

# 遺伝子治療用製品の特性解析の例

---

## 1. ベクターの特性解析及び品質試験

- (1) 特性解析：ウイルスの構造、配列、発現量、細胞・組織特異性
- (2) 感染性因子：セルバンク、ウイルスバンク、中間工程及び最終製品
  - ・無菌性試験・マイコプラズマ否定試験・迷入ウイルス試験・増殖性ウイルス試験
- (3) 純度試験
  - ・エンドトキシン試験・プラスミドの定量試験、構造試験、性状試験、タンパク質混入等の純度試験
  - ・ウイルスベクターの定量試験、非感染性粒子の残存量等
- (4) 生物活性及びウイルス力価
- (5) 含量（投与における物理量等）
- (6) その他

## 2. 遺伝子導入細胞の特性解析及び品質試験

- (1) 特性解析：細胞表面マーカー、サイトカイン産生能、ベクターコピー数、細胞の系譜
- (2) 感染性因子：セルバンク、ウイルスバンク、中間工程及び最終製品
  - ・無菌性試験・マイコプラズマ否定試験・迷入ウイルス試験・増殖性ウイルス試験
- (3) 純度試験
  - ・エンドトキシン試験・使用したサイトカイン、成長因子、抗体、血清等の残存量
- (4) 細胞数
- (5) 細胞生存率
- (6) 生物活性
- (7) その他

# 遺伝子治療用製品の非臨床試験の例

---

1. ヒトでの有効性を示唆するための試験
2. 生体内分布
3. 非臨床安全性試験
  - (1) 一般毒性評価
    - 1) 動物種を選択 ①一般原則、②動物種の数、③代替法の使用
    - 2) 試験デザイン ①一般原則、②用量設定、③観察及び検査項目、④回復性
  - (2) 遺伝子組込み評価
    - 1) 一般原則
    - 2) 生殖細胞への意図しない遺伝子組込みリスクの評価
  - (3) 腫瘍形成及びがん化の可能性の評価
    - 1) がん原性の評価
    - 2) 造腫瘍性の評価
  - (4) 生殖発生毒性評価
  - (5) ベクターに関する考慮事項 (免疫原性及び免疫毒性評価)
  - (6) 増殖性ウイルス出現の可能性の評価

