

Innovation for NEW HOPE 難病シンポジウム

～新生児・小児への希望 遺伝性難病に対するゲノム検査と最先端治療～

難病の患者さんにとって、確定診断までに時間を要する「診断ラグ」や、最先端の治療法にタイムリーにアクセスできない「ドラッグ・ラグ/ドラッグ・ロス」は深刻な問題です。一方、遺伝性の難病に対しては、新生児ゲノム検査による早期診断への期待が高まっています。また、革新的な新薬の開発も進んでいることから、早期診断・治療の重要性は今後さらに増すと考えられます。

本シンポジウムでは、「新生児・小児への希望 遺伝性難病に対するゲノム検査と最先端治療」をテーマに、患者・ご家族、医師、シンクタンク、製薬企業など、多様な立場の登壇者による講演・討論を行います。本シンポジウムを通じて、遺伝性難病の早期診断等に関する最新の知見や医療現場での取り組み、政策動向等について聴講者の皆様に理解を深めていただけます。

シンポジウム終了後には、登壇者および会場参加者との交流会も開催いたします。昨年度も多数のご参加を賜りましたが、本年も充実したプログラムを準備しております。

皆様のご参加を心よりお待ちしております。

- ◇ 日時:2025 年 12 月 16 日(火) 18 時 30 分～20 時 20 分 (17 時 45 分 開場)
- ◇ 会場: 日本橋室町三井タワー5 階 &BIZ conference Room1
〒103-0022 東京都中央区日本橋室町 3-2-1 日本橋室町三井タワー (COREDO 室町テラス隣接)
- ◇ 開催形式:対面(軽食付き)及びオンライン
※参加費は無料です。登録フォームより参加登録をお願いします。
※対面は最大 100 名を予定しており、登録順にご案内いたします。定員に達した場合は、オンラインでの聴講をご案内いたします。あらかじめご了承ください。
会場参加者は終了後に交流会を予定しています。ぜひ会場よりご参加ください。
- ◇ 主催: Innovation for NEW HOPE (以下, IfNH) (運営企業:アステラス製薬株式会社)
協力:アレクシオンファーマ合同会社、株式会社 JMDC、特定非営利活動法人 日本医療政策機構 (HGPI)

登録フォーム URL: <https://forms.office.com/r/nTSEvNtGMH>

申込期限:2025 年 12 月 12 日(金) 12:00

・ プログラム(予定)

※予告なく変更する場合がございます。

(敬称略)

17:45	開場
18:30~	開会挨拶 森尾 友宏 (IfNH 委員, 東京科学大学 理事・副学長・特別教授) 来賓挨拶 仁木 博文 (衆議院議員) 講演 1「新生児・小児ゲノム解析の最前線」 小崎 健次郎 (慶應義塾大学医学部 臨床遺伝学センター 教授) 講演 2「患者・家族の視点で考える早期診断の重要性と新薬への期待」 大山 有子 (一般社団法人 SMA 家族の会 理事長) 佐藤 亜実 (一般社団法人 SMA 家族の会 副理事長) 講演 3「政策への期待—共に創る未来に向けて」 河野 結 (特定非営利活動法人 日本医療政策機構 マネージャー)
19:30~	パネルディスカッション モデレーター: ・ 桜井 なおみ (IfNH 委員、一般社団法人 CSR プロジェクト 代表理事) パネリスト: ・ 小崎 健次郎 ・ 森尾 友宏 ・ 大黒 宏司 (IfNH 委員、一般社団法人 日本難病・疾病団体協議会 代表理事) ・ 濱村 美砂子 (アレクシオンファーマ合同会社 社長)
20:15	閉会挨拶 大黒 宏司
20:20- 20:50	会場参加者による交流会



問い合わせ先: Innovation for NEW HOPE 事務局
(newhope-sm@astellas.com)

来賓挨拶に関する報道・写真掲載・その他の情報発信は、事前に事務局へご連絡ください。

*Innovation for NEW HOPE は、2023 年 8 月に、患者団体や医療関連専門家など同じ志をもつ 6 名が発起人となり、「日本で最先端の治療法が 1 日でも早く、継続して届く社会の実現」を目指すプロジェクトとして発足しました。
<https://www.innovation-for-newhope.com/>

● 登壇者プロフィール(敬称略)

仁木 博文

衆議院議員 厚生労働副大臣



令和 4 年に自民党に入党し麻生派所属。令和 6 年に初めて自民党候補として衆議院選挙に臨み、徳島 1 区で 3 期目の当選。実家は兼業農家で、子どもの頃はよく農作業を手伝っていた。東京大学教養学部を卒業後、徳島大学医学部に入学し、その後、産婦人科医師となる。1,200 件以上の出産を担当した。

