

日本希少疾患 コンソーシアム 2025年度年会



日時 2026年2月27日(金) 10:00～17:00
(17:00～18:00 懇親会)

場所 湘南ヘルスイノベーションパーク 講堂

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

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

希少疾患への個別化医療を実現する

概要・開催趣旨

日本希少疾患コンソーシアム (Rare Disease Consortium Japan, RDCJ) 2025年度年会では、「希少疾患への個別化医療を実現する」をテーマに、N-of-1+創薬*と呼ばれる新しい臨床開発の方法について、世界的動向や日本での現状を紹介するとともに、個別化医療を実現するためにより良い方法は何か、産学官民それぞれの立場から意見を交換し議論を深めます。

*N-of-1+創薬：1人から数名の患者のためだけに、個別化された治療薬を開発する臨床開発アプローチのことで、特に希少疾患の治療薬開発への応用に向けた議論が進んでいます。

PROGRAM

10:00 開会のあいさつ

演者 アイパークインスティテュート株式会社 藤本 利夫 / 国立精神・神経医療研究センター神経研究所 岩坪 威 / 国立精神・神経医療研究センター神経研究所 青木 吉嗣(RDCJ代表)

10:15 講演

未診断疾患イニシアチブIRUDの成果と今後の方向性

演者 国立精神・神経医療研究センター病院 高橋 祐二 **座長** 青木 吉嗣

10:45 「N-of-1+創薬」総合セッション(講演)

N-of-1+創薬の現在地と今後の展望 — トランスレーショナルリサーチの立場から

演者 自治医科大学 小児科学講座 小坂 仁 **座長** 岩坪 威

11:15 「N-of-1+創薬」総合セッション(ミニシンポジウム)

行政から難治性希少疾患研究開発を支える～N-of-1+医療への期待と展望～

演者 内閣府 健康・医療戦略推進事務局 日野原 友佳子

オープンイノベーションを活用した希少疾患薬開発のための新たな研究開発モデル
～N-of-1 創薬実現に向けた示唆～

演者 アアステラス製薬株式会社 経営企画部 伊東 久仁

北米におけるN-of-1創薬の現状：患者個別ASO開発の実例と、規制・製造・実装に向けた課題

演者 アルバータ大学医学部 横田 俊文(RDCJ幹事)

N-of-1治療を体験して ～患者家族の立場からの課題～

演者 DRPLA Family Network 塩沢 淳子

座長 小坂 仁 / 奈良県立医科大学 脳神経内科 杉江 和馬

12:15 昼食

13:15 「N-of-1+創薬」総合セッション(パネルディスカッション)

■日本におけるN-of-1試験の制度設計と実装可能性

■N-of-1試験を創薬に活かすには

演者 伊東 久仁 / 横田 俊文 / 塩沢 淳子 / 小坂 仁 / 日野原 友佳子

ファシリテーター 京都大学iPS細胞研究所(CiRA) 堀田 秋津(RDCJ幹事) / 京都大学 大学院医学研究科 附属総合解剖センター 粟屋 智就

14:00 RDCJ ワーキンググループ活動紹介・他

■WG活動概要 ■各WG活動報告(WG1、WG3、WG2+製薬協) ■質疑応答

演者 堀田 秋津 / 日本筋ジストロフィー協会 柴崎 浩之(RDCJ幹事) / 武田薬品工業株式会社 犬飼 直人(RDCJ幹事) / 日本製薬工業協会 加藤 由紀 / C4U株式会社 三木 秀夫(RDCJ事務局長) /

14:30 休憩

14:50 市民公開講座

「筋強直性ジストロフィーに対する治療薬の臨床開発から学ぶ」

臨床開発におけるアカデミアの役割

演者 大阪大学大学院医学系研究科 高橋 正紀

Patient Engagementを考える

演者 認定NPO法人 筋強直性ジストロフィー患者会 妹尾 みどり

座長 国立精神・神経医療研究センター病院 小牧 宏文 / 大阪刀根山医療センター脳神経内科 松村 剛

15:50 パネルディスカッション

希少疾患への創薬を実現する効率的な臨床開発手法とは？

演者 アルジェニクスジャパン株式会社 後藤 太郎 / 厚生労働省 難病対策課 山田 洋輔 / 自治医科大学 臨床研究センター 星出 聡 / NPO法人 Seven Seas 藏面 奈々

ファシリテーター 京都大学iPS細胞研究所(CiRA) 櫻井 英俊(RDCJ幹事) / 三木 秀夫

16:40 閉会のあいさつ

櫻井 英俊 / 日本新薬株式会社 中村 善隆(RDCJ幹事)

17:00 懇談(軽食)

※上記プログラムは変更となる可能性があります。