

# 第6回DIA再生医療製品・遺伝子治療用製品シンポジウム

医療現場で使いこなせる再生・遺伝子治療に向けて

～産業化ステージでの課題を解決する～

2021年12月13日(月)～14日(火)

Day 1: 再生医療等製品の産業化

確実で安定的な製造とそれを支える品質～最新の技術と知見

Day 2: 再生医療等製品を使いこなす

安定供給に向けてさらにつながり連携する製造側と医療側

Web開催 (Zoom Webinar)

我が国においては、再生医療等製品の早期実用化を目指した2013年の新しい法律の策定以来、国際的にも高い注目の中、活発な議論が行われた結果、多くの国内・海外発の難治性疾患に対する再生医療等製品の臨床開発が加速し、複数の製品が実用化し治療薬として医療現場で使用されるようになりました。また、研究開発から市販後に至る実用化に至るまでの各ステージでの課題も明確かつ具体的に認識されるようになってきました。DIAJapanでは、企業やアカデミアが直面するこのような課題について、産官学の担当者・関係者間で共有し、建設的な議論を通じて共に解決策を探る機会として2016年より再生医療等製品シンポジウムを開催してまいりました。2018年より遺伝子治療用製品を取り上げ、開催期間を二日間とするなど、シンポジウム自体が進化し続けることによって時流に即した活発な議論が行えることで産官学いずれから多くの皆さまにご参加いただいております。本シンポジウムの視座も、開始当初の再生医療等製品を患者さんに臨床の場で届ける「実用化」を中心としたものから、昨年2020年は実用化のその先のステージ、すなわち確実により良い製品を継続的に安定して患者さんと医療現場に届ける「産業化」に据える等、現場の直面するニーズに合わせた変遷を遂げています。

本年2021年は、「医療現場で使いこなせる再生・遺伝子治療に向けて」と題し、研究開発・製造から医療現場での使用、どのステージにおいても担当者の知識と経験が蓄積しつつある今だからこそ取り組める課題と共にと率直で前向きな議論を実現すべく、2日間のAgendaを準備いたしました。

Day1は、バイオテクノロジー応用医薬品のひとつである再生医療等製品の開発と遅滞なき提供を目指す際に必須要件である、ウイルス安全性にかかるデータ取得技術としての次世代ゲノムシーケンシング(NGS)と、その実用化に向けたデータベース構築の課題や、必要とされる協力体制につき、専門家が一同に会して紹介、議論するSession1から始まります。Session2では、細胞加工製品ならびに遺伝子治療用製品の品質及び安全性等評価に関するトピックとしてBiodistributionに着目し、細胞加工製品、遺伝子治療用製品両者のBiodistribution研究に関連する最新の技術情報と課題、また各極ハーモナイゼーションの現状等、総論と各論、ケーススタディーに一度に触れる場にします。

Day2、Session3においては、再生医療等製品の適切な変更管理戦略に基づいた、より効率的かつ安定的な製造体制の構築の鍵となる同等性／同質性の評価に対する考え方について、企業の経験を共有しながら議論を展開します。本シンポジウムで繰り返し取り上げてきた同テーマですが、今年は特に遺伝子治療用製品に焦点を当て学びたいというご要望に応え、本領域で開発経験を有する演者をお招きし、各ケースが直面した課題とその対処法について学びます。Session4では、昨年同様、高度化・複雑化した再生医療等製品の性質に合わせて、より高度な供給体制構築が要求される現況に鑑み、製品のサプライチェーン全般から選択したディストリビューションにまつわる様々な課題について、種々の異なる性質を有する製品を開発上市した企業の貴重な経験から学び、議論します。Session5では、このような多様・多種の再生医療等製品を企業側から託され、患者さんを治療する、医療機関・医療現場で今後生じ得る課題について、カルタヘナ第一種使用規程に代表されるような企業側の医療側への協力要望の現状や、医療側で生じている問題を共有、議論することにより、両者の理解を深め、前向きな解決策を探ります。

これらテーマ毎のセッションに加えて、例年同様Top KOLsをお招きしての基調講演をお届けします。FDAのDr. Arifa KhanはAVDTIGを通じたNGSに関する活動ならびにICH Q5A.関連のアップデートをお話しいただきます。岡山大学の藤原俊義先生には、がん治療領域における遺伝子治療のトピックとして、腫瘍溶解性ウイルスの実用化研究についてお話を頂く予定です。また、慶應義塾大学の岡野栄之先生からは、iPS細胞研究と中枢性疾患治療への応用展開に関する最新知見について、さらに、自治医科大学の村松慎一先生には、AACD欠損症に対する遺伝子治療を始めとする遺伝性の難病根治への挑戦について貴重なお話を伺う予定です。加えて、Biogen, Dr. Stuart Beattieより、GMO procedures and requirements for ATMPs in the US, EU and Japanと題し、氏の貴重な知識と経験を教育講演として共有いただきます。