# 細胞加工製品の造腫瘍性評価の考え方

## 主な試験

### *in vitro* 試験

#### ・核型分析試験

⇒ 遺伝的安定性



#### ・軟寒天コロニー形成試験

⇒ 足場非依存的な増殖能



### *in vivo* 試験

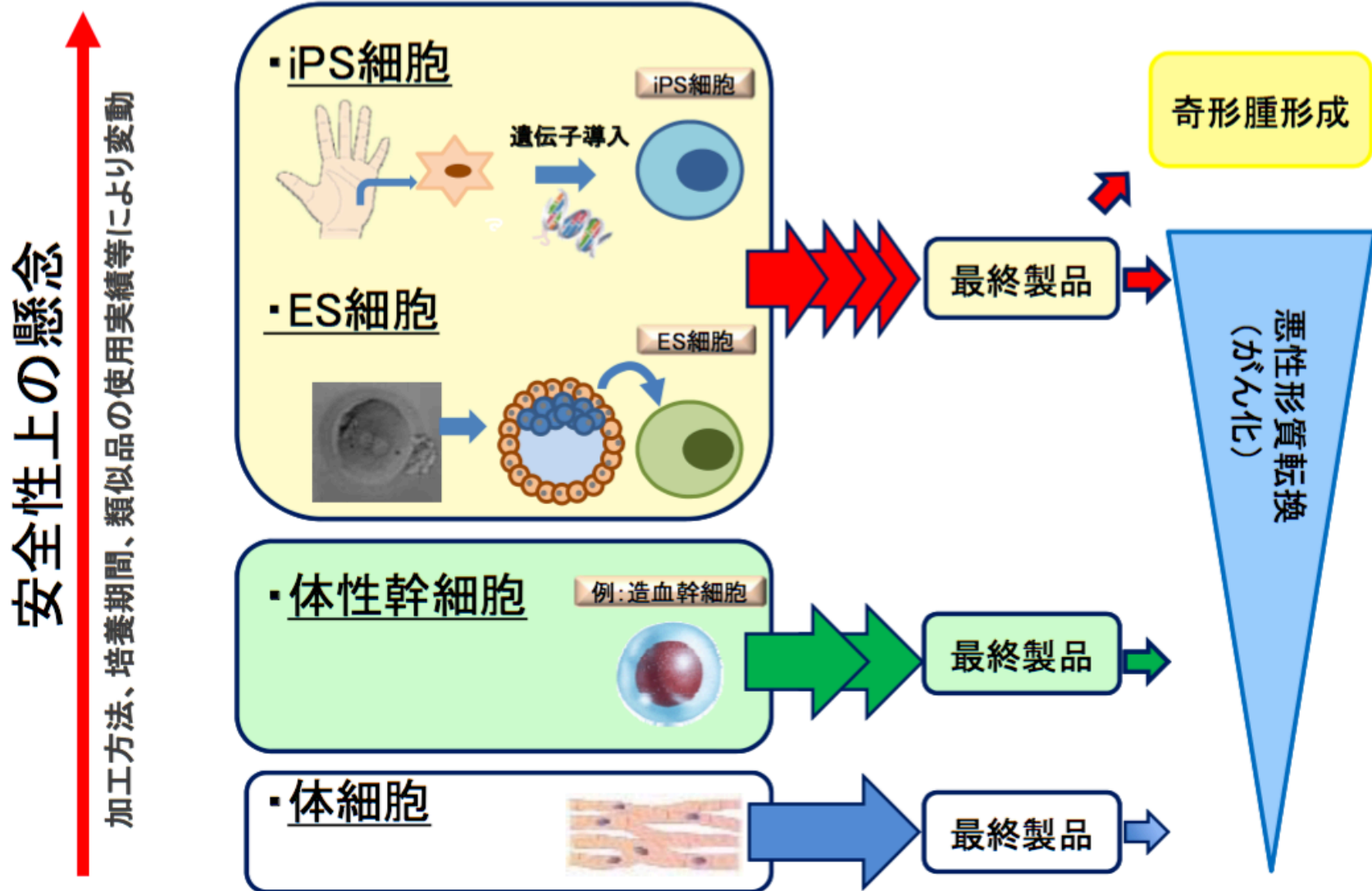
#### ・免疫不全動物を用いた試験

⇒ 生体内での腫瘍形成能



**製品のリスク程度により必要な試験は異なる**

# 細胞加工製品の造腫瘍性評価の考え方



# リスクベースアプローチ

- 米国 : Docket Number 97N-0068
- E U : Directive 2001/83/EC Annex I Part IV

## 「リスクベースアプローチ (Risk-Based Approach)」

前例主義的な安全対策ではなく、審査対象となる各製品の性質に固有、かつその品質・安全性・有効性に関連するリスク要因を探り当てることをベースにし、その影響の度合いを科学的に評価することにより規制の方針・内容を定めるアプローチ方法

日米欧医薬品規制調和会議 (ICH)

品質リスクマネジメント・ガイダンス (Q9) でも採用 (2005年)

= 今日では医薬品規制の一般的な原則

**想定されるリスクを、現在ある学問や技術を駆使して排除し、さらに、その科学的妥当性を明らかにした上でも、なおも残る「未知リスク」と、重篤な疾患に対し「この新たな治療機会を失うことで被るかもしれないリスク」との大小を勘案し、これら情報を全て公開した上で、治療の選択を患者自己決定権に委ねるという視点**

# Validation と Verification

---

## Validation

製品の品質に影響を及ぼす変動要因をあらかじめ予想し、それを基に許容条件の下での製品製造工程を立案し、最終的には目的とする品質に適合した製品を恒常的に製造できる製造工程を文書化する体制を構築する

### Process Validation

## Verification

遺伝子治療用等製品では、倫理面から患者細胞を利用することができず、非臨床でのprocess validationの実施は困難であり、実際には治験における製造工程において、あらかじめ特定していた製品の品質に影響を及ぼす変動要因が許容条件の範囲内にあるかを確認し、それを文書化する方法



前臨床試験での暫定的な製品製造工程



実際の治験の中で**製造工程の見直し**が必要

# 国際共同治験における問題点 FDA, EMA

---

## 1. 我が国特有の規制をどうするか

- 生物由来原料（ウシ血清、アルブミン、トランスフェリンなど）
- 治験における未承認薬、未承認医療機器の扱いは

## 2. 我が国で遺伝子治療の治験があまり行われていない

- 遺伝子組換えウイルスのQCに関して
- 非臨床安全性試験はどうか（毒性試験、免疫系試験、GLP）
- 長期的フォローアップをどうか（genotoxicity）

## 3. カルタヘナ条約への対応

- 第一種対応に関して 患者隔離をどうか（医療機関も必要）
- 第二種対応に関して 外注の際に検査会社に申請の必要あり？

# WHAT IS GENETHON?

GENETHON

Home | About us | R&D | Products | Partnerships | News

gene therapy treatments for rare diseases

Diseases of the muscles, immune system, blood, retina...

Breaking news

17 January 2012  
Fulvio Mavilio, the internationally acknowledged expert in gene therapy for rare diseases, is appointed as Genethon's new Scientific Director

12 January 2012  
Gene therapy : Encouraging results in a Phase I clinical trial in limb-girdle muscular dystrophy type 2C

1 September 2011  
On the Internet site of the Usine Nouvelle magazine you can discover the Genethon laboratory financed by donations to the Telethon through images from behind the scenes

All the latest news

Pipeline

Research | Pre-clinical phase | Phase I or II/III

Gamma-sarcoglycanopathy (IM administration)

Wiskott-Aldrich Syndrome (WAS)

Chronic Granulomatous Disease

Duchenne Muscular Dystrophy

Leber's Hereditary Optic Neuropathy

All the products

Bioproduction

Genethon Bioprod, the world's largest center for the production of clinical grade gene therapy products

