

日本希少疾患 コンソーシアム 2024年度年会



産官学官民で迫るドラッグ・ロスの核心 ～希少疾患の患者さんに新薬を届けるために～

概要・開催趣旨

希少疾患コンソーシアム (Rare Disease Consortium Japan, RDCJ) 2024年度年会では、希少疾患に対するドラッグ・ロス、ドラッグ・ラグの問題解決に向けたアプローチをテーマに、産官学官民(日本製薬協会、製薬企業、患者会、アカデミア、行政)の様々な分野の皆さまに講演して頂き、今後の本コンソーシアムおよび希少疾患に対する創薬の礎になることを目指します。

日時 **2025年2月21日(金) 9:30～18:30**

場所 **湘南ヘルスイノベーションパーク 講堂**

アクセス JR大船駅からバスで20分程、またはJR藤沢駅からバスで15分程(神奈川県藤沢市村岡東二丁目26番地1)

共催 国立研究開発法人 国立精神・神経医療研究センター
NCNP National Center of Neurology and Psychiatry

iPark

参加無料

後援 国立研究開発法人 日本医療研究開発機構
AMED Japan Agency for Medical Research and Development

事前参加申し込みが必要です。
お申し込みはこちら



PROGRAM

9:30 **開会の挨拶、日本希少疾患コンソーシアム(RDCJ)代表の挨拶**
演者 アイバークインスティテュート株式会社 代表取締役社長 藤本 利夫 国立精神・神経医療研究センター 青木 吉嗣

特別講演 1

9:40 **アルツハイマー病研究から希少疾患へ**
演者 国立精神・神経医療研究センター 神経研究所 所長 岩坪 威

10:10 **製薬協の取り組み**
演者 日本製薬工業協会 難病・希少疾患タスクフォース サブリーダー 植村 太郎

10:40 休憩

疾患研究と支援体制の未来:人材育成、協働、資金エコシステムへの挑戦

10:55 **希少・難治性疾患領域の中間機関として**
演者 Ji4pe (Japanese Institute for Public Engagement)、一般社団法人 医療開発基盤研究所 代表理事 今村 恭子

11:25 **ASridのステークホルダー協働研究と活動の展望**
演者 特定非営利活動法人 ASrid 理事 西村 由希子

11:55 **今だからこそ、再び、“Patient Centricity & No into Yes”**
演者 應義塾大学病院 臨床研究推進センター 臨床研究支援部門 特任教授 和田 道彦

12:25 昼休み&懇親会

市民公開講座 後日動画配信を予定

筋ジストロフィーや脊髄性筋萎縮症などに対する画期的な治療法として注目を集めている遺伝子治療について、それぞれの専門家の先生から解説して頂きます。遺伝子治療とは?安全性は大丈夫?患者サイドとして何に気をつけるべきか?という皆様の疑問にお答えします。
協力:精神・神経疾患研究開発費、厚生労働科学研究費補助金

13:45 **筋ジストロフィー遺伝子治療におけるAAVベクターの可能性と課題**
演者 東京大学 医科学研究所 遺伝子・細胞治療センター 教授 岡田 尚巳

14:15 **神経筋疾患に対する遺伝子治療の現状と課題**
演者 東京女子医科大学病院 小児科 准教授 石垣 景子

特別講演 2

14:45 **ドラッグ・ロス解消に向けた薬事審査行政の取り組み**
演者 内閣府 内閣府健康・医療戦略推進事務局 参事官 渡辺 颯一郎

15:35 休憩

希少疾患で起こりやすいドラッグ・ロスを解消するために産官学官それぞれの立場から

15:50 **創薬力の強化・安定供給確保のための薬事規制のあり方について**
演者 厚生労働省 医薬・生活衛生局 医薬品審査管理課 審査調整官 荒川 裕司

16:30 **ドラッグ・ロス・希少疾患と希少フラクション-**
演者 国立がん研究センター中央病院 先端医療科 医員 佐藤 潤

17:10 **超希少疾患のアンメットメディカルニーズに応える治療薬の開発**
演者 JCRファーマ 取締役 専務執行役員 研究本部長 藺田 啓之

17:50 **患者の立場から見たドラッグ・ロスの現状と課題 ～これから患者はどうするべきなのか～**
演者 一般社団法人 日本筋ジストロフィー協会 柴崎 浩之

18:30 **閉会の挨拶**
演者 C4U株式会社、RDCJ事務局長 三木 秀夫

※上記プログラムは変更となる可能性があります。