

# 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-idennbyou.jp/3rd\\_gt-forum.html](http://www.jikei-idennbyou.jp/3rd_gt-forum.html)

総合司会：小林 博司 (東京慈恵会医科大学 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

座長：大橋 十也 (東京慈恵会医科大学 DNA 医学研究所)

奥山 虎之 (国立成育医療研究センターライソゾーム病センター)

『Clinical trial of intra-cerebral gene therapy for lysosome storage diseases』  
Karen Aiach (CEO/Founder Lysogene)

『Hematopoietic stem cell gene therapy for lysosomal storage disorders』  
Alessandra 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

座長：遠藤 文夫 (熊本大学大学院医学薬学研究部小児科学分野)

藤本 純一郎 (国立成育医療研究センター臨床研究センター)

『慢性肉芽腫症の遺伝子治療 日本における取り組み』

小野寺雅史 (国立成育医療研究センター 成育遺伝研究部長)

『アデノ随伴ウイルスベクターによる血友病 B の遺伝子治療』

Friedrich Scheiflinger (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 —国際共同治験体制をいかに構築していくか—」

16:00-18:30

司会：衛藤 義勝 (東京慈恵会医科大学遺伝病研究講座)

小野寺 雅史 (国立成育医療研究センター成育遺伝研究部)

『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 (日本医科大学生化学)

『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』  
内田 恵理子 (国立医薬品食品衛生研究所遺伝子細胞医薬品第一室)

『我が国の遺伝子治療治験に関する手続きについて』  
PMDA (予定)

『欧州の遺伝子治療治験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

厚生労働科学研究費「難治性疾患等克服研究事業 (代表：衛藤義勝)」

厚生労働科学研究費「成育疾患克服等次世代育成基盤研究事業 (代表：小野寺雅史)」

厚生労働科学研究費「政策創薬マッチング研究事業 (代表：奥山虎之)」

後援：

NPO 法人日本ライソゾーム病研究センター・

日本遺伝子治療学会・日本先天代謝異常学会

食細胞機能異常症研究会