- フランス筋疾患協会 (AFM) がTelethonにて得た資金で1990年に設立したNPO団体
- 遺伝性疾患の理解に役立つツールを開発すること
  - 1990~1992 ヒトゲノムのmapping
  - 1993~1996 遺伝性疾患の遺伝子探索
  - 1997~2002 遺伝子治療用ベクター開発 (AAV, Retro, Lenti) 前臨床用ベクターの提供
  - 2003~2007 遺伝子治療臨床研究への取り組み
  - 2005 GMP準拠ベクター製造開始 (AFSSAPS) Gene and Cell Therapy Facility (French Law)
  - 2006 臨床用ベクターの製造 Gamma-sarcoglycanopathy, DMD, WAS
  - 2007~ Gene Therapy Pinoneers
  - 2010 国際的なWAS trialを開始
  - 2011 Gene BioProd (Largest Production Plant)

## • 予算

2010年の予算は約2700万ユーロ (30億円くらい) 。その85%はTelethonによるもの

## • 人材

2011年、約220名が働いており、その80%以上がバイオ関係、臨床開発の研究者

## • 設備

10,000m<sup>2</sup>の研究所

in vitro and in vivo therapeutic testing platform

世界最大のGMP準拠ウイルス製造プラント

ヨーロッパ最大のDNA、細胞バンク



# GMP-Compliant Production Platform



## Genethon Bioprod

- 5,000m<sup>2</sup>のウイルス製造工場と品質管理
- 15個別HVACエンジン (清浄度 10<sup>5</sup>~5×10<sup>5</sup>)
- 3kmのエアダクト
- High Environmental Quality (HEQ) 基準の建物



## Lab

- 2,500m<sup>2</sup> レベル3封じ込め実験室
- 500m<sup>2</sup> 4つのウイルス製造室
- class A isolatorをもつ2つの無菌的ウイルス充填室
- 500m<sup>2</sup> GMP準拠品質管理実験室

## Production Capacity

- 年20の臨床用バッチの製造
- 800LのAAV製造 (4×200L bioreactors)
- 100Lのレンチウイルス製造

**建設費 2800万ユーロ (45億円)**

AFM € 5M, Council € 15M, Genepole € 8M

**運営費 500~800万ユーロ (10億)**

Telethon by AFM

# WHAT IS HSR-TIGET?



- **San Raffaele Scientific Institute (SRSI)**  
San Raffaele del Monte Tabor Foundationが革新的に治療法を開発することを目的に設立
- **San Raffaele Telethon Institute for GT**  
SRSIとTelethonが1995年に合同で遺伝性疾患に対する基礎・臨床研究のため設立したもの
- **ADA欠損症, MLD, WAS, CGD遺伝子治療を行う**
- **同一敷地内にウイルス製造会社MolMed社がある**

## GSK and Italian Telethon enter historic partnership



- **GSKとイタリアTelethonの連携**
- **1,000万ユーロをTelethonに提供**
- **ADA欠損症のベクターGSK2696273として治験**
- **他の疾患 (MLD, WAS, b-thalassemia, MPS 1, GLD, CGD) に対してもサポート**



**Italian Telethonの保護**

# WHAT is CATAPALT?

The screenshot shows the homepage of the Cell and Gene Therapy Catapult. At the top, there is a navigation bar with the Catapult logo and a search bar. Below the navigation bar, the main heading reads "Cell and Gene Therapy Catapult" with the tagline "Growing a UK cell and gene therapy industry, delivering health and wealth." The main content area features three featured articles: "Take a virtual tour" (with an image of a virtual lab tour), "2015 Annual Review" (with an image of a 3D molecular model), and "Manufacturing centre updates" (with an image of a person in a lab coat). At the bottom, there are sections for "Tweets", "News" (with a link to "Cell Therapy Catapult is now the Cell and Gene"), and "Events" (with a link to "ADOPT Summit 2016: Adaptive").

## Resources

Preclinical database

Clinical trials database

Clinical and regulatory

UK funding database

Whitepapers and resources

acCELLerate workshop

Regulatory news

セル・セラピー・カタパルトは細胞療法および再生医学における橋渡し研究の卓越拠点。  
目的は、英国が細胞療法の開発・提供・商業化で世界のリーダーとなり、企業の立ち上げと成長にとっての拠点とすること  
ロンドンのギーズ病院に拠点を置き、製品を初期臨床試験に供し、臨床・技術・製造・規制関連の専門技術を国民健康保険（NHS）で利用できるようにしている。  
重点を置いているのが、提携と投資・資金確保の障壁低減で、事業は設立以来、急成長している。  
英国貿易投資総省は世界の再生医療業界の規模を実に5億ポンド以上と評価しており、  
2021年までに50億ポンド以上の売上高をもたらすと見積もっている。(ct.catapult.org.uk)

