오시는 길

HOTEL NONGSHIM 호텔 농심 부산

부산시 동래구 금강공원로 20번길 23 (☎ 051-550-2100)

지하철	지하철 1호선 온천장역 하차 ▶ 1번 출구 또는 3번 출구 이용 후 도보 (12분~15분)
버스	46, 49, 50, 51, 77, 80, 100, 100-1, 110, 110-1, 121, 130, 144, 179, 183, 189, 203, 1002, 1008
고속버스	시외버스터미널 하차 ▶ 지하철 이용 후 온천장역 하차 시외버스터미널 하차 ▶ 버스 80번 이용 후 온천장역 하차
철도	부산역 하차 ▶ 지하철 1호선 온천장역 하차 구포역 하차 ▶ 지하철 3호선에서 1호선 환승 후 온천장역 하차
김해공항	307번 직행버스 ▶ 만덕터널 ▶ 내성로터리 하차 ▶ 지하철(1호선 온천장역 하차 1번 출구 또는 3번 출구 이용 도보 (12분~15분)

| 참가대상

- 희귀질환을 연구개발하는 연구자
- 희귀질환치료제 개발 관련 기업, 공공기관 및 투자사
- 참가인원 : 200명

| 토론분야

- 희귀질환 R&D동향 및 산업동향
- 희귀질환치료제 개발 및 인허가
  (CMC, Nonclinical, Clinical, Regulatory)
- Licensing, Intellectual Property

희귀유전질환 심포지엄 조직위원회

부산광역시 금정부 부산대학로50번길 68, 2층, A2호
+82-70-4124-8702 | +82-51-510-3363
RAREGDS.KR@gmail.com

2023
4th SYMPOSIUM OF
RARE GENETIC DISEASES

제4회 희귀유전질환 심포지엄

Development of new drugs for Rare neuropathy

2023. 11. 16. (목) ~ 11. 17. (금)
HOTEL NONGSHIM 호텔 농심 부산

주 최 희귀유전질환 심포지엄 조직위원회

WELCOME MESSAGE

안녕하십니까?
희귀유전질환 심포지엄 조직위원회입니다.

부산대학교 박범준 교수의 기획으로 시작된 희귀유전질환 심포지엄은 희귀질환에 대한 기전 연구, 후보물질 발굴, 연구 동향 등 희귀질환에 대한 정보와 데이터를 공유하고, 연구 네트워크를 구축하기 위한 장으로 마련되었습니다.

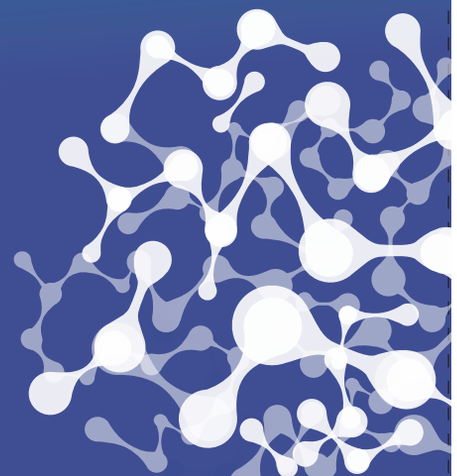
2017년 개최한 제1회 심포지엄에서는 국내에서 희귀유전질환을 연구하는 11분의 연자를 모시고 진행하였고, 2019년 제2회 심포지엄에서는 US FDA에 근무 중인 박사님들을 모시고 실제 신약 개발을 위한 인허가를 강연주제로 하여 진행했습니다. 이는 학계뿐 아니라 바이오산업계에서도 희귀질환의 연구 및 신약개발에 대한 이해도를 높이고, 관심을 가지게 된 계기가 되었습니다.

이후 심포지엄을 계속 발전시키고 확대해 나가기 위하여 2022년 제3회 심포지엄에서는 '전 세계 희귀유전질환 현황 및 치료제 개발 전략'이라는 주제로 US FDA, 산업계, 학계 및 유관 기관의 전문가 20분을 연자로 초청하여 진행하였고, 기업, 연구기관, VC, 정책기관 등에서 총 211분이 함께 해주셨습니다.

많은 분들의 응원에 힘입어 오는 11월 16일-17일, 부산에서 2023년 제4회 희귀유전질환 심포지엄을 개최하게 되었고, 'Development of new drugs for Rare neuropathy'를 주제로 국내외 전문가분들을 모시고 신약개발 전 과정에 대한 이해와 전략을 공유하는 자리를 가지고자 합니다.

