

Japan Society of

# Gene and Cell Therapy



【巻頭言】	1
【第24回日本遺伝子細胞治療学会学術集会を終えて】	2
国立成育医療研究センター成育遺伝研究部 小野寺雅史	
【第21回アメリカ遺伝子細胞治療学会（ASGCT2018）報告】	3
中井浩之 Oregon Health & Science University 山本正人 University of Minnesota	
【若手研究会紹介】	4
日本遺伝子細胞治療学会・若手ワーキンググループ 日本遺伝子細胞治療学会・若手研究会 大津 真	

## 巻頭言

平成30年度よりNews Letterをweb配信の形で再開させていただくことになりました。今後、学会情報や研究などを迅速に学会員の皆様にお届けできるように尽力して参ります。

次回は新年号として、藤堂理事長のご挨拶や第25回日本遺伝子細胞治療学会学術集会の予告を予定しております。他に情報提供を希望される方は学会事務局までご連絡ください。

よろしくお願ひ申し上げます。

日本遺伝子細胞治療学会 教育・広報委員会

米満 吉和、中神 啓徳

## 第24回日本遺伝子細胞治療学会学術集会を終えて

国立成育医療研究センター  
成育遺伝研究部  
小野寺雅史

秋冷の候 皆様におかれましては益々ご清栄のこととお慶び申し上げます。

さて、平成30年7月26日から28日まで東京 虎ノ門ヒルズフォーラムで開催いたしました第24回日本遺伝子細胞治療学会学術集会ですが、天候にも恵まれ、700名に近い参加者があり、盛会のうちに無事終了することができました。これもひとえにご参加をいただきました先生のお力添えの賜とこの場を借りて感謝する次第です。

今回の学術集会開催に際しましては初日（7月26日）、加藤勝信厚生労働大臣がお越し下さり、「我が国の数多くの難治性疾患に対し遺伝子細胞治療のさらなる発展を期待している」とのお言葉を頂きました。また、続く「Presidential Special Program with AMED & PMDA」セッションでは日本医薬研究開発機構（AMED）理事長 末松誠先生ならびに医薬品医療機器総合機構（PMDA）理事長 近藤達也先生をお招きし、各機構の我が国の遺伝子細胞治療に対する支援体制のご講演を賜りました。さらに開催2日目（7月27日）のSpecial Symposium Iでは国際協調の観点から米国遺伝子細胞治療学会（ASGCT）会長のGuangping Gao先生と欧州遺伝子細胞治療学会（ESGCT）代表のAlessandro Aiuti先生を招聘し、「Human gene therapy - The road to today and beyond」ならびに「Gene Therapy for Wiskott-Aldrich syndrome」の演題名で欧米での遺伝子細胞治療の現状を紹介していただきました。同時に各遺伝子細胞治療分野での第一線級の7名の海外研究者もお招きすることができ、各セッションで欧米で実施されている遺伝子細胞治療の臨床試験の結果や今後の方向性をご紹介いただき、参加者と有意義なディスカッションを行うことができました。

今回、大会長として私が定めた学会テーマは「Gene and Cell Therapy, To Take One Step Forward」です。これはご存知のように欧米では数多くの難治性疾患に対して遺伝子細胞治療が当たり前に行われ、その安全性、有効性の観点から複数の製品に至っては医薬品として承認されているのに対し、我が国ではいまだ承認された遺伝子治療用製品はなく、さらに海外での臨床情報の入手困難の中、如何に日本での遺伝子治療を発展させていくかを考えた時、現実に即した確実な一步は何かと考えたからです。特に、海外の遺伝子細胞治療はその基盤をアカデミア側から商業化を視野に入れた企業側に移行しており、その開発方法はいまだアカデミ