# 対象が稀少疾患であるための問題点

---

## 1. 限られた症例数で有効性を出せるのか

- 国際共同治験への参加 同一プロトコル、データの共有化
- 条件・期限付き承認制度の活用

## 2. 誰が、どこで遺伝子治療を行うか

- 稀少疾患ゆえの特異性
- 遺伝子治療ゆえの特異性
- 限定された医療 医療の均てん化からどう考えるか

## 3. いかにして症例をみつめるか

- 新規患者を如何に見つけるか NBS?
- 患者登録をどうするか 学会・研究会

# 臨床研究中核病院(平成25年度開始:24年度補正採択)

## 岡山大学病院

アンメットメディカルニース  
克服のための創薬と育薬

⇒ 中央西日本臨床研究  
コンソーシアム

- ①既存薬の適応拡大  
タミパロテン:造血幹細胞移植後  
の難治性慢性移植片対宿主病  
ドセタキセル:乳がん
- ②希少疾患治療  
人工網膜(岡山大学方式)  
小児左心室低形成の再生治療
- ③世界標準薬の日本導入  
歯科用麻酔剤アーティカイン
- ④新規感染症治療薬開発  
マラリア薬、O型肝炎薬
- ⑤難治性固形がん治療薬  
自己がんワクチン治療法(REIC)

## 国立病院機構(NHO)

### 名古屋医療センター

全国ネットで国際標準の臨床研究  
を創出する体制の構築

⇒NHOと理研との包括的連携協定  
によるシーズ開発

- ①肺がんに対する免疫細胞治療  
(NKT細胞治療)
- ②花粉症、食物アレルギーの根本治療薬  
(IgE抑制RCAI-Tリボソーム)
- ③がん免疫治療  
(Tリンパ球由来iPS細胞再生)
- ④分子標的薬の適応拡大:  
非小細胞肺がん、小児進行リンパ腫
- ⑥左室収縮不全患者 クルクミン製剤
- ⑦舌圧子一体型口腔咽喉頭内視鏡

## 群馬大学医学部

### 附属病院

バーチャルメガホスピタル  
(前橋・さいたまコア5治験  
病院)の確立による精神疾  
患・がんの新規診断・治療  
法の開発

- ①世界に先駆けた治療法:  
重粒子線治療技術の確立
- ②先端診断技術:  
・マルチモダリティ脳機能画像を  
用いた精神疾患の病態解明及  
び診断ツール  
・多核種同時撮像可能な核医学  
診断機器、医療用半導体コンブ  
トカメラ

## 東北大学病院

医療機器・難病・希少疾患な  
どに対するアカデミア主導の  
臨床研究

⇒国内最高水準の  
医療機器開発拠点  
⇒地域特性を生かした東北  
TR拠点形成ネットワーク

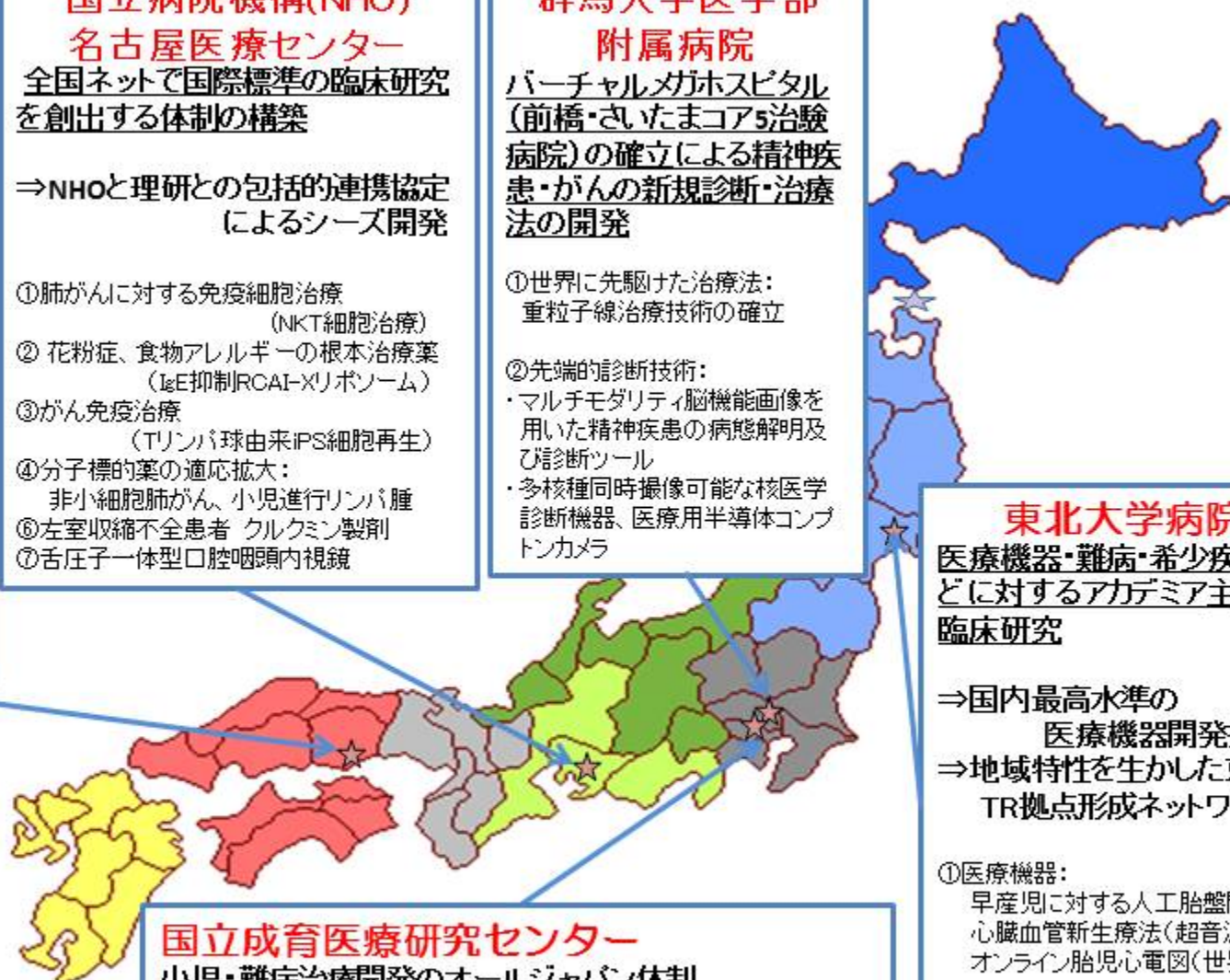
- ①医療機器:  
早産児に対する人工胎盤開発  
心臓血管新生療法(超音波)  
オンライン胎児心電図(世界初)
- ②難病・希少疾患:  
難病の調査・レジストリー構築  
難治性神経疾患の治療薬開発  
重症急性性肺炎治療薬開発

