up of Type 1 Use Regulations and Points to Consider for Biological Diversity Risk Assessment Report**Takami Ishizuka, PhD**

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

Operations by Company (Adeno-associated Virus (AAV))**Hiroshi Miyashita, MSc**

Clinical Project Manager, Clinical Operations, Pfizer R&D Japan

Operations by Company (Adenovirus)**Hiroyuki Suda, MSc**

Global Head of Development, Cuorips Inc.

A Good Practice for the Cartagena Protocol in Clinical Sides**Masafumi Onodera, MD, PhD**

Department Head, Department of Human Genetics, National Center for Child Health and Development

Panel Discussion

All Session Speakers

11:20-11:50 COFFEE BREAK

11:50-12:40 KEYNOTE ADDRESS 3

SESSION CHAIR**Daisaku Sato, PhD**

Associate Center Director for Advanced Evaluation with Electronic Data and Medical Informatics and Epidemiology / Chief Management Officer, Pharmaceuticals and Medical Devices Agency (PMDA)

Adoptive Cell Therapy with TCR-gene Engineered T Cells - Specificity, Construct and Cells -**Hiroshi Shiku, MD, PhD**

Professor, Department of Immuno-Gene Therapy and Personalized Cancer Immunotherapy, Mie University Graduate School of Medicine

Adoptive cell therapy with gene-engineered T cells is a promising approach of cancer immunotherapy. Two approaches, CAR (Chimeric Antigen Receptor) / TCR (T cell Receptor) T cells have been challenged. We have developed a unique retroviral vector that encodes tumor-specific TCR, mutated for high affinity, and siRNAs that specifically downregulate endogenous TCR in lymphocytes. This vector could minimize the risk to create mis-paired TCR. Utilizing this novel vector, we started FiH trial of NY-ESO-1 targeted TCR gene therapy as an investigator multi-initiated institutional clinical trial. Patients were pre-conditioned with cyclophosphamide before administration of TCR gene engineered T cells. Patients receiving 5x10⁹ cells developed cytokine release syndrome (CRS) reminiscent of CD19 CAR, with elevation of serum IL-6 and IFN-gamma, which were resolved with tocilizumab. Three synovial sarcoma patients showed tumor responses. This is a joint development by Mie University and Takara Bio Inc. proposing an example of academia-company collaboration of an original cancer therapy in Japan.

12:40-14:10 LUNCH BREAK

14:10-15:40 SESSION 4

Regulatory Dialog in US, EU and Japan; Risk Balance on Pre/post-market to Treated Patients as Gene Therapy**SESSION CO-CHAIRS****Masafumi Onodera, MD, PhD**

Department Head, Department of Human Genetics, National Center for Child Health and Development

Daisaku Sato, PhD

Associate Center Director for Advanced Evaluation with Electronic Data and Medical Informatics and Epidemiology / Chief Management Officer, Pharmaceuticals and Medical Devices Agency (PMDA)

Development of gene therapy products is in progress over the world, and the monitoring of efficacy and safety after treatment is extremely important based on the characteristics compared with conventional medicines. It is necessary to consider risk management planning and risk assessment as innovative new drugs. Post marketing surveys as registration of all cases of treated patients are requested in Japan basically. Also, guidance for follow-up of patients administered with gene therapy medicinal products are prepared by both EMA and FDA recently.

In this session, DIA invite the regulators of FDA and EMA and PMDA. They will explain "risk balance on pre-/post- market to treated patients as gene therapy" from point of each health authority's point of view, including of points on their accelerated review process (BT, RMAT, PRIME, SAKIGAKE).

In the panel discussion, two experts will ask them about important points to consider, such as the necessary period of long-term follow up, and the view of the education program for patients and doctors using gene products.

Risk Balance on Pre-/post-market to Treated Patients as Gene Therapy in US (Tentative)**Wilson W. Bryan, MD**

Director, Office of Tissue and Advanced Therapies, CBER, FDA

Pre- and Post-approval Safety and Efficacy Data Generation for Advanced Therapy Medicinal Products: Experience in Europe**Patrick Celis, PhD**

Scientific Administrator, European Medicines Agency (EMA)

Risk Balance on Pre-/post-market to Treated Patients as Gene Therapy in Japan**Megumi Kawamoto, PhD**

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

Panel Discussion

All Session Speakers

15:40-16:10 COFFEE BREAK

16:10-17:30 SESSION 5

Data Collection and Utilization for Gene Therapy Products after Launch**SESSION CHAIR****Sumimasa Nagai, MD, PhD**

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

In 2019, two gene therapy products have been approved as regenerative medicine in Japan, marking the first year of Japan's gene therapy commercialization.