アに基盤を置く日本とは大きく異なっております。そこで、本学会では特別に大会長枠として3つのシンポジウムを計画しました。1つ目は遺伝子治療実施に際しウイルスベクターを使用する際に必要となる「カルタヘナ法 第一種使用規程」に関する考え方のシンポジウムであり、2つ目は遺伝子治療の開発経費や最終的に医薬品として承認された際の適正薬価を含めた「GTCP・マーケティング」に関するシンポジウムで、3つ目は、現在、欧米を中心に遺伝子細胞治療を実施し、今後、グローバルな展開として日本での遺伝子細胞を計画している企業の「日本での戦略」を紹介するシンポジウムです。特に、海外企業のグローバルな展開に関する戦略紹介では遺伝子細胞治療がすでに医薬品として扱われており、ロジスティクスを含めその品質管理には高度な規格設定が必要であり、そのレベルはアカデミアがクリアできるものではないことが示されました。ただ、確かにこの差はあまりにも大きく、一朝一夕でキャッチアップできるものではありませんが、「敵を知り己を知れば百戦殆からず」の孫子の兵法の如くまずはしっかりと現状を認識できたシンポジウムではないかと思っております。

一方、このような遺伝子治療の商業化を焦点を当てたセッションが多い中、ゲノム編集を含めたベクター開発等の基礎研究セッションにも多くの聴衆者があり、今後遺伝子細胞治療に従事しようとする若手研究者にとっても意義な会になったのではと思っております。ただ、一つ残念だったのが全体の参加者数の増大しましたが、その多くは企業からの参加者で学会員自体の参加数が思ったほど伸びず、さらには一般演題が80題程度と低迷したことです。もちろん、これら発表は非常に科学的示唆に富み、将来の遺伝子治療の発展に大きく貢献するものと思われませんが、発表演題数はある程度学会の活力と相関しますから、今後、若手研究者の参入を含めた学会自体のボトムアップが必要な時期に来ているのではないかと思っております。

最後になりましたが、今回の学会の開催に際しま



しては各方面の先生に大変お世話になりました。特にシンポジウムやセッションの企画に尽力頂いた先生には深く感謝いたします。それでは、今後、我が国の遺伝子細胞治療が新たな展開を拓けることを祈念し、学術集会の報告を終了したいと思います。

**第21回アメリカ遺伝子細胞治療学会 (ASGCT2018) 報告：史上最多参加者 (前年比31%増) を記録し米国で最初の遺伝性疾患インビボ遺伝子治療薬承認を賞賛**

中井浩之

Oregon Health & Science University

山本正人

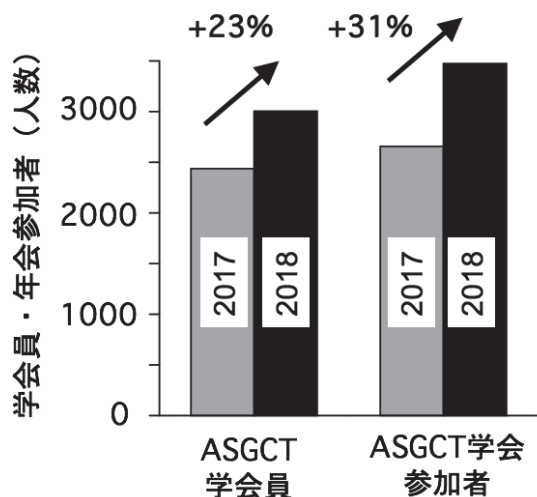
University of Minnesota

本年度のアメリカ遺伝子細胞治療学会 (ASGCT2018) は、5月16日 (水) から19日 (土) の4日間、抗原特異的T細胞を用いた免疫細胞療法の研究で著名な Baylor College of Medicineの Helen Heslop博士を会長として、イリノイ州シカゴのHilton Chicagoで開催されました。前日の15日には、昨年のClinical Trials Training Course に続くプレミーティングイベントとして、Commercialization、Gene Editing、CAR-T Cell Therapiesの3つのワークショップも同ホテルで開催されました。学会参加者はASGCT史上最高の3,474人を記録し、前年度の2,657人に比べ+31%と著しく増加しました (下図参照)。また、ポスター会場では、大勢の参加者によるごった返して通路を歩くのも困難という想定外の事態も発生しました。2016年以降、Strimvelis (ADA遺伝子導入細胞治療製剤)、Tisagenlecleucel (CAR-T製剤)、および下記のAAVベクター製剤が相次いで (欧州または米国) で承認されたこともあり、ASGCT新規学会員申し込み者数は2017年では年間796人、2018年には年間1,105人と急増し、2018年現在で、アクティブ