## 国立成育医療研究センター

小児・難病治療開発のオールジャパン体制

⇒拡大小児臨床研究ネットワーク

- ①遺伝疾患に対する遺伝子治療:  
慢性肉芽腫症、ムコ多糖症Ⅲ型、ウイスコット・アルドリッチ症候群
- ②難治・希少疾患:難治性ネフローゼ症候群、肺動脈狭窄症 等



# 遺伝性難病に対する遺伝子・細胞治療の実施体制

成育疾患克服等次世代育成基盤研究事業

Advisory Body  
国内外の医療機関  
研究機関・学会・研究会

患者の会

ネットワーク構築

革新的医薬品・医療機器・  
再生医療製品実用化促進事業

国立医薬品食品衛生研究所  
品質・安全性評価系の確立  
医薬品医療機器総合機構  
安全性評価ガイドラインの策定

国立成育医療研究C/臨床研究中核病院



研究所

- ・ NBSの精度管理  
タンデムマス、PCR
- ・ 非臨床試験  
動物実験を含む
- ・ 新規ベクター構築



病院

- ・ 全国の医療機関と連携
- ・ NBSの実施
- ・ 臨床用ウイルス入手
- ・ Dry Runの実施
- ・ 臨床研究の実施
- ・ 患者フォロー



臨床研究C

- ・ 患者登録
- ・ 治験情報入手
- ・ データ解析、管理
- ・ SDVモニタリング
- ・ SOPの管理
- ・ 申請書作成

評価・安全基準策定

国内外の企業・NPO  
タカラバイオ社, GENETHON,  
GSKなど  
GMP準拠ウイルスベクター製造  
安全性評価系の確立  
遺伝子導入細胞調製