Gene therapy products are the products that highly require continuous evaluation of efficacy and safety even after the launch in the market. Given the circumstances where more gene therapy products are expected to be approved in the future, pharmaceutical companies are taking an increasing interest in procedures for relevant data collection, such as scheme and contents and how to utilize them.

In this session, the specialists will explain the current situation surrounding the ongoing data collection for the two gene therapies approved this year. In addition, we will discuss how to plan and prepare appropriate data collection measures for future gene therapy products.

Hematopoietic Cell Transplantation and Cellular Therapy Registry in Japan**Yoshiko Atsuta, MD, PhD**

Head, The Japanese Data Center for Hematopoietic Cell Transplantation (JDCHCT)

Post Marketing Strategies of Novel Gene Therapy Product Collagen**Mitsuaki Chujo, PhD**

Director, Pharmacovigilance Department, AnGes, Inc.

Panel Discussion

All Session Speakers and

Wilson W. Bryan, MD

Director, Office of Tissue and Advanced Therapies, CBER, FDA

Patrick Celis, PhD

Scientific Administrator, European Medicines Agency (EMA)

Kazuhisa Koike, PhD

Principal Inspector, Office of Pharmacovigilance II, Pharmaceuticals and Medical Devices Agency (PMDA)

17:30-17:40 CLOSING REMARKS

Yasuko Terao, PhD

Program Vice-chair

Director, External Collaboration and Portfolio Management Department, Clinical Science Division, R&D, Janssen Pharmaceutical K.K..

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

4th DIA Cell Therapy and Gene Therapy Products Symposium in Japan

Event #19313 • December 16-17, 2019 | 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

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

10% CONSUMPTION TAX INCLUDED			
	2 DAYS	DAY 1 ONLY	DAY 2 ONLY
MEMBER *	Industry	Early Bird (Until Nov. 25, 2019) ¥46,200 <input type="checkbox"/>	¥31,900 <input type="checkbox"/>
	On of After Nov.26, 2019	¥52,800 <input type="checkbox"/>	¥35,200 <input type="checkbox"/>
NONMEMBER	Government, Non Profit, Academia, Medicals	Early Bird (Until Nov. 25, 2019) ¥24,750 <input type="checkbox"/>	¥14,850 <input type="checkbox"/>
	On of After Nov.26, 2019	¥27,500 <input type="checkbox"/>	¥16,500 <input type="checkbox"/>
MEMBERSHIP	Industry	¥72,050 <input type="checkbox"/>	¥44,825 <input type="checkbox"/>
	Government,	¥46,750 <input type="checkbox"/>	¥26,125 <input type="checkbox"/>
	Non Profit, Academia, Medicals	¥40,700 <input type="checkbox"/>	¥23,100 <input type="checkbox"/>
Membership		¥19,250 <input type="checkbox"/>	
2-Year Membership		¥34,650 <input type="checkbox"/>	
Academia Membership (Academia, Medicals)**		¥13,200 <input type="checkbox"/>	

Early Bird Deadline: November 25, 2019

* 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 accomodation 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

URL: <http://www.dh-ryogoku.com/english/index.html>

DIA Terms and Conditions

CANCELLATION POLICY: On or before December 9, 2019

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>)

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>)

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>)

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, 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

www.diajapan.org



第4回DIA再生医療製品・遺伝子治療用製品シンポジウム

～再生医療/遺伝子治療製品開発と実用化 All JapanとGlobal～

2019年12月16日(月)～17日(火)

Day 1: 細胞加工品と遺伝子治療 研究から製品化への道すじ グローバル開発を見据えて

Day 2: 細胞加工品と遺伝子治療 臨床開発と市販後をめぐる議論

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

我が国における再生医療等製品の開発は、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・海外発の再生医療製品が開発ステージを経て上市に至るケースが増え、日々のニュース紙面を賑わせる一方で、研究開発から市販後に至る各ステージでの課題も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・関係者間で共有し、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います。昨年は遺伝子治療もテーマに加え、開催期間を二日間としました。これまで以上に充実した内容と議論が好評であったことを受け、本年も細胞加工品ならびに遺伝子治療用製品をテーマとし、二日間にわたり開催する運びとなりました。