なメンバーシップを有する学会員は3000人を超えるまでになっています (右図参照)。数年前と比べて企業展示の数が大きくふくれあがり、多くの企業が遺伝子治療の領域を商機とみなしていることが強く伺えました。

ASGCT2018の最大のハイライトは、遺伝性網膜ジストロフィーのひとつであるレーバー先天性黒内障 (RPE65遺伝子変異) の遺伝子治療薬、voretigene neparvovec-rzyl (商品名Luxturna) の遺伝子治療のランドマーク達成でした。LuxturnaはRPE65遺伝子を発現するAAV2ベクターであり、片眼、あるいは1週間の間隔をあけて両眼の網膜下に外科的に投与することにより視機能の改善を図る治療薬で、昨年12月19日に米国食品医薬品局 (FDA) の承認を受けました。Luxturnaが米国で初めて直接体内に投与できる遺伝性疾患in vivo遺伝子治療薬としてFDAの承認を受け米国市場での販売が開始されたことは、遺伝子治療の実現化と普及に向けての大きな一歩となりました。この遺伝子治療ランドマークの達成に大きな貢献をされた Katherine A. High博士 (Spark Therapeutics) には Excellence in Research Award が授与され、また、AAVベクターを用いた遺伝性網膜疾患遺伝子治療のパイオニアである Jean Bennet 博士 (University of Pennsylvania) には、Outstanding Achievement Awardが授与されました。High博士はGeorge Stamatoyannopoulos Lecture記念講演のなかで、どのようにSpark Therapeuticsを共同設立し、立ちはだかるさまざまな困難を克服して米国で最初のAAVベクター治療薬が承認、販売されるに至ったかを述べられました。これらの点は、Bennet 博士の受賞講演でも繰り返し解説されました。

シンポジウムと一般演題では、広範囲にわたるトピックがカバーされました。その中でも、CAR-T細胞治療をはじめとする腫瘍免疫療法、標的腫瘍溶解ウイルス療法、ゲノム編集、AAVベクター開発と応用に関する講演、演題が多いように思われました。AAVベクターに関する講演、演題発表では、本年度の学会ではこれまでに見られなかった新たな動きが見られました。それは、遺伝子治療ベクター研究とはこれまで直接関わりがないと思われていた科学分野の著名な研究者がベクター研究に乗り出した、ということです。とりわけ、George M. Church博士 (Harvard University) の合成生物学的発想に基づいた全く新しいAAVベクター研究の手法とその実験結果についての講演は、大きな注目を浴びました。Church博士は、ヒトゲノムプロジェクトの立ち上げや次世代DNAシーケンサーの開発に多大な貢献をした著名な遺伝学者であり、また合成生物学およびpersonal genomicsの先駆者としても名を馳せた科学者です。Church博士は、来年ワシントン



ンで開催される第22回アメリカ遺伝子細胞治療学会 (ASGCT2019) のPresidential Symposium の演者として招かれることが決定しており、分野横断的に発展すべき遺伝子細胞治療研究、臨床応用への洞察に満ちたメッセージを発して頂けるものと期待しています。

がんの遺伝子治療の分野では昨年に続き、CAR-T細胞療法と腫瘍溶解ウィルスの演題が目を引きました。まず、CAR-T細胞療法については、もちろん多くの最新の実験や臨床試験の結果が発表されましたが、研究・臨床の進展に伴い、コストの問題やCAR-T細胞療法後の難治性の再発例等の問題が昨今指摘されるようになりました。Cancer Gene & Cell Therapy Committeeのシンポジウムでは、Stephen Schoenberger博士 (La Jolla Institute) の新規の抗原同定のための新たなシステムや、Matthias Stephan博士 (Fred Hutchinson Cancer Center) のナノパーティクルを使ったCAR-T細胞を体内で造る方法 (in situ programming: ex vivo 遺伝子導入による方法と比較してより低いコストで CAR-T細胞製造が可能) など、次世代のCAR-T細胞療法を目指した研究が紹介されました。腫瘍溶解ウィルスの領域では、免疫療法との併用が花盛りでしたが、その中でも、Watanabe博士 (University of Pennsylvania) のサイトカイン産生腫瘍溶解ウィルス (アデノウィルス) とCAR-T細胞併用による固形がん (膵癌) に対する治療の発表は、未だにCAR-Tによる固形がんの治療効果には限りがあるという現状を打破するものとして注目されました。