政策創薬マッチング  
研究事業

成育医療研究開発費

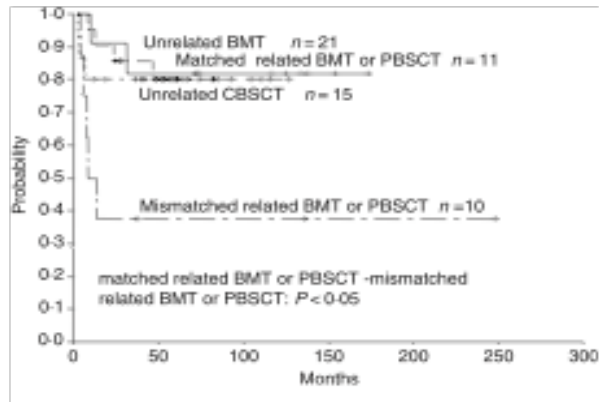
インフラ整備

臨床研究からのフィードバック

小児成育疾患に対する遺伝子治療薬の治験の実施

# WASについて

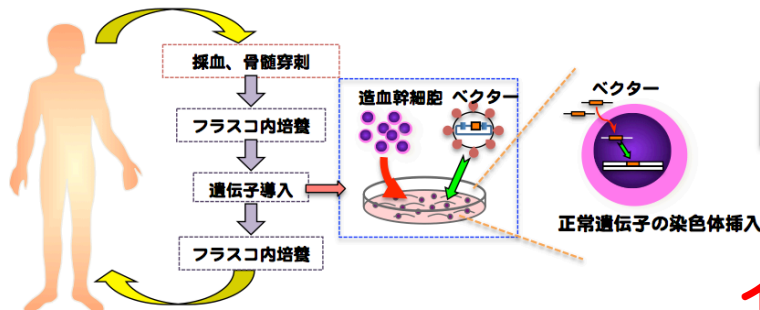
- Wiskott-Aldrich症候群: 3主徴 (血小板減少症、湿疹、易感染性) 、X染色体劣性遺伝
- 原因遺伝子はアクチン細胞骨格調節因子のWASP
- 1/25万人、2008年 日本での59名のWAS患者を調査 (医科歯科・今井先生)
- 変異遺伝子の種類により5型に分類。血小板減少のみを発症するクラス1はXLT
- クラス5は血小板減少、湿疹、反復性感染症、自己免疫疾患 or 悪性腫瘍を合併
- 根治療法は造血幹細胞移植のみ
- 免疫不全症例の平均生存年齢は11歳で、死因は感染症、出血、悪性腫瘍
- XLTの予後は良好だが、IgA腎症からの腎不全、自己免疫疾患、悪性腫瘍を併発する



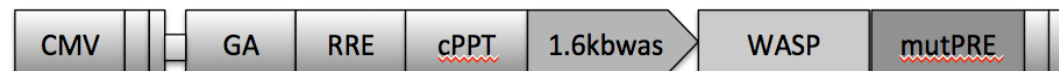
## Results of SCT for 57 pts with WAS in Japan

- 1985-2004
- 11:MMRD, 10:MRD, 21:URBM, 15:URCB
- Good result of URCBT and URBMT
- BU+CY±ATG conditioning regimen is recommended

Kobayashi, et al. Br J Haematol. 2006;135:362-366



## WAS: SIN Lentiviral vector (w 1.6W lentiviral vector)



イタリア 7名, フランス 5名, UK 4名, US 4名

# 国際協力遺伝病遺伝子治療フォーラム

**開催日時: H29.1.18 第7回 慈恵医科大にて**  
**参加者: 医師、研究者、学生、企業、官庁関係、民間 (家族会等)**  
**趣旨: 日本での遺伝性疾患に対する遺伝子治療の実施方法をみんなで考える**

公開講演  
 我が国の難病疾患の遺伝子治療体制確立に向けて  
**第1回 国際協力遺伝病遺伝子治療フォーラム**  
 1st International Collaborative Forum of Human Gene Therapy for Genetic Diseases

開催日: 平成 23年 1月 26日 (水) 13:00-19:00  
 会場: 女性と仕事の未来館 〒106-0014 東京都港区芝5丁目 35-3  
 Tel: 03-5444-4151 FAX: 03-5444-4152  
 参加費: 無料

総合司会 嵐山虎之 (国立成育医療研究センター)

- 挨拶 13:00-13:45  
 フォーラム実行委員長 齋藤 隆 (東京慈恵医科大学)  
 厚生労働省難病局疾病対策課 課長 藤波 吉雄  
 日本遺伝子治療学会 理事長 金田 安史 (大阪大学)
- 講演: 欧米における遺伝子治療体制 13:45-14:30  
 司会 小野 雅史 (自治医科大学)  
 「遺伝子治療における我が国と欧米の違い」  
 小野 雅史 (国立成育医療研究センター)
- 講演: ヨーロッパにおける遺伝子治療体制 14:30-16:10  
 司会 小野 雅史 (国立成育医療研究センター) 大橋 十也 (東京慈恵医科大学)  
 ◆女子17  
 「Hematopoietic stem cell gene therapy for primary immunodeficiencies」  
 Dr. Alessandro Aiuti, HSR-TIGET, Milano and University of Rome Tor Vergata
- ◆フランス  
 「cGMP production of clinical grade vectors at Genethon: current and prospective applications for the gene therapy of monogenic diseases」  
 Dr. Mehdi Galy, VP, Product Development and Manufacturing, Genethon  
 Dr. A. Galy, Head of Molecular Immunology, Inserm/Genethon
- 講演: 米国における遺伝子治療体制 16:20-17:00  
 司会 島田 隆 (日本医科大学)  
 Genzyme Corporation
- 講演: 企業での遺伝子治療創薬 17:00-17:40  
 司会 藤本 純一 (国立成育医療研究センター)  
 「タカラバイオにおける遺伝子治療臨床開発の現状について」  
 藤本 純一 (タカラバイオ)  
 「遺伝子治療のRegulation」  
 山口 順英 (医薬品医療機器総合機構/国立医薬品食品衛生研究所)
- 講演: 我が国の難病研究の現状と将来 17:40-18:10  
 司会 齋藤 隆 (東京慈恵医科大学)  
 岡本 充功 常務取締役 (厚生労働省大臣官務課)
- 総合討論: 今後の展望 18:10-18:50  
 司会 小野 雅史、嵐山 虎之、齋藤 隆  
 Commentator: 藤本 純一、大橋 十也、島田 隆