患者さんのアンメットニーズや市場規模を考慮するに、今後の再生医療等製品の開発戦略はローカルでの開発・製品化を足掛かりとする従来の「日本発」型アプローチとともに、低分子医薬品や抗体医薬品等と同様に、発祥の地を問わず魅力的な製品をもって開発開始時よりグローバル展開を志向するアプローチも大きく進展するものと予想されます。本年のシンポジウムは、このような前向きのグローバル開発戦略立案の際、念頭におくべき細胞加工品・遺伝子治療用製品共通の課題やポイントについて、また、整備すべき共通基盤について参加者全員が考え、議論ができるよう、非臨床研究・臨床開発から開発・市販後まで、製品開発の流れにそってアジェンダを用意しました。

Day 1はホットトピックである「ゲノム編集」について日本薬科大学 山口 照英先生に教育講演を、埼玉医科大学 三谷 幸之介先生に基調講演1をいただき、最先端のサイエンスが医療現場に実装化される近い将来について考えます。また、再生医療等製品のグローバル開発に際して製造変更やスケールアップ等の実施を想定した際、課題の一つになるとを考えられる生物由来原料基準の扱いや、製品の同等性・同質性の考え方をトピックに取り上げ、現状と課題について学び議論する場を設けます。さらに基調講演2として京都大学 江藤 浩之先生からご自身のiPS細胞由来血小板製造研究をご紹介いただき、議論に加わっていただきます。Day2は主に臨床開発ステージの課題にアプローチします。昨年に続きカルタヘナ法をキーワードの一つとして取り上げ、「ドラッグラグ」を未然に防ぐための産学官の連携についてアップデートするほか、企業から遺伝子治療用製品の開発事例をご紹介いただく予定です。さらに基調講演3として、三重大学 珠玖 洋先生からCAR-T研究と臨床についてお話を伺うとともに、再生医療等製品の市販後の課題についても議論します。

シンポジウムを通してPMDAからのスピーカーに講演と意見を頂くと同時に、本年は恒例となつたEMAに加え、FDAからもグローバルスピーカーを招聘しました。講演やパネルディスカッションを通してグローバルの動向・現状と、日本との環境の違いについて理解の進む内容となっております。

Day1、Day2各自単独でもご参加いただけるプログラムにはなっておりますが、2日間を通してご参加いただくことで、細胞加工品・遺伝子治療用製品に共通するEndo to EndのValue Chainに存在する課題について、学びのある企画としております。

DIA再生医療製品・遺伝子治療シンポジウムは、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、さらに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います。

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



プログラム委員長

- ・独立行政法人 医薬品医療機器総合機構 佐藤 大作

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

- ・クオリップス株式会社 須田 浩幸

- ・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

- ・国立医薬品食品衛生研究所 佐藤 陽治

DIA Japan Operation Team

- ・パレクセル・インターナショナル株式会社 小崎 順平

- ・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.



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 Email: Japan@DIAGlobal.org

Drug Information Association

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

DIAGlobal.org

10:00-10:30 受付

10:30-10:45 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

プログラム委員長 / 独立行政法人 医薬品医療機器総合機構
佐藤 大作

10:45-11:15 教育講演

座長

北海道大学病院

荒戸 照世

ゲノム編集への期待と安全性

金沢工業大学 / 日本薬科大学

山口 照英

特定の遺伝子をターゲッティングして改変・編集できるゲノム編集技術の開発が進み、既に海外ではゲノム編集遺伝子治療の臨床試験が実施されている。一方、目的外の遺伝子に対してゲノム変異や染色体の転座等を引起するリスクが指摘されている。そこで各ゲノム編集技術の特性と期待される臨床効果について解説いただくとともに、目的外のゲノム異常などを引起するリスクを踏まえた安全性についての考慮事項をご説明いただく。

11:15-12:00 基調講演1

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

ゲノム編集の臨床応用における有効性と安全性に関する課題

埼玉医科大学

三谷 幸之介

ゲノム編集技術の進歩は、従来の遺伝子付加治療では困難であった遺伝子ノックアウトや遺伝子修復による治療ストラテジーを現実のものとした。一方、ゲノム編集の臨床応用には、従来の遺伝子治療の課題である発現効率や遺伝子導入ベクターに対する免疫応答などに加えて、ヌクレアーゼのオフターゲット変異によるDNA変異導入のリスクなどゲノム編集技術に特有の課題がある。ゲノム編集を利用した遺伝子治療をより広範な疾患に応用するためには、異なる技術の改良とともに、既存の治療法と比較して客観的にリスクヘッジを評価する必要がある。