昨年に統いて本年も、NewNormalでのスタンダードとして、本シンポジウムをWebinar形式でお届けします。また本年は、Day1, Day2の2日間を一つにしたパッケージのほか、One-dayPassもご用意しました。発表資料(PDFファイル)のダウンロードサービスに加えて、各セッション・基調講演録画の開催後一定期間の配信サービスも予定しておりますので、皆さまにはより柔軟な環境のもと、またニーズに合わせてシンポジウムの内容を十分に活用いただけるものと考えております。

DIA再生医療製品・遺伝子治療用製品シンポジウムは、産学官の継続的な議論の場であり続けると同時に、参加者される皆さまにとって実務にも役立つ最新の製品開発や産業化の課題、それらの課題の解決へ向かう知識とインサイトをお持ち帰りいただける場として成長し続けます。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・録画共に共有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

## Virtual展示申し込み受付中

詳細については、ディー・アイ・エー ジャパンまでお問い合わせ下さい。  
〒103-0023 東京都中央区日本橋本町2-3-11 日本橋ライフサイエンスビルディング6F  
Tel: 03-6214-0574 Fax: 03-3278-1313 Email: Japan@DIAglobal.org

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



・プログラム委員長

・国立医薬品食品衛生研究所

・佐藤 陽治

・プログラム副委員長

・ヤンセンファーマ株式会社

・寺尾 寧子

・プログラム委員

・北海道大学病院

・荒戸 照世

・独立行政法人 医薬品医療機器総合機構  
河西 正樹

・Sobi Japan

・早田 悟

・京都大学

・永井 純正

・第一三共株式会社

・岡部 裕美

・第一三共株式会社

・尾山 和信

・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

・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

・プログラムアドバイザー

・ヤンセンファーマ株式会社

・池田 晶子

・DIA Japan Operation Team

・ノバルティスファーマ株式会社

・西岡 明子

## 日本語・英語間の同時通訳あり

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  
西條 一

プログラム委員長 / 国立医薬品食品衛生研究所  
佐藤 陽治

## 10:15-11:15 基調講演1

座長

厚生労働省  
佐藤 大作

**Current Perspectives on Using High-throughput Sequencing (HTS) for Adventitious Virus Detection in Biologics**

Food and Drug Administration (FDA)  
Arifa Khan

## 11:15-12:30 セッション1

**ウイルス安全性に関する現状と今後**

座長  
国立医薬品食品衛生研究所  
佐藤 陽治  
第一三共株式会社  
尾山 和信

ウイルス安全性は、再生医療等製品にとって他のバイオ医薬品と同様に極めて重要である。昨年の本シンポジウムではICH Q5Aの改訂における論点などを話題とした。今回、本セッションでは特にQ5A改訂で導入予定の次世代シークエンシング(NGS)によるウイルス安全性評価の技術・規制上の課題を確認する。また、アジア再生医療団体連絡会議(APACRM)においては間葉間質細胞を例にアジア各国の規制の比較検討が行われており、ウイルス安全性評価の議論も含め活動状況を共有する。

パネルディスカッションでは演者に加えFDAからDr Arifa Khanを招き、AVDTIG (Advanced Virus Detection Technologies Interest Group) やICH Q5A(R2)の現状を踏まえた、ウイルス安全性に関する今後の方向性について総合的な議論を行う。

**NGSによるin vivo試験代替の可能性～コンセプト**

神戸大学大学院  
遊佐 敬介

**NGSの利用に向けた諸外国の状況と本邦における規制上の課題**

日本PDA製薬学会  
平澤 龍太郎

**細胞治療製品の製造の開始細胞として間葉間質細胞の適格性**

FIRM/アステラス製薬株式会社  
田中 俊充

**パネルディスカッション**

本セッションの講演者および

Food and Drug Administration (FDA)  
Arifa Khan

## 12:30-13:30 ランチブレイク

## 13:30-14:15 基調講演2

座長  
厚生労働省  
佐藤 大作

**難治がんに対する腫瘍溶解性ウイルスによる集学的治療**

岡山大学  
藤原 俊義

## 14:15-14:30 コーヒーブレイク

## 14:30-16:10 セッション2

**再生医療等製品の生体内分布試験**

座長  
国立医薬品食品衛生研究所  
佐藤 陽治  
東京大学医学研究所

岡田 尚巳

再生医療等製品のうち細胞加工製品の生体内分布は、特に全身投与の製品で造腫瘍性リスク評価やその他の副作用予測の観点から重要な要素と考えられてきた。さらに、遺伝子治療用製品では、ベクターの組織指向性改変により生体内分布の改変技術の進歩も進んでいる。

