

第15回国際協力遺伝病遺伝子治療フォーラム

15th International Collaborative Forum of Human Gene Therapy for Genetic Disease

遺伝子細胞治療の新しい未来

～遺伝性疾患の根治を目指して～

Date 開催日 **2025年1月24日(金)** Venue 会場 **東京慈恵会医科大学 1号館講堂**
President 当番幹事 **小林 博司** (東京慈恵会医科大学 総合医科学研究センター遺伝子治療研究部 教授)
参加費 一般: **5,000 円** 学生: **無料** (要・学生証提出) 企業: **20,000 円**
※事前参加登録については、下記ホームページまたは運営事務局へお問合せください。
※参加登録期間: 2025年1月23日17:00まで。

プログラム

9:00-9:10	Opening Remarks	小林 博司 (第15回当番幹事 東京慈恵会医科大学 遺伝子治療研究部) 小野寺雅史 (代表幹事 国立成育医療研究センター)
9:10-9:40	session 1 Gene Therapy for Neurological disorder (神経疾患に対する遺伝子治療) Gene therapy for AADC deficiency	座長: 山形 崇倫 Paul Whu-Liang Hwu (National Taiwan University)
9:40-10:40	session 2 Gene Editing and mRNA Therapeutics (遺伝子編集とmRNA医薬) 1) <i>In vivo</i> genome editing treatment for monogenic diseases 2) mRNA Therapeutics (モデルナ社) ① mRNA Platform Introduction ② Development of mRNA therapeutics for propionic acidemia and methylmalonic acidemia	座長: 村松 一洋 村松 慎一 大森 司 (自治医科大学) Patrick Finn (VP, Rare Research & Preclinical Development, Moderna, Inc.) WEB 斎藤 格 Kaku Saito (Senior Director, Clinical Development, Moderna Japan Co., Ltd.)
10:40-11:40	session 3 Gene Therapy for Inherited Retinal Dystrophy (遺伝性網膜疾患に対する遺伝子治療) 1) Startup-driven development of gene therapy for vision restoration using optogenetics 2) Social implementation of gene therapy for inherited retinal dystrophy in Japan	座長: 池田 康博 西口 康二 堅田 佑作 (慶應大学医学部) 藤波 芳 (東京医療センター)
11:40-11:50	準備	
11:50-12:40	session 4 (共催セミナー 1) Luncheon Seminar [Takara Bio Inc.] : AAV mediated Gene Therapy for Congenital Deafness (遺伝性難聴に対するAAVベクターを用いた遺伝子治療) Development of AAV Gene Therapy Targeting GJB2 Related Hearing Loss by Capsid and Promoter Modification	座長: 小野寺雅史 神谷 和作 (順天堂大学耳鼻咽喉科学講座)
12:40-12:50	休憩 / 回収	
12:50-13:50	session 5 Ex vivo Gene Therapy for Inborn Error of Metabolism (先天代謝異常症に対するex vivo 遺伝子治療) 1) Hematopoietic stem cell gene therapy for mucopolysaccharidosis type II 2) Atidarsagene Autotemcel (Hematopoietic Stem Cell Gene Therapy) Preserves Cognitive and Motor Development in Metachromatic Leukodystrophy with up to 12 Years Follow-up	座長: 樋口 孝 奥山 虎之 嶋田 洋太 (東京慈恵会医科大学 遺伝子治療研究部) Kent Christopherson (Executive Director and Head, Global Medical Affairs, Orchard Therapeutics) 協和キリン社
13:50-14:50	session 6 In vivo Gene Therapy for Inborn Error of Metabolism (先天代謝異常症に対するin vivo 遺伝子治療) 1) Results from ongoing gene therapy clinical trials in patients with rare diseases: MPS IIIa, GSDIa, OTC Deficiency, and Wilson Disease 2) Complete normalisation of GM1 ganglioside storage through AAV expressing a blood-brain barrier-penetrating enzyme in mice	座長: 大橋 十也 鐘ヶ江裕美 Eric Crombez - (Ultragenyx Pharmaceutical Inc. Novato, California United States) 松島 小貴 (東京慈恵会医科大学 遺伝子治療研究部)
14:50-15:00	準備・休憩	
15:00-15:50	session 7 (共催セミナー 2) Sweets Seminar [Vector Builder Japan Inc.] : Trial of Gene Therapy for Inborn Error of Copper Metabolism (銅代謝異常に対する遺伝子治療の試み) 1) Potent Gene Therapy development for Menkes Disease: Preclinical Data and First-in-Human Study. 2) Accelerating Gene Therapy Development with VectorBuilder.	座長: 小須賀基通 Miho Matakatsu (VectorBuilder Inc., VectorBuilder Japan Inc.) Miho Matakatsu (VectorBuilder Inc., VectorBuilder Japan Inc.)
15:50-16:50	session 8 Gene Therapy for neuromuscular disorder (神経筋疾患に対する遺伝子治療) 1) Roche's reflection on preparing for a future with gene therapy in Duchenne muscular dystrophy 2) Clinical development of Onasemnogene abeparvovec and Voretigen neparvovec (オナセムノゲン アベパルボベク、ボレチゲン ネパルボベクの臨床開発)	座長: 小坂 仁 岡田 尚巳 Alex Murphy (ロシュ社臨床開発担当者) WEB 土田 健 (Ken Tsuchida) 伊藤 紗織 (Saori Ito) (ノバルティスファーマ株式会社 神経科学・遺伝子治療臨床開発) (Novartis Pharma K.K. Neuroscience & Gtx Clinical Development)
16:50-17:40	session 9 (共催セミナー 3) Afternoon Seminar [Sanofi] : Genetic Counseling (遺伝カウンセリング) 遺伝子治療の道しるべ 一患者と家族に寄り添うために Guiding the Path of Gene Therapy -Supporting Patients and Families-	座長: 小林 博司 稲垣 夏子 (Natsuko Inagaki) (東京医科大学 循環器内科学分野 Tokyo Medical University, Department of Cardiology 東京医科大学病院 遺伝子診療センター Tokyo Medical University Hospital, Clinical Genetics Center)
17:40-18:30	session 10 特別講演 Special Lecture by Professor Luigi Naldini (ヨーロッパ遺伝子細胞治療学会理事長 Naldini 教授による特別講演)	座長: 衛藤 義勝 Prof. Luigi Naldini
18:30-18:40	Closing Remarks	森下 竜一 (日本遺伝子細胞治療学会理事長) 小坂 仁 (次回第16回当番幹事 自治医大小児科学講座教授)