

2026 年 1 月 29 日

報道関係者各位

アイパークインスティテュート株式会社

日本希少疾患コンソーシアム 2025 年度年会 湘南アイパークにて開催 ～ 「N-of-1+」アプローチで切り拓く希少疾患の個別化医療 ～

- テーマは「N-of-1+創薬」。たとえ患者さんが一人でも治療できる可能性がある限り臨床研究を進める個別化医療アプローチを議論
- 患者さんと家族を含む産・患・学・官・民が集い、希少疾患の実情と課題を多角的に議論
- 市民公開講座では筋強直性ジストロフィーを取り上げ、難病治療薬が患者さんに届くまでのプロセスをわかりやすく解説

アイパークインスティテュート株式会社(本社:神奈川県藤沢市、代表取締役社長:藤本利夫、以下「アイパークインスティテュート」)が監事を務める日本希少疾患コンソーシアム(Rare Disease Consortium Japan, RDCJ)は、2月27日に湘南ヘルスイノベーションパーク(以下「湘南アイパーク」)にて、2025年度年会を開催いたします。

希少疾患は、罹患割合が非常に低い病気(日本では国内患者数が5万人未満と定義)の総称ですが、世界には、約7000以上もの希少疾患が存在すると言われています※1。

患者数が少ないことから、十分な研究が進まなかったり、治療法の開発が遅れたりするケースが少なくありません。また、患者さんやその家族の声やニーズが届きにくく、適切な治療やケアにつなげにくい現状も指摘されています。さらに、製薬企業や医療機器メーカーなど産業界側にとっても、研究の基盤となるデータや情報が不足していることや、臨床試験を計画しにくいことなど、参入のハードルとなる課題が多く存在しています。

※1 World Health Organization. (2025, May 27). *Rare diseases: a global health priority for equity and inclusion* (WHA78.11).

https://apps.who.int/gb/ebwha/pdf_files/WHA78/A78_R11-en.pdf

2回目となる今回の年次大会では、一人から数名の患者さんのために個別化治療薬を開発するアプローチである「N-of-1+創薬」を主軸とします。「N-of-1+創薬」とは、たとえ一人の患者さんしか存在しない希少疾患でも、治療できる可能性がある限り臨床研究を実施するという考え方です。遺伝子治療をはじめとする画期的な技術が開発された現在では、治療可能な対象疾患は広がっていますが、「どのように患者さんに届けるのか？」という制度設計は、いまだ十分に確立されていません。本年度では、最先端の治療をどのように希少疾患の患者さんに届けるのかを整理・議論し、次のアクションへと繋げることを目指します。

また、かつて治療法がないとされてきた筋強直性ジストロフィーに対しても、現在ではいくつかの治療薬が臨床試験段階に進んでいます。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」では、難病治療薬が患者さんに届くまでのステップ、そしてどのように開発を進めていくのかについて、臨床試験を進める立場の医師と、試験に参加する側の患者会の立場から、分かりやすく説明します。

開催概要

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

【開催場所】 湘南アイパーク 講堂

【プログラム内容】

■ 講演

10:15 「未診断疾患イニシアチブ IRUD の成果と今後の方向性」

国立精神・神経医療研究センター高橋 祐二 氏

■ 「N-of-1+創薬」総合セッション

10:45 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」

自治医科大学 小坂 仁 氏

11:15 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～」

内閣府 健康・医療戦略推進事務局 日野原 友佳子氏

「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～」

アステラス製薬株式会社 伊東 久仁氏

「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」

アルバータ大学医学部 横田 俊文 氏

「N-of-1 治療を体験して ～患者家族の立場からの課題～」(仮題)

DRPLA Family Network 塩沢 淳子 氏

【休憩】

13:15 パネルディスカッション

上記、全 5 名の登壇者による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」

■ RDCJ ワーキンググループ活動紹介・他

14:00 紹介内容は確定次第掲載いたします

■ 市民公開講座

14:50 「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」(仮題)

大阪大学医学部 高橋 正紀 氏
筋強直性ジストロフィー患者会 妹尾 みどり 氏

■ パネルディスカッション

15:50 「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？」(仮題)

アルジェニクスジャパン株式会社 後藤 太郎 氏
厚生労働省難病対策課 山田 洋輔 氏
自治医科大学 星出 聡 氏
NPO 法人 Seven Seas 藏面 奈々 氏

【申込方法】 一般の方: 下記 URL からお申込みください

<https://reg18.smp.ne.jp/regist/is?SMPFORM=nelc-mcnhtg-0aa48017a9707e747b4211225b400830>

※取材をご希望のメディアの方は、下記までお問い合わせください

iPi.PR@shonan-ipark.com

【参加費】 無料

【共催】 国立研究開発法人 国立精神・神経医療研究センター (NCNP)、アイパークインスティテュート

【後援】 国立研究開発法人 日本医療研究開発機構 (AMED)

日本希少疾患コンソーシアムについて

日本希少疾患コンソーシアム (Rare Disease Consortium Japan, RDCJ) は、産学官民の協働によって、患者さん中心の医療サービスの実現に向け、希少疾患の医療研究と創薬を推進する独自の組織です。2023 年 7 月に同コンソーシアムの発足記念シンポジウムを開催、その後 2024 年 2 月 29 日 (世界希少・難治性疾患の日) に任意団体としての活動を本格的に開始しました。2026 年 1 月現在、幹事団体を含む本コンソーシアム会員の内訳は以下の通りです。

企業または団体会員 21 社/団体、個人会員 47 名 (2026 年 1 月現在)

詳細は [こちら](#) をご覧ください。

アイパークインスティテュート株式会社について

アイパークインスティテュート株式会社は、産業ファンド投資法人 (IIF)、武田薬品工業株式会社、三菱商事株式会社を主要株主として、2023 年 4 月に事業を開始しました。2018 年より武田薬品が担っていた湘南ヘルスイノベーションパーク (神奈川県藤沢市、略称: 湘南アイパーク) の運営事業を 2023 年に承継し、施設の運営・管理のほか、イノベーション創出促進、技術交流・研究連携促進など、ライフサイエンスエコシステムの構築・活性化のための事業を行っています。当社に関する詳しい説明は [こちら](#) をご覧ください。

湘南ヘルスイノベーションパーク(湘南アイパーク)について

湘南アイパークは、2018 年 4 月に武田薬品工業株式会社が自社研究所を外部に開放して誕生した、日本初の製薬企業発サイエンスパークです。現在は武田薬品から独立したアイパークインスティテュート株式会社が運営を行っており、幅広い業種や規模の産官学が結集してヘルスイノベーションを加速する場となることを目指しています。現在、約 220 社の製薬企業、次世代医療、細胞農業、AI、行政などの企業・団体が集積し、約 3500 人(2026 年 1 月現在)がライフサイエンスエコシステムを形成しています。

公式 HP: <https://www.shonan-ipark.com>

湘南アイパーク最新の入居/メンバー企業・団体は[こちら](#)

公式 SNS: [YouTube](#) / [Facebook](#) / [X \(旧 Twitter\)](#) / [LinkedIn](#)

本件に関するお問い合わせ先:

アイパークインスティテュート株式会社 コミュニケーション iPi.PR@shonan-ipark.com

担当: 杉田、塚原