本セッションでは、FIRM CoNCEPTE AMED MEASUREの活動から細胞加工製品の生体内分布評価のオーバービュー、ICH-S12検討の背景、ベクターの組織指向性の改変、また、生体内分布の潜在的な論点として、CAR-Tのメモリー反応についてお話をいただく。パネルディスカッションでは、現在まで得られている知見から今後へ向けた課題を議論する。本セッションが製品開発での生体内分布を考える一助となることを期待する。

**細胞加工製品の生体内分布評価を目的とした動向分析及び多施設検証**

アステラス製薬株式会社  
神山 佳輝

**ICH S12 遺伝子治療製品の非臨床生体内分布の考え方****一現況について**

独立行政法人 医薬品医療機器総合機構  
平田 雅一

**AAV組織指向性のデザイン**

東京大学  
岡田 尚巳

**細胞のメモリレスポンス-biodistributionの視点から-**

愛知県がんセンター  
籠谷 勇紀

**パネルディスカッション**

本セッションの講演者

## 16:10-16:25 コーヒーブレイク

## 16:25-17:10 基調講演3

座長  
厚生労働省  
佐藤 大作

**iPS細胞研究の進歩・医療応用**

慶應義塾大学  
岡野 栄之

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。

9:30-9:45 Opening - Day 2

**遺伝子治療用製品の開発現状と課題**

座長

ヤンセンファーマ株式会社

寺尾 寧子

国立成育医療研究センター

小野寺 雅史

9:45-11:15 セッション3

**開発段階における遺伝子治療用製品の品質の同等性／同質性のアプローチ**

座長

第一三共株式会社

尾山 和信

ヤンセンファーマ株式会社

吉松 美佳

遺伝子治療用製品の開発段階においては、製法変更や製造所追加等のCMCの変更事項が起り得る。これらの変更前後のコンパラビリティに係るCMC戦略は、特に開発後期では、円滑な臨床開発の促進の為だけでなく、予定時期に製造販売承認を得ていく上で重要な課題となる。また、ニューモダリティのような新しい領域における同等性/同質性評価の議論においては、現時点の科学的・技術的な側面を考慮した議論が不可欠である。本セッションでは、実際のクローバル開発におけるコンパラビリティの実践や課題、その戦略について共有したい。パネルディスカッションでは、リスクベース・サイエンスベースアプローチの留意点についても議論を行いたい。

**Analytical Comparability Strategies for AAV Gene Therapy Products**  
Pfizer Inc.  
Jaclyn Moxham

**Demonstrating Comparability if AAV Gene Therapy Products during Clinical Development: Managing the Link Between the Product and the Process**  
Biogen Idec Ltd.  
Niamh Kinsella

**Global Regulatory and Testing Trend of the Virus Vector Drugs**  
BioReliance, Merck  
Alison Armstrong

**パネルディスカッション**  
本セッションの講演者  
医薬品医療機器総合機構  
西川 淳史  
メルク株式会社  
小沢 貞雄

11:15-11:30 コーヒーブレイク

11:30-12:15 基調講演4

座長

国立成育医療研究センター

小野寺 雅史

**AADC欠損症に対する遺伝子治療**  
自治医科大学  
村松 慎一

12:15-13:15 ランチブレイク

13:15-14:55 セッション4

**再生医療等製品のサプライチェーンにおける課題と取組み～更なる産業化促進に向けて～**

座長

北海道大学病院

荒戸 照世

ノバルティス ファーマ株式会社  
弦巻 好恵

再生医療等製品のサプライチェーンは高度かつ複雑であり、各製品の特性に応じて、より確実な供給体制の構築が必要とされ、医療機関での原料採取・調製等への対応、製造所での製

造、出荷、及び輸送等の過程において一貫した品質管理が求められる。加えて、再生医療等製品の更なる産業化促進には安定供給の実現が不可欠であり、安定的な細胞原料の供給システムの基盤構築等について多くの議論が行われている。本セッションでは、規制当局・企業・アカデミア・医療機関の各演者により、サプライチェーン全般にわたる様々な課題と取組みについて事例とともに共有いただき、パネルディスカッションでは各課題の解決策等について議論を深める。

**再生医療等製品のサプライチェーンマネジメントに関する課題等の概説**

独立行政法人 医薬品医療機器総合機構

河西 正樹

**自家CAR-T細胞療法の導入とセルプラットフォーム構築の課題**

第一三共株式会社

炭谷 徳人

**同種再生医療等製品テムセルHS注のサプライチェーン体制の構築と実際**

JCRファーマ株式会社

今川 究

**再生医療等製品の原料としての周産期付属物由来細胞の供給体制の構築と課題**

東京大学医学研究所附属病院

長村 登紀子

**パネルディスカッション**

本セッションの講演者

14:55-15:10 コーヒーブレイク

15:10-15:50 教育講演

座長

金沢工業大学

山口 照英

**EUにおける遺伝子治療用製品の規制と申請手順について**

Biogen Inc.