地域包括ケアの中で訪問診療にも従事してきた。新型コロナウイルス感染症のパンデミックの現状、徳島県をはじめ地方の人口減少と衰退を実感し、地方こそ日本を元気にできる原点ととらえる。人材への投資(子育てと教育)を国家が未曾有の規模で実施し、日本を健康と環境で世界をリードする国にしたいと考えている。

平成 21 年選挙で三度目の挑戦で、比例四国初当選。令和 3 年に徳島一区で 2 期目当選。現在 3 期目。令和 6 年 11 月、厚生労働副大臣に就任。令和 7 年 10 月、厚生労働副大臣に再任。

座右の銘は「一期一会」。趣味は映画観賞、旅行、スキー。

森尾 友宏

Innovation for NEW HOPE 委員

東京科学大学 理事・副学長(国際担当)/免疫・分子医学研究室 特別教授 兼任



東京医科歯科大学小児科にて研修医としてキャリアを開始。大学院卒業後、ハーバード大学医学部・ボストン小児病院免疫学部門にて博士研究員・Instructor として研究活動を行う。帰国後は同大学にて小児科勤務。小児科教授の他、細胞治療センター長、周産期母子医療センター長等の要職を歴任し、学長特別補佐、副学長、執行役、統合国際機構長など大学運営に関与。現在は国際担当として大学運営に関わると共に、稀少疾患・免疫異常症の基礎・応用研究と診療に従事。

専門は小児血液・腫瘍・免疫・再生医療。日本免疫学会ヒト免疫研究賞など多数の受賞歴を持つ。

小崎 健次郎

慶應義塾大学医学部教授・臨床遺伝学センター長



慶應義塾大学医学部卒業後、慶應義塾大学医学部小児科学教室入局。

アメリカ合衆国カリフォルニア大学サンディエゴ校に留学 (クリニカルフェロー)、ペーラー医科大学客員研究員。帰国後、慶應義塾大学医学部小児科専任講師、慶應義塾大学医学部小児科助教授を経て、慶應義塾大学医学部 臨床遺伝学センター 教授・センター長として診療・教育・研究に携わる。米国留学中に米国臨床遺伝専門医を取得。

臨床遺伝専門医・指導医、日本小児科学会 小児科専門医。現在、日本先天異常学会 理事長、全国遺伝子医療部門連絡会議 理事長を務めている。

大山 有子

一般社団法人 SMA 家族の会 理事長



2008 年に長男が脊髄性筋萎縮症 (SMA) I 型と診断。2014 年「SMA(脊髄性筋萎縮症)家族の会」役員就任。2018 年、同会会長就任。2025 年 4 月に「一般社団法人 SMA 家族の会」として法人格を取得、理事長就任。SMA 患者とその家族の QOL 向上及び治療環境整備のための活動等に尽力している。

佐藤 亜実

一般社団法人 SMA 家族の会 副理事長



2018 年に生まれた三男が脊髄性筋萎縮症(SMA) I 型と診断され、看護師の仕事で退職する。2020 年 SMA 家族の会に入会、同年三男が遺伝子治療を受ける。2021 年チームいっちに(役員外活動)に参加、2022 年役員に就任する。SMA の疾患啓発や新生児マススクリーニングの全国公費実現を目標に活動している。

河野 結

特定非営利活動法人 日本医療政策機構 マネージャー



シドニー大学大学院医療政策学修士課程修了。修了後、日本医療政策機構に参画。薬剤耐性(AMR:Antimicrobial Resistance)や予防接種・ワクチン政策から、非感染性疾患(NCDs:Non-Communicable Diseases)、難病・希少疾患、患者当事者支援に関する事業まで幅広く担当。担当事業等を取り巻く国内外の政策課題の調査分析や会合の企画運営に従事。

広報・アウトリーチ活動やアドボカシー活動等にも取り組む。

桜井 なおみ

Innovation for NEW HOPE 委員

一般社団法人 CSR プロジェクト 代表理事



大学で都市計画を学んだ後、卒業後はコンサルティング会社にてまちづくりや環境学習などの仕事に従事。2004 年、がん罹患後は、働き盛りで罹患した自らのがん経験や社会経験を活かし、小児がんを含めた患者・家族の支援活動を開始、現在に至る。社会福祉士、精神保健福祉士、技術士(建設部門)、産業カウンセラー。キャンサーソリューションズ株式会社 代表。

大黒 宏司

Innovation for NEW HOPE 委員

一般社団法人 日本難病・疾病団体協議会 代表理事



大阪府堺市在住。

1999 年に膠原病の中の「混合性結合組織病(MCTD)」を発症。

一般社団法人全国膠原病友の会常務理事、大阪難病相談支援センターのセンター長を務める他、2025 年 5 月から一般社団法人日本難病・疾病団体協議会の代表理事に就任。理学療法士、社会福祉士。