본 심포지엄을 계기로 더 많은 연구자 및 바이오 업계 관계자들이 희귀유전질환에 관심을 갖게 되고, 다양한 질환들의 치료제 개발에 도움이 되길 바랍니다.

희귀유전질환 심포지엄 조직위원회



PROGRAM – Day 1

2023.11.16.(목) 13:00~20:30

Time	Topic
~13:00	Arrival & Registration
Opening Ceremony	
13:00~13:40	**환영사** 차정인 | 부산대학교 총장
	축 사 권호정 | 생화학분자생물학회회장(2024)/연세대학교 생명공학과 교수
Session 1	Overview of rare disease treaments in Korea
13:40~14:00	김나경 | 전 한국희귀필수의약품센터 원장
Session 2	Academic approach of neuromuscular disease
	좌장 송재환 | 연세대학교 교수
14:00~14:20	Targeting ASM for novel pathogenesis and therapeutics in Alzheimer's disease
	배재성 | 경북대학교 의과대학 교수
14:20~14:40	Optimized new SOD1 aggregation inhibitor extends life span of ALS model mouse and protects spinal neurons; implication for ALS treatment
	우태균 | PRG S&Tech 책임연구원
14:40~15:00	The Application of L-tyrosine Polymer for Nanomedicine
	윤양현 | Akron University 교수
15:00~15:20	How to Find Disease-Causing Genetic Variations in Rare Disorders?
	최정민 | 고려대학교 의과대학 교수
15:20~15:30	Break
Session 3	Clinical aspect of rare genetic diseases
	좌장 박범준 | 부산대학교 교수/PRG S&Tech 대표이사
15:30~15:50	The need for new drug in patients with NF2 (neurofibromatosis type 2)
	이종대 | 순천향대 부천병원 교수
15:50~16:10	A clinical trial with nicotinamide riboside for patients with Werner syndrome, EMPOWER
	Masaya Koshizaka I Chiba University professor
16:10-16:20	Break
Session 4	Bio-venture and investment
	좌장 한진 | 인제대학교 교수
16:20~16:40	Clinical development of TU7710, a fusion protein of activated factor VII (FVIIa) with extended half-life
	송인영 | ㈜티움바이오 상무
16:40~17:00	Design for Phase 1/2a clinical trials to evaluate safety and efficacy in NF2 patients.
	박수영 | PRG S&Tech 차장
17:00~17:20	Exploring HDAC6 inhibitor as an Emerging Therapeutic Strategy for Charcot-Marie-Tooth Disease
	하니나 | 종근당 실장
17:20~17:40	Advanced Therapies Landscape and Role of VCs in it
	Kieran Mudryy I 4BIO Capital Partner, General Counsel
18:00~20:30	Dinner

PROGRAM – Day 2

2023.11.17.(금) 09:00~13:20

Time	Topic
Session 5	Regulation and approval
	좌장 정혜자 | 파인바이오사이언스 대표이사
09:00~09:45	Combat Rare Diseases: CMC considerations to Overcome Drug Development Challenges
	Hong Cai | CMC Reviewer
09:45~10:30	Nonclinical Safety Studies for Clinical Trials and Marketing Applications: A Regulatory Perspective
	안미솔 | Pharmacology / Toxicology Reviewer
10:30~10:40	Break
10:40~11:25	Clinical Pharmacology and Drug Development for Rare Diseases: Adopting Orphan Disease-It takes a village
	김인숙 | Clinical Pharmacology Reviewer
11:25~12:10	Regulatory Strategies in Drug Development for Rare Diseases
	안해영 | Ahn Bio Consulting, Inc. 대표이사
	Panel Discussion
	좌장 이선희 | 이화여자대학교 교수
12:10~13:10	CMC, Nonclinical, Clinical, Regulatory
	Hong Cai | CMC Reviewer
	안미솔 | Pharmacology / Toxicology Reviewer
	김인숙 | Clinical Pharmacology Reviewer
	안해영 | Ahn Bio Consulting, Inc. 대표이사
13:10~13:20	**폐회사** 박범준 | 부산대학교 교수/PRG S&Tech 대표이사

주 최 희귀유전질환 심포지엄 조직위원회

주 관 Korean Society of Life Science 한국생명과학회 · 부산대학교 PUSAN NATIONAL UNIVERSITY · PUSAN ONEER

후 원 부산대학교기술지주(주) PNU Technology Holdings · TECH INVEST · 특허법인 테백 · PRG