Stuart Beattie

15:50-17:20 セッション5

**臨床現場におけるカルタヘナ法第一種使用規定に関する企業側の取り組み**

座長

厚生労働省

佐藤 大作

京都大学

永井 純正

遺伝子治療用製品の開発品目が増え、日本で上市された品目もできている。一方で、企業が求める遺伝子治療用製品の使用における対策マニュアルと、受け入れ側の医療機関のギャップが顕在化している。

本セッションでは、この実態を把握し、実際の医療現場への活用と実施可能性、今後の課題について協議する。特に、規制で品目毎に定められる「第一種使用規定」と「企業が作成する施設要件・施設用マニュアル」のギャップにフォーカスし、実情の共有、規制の基となる考え方を整理することを通じ、るべき対応策について協議する予定である。

**第一種使用規定における施設マニュアルの課題(アカデミア・企業の立場から)**

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および

金沢工業大学

山口 照英

ノバルティスファーマ株式会社  
小室 真人

中外製薬株式会社  
山田 恭子

ファイザーR&D合同会社  
松水 都

17:20-17:30 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

# 会議参加申込書

一般社団法人ディー・アイ・エー・ジャパン

Fax:03-3278-1313

〒103-0023 東京都中央区日本橋本町2-3-11

日本橋ライフサイエンスビルディング6F

Tel: 03-6214-0574

## 第6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 #21313]

2021年12月13日(月)-14日(火) | Web開催(Zoom Webinar)

### ◆ 参加申込方法

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

### ◆ 参加費用 (該当する□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た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、この機会に是非ご登録ください。

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

Membership (有効期間:1年間)	<input type="checkbox"/> ¥ 20,000 (税抜)    ¥ 22,000 (税込)
2-Year Membership (有効期間:2年間/10%割引)	<input type="checkbox"/> ¥ 36,000 (税抜)    ¥ 39,600 (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"/> ¥ 13,800 (税抜)    ¥ 15,180 (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"/> ¥ 24,800 (税抜)    ¥ 27,280 (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。

		2日間のご参加	1日目(12/13)のみ	2日目(12/14)のみ
会員	一般	早期割引*:2021年11月29日までの申込み	<input type="checkbox"/> ¥ 37,400 (税込)	<input type="checkbox"/> ¥ 25,520 (税込) <input type="checkbox"/> ¥ 25,520 (税込)
		2021年11月30日以降の申込み	<input type="checkbox"/> ¥ 42,900 (税込)	<input type="checkbox"/> ¥ 28,160 (税込) <input type="checkbox"/> ¥ 28,160 (税込)
会員 政府関係 非営利団体 大学関係 医療従事者	政府関係 非営利団体 大学関係 医療従事者	早期割引*:2021年11月29日までの申込み	<input type="checkbox"/> ¥ 19,800 (税込)	<input type="checkbox"/> ¥ 11,880 (税込) <input type="checkbox"/> ¥ 11,880 (税込)
		2021年11月30日以降の申込み	<input type="checkbox"/> ¥ 22,000 (税込)	<input type="checkbox"/> ¥ 13,200 (税込) <input type="checkbox"/> ¥ 13,200 (税込)
非会員	一般		<input type="checkbox"/> ¥ 62,150 (税込)	<input type="checkbox"/> ¥ 35,860 (税込) <input type="checkbox"/> ¥ 35,860 (税込)
	政府関係		<input type="checkbox"/> ¥ 41,250 (税込)	<input type="checkbox"/> ¥ 23,100 (税込) <input type="checkbox"/> ¥ 23,100 (税込)
	非営利団体/大学関係/医療従事者		<input type="checkbox"/> ¥ 35,200 (税込)	<input type="checkbox"/> ¥ 19,250 (税込) <input type="checkbox"/> ¥ 19,250 (税込)

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

③合計金額(①+②):

合計                          円

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

※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。□にチェックして下さい。 □ 再生医療イノベーションフォーラム(FIRM)会員

### ◆ お支払方法

ご希望の支払方法にチェックを入れてください。

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

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

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

カードご名義 \_\_\_\_\_ ご署名 \_\_\_\_\_

ご入金の際は、ご依頼人の欄に必ず参加者名もしくは請求書番号を記載してください。同一会社で複数名の参加費を同時に振り込まれる場合は、書面にて参加者名と振込日をディー・アイ・エー・ジャパンまでお知らせください。振込に関する手数料は、振込人負担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2021年11月15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が取扱う個人情報を利用できると認識されたための個人情報は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。

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