共催: 厚生労働省難病局疾病対策課/ライソゾーム病研究センター/難病研究センター (難病研究センター)  
 協賛: 日本遺伝子治療学会/難病研究センター/難病研究センター (難病研究センター)  
 協賛: 日本遺伝子治療学会/難病研究センター/難病研究センター (難病研究センター)  
 協賛: NPO 法人日本ライソゾーム病研究センター

**第2回国際協力 遺伝病遺伝子治療フォーラム**

日時: 2012年 1月 19日 (木曜日)  
 場所: 女性就業支援センター (東京都港区芝 5-35-3)

13:00 ■ 開会挨拶  
 小野 雅史 (国立成育医療研究センター)  
 山本 眞子 (厚生労働省難病局疾病対策課 課長)  
 小野 雅史 (日本遺伝子治療学会 副理事長)

13:25 ~ 14:05 ■ 特別講演 1: 海外での遺伝子治療  
 司会 島田 隆 (日本医科大学)  
 Prof. A. Carter (Hospital Saint-Vincent de Paul-University Paris)

14:05 ~ 14:45 ■ 特別講演 2: 海外での遺伝子治療  
 司会 嵐山 虎之 (国立成育医療研究センター)  
 The Korean experience of gene therapy for CGD  
 Dr. Hyung Ju Kang

14:45 ~ 15:25 ■ 特別講演 3: 海外での遺伝子治療  
 司会 小野 雅史 (自治医科大学)  
 Gene Therapy for Macular Degeneration by AAV vector  
 Dr. Abraham Scriver (Genethon)

15:40 ~ 16:40 ■ 総論: 遺伝子治療 1  
 司会 藤本 純一 (国立成育医療研究センター)  
 1. 骨形成不全を呈する致死性低リン酸血症の遺伝子治療  
 池田 隆夫 (日本医科大学)  
 2. 骨髄異形成症に伴う造血幹細胞移植による造血系再生療法を利用した表皮欠損症治療  
 玉井 茂夫 (大阪大学)

16:40 ~ 17:40 ■ 総論: 遺伝子治療 2  
 司会 山口 順英 (医薬品医療機器総合機構)・大橋 十也 (東京慈恵医科大学)  
 1. 網膜色素上皮に対する細胞移植による遺伝子治療  
 池田 隆夫 (日本医科大学)  
 2. 筋ジストロフィーに対するエクソソーム・スキップ療法: 現状と未来  
 武田 伸一 (国立精神・神経医療研究センター)

17:40 ~ 18:10 ■ 総論: 遺伝子治療 3  
 司会 金田 安史 (大阪大学)・藤本 純一 (国立成育医療研究センター)  
 1. 本邦の現状 (ALD 親の会)  
 2. 小林 敏彦 (難病のこども支援基金ネットワーク)  
 3. 川元 正幸 (MPS 親の会)

18:10 ~ 18:30 ■ 総合討論  
 司会 齋藤 隆 (東京慈恵医科大学)

18:30 ■ 閉会の挨拶  
 齋藤 隆 (代表幹事)

主催: 厚生労働省難病局疾病対策課/ライソゾーム病研究センター (難病研究センター)  
 協賛: 日本遺伝子治療学会/難病研究センター/難病研究センター (難病研究センター)  
 共催: 難病研究センター/難病研究センター (難病研究センター) (小野 雅史)  
 協賛: 難病研究センター/難病研究センター (難病研究センター) (代表: 嵐山 虎之)  
 協賛: NPO 法人日本ライソゾーム病研究センター

**第3回国際協力 遺伝病遺伝子治療フォーラム**

日時: 2013年 1月 17日 (木) 13:00-18:30  
 会場: 女性就業支援センター (東京都港区芝 5-35-3 Tel.03-5444-4151)  
 参加費 無料

http://www.jikei-idennby.jp/3rd\_gt-forum.html

総合司会: 小林 博司 (東京慈恵医科大学 DNA 医学研究所)

第1部: 神経難病に対する遺伝子治療臨床研究の現状  
 13:15-15:00  
 司会: 大橋 十也 (東京慈恵医科大学 DNA 医学研究所)  
 「Clinical trial of intra-cerebral gene therapy for lysosomal storage diseases」  
 Karen Alach (CEO/Founder Lysogene)  
 「Hematopoietic stem cell gene therapy for lysosomal storage disorders」  
 Alexandra Biffi (The San Raffaele Telethon Institute for Gene Therapy (TIGET))

第2部: 遺伝子治療臨床研究の今  
 15:10-16:00  
 司会: 藤本 純一 (国立成育医療研究センター/難病研究センター)  
 「慢性肉芽腫性遺伝子治療: 日本における取り組み」  
 小野 雅史 (国立成育医療研究センター 成育遺伝学研究室)  
 「A/D 症候群ウイルスベクターによる血友病 B の遺伝子治療」  
 Friedrich Schefflinger (PhD, Vice President, Global Biologics Research, Baxter)