12:00-13:30 ランチブレイク/展示ブース紹介

13:30-14:10 セッション1

企業からみた再生医療等製品における生物由来原料基準の課題

座長

国立医薬品食品衛生研究所

佐藤 陽治

再生医療等製品の開発を日本において促進する上で、生物由来原料基準への薬事的な対応が問題となる場合がある。

日本において生物由来原料基準が作成された背景と今後の方向性を座長より解説した上で、関連する各業界団体から企業がこれまでに経験した実務的な問題点や今後の主な課題をパネルディスカッション形式にて討議する。

はじめに - 生物由来原料基準の背景と昨今の動向

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

欧州製薬団体連合会 バイオ医薬品部会/グラクソ・スミスクライン株式会社

早田 悟

日本バイオテク協議会/株式会社ヘリオス

西藤 俊輔

日本製薬工業協会 バイオ医薬品委員会/エーザイ株式会社
四方 靖

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
田中 俊充

14:10-15:30 セッション2

再生医療等製品における同等性／同質性の考え方

座長

独立行政法人 医薬品医療機器総合機構

河西 正樹

第一三共株式会社

宮本 恵司

再生医療製品・遺伝子治療用製品の開発～製品のライフサイクルを通して、スケールアップや原材料の変更に伴う製造工程の変更、製造場所の変更等により製品の同等性／同質性の評価が必要となることがある。

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、バイオ医薬品の考え方を探ることが可能な事項もあれば、適切でない事項も考えられ、評価方法、評価項目に何を設定するか課題となる。

このセッションでは、ICH-Q5Eから再生医療製品で利用できる考え方、AMEDでの検討より得られた知見、ウイルスベクターでの考え方について、見識を共有いただきたい。

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について、議論を行いたい。

再生医療製品の同等性／同質性評価におけるICH-Q5Eの利用

独立行政法人 医薬品医療機器総合機構

國枝 章義

再生医療製品のAMED研究班での検討状況（仮題）

国立医薬品食品衛生研究所

佐藤 陽治

細胞製剤の製造所追加時において求められる同等性試験について

公益財団法人 神戸医療産業都市推進機構 細胞療法研究開発センター
川真田 伸

ウイルスベクターの同等性・同質性の考え方

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

15:30-16:00 コーヒーブレイク/展示ブース紹介

16:00-16:45 基調講演2

座長

独立行政法人 医薬品医療機器総合機構

佐藤 大作

iPS細胞由来血小板を世界の患者さんに届けるために（仮題）

京都大学iPS細胞研究所

江藤 浩之

江藤先生は、これまでにいた献血に頼る輸血医療におけるアンメットニーズを見据え、「第二のイノベーション」を起こすべく、iPS細胞由来血小板の大量生産の確立と臨床応用に取り組んでいる。現在では米国、日本で臨床試験を開始すべく準備中で、特に米国で実現した場合、初のiPS細胞由来製品を使った臨床試験となる。今回江藤先生には、基礎から臨床開発にいたる今までの研究について、特に、今後、再生医療の実現に取り組む関係者にとり課題となる、大量の安定した製品を患者に届けるという観点から、貴重なインサイトをご共有いただきたい。

16:45-17:25 セッション2 - パネルディスカッション

座長

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

佐藤 大作

パネリスト

セッション2の講演者および

京都大学iPS細胞研究所

江藤 浩之

17:30-19:00 情報交換会

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。

8:30-9:00 受付

9:00-9:10 Opening - Day 2

世界の細胞加工品と遺伝子治療の現状国立研究開発法人 国立成育医療研究センター
小野寺 雅史

9:10-11:20 セッション3

カルタヘナの実際～第一種使用規定の運用と生物多様性の影響評価

座長

国立医薬品食品衛生研究所

内田 恵理子

遺伝子治療用製品の開発や商業化に際して日本ではいわゆるカルタヘナ法に則った手続きが必要となるが、このうち拡散防止措置を講じない遺伝子組換え生物の使用に関しては、第一種使用規定に関する厚生労働大臣等の承認が必要であり、実際の遺伝子治療実施の際は当該規定の運用を定める必要がある。

本セッションでは、第一種使用規定申請書とその添付資料となる生物多様性影響評価書の作成の要点をPMDA側より解説していただき当該規定の概念を整理する。さらに、第一種使用規定に基づく運用実績のある企業や医療機関に、運用上の工夫や問題点等を提示していただき、発表者全員によるパネルディスカッションにて総合的な議論を展開する。

第一種使用規定承認申請書のモックアップと生物多様性影響評価書の記載に当たっての留意事項の解説独立行政法人 医薬品医療機器総合機構
石塚 量見**企業における対応(アデノ随伴ウイルス)**ファイザーR&D合同会社
宮下 大志**企業における対応(アデノウイルス)**クオリップス株式会社
須田 浩幸**医療機関における運用上の工夫**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**パネルディスカッション**
本セッションの講演者

