

The 8th International Collaborative Forum of Human Gene Therapy for Genetic Diseases

# 第8回 国際協力遺伝病遺伝子治療フォーラム

[会場] 東京慈恵会医科大学大学1号館3階講堂(〒105-8461 東京都港区西新橋3-25-8)

[日時] 2018年1月18日(木) 10:00~18:00

[参加費] 3,000円

[当番幹事] 奥山 虎之(国立成育医療研究センター)

## テーマ: 「先天代謝異常症の遺伝子治療臨床研究」

### ❖ 開会の辞・ご挨拶

厚生労働省大臣: 加藤 勝信

第8回フォーラム当番幹事: 奥山 虎之(国立成育医療研究センター)

国際協力遺伝病遺伝子治療フォーラム実行委員長: 衛藤 義勝(脳神経疾患研究所/東京慈恵会医科大学)

### ❖ シンポジウム1. わが国の遺伝病遺伝子治療臨床研究の進歩

Gradual improvements in the motor and cognitive function after gene therapy for patients with AADC deficiency: 小島 華林(自治医科大学小児科)

Stem cell gene therapy for primary immune deficiencies in Japan: 小野寺雅史(国立成育医療研究センター)

### ❖ シンポジウム2. 国内企業による遺伝子治療研究の現状

Development and Application of Stealth RNA Vector: 中西 真人(常盤バイオ株式会社、産業技術総合研究所)

HGF plasmid gene therapy for the treatment of critical limb ischemia: 山田 英(アンジェス株式会社)

### ❖ 企業セミナー

TaKaRa Bio

### ❖ シンポジウム3. 海外企業による遺伝病遺伝子治療の臨床開発

bluebird bio, Inc. (Dr. Gary Fortin): Interim results from a Phase 2/3 Study of the Efficacy and Safety of Ex Vivo Lenti-D™ Gene Therapy for the Treatment of Cerebral Adrenoleukodystrophy

Orchard Therapeutics (Dr. Jesus Garcia-Segovia): Primary immunodeficiency (Tentative)

Spark Therapeutics (Dr. Daniel C. Chung): Investigational Gene Therapy for RPE65-Mediated Inherited Retinal Disease

Pfizer Inc. (冠 和宏): Gene Therapy to Drive Transformative Medicine for Intractable Diseases  
-Pfizer's Prospects on Approaches and Challenges Ahead-

### ❖ シンポジウム4. 先天代謝異常症に対する遺伝子治療

Novel therapeutic approach for the treatment of inherited and metabolic diseases: 奥山 虎之(国立成育医療研究センター)

Current status of gene therapy for inborn error of metabolism: 大橋 十也(東京慈恵会医科大学遺伝子治療研究部)

Gene Therapy for Methylmalonic Acidemia (MMA) and Related Disorders: Lessons from Patients and Mice:

Dr. Charles P. Venditti (National Institutes in Health)

Strategies for Effectively Treating Complex Lysosomal storage Diseases: Dr. Mark Sands (Washington University in St. Louis)

Gene therapy approaches for MPS diseases: Dr. Simon Jones (Manchester University Hospital)

### ❖ 特別講演

ライソゾーム病の遺伝子治療(仮題): Dr. Chester Whitely (University of Minnesota)

### ❖ 閉会の辞・ご挨拶

日本遺伝子治療学会理事長: 金田 安史(大阪大学)

第9回フォーラム当番幹事: 大橋 十也(東京慈恵会医科大学遺伝子治療研究部)

<問い合わせ先> 国立成育医療研究センター 遺伝診療科 小須賀基通

電話: 03-3416-0181、FAX: 03-3416-2222、Email: kosuga-mo@ncchd.go.jp

主催: 国際協力遺伝病遺伝子治療フォーラム実行委員会

後援: 国立研究開発法人日本医療研究開発機構(AMED)「医療技術実用化総合研究事業(代表: 奥山虎之)」

日本医療研究開発機構(AMED)委託費「難治性疾患実用化研究事業」

「医薬品等規制調和・評価研究事業」(研究開発代表者: 小野寺雅史)

厚生労働省難治性疾患等政策研究事業(難治性疾患政策研究事業)(研究開発代表者: 衛藤義勝)