

セミナープログラム (9：30～会場オープン | 受付)

10:00-10:10 開会のご挨拶	
Session 1：AAV vector Development & Manufacturing Foundations	
10:10-10:55	AAV 開発の現状と今後の展望 ～ CMC を中心に～ AAV ベクターを用いた遺伝子治療製品の承認数は着実に増加し、臨床においても成果を上げつつある。一方、AAV 製品が治療モダリティとして広く定着していくためには、CMC における課題の克服が不可欠である。本講演では、将来の製品化を見据えた臨床開発初期の AAV ベクター製造、品質分析および規制対応について、科学的背景を踏まえて現状の課題と考慮すべき事項を整理し、今後の方向性について展望する。 内山 進氏 (大阪大学、株式会社ユー・メディコ)
10:55-11:25	遺伝子治療用プラスミド DNA 合成の最新動向 遺伝子治療用プラスミド DNA には、AAV ゲノムの ITR 配列に代表されるような複雑な二次構造を有する反復配列、プロモーターの多重化による繰り返し配列、ポリ A 鎖などの通常では見られないような特殊なリビート配列や、全長が 100 kb を超えるウイルスゲノムのような長鎖 DNA もあり、これらの合成難易度の高い配列が遺伝子治療の研究開発のボトルネックとなっている。本発表では、これらの高難度 DNA の合成を可能にした、当社独自の遺伝子集積法 OGAB® 法を中心に、遺伝子治療用 DNA 合成の最新動向を紹介する。 柘植 謙爾氏 (株式会社シンプロジェン)
11:25-11:45	Coffee Break
11:45-12:15	統合型プラスミドの設計と AAV のプロセス開発 統合型プラスミド (All-in-One Plasmid™; AiO™) は、AAV ベクターの産生に必要な全遺伝子を 1 つのプラスミドに搭載した DNA で、AAV ベクターの製造コストを大幅に削減できる新しい技術として期待される。当社が 2026 年にリリースした最新の統合型プラスミド (AiO™2.0) は、搭載する各遺伝子の発現制御因子を最適化することで、高いタイターと Full 率の両立を実現した。本発表では、AiO™2.0 の配列設計と AiO™2.0 を用いた AAV ベクターの製造プロセスについて紹介する。 齋藤 俊介氏 (株式会社シンプロジェン)
12:15-12:45	AAV 製造を支える宿主細胞プラットフォームの開発 AAV ベクターの製造において、宿主細胞は生産性や品質を左右する重要な要素の一つである。本講演では、AAV 製造用の新規ヒト由来宿主細胞「HAT 細胞」の開発を題材に、その開発コンセプトや AAV 生産特性、GMP セルバンク構築までの取り組みを紹介する。さらに、HAT 細胞の実用化に向けた取り組みを通じて、AAV 製造を支える宿主細胞プラットフォームとしての今後の展開を紹介する。 平井 悠吾氏 (株式会社ちとせ研究所)
12:45-14:15	昼食 ザルトリウスソリューション紹介 機器見学 ネットワーキング
Session 2：CMC, Clinical Development & Market Trends	
14:15-15:00	AAV 製造における CMC 戦略 内田 和久氏 (神戸大学)
15:00-15:30	プロセス開発における品質管理と GMP 製造における品質管理 ユー・メディコでは、「品質を測る」ことを起点に AAV 製造プロセスを設計している。AUC をはじめとする高度な品質分析技術を基盤に、国産技術を中心として小スケール検討からプロセス開発、GLP 製造までを一貫して支援する。さらに、製造工程の頑健性を科学的に評価する分析技術の開発と、GMP 品質試験へつなげる分析体制を構築し、AAV 開発の品質と製造の両面からの支援を紹介する。 土井 知広氏 (株式会社ユー・メディコ)
15:30-16:00	自社で挑む AAV 製造開発 自社製造施設で AAV 遺伝子治療製品の CMC 開発を進めるバイオベンチャーの取り組みについて紹介します。リソース面での運用の難しさはある一方で、開発スピードの向上やノウハウ蓄積といった実体験に基づくメリットを概説します。 橋本 研志氏 (株式会社 ONODERA GT Pharma)
16:00-16:30	遺伝子治療市場の最新動向からみる AAV の将来展望 遺伝子治療市場は、承認品目の増加や適応疾患の拡大、新たなモダリティの台頭など、大きな変化を迎えている。本講演では、遺伝子治療市場の最新動向を踏まえ、AAV の市場における位置付けと、従来型の遺伝子補充に加え、in vivo ゲノム編集など AAV の新たな用途や成長が期待される疾患領域を分析する。さらに、タンパク質補充療法や mRNA 医薬、LNP を用いた in vivo ゲノム編集などとの競争・すみ分けを整理し、製造・コスト・免疫原性・再投与など市場拡大に向けた課題を考察することで、AAV 市場の将来展望を示す。 番場 聖氏 (株式会社 BB ブリッジ)
16:30-16:50	Coffee Break
16:50-17:10	BIA Separations による AAV 精製ソリューション アデノ随伴ウイルス (AAV) ベクターの Full/Empty の分離は、薬効に影響を与えるため非常に重要です。弊社は、AAV の分離に特化したモノリスカラムを提案しており、プロセス開発から生産までお使い頂けます。キャプチャーには CIMmultus SO3、ポリッシングには CIMmultus QA HR カラムを提案しており、実例を交えながら二種類のカラムをご紹介します。 本城 靖子氏 (ザルトリウス・ステディム・ジャパン株式会社)
17:10-17:55	Panel Discussion：AAV 開発・製造の将来展望
17:55-18:00	閉会のご挨拶
18:00-19:30	懇親会