濱村 美砂子

アレクシオンファーマ合同会社 社長



武田薬品工業株式会社にて、R&D、ポートフォリオマネジメント(米国勤務)に従事。同社 Japan Pharma Business Unit (JPBU) 事業開発部長、JPBU 神戸支店長を経て、2019 年武田薬品の Shire 社統合以来、JPBU 希少疾患事業部・事業部長を担う。また、2022 年には日本製薬(血漿分画製剤事業)の統合に伴い希少疾患事業部を拡大し、2024 年まで事業部長を務める。「日本における希少疾患の課題」(白書)を作成し、診断コンソーシアムや患者サポートプログラムの立ち上げ等に尽力した。

2024 年 7 月にアレクシオンファーマ合同会社に入社し、2025 年 1 月 1 日付で社長就任、現在に至る。

京都大学薬学部を卒業後、順天堂大学大学院医学研究科博士課程を修了。医学博士、MBA

Innovation for NEW HOPE について

Innovation for NEW HOPE は、2023 年 8 月に患者団体や医療関連専門家など同じ志をもつ 6 名が発起人となり、「日本で最先端の治療法が 1 日でも早く、継続して届く社会の実現」を目指すプロジェクトとして発足しました。

<https://www.innovation-for-newhope.com/>

難病シンポジウムについて

今年で 2 回目となる「Innovation for NEW HOPE～難病シンポジウム」は、昨年も大変ご好評をいただいたイベントです。第 1 回では、医療従事者、難病の患者さんご家族、自治体、アカデミア、ヘルスケア関連企業など幅広い分野から 300 名を超える方々に参加登録いただきました。アンケートでは、ほぼ全ての回答者から「シンポジウムの内容に満足した」「初めて聞く内容が多かったがよく理解できた」との声を頂戴しています。今年も引き続き、さまざまな立場の皆様にとって有意義な交流と情報収集の場となるよう、内容をさらに充実させて開催する予定です。昨年の実施報告書は[こちら](#)をご覧ください。

アレクシオンファーマ合同会社について

アレクシオンファーマ合同会社は、アストラゼネカの希少疾病部門アレクシオン・アストラゼネカ・レアディーズ(本社:米国ボストン)の日本法人として、患者さんの人生を一変させるような治療薬の発見、開発、提供を通じて、希少疾患ならびに深刻な病状の患者さんとそのご家族への貢献に注力しています。30 年以上にわたり希少疾患領域の先駆的なリーダーであるアレクシオンは、補体系の複雑な仕組みを活用して革新的な治療薬を創製した最初の企業であり、現在も多くのアンメットニーズを有する疾患領域において、さまざまなイノベーションのもと、多様なパイプラインを構築しています。アストラゼネカの一員として、世界中の、より多くの希少疾患をもつ患者さんに治療薬をお届けできるよう、グローバル展開を拡大し続けています。

公式サイト:<https://www.alexionpharma.jp/>、

公式 YouTube チャンネル :[@alexionpharma_japan](#)

アストラゼネカについて

アストラゼネカは、サイエンス志向のグローバルなバイオ医薬品企業であり、主にオンコロジー領域、希少疾患領域、循環器・腎・代謝疾患、呼吸器・免疫疾患からなるバイオファーマ領域において、医療用医薬品の創薬、開発、製造およびマーケティング・営業活動に従事しています。英国ケンブリッジを本拠地として、当社の革新的な医薬品は 125 カ国以上で販売されており、世界中で多くの患者さんに使用されています。詳細については <https://www.astrazeneca.com> または、ソーシャルメディア [@AstraZeneca](#) をフォローしてご覧ください。

株式会社 JMDC について

医療ビッグデータ業界のパイオニアとして 2002 年に設立。独自の匿名化処理技術とデータ分析集計技術を有しています。15 億 7,300 万件以上のレセプトデータと 7,600 万件以上の健診データ(2025 年 3 月時点)の分析に基づく保険者向け保健事業支援、医薬品の安全性評価や医療経済分析などの情報サービスを展開しています。また、健康度の単一指標(健康年齢)や健康増進を目的とした Web サービス(Pep Up)など、医療データと解析力で健康社会の実現に取り組んでいます。

URL:<https://www.jmdc.co.jp/>

特定非営利活動法人 日本医療政策機構について

当機構は、設立当初より「市民主体の医療政策を実現すべく、独立したシンクタンクとして、幅広いステークホルダーを結集し、社会に政策の選択肢を提供すること」をミッションに掲げ、さらに「特定の政党、団体の立場にとらわれず、独立性を堅持する」との行動指針にもとづき活動を行ってまいりました。今後も、政治的な中立性はもちろんのこと、あらゆる団体からの独立性を堅持し活動を展開してまいります。

URL:<https://hgpi.org/>