

第54回

難病・遺伝医学 セミナー

講演：難治疾患の遺伝子治療開発と実用化

2024年

4月24日 水 18:00-19:00

順天堂大学10号館1階105カンファレンスルーム

講師紹介：村松 一洋先生

(自治医科大学医学部 小児科学講座 教授)

座長：岡崎康司 (難病の診断と治療研究センター・ゲノム診療センター)

司会：村山圭 (難病の診断と治療研究センター・ゲノム診療センター)

概要：世界的に遺伝子治療や核酸医薬開発の進展は目覚ましく、欧米中でもアデノ随伴ウイルス (AAV) ベクターによる開発は特に進んでいる。国内でも遅ればせながら、脊髄性筋萎縮症に続き、遺伝性網膜ジストロフィーに対する遺伝子治療薬が承認された。そしてついに、米国ではゲノム編集による鎌状赤血球症とβサラセミアの治療が承認されるなど、開発競争は激化し特に欧米中の勢いは著しい。自治医科大学では、AAVベクターを用いた遺伝性難治疾患に対する遺伝子治療開発をAMEDなどの支援の基に精力的に展開し、代謝性疾患や血友病治療として肝臓を標的としたAAVベクター、変性疾患など中枢神経系を標的としたAAVベクターを主に開発してきた。中枢神経系に対してはすでに臨床試験を実施している。本セミナーでは、遺伝子治療の基本的な内容から、有効な治療法が限られた疾患に対するアメットメディカルニーズを充足するための研究開発と、現在の臨床応用についてご紹介する。治療開発での課題などを共有し、遺伝子治療に興味を持っていただき、理解を深めていただく機会となれば幸いです。

申込方法：以下の申込フォーム・QRコードよりお申込みください。

※開催日までに詳細と招待URLのご案内メールをお送り致します。

<https://forms.gle/gseNAh43311qE2Bz7>

本講演はハイブリッド形式 (現地 + Zoom)

にて開催いたします。



4月23日 (火) 17時締切

お問い合わせ

難病の診断と治療研究センター/ゲノム診療センター

村山/金野 (内線72462/5794)

共催：順天堂大学大学院医学研究科

順天堂大学大学院HP