第3部: シンポジウム 「遺伝性希少疾患に対する遺伝子治療の実施に向けて」  
 16:00-18:30  
 司会: 齋藤 隆 (東京慈恵医科大学 DNA 医学研究所)  
 小野 雅史 (国立成育医療研究センター/成育遺伝学研究室)  
 「国内外の遺伝子治療臨床研究に関する審査体制の違いについて」  
 島田 隆 (日本医科大学学生化生学)  
 「国内外の遺伝子治療に関する指針及び ICH 遺伝子治療専門家会議について」  
 小野 雅史 (国立成育医療研究センター/成育遺伝学研究室/難病研究センター)  
 「我が国の遺伝子治療に関する手続きについて」  
 PMDA (予定)  
 「欧州の遺伝子治療臨床研究に関する手続きについて」  
 Lysogene 社 (予定)  
 「遺伝子治療関係の開発を行った企業からの提言・その1」  
 タカラバイオ社 (予定)  
 「遺伝子治療関係の開発を行った企業からの提言・その2」  
 アンジェス MG 社 (予定)

主催: 国際協力遺伝病遺伝子治療フォーラム実行委員会  
 協賛: 厚生労働省難病局疾病対策課/難病研究センター (難病研究センター)  
 協賛: 難病研究センター/難病研究センター (難病研究センター) (代表: 小野 雅史)  
 協賛: 難病研究センター/難病研究センター (難病研究センター) (代表: 嵐山 虎之)

協賛: NPO 法人日本ライソゾーム病研究センター  
 協賛: 難病研究センター/難病研究センター (難病研究センター)  
 協賛: 難病研究センター/難病研究センター (難病研究センター)

**PROGRAM**

挨拶  
 第4回 当幹事 大橋 十也  
 厚生労働省難病局疾病対策課長 田原 克志  
 内閣府副大臣 加藤 啓

第一部 本邦の遺伝子治療臨床研究の今  
 小野 雅史 (国立成育医療研究センター)  
 「遺伝子治療における我が国の現状と将来」  
 池田 隆夫 (日本医科大学)  
 「慢性肉芽腫性遺伝子治療: 日本における取り組み」  
 小野 雅史 (国立成育医療研究センター)  
 玉井 茂夫 (大阪大学)  
 「我が国の遺伝子治療に関する手続きについて」

第二部 副腎白質ジストロフィー症の遺伝子治療の臨床研究  
 Patrick Aubourg (University Paris-Descartes, France)  
 「Gene therapy for adrenoleukodystrophy and Friedreich ataxia」  
 Mitchell H. Finer (Bluebird Bio, USA)  
 「Combining a gene therapy approach with gene editing (CRISPR/Cas9) for the treatment of adrenoleukodystrophy」  
 Guy Albi (The European Leukodystrophies Association (ELA), France)  
 「ELA: an association of patients at the heart of the fight against the disease」

第三部 本邦における遺伝子治療企業の取り組み  
 藤本 純一 (タカラバイオ株式会社)  
 長谷川 隆 (アインベック株式会社)  
 「遺伝子治療の臨床開発: 成功と失敗」  
 Harald Petry (Uni Qure, Netherlands)  
 「Qryte: the successful regulatory approval process in Europe and planning steps approach areas outside the EU」

第四部 特別講演  
 Fátima Bosch (Universidad Autónoma de Barcelona, Spain)  
 「Towards a gene therapy for neurological and somatic MPSIIA」

閉会の挨拶  
 日本遺伝子治療学会理事長 金田 安史 (大阪大学)

主催: 国際協力遺伝病遺伝子治療フォーラム実行委員会  
 協賛: 厚生労働省難病局疾病対策課/難病研究センター (難病研究センター)  
 協賛: 難病研究センター/難病研究センター (難病研究センター) (代表: 小野 雅史)  
 協賛: 難病研究センター/難病研究センター (難病研究センター) (代表: 嵐山 虎之)

開催日時: 平成 26年 1月 18日 (木曜日) 13:00-18:30  
 会場: 東京都港区西新橋 3-1-25 18  
 参加費: 無料 (参加費: 3,000円)

当幹事: 東京慈恵医科大学 大橋 十也

**第1回:**  
 Aiuti博士 (HRS-TIGET)  
 Gasmí博士 (GENETHON)  
 Galy博士 (GENETHON)  
 イタリア、フランスにおける  
 TELETHONの遺伝子治療臨床  
 研究の取り組みを紹介

**第2回:**  
 本間様 (ALD親の会)  
 小林様 (難病子供ネットワーク)  
 川元様 (MPS親の会)  
 患者会等から日本の小児難病対策  
 の問題点とその取り組みについて  
 紹介

**第3回:**  
 Aiach様  
 (CEO/Founder Lysogene)  
 Lysogene (フランス) 起業家  
 お子さんがLSD III型にて  
 AAVによる遺伝子治療を開始

**第4回:**  
 Alba様  
 (欧州LSD協会、フランス)  
 欧州副腎白質ジストロフィー  
 協会における患者支援の取り  
 組みを紹介

解決策のひとつは **強力な患者会, NPO団体** にあり?