ゲノム編集の分野では、次々とoff-target effectの低いcutterやeditorが開発されてきており、多くの発表をみるようになってきました。また、CRISPRの様な“cutter”から、塩基を入れ替える“editor”へシフトと言う方向性も多く見受けられました。この分野でもin situ/in vivoでのゲノム編集を目指す動きも盛んで、ウィルスベクター開発に取り組んでいる我々としては、疾患に応じたin situ/in vivo ゲノム編集を可能にするベクター開発の必要性を再認識しました。

最後に、ASGCTに参加されなかったJSGCT会員の皆様におかれましては、是非、"<https://plan.core-apps.com/asnct2018/>" にアクセスされ、ASGCT2018のプログラムおよび演題抄録を閲覧されることをお勧めします。まだ論文発表されていない興味ある講演や演題が見つかると思います。また、ASGCTでは、各種委員会 (committee) のメンバーをしていただける方を、若手、ベテランを問わず募集しています (<https://www.asnct.org/membership/volunteer>)。ASGCT委員会メンバーになれば、その活動を通しての様々な交流があり実りある経験ができます (この委員会がシンポジウ

ムの内容と演者を決めます)。また、各分野で口演の演題を選び、Plenary演題を推薦する抄録の審査員も募集しています。委員会、演題審査の活動内容につきまして質問のある方は、お気軽に中井浩之 (nakaih@ohsu.edu) か山本正人 (yamam016@umn.edu) までご連絡ください。

来年のASGCTは、Washington Hilton (例年のホテルとは違います) で4月29日 (月) から5月2日 (木) に開催されます。演題の応募期限は1月16日です。ゴールデンウィークと重なりますが、是非多数ご参加下さい。最後に、この報告書を作成するにあたりご協力いただきましたASGCT事務局Rebecca Zimmer氏に深謝いたします。

### 第3回日本遺伝子細胞治療学会若手研究会セミナー開催に向けて

日本遺伝子細胞治療学会・若手ワーキンググループ  
日本遺伝子細胞治療学会・若手研究会

大津 真

仲秋の候 皆様いかがお過ごしでしょうか。

このたび寄稿の機会をいただきましたので、私たち若手ワーキング・グループの活動の一環として平成28年より行っております若手研究会、若手研究会セミナーについてご紹介申し上げます。若手ワーキング・グループは、日本遺伝子細胞治療学会 (JSGCT) 各種委員会の中でもまだ発足から日の浅い委員会ではありますが、昨今の世界における遺伝子細胞治療の盛り上がりに見合うよう、日本においても若手研究者の参入、育成を促進していくために、大きな使命を担っていることを自覚しております。しかしながら、世界においては長きに渡り実験的臨床研究の経験、成果が蓄積され、遺伝子細胞治療の商業化が最大の関心事ともなっている現状において、特に基礎系の研究に従事する若手研究者等にはJSGCTへの入会が敷居高く感じられていることは否めないように思います。そこでまずは遺伝子細胞治療に対し、気軽に接点を持っていただけるよう「若手研究会」の立ち上げを平成28年9月15日付で行いました。本会は、会則に、

第2条 本会は、遺伝子治療・細胞治療への貢献が期待される、基礎的技術革新、疾患モデル研究、その他を広く包括する研究成果を発表する機会を通じ、若手遺伝子・細胞治療研究者の育成、萌芽研究の発掘、産学連携の推進等により日本の遺伝子細胞治療の発展に貢献することを目的とする。

