

第13回 国際協力遺伝病遺伝子治療フォーラム

The 13th International Collaborative Forum of Human Gene Therapy for Genetic Disease

遺伝子細胞治療の大きな世紀

GRAND SIÈCLE, The Great Century of Gene and Cell Therapy ~本格的普及に向けた課題と解決策~

開催日 **2023年1月19日(木)** ハイブリッド開催 会場 **東京大学 伊藤国際学術研究センター 伊藤謝恩ホール**

会長 **岡田 尚巳** (東京大学医科学研究所遺伝子・細胞治療センター分子遺伝医学分野 教授)

参加費 一般: **3,000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い合わせください。
※参加登録期間: 2022年12月20日(火)~2023年1月19日(木)

プログラム

9:00~9:15	Opening Remarks (開会挨拶)	岡田 尚巳 (第13回国際協力遺伝病遺伝子治療フォーラム 当番幹事) 小野寺雅史 (国際協力遺伝病遺伝子治療フォーラム 代表幹事)
9:15~10:15	Gene therapy for blood and immune diseases (血液・免疫疾患の遺伝子治療)	Chairs: 大津 真 (北里大学医学部輸血・細胞移植学) 内山 徹 (国立成育医療研究センター 成育遺伝研究部) 1) Development of <i>in vivo</i> gene therapy for hematopoietic stem cells with a targeted delivery system 内田 直也 (米国立衛生研究所/東京大学医科学研究所) 2) Newly Discovered and Engineered CRISPR-Associated Nucleases as a Robust, Efficient, Allele- and Target-Specific Editing Tool David Baram (EmendoBio, Inc., USA)
10:20~11:20	Gene and cell therapy for muscle diseases (筋疾患の遺伝子・細胞治療)	Chair: 青木 吉嗣 (国立精神・神経医療研究センター 神経研究所 遺伝子疾患治療研究部) 1) Challenges of AAV Gene Therapy Development for Duchenne Muscular Dystrophy Francesco Muntoni (Dubowitz Neuromuscular Centre, University College London Great Ormond Street Institute of Child Health, UK) 2) Mesenchymal stromal cells immune-modulatory activity in preclinical and clinical studies: potential to combine with gene therapies for enhanced efficacy Silviu Itescu (Mesoblast Ltd., Australia)
11:25~11:55	Development of next-generation viral vectors (次世代ウイルスベクターの開発) Developing autonomous parvovirus Capsids for gene therapy applications	Chair: 村松 慎一 (自治医科大学 神経遺伝子治療部門) Robert M. Kotin (Carbon Biosciences, Inc., USA)
12:00~12:50	ランチョンセミナー Takara Bio Inc. Toward molecular cures for the first molecular disease, cell and gene therapies for sickle cell disease	Chairs: 花園 豊 (自治医科大学分子病態治療研究センター 再生医学研究部) 内田 直也 (米国立衛生研究所/東京大学医科学研究所) John F. Tisdale (Cellular and Molecular Therapeutics Branch, National Heart, Lung, and Blood Institute, National Institutes of Health, USA)
12:55~13:55	Gene therapy for central nervous system and sensory organ diseases (中枢神経・感覚器疾患の遺伝子治療)	Chairs: 望月 秀樹 (大阪大学大学院医学系研究科 神経内科学) 池田 康博 (宮崎大学医学部眼科学) 1) ゲノム編集による常染色体優性遺伝網膜色素変性の治療 高橋 政代 (株式会社ビジョングア/株式会社 VC Gene Therapy) 2) Development toward gene therapy for Rett syndrome TBD (TAYSHA Gene Therapeutics, Inc., USA)
14:00~15:20	アフタヌーンセミナー 1) Reducing the Risk Associated with Manufacturing Adeno Associated Virus (AAV) Clive Glover (Pall Corporation) 2) Scalable Downstream Processes for New Modalities モダリティ多様化に対応するスケーラブルなクロマトグラフィプロセス 佐々木貴彦 (Cytiva) 3) Technical introduction of AAV vector production workflow AAVベクター製造ワークフローに関する技術のご紹介 森脇 聡子 (サーモフィッシャーサイエンティフィック ライフテクノロジーズジャパン株式会社) Pall Corporation (日本ポール株式会社) Cytiva (グローバルライフサイエンステクノロジーズジャパン株式会社) Thermo Fisher Scientific (サーモフィッシャーサイエンティフィック)	Chair: 恒川 雄二 (東京大学医科学研究所 遺伝子・細胞治療センター 分子遺伝医学分野)
15:25~15:40	Genetic Counseling (遺伝カウンセリング) 遺伝子治療に対する遺伝カウンセリング	Chair: 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) 土屋 実央 (アマカス・セラピューティクス株式会社)
15:45~16:45	Gene therapy for inborn errors of metabolism (先天性代謝異常の遺伝子治療)	Chairs: 大橋 十世 (東京慈恵会医科大学医学部看護学科) 奥山 虎之 (埼玉医科大学 ゲノム医学科) 1) Lentiviral Haematopoietic Stem and Progenitor Cell Gene Therapy for Metachromatic Leukodystrophy (MLD): updates on clinical outcome and future perspectives Francesca Fumagalli (Pediatric Immunohematology Unit and Department of Neurology of San Raffaele Hospital / San Raffaele Telethon Institute for Gene Therapy (SR-TIGET), Italy) 2) Results from ongoing gene therapy clinical trials in patients with Glycogen Storage Disease Type Ia (GSDIa), Ornithine Transcarbamylase (OTC) Deficiency, and Mucopolysaccharidosis Type IIIa (MPS IIIa) and development updates in Wilson Disease and CDKL5 Deficiency Disorder (CDD) Eric Crombez (Ultragenyx, USA)
16:50~17:50	Special Lecture (特別講演) Beyond "One disease at a time": Therapeutic platforms for rare monogenic disease	Chair: 岡田 尚巳 (東京大学医科学研究所 遺伝子・細胞治療センター 分子遺伝医学分野) Philip J. Brooks (Division of Rare Diseases Research Innovation, National Center for Advancing Translational Sciences, National Institutes of Health, USA)
17:50~18:00	Closing Remarks (閉会挨拶)	森下 竜一 (一般社団法人日本遺伝子細胞治療学会 理事長/大阪大学大学院医学系研究科臨床遺伝子治療学) 池田 康博 (第14回国際協力遺伝病遺伝子治療フォーラム 当番幹事/宮崎大学医学部眼科学)

主催: 国際協力遺伝病遺伝子治療フォーラム実行委員会
後援: 一般社団法人日本遺伝子細胞治療学会 (JSGT)
一般社団法人日本人類遺伝学会
一般社団法人日本遺伝カウンセリング学会
日本遺伝子診療学会
日本医療研究開発機構 (AMED) 委託費
「再生医療・遺伝子治療の産業化に向けた基盤技術開発事業」(研究開発代表者: 岡田尚巳)
厚生労働科学研究難治性疾患政策研究事業 (研究代表者: 奥山虎之)
共催: 東京大学医科学研究所 国際共同利用・共同研究拠点
NPO法人日本ライソゾーム病研究センター

事務局 東京大学医科学研究所遺伝子・細胞治療センター分子遺伝医学分野
〒108-8639 東京都港区白金4-6-1
運営事務局 株式会社SKアベックスプラン内
〒104-0041 東京都中央区新富1-8-6 SSビル5階
TEL: 03-3523-3722 FAX: 03-3523-3723 email: info@skap.jp

<http://www.gt-forum.net/>

(国際協力遺伝病遺伝子治療フォーラム)