11:20-11:50 コーヒーブレイク

11:50-12:40 基調講演3

座長

独立行政法人 医薬品医療機器総合機構
佐藤 大作**遺伝子改変T細胞の輸注療法—特異性、コンストラクト、細胞—**三重大学
珠玖 洋細胞医療のアプローチのひとつとして、レセプター遺伝子を改変したT細胞の輸注療法が大きな注目を集めている。いわゆる、CAR(Chimeric Antigen Receptor)/TCR(T cell receptor)T細胞による治療法である。つい先日我が国でも承認を受けたB細胞性腫瘍に対するCAR輸注療法は、重要な治療法の選択肢を患者さんに与えるものとして期待されている。我々は、がん特異的抗原のひとつNY-ESO-1に対するTCRを用いたT細胞輸注療法を開発して来た。内在性TCRを抑制するレトロウイルスベクター-siRNAの開発、高親和性TCRの利用等を検討し前臨床及び臨床試験を進めた。5×10⁹の輸注によりCD19CAR輸注療法で報告された様々なサイトカイン放出症候群(CRS)を経験したが、臨床的にはコントロール可能なものであった。AYA難治性がんのひとつ滑膜肉腫において顕著な抗腫瘍活性を見ることが出来た。この開発は三重大学とタカラバイオ株式会社が共同で進めた、産学連携によるオリジナルながらん治療法開発例である。

12:40-14:10 ランチブレイク

14:10-15:40 セッション4

三極Regulator Dialog; 遺伝子治療用製品の治験段階と市販後のリスクバランスに対する考え方

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

独立行政法人 医薬品医療機器総合機構

佐藤 大作

日本米欧では遺伝子治療用製品の開発が進んでいるが、その特性から、これまでの医薬品とは異なり、治療後の有効性及び安全性のモニタリングが極めて重要である。革新的な新薬という観点からもリスク管理計画及びリスクアセスメントを行う必要があり、日本においては治療を受けた患者の全例登録による調査を原則としているが、欧米ではLong term follow upのガイドラインが策定されている。

本セッションでは、FDA及びEMAからレギュレーターを招き、各地域の考え方、同時に日本における考え方についてご講演頂く予定である。また、遺伝子治療用製品に対して、各地域ともbreakthrough, RMAT, PRIME等の優先審査スキームが適用可能であり、パネルディスカッションでは、市販前と市販後の規制のバランスの考え方を含めて、各極で最も重視すべき事項及び対策、フォローアップの期間、実施可能性、患者及び医療機関等への教育に対する考え方等、今後日本で検討すべき課題等について確認していく。

USにおける遺伝子治療用製品の治験段階と市販後のリスクバランスに対する考え方(仮題)FDA
Wilson W. Bryan**Pre- and Post-approval Safety and Efficacy Data Generation for Advanced Therapy Medicinal Products: Experience in Europe**European Medicines Agency (EMA)
Patrick Celis**日本における遺伝子治療用製品の治験段階と市販後のリスクバランスに対する考え方**独立行政法人 医薬品医療機器総合機構
川本 恵**パネルディスカッション**
本セッションの講演者

15:40-16:10 コーヒーブレイク

16:10-17:30 セッション5

遺伝子治療用製品の市販後の情報収集と活用

座長

東京大学医学部附属病院

永井 純正

2019年に再生医療等製品として初の遺伝子治療用製品の2製品が承認され、日本の遺伝子治療実用化元年となった。

市販後においても引き続き有効性・安全性を検証することがより強く求められる製品であり、かつ今後各社から承認品目が増えることが予測される中、市販後にどのような枠組みでどのような情報収集を行い、それをどう使用していくか等、対応方法に企業の注目が集まっている。

本セッションでは、本年承認された2品目の市販後の情報収集対策に取り組む専門家から現状を解説頂くとともに、今後出てくる製品においてこれらの対策をどう計画すべきかについて議論したい。

細胞治療のレジストリについて(仮題)一般社団法人 日本造血細胞移植データセンター
熱田 由子**遺伝子治療製品コラテジエンの市販後対策の実際**アンジェス株式会社
中條 光章**パネルディスカッション**
本セッションの講演者およびFDA
Wilson W. Bryan
European Medicines Agency (EMA)
Patrick Celis独立行政法人 医薬品医療機器総合機構
小池 和央

17:30-17:40 閉会の挨拶

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