と目的をうたっており、また活動内容を

第3条 本会は前条の目的を達成するために次の活動を行う。

1. 毎年1~2回定期セミナーを開催する。
2. 会員専用の非公開メンバーリストを作成し、会員間の情報交換や共同研究のための連絡先を管理する。
3. 会員にメールを介して、定期セミナーの開催情報、日本・米国・欧州遺伝子細胞治療学会（JSGCT、ASGCT、ESGCT）のトピックス、会員からの関連技術の紹介、企業からの関連製品の紹介を配信する。
4. JSGCTへの入会を推奨する。

としております。

会費不要でメンバーリストへの登録のみで入会が可能、という手軽さも幸いし、現在143名の入会者を得て活動を継続しております。リストを活用した会員間での情報発信、情報交換という本来の目的はまだ十分に果たせていないところではありますが、今後さらに会員数を伸ばし、会の活動を通じて自主的にJSGCT入会が進み、最終的には日本における遺伝子細胞治療全体の発展につながるよう努力を続けてまいります。

一方、若手研究会の目玉企画として、若手研究会セミナーを開催しております。第一回を平成28年12月9日、第二回を平成29年12月15日、いずれも東京慈恵会医科大学1号館講堂をお借りしてそれぞれ67名、60名の参加者を得て行うことができました。本年も第三回セミナーの開催を以下に予定しております。JSGCT Webサイトでも紹介いたしますので是非とも参加をご検討いただければと思います。

名称：第3回日本遺伝子細胞治療学会  
若手研究会セミナー

日時：12月14日（金）11：00～17：00

場所：東京慈恵会医科大学1号館3階講堂

このセミナーでは若手研究者に、プレリミナリーな内容であっても積極的に発表いただける機会を提供できるよう、クローズドの会としており、また特に学生さんの参加費を極力低く抑える等、より参加しやすい条件を特徴としておりますが、過去2回ともに発表内容の質は高く参加者からは一様に良い評価を得ており、JSGCT学術集会とはまた違った存在価値を見出しつつあります。昨年研究会セミナーからは、私達ワーキンググループメンバーが推挙し、本年の第24回学術集会内で企画した若手シンポジウムにおいて、2人の若手シンポジストが講演をするに至りました。本年以降も若手研究会セミナーでの優秀演題に対しては、翌年の学術集会での発表を推薦する等の活動を続け、若手研究者の研究意欲をかき立てるような場となれば、セミナー企画者としてこの上ない喜びです。

今後、遺伝子細胞治療の発展に若い力の参入、結集が欠かせないことは明らかです。若手ワーキンググループの活動に対し、皆様のより一層のご理解とご支援を賜り、我々メンバーとしましてもさらに尽力して、難病に苦しむ患者ひとりひとりに最善の医療を届けられるよう、日本の遺伝子細胞治療の発展・推進を実現できればと願っております。

## 第2回若手研究会セミナー2017



### 《法人会員一覧》

日本遺伝子細胞治療学会（JSGCT）の法人会員は以下のとおりです。  
当会に対するご賛助に深く感謝の意を表します。

株式会社ジーンデザイン  
POCクリニカルリサーチ株式会社  
アンジェス株式会社  
タカラバイオ株式会社  
石原産業株式会社  
株式会社ジェノミックス  
新日本製薬株式会社

株式会社ハイマート  
杏林製薬株式会社  
家田貿易株式会社  
サノフィ株式会社  
JCRファーマ株式会社  
デンカ生研株式会社  
エア・ブラウン株式会社

ムンディファーマ株式会社  
株式会社ダイセル  
株式会社遺伝子治療研究所  
関東化学株式会社  
ArcticZymes AS

（2018年10月末日、順不同）

## 日本遺伝子細胞治療学会 (JSGCT) News letter-2018 編集局

---

代表理事 米満吉和 (九州大学大学院薬学研究院)  
中神啓徳 (大阪大学大学院医学系研究科)

連絡先 JSGT事務局本部  
〒105-8461 東京都港区西新橋3-25-8  
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・内  
事務部門：学会運営事務局合同会社  
Tel.:043-237-3435、Fax.:043-306-5664  
Email:jsgt@js9.so-net.ne.jp or info@jsgt.jp  
URL:http://jsgt.jp