

交通医学会総会, 2010

- 4) 坪井一哉, 鈴木貞夫, 永井正規. 臨床調査個人票を用いたファブリー病患者の疫学調査. 第64回日本交通医学会総会, 2010
- 5) 坪井一哉, 野々村大地. ファブリー病ヘテロ型 24 例の臨床的検討. 第52回日本先天代謝異常学会総会, 2010
- 6) 荘加静, 坪井一哉, 古田祐子. ファブリー病における眼病変と血管病変の臨床的検討. 第64回日本交通医学会総会, 2010
- 7) 山本浩志, 坪井一哉, 中島 努, 内田郁恵, 杉浦綾子, 杉浦彩子, et al. ファブリー病における聴覚障害と同一世代一般住民聴力の比較. 第52回日本先天代謝異常学会総会, 2010
- 8) 山本浩志, 坪井一哉, 伊藤 太. ファブリー病患者における加齢と聴力との関係. 第64回日本交通医学会総会, 2010
- 9) 山田弘武, 光吉隆真, 坪井一哉. 無記名アンケート調査によるポンペ病患者の臨床的特徴の解析. 第52回日本先天代謝異常学会総会, 2010
- 10) 光吉隆真, 山田弘武, 坪井一哉. 無記名アンケート調査によるファブリー病患者の臨床的特徴の解析. 第52回日本先天代謝異常学会総会, 2010
- 11) 野々村大地, 坪井一哉. ファブリー病ヘテロ型の臨床症状の検討. 第78回日本交通医学会東海北陸地方会, 2009
- 12) 平野雅規, 坪井一哉, 山本浩志. 日本人ファブリー病の遺伝子型・表現型関連の検討. 第78回日本交通医学会東海北陸地方会, 2009
- 13) 荘加静, 坪井一哉, 古田祐子. ファブリー病における眼病変と血管病変の解析. 第78回日本交通医学会東海北陸地方会, 2009
- 14) 山本浩志, 坪井一哉, 伊藤 太. ファブリー病と聴力障害. 第78回日本交通医学会東海北陸地方会, 2009
- 15) 坪井一哉, 鈴木貞夫, 柴崎智美, 永井正規. 臨床調査個人票を用いたゴーシェ病の疫学像の解析. 第50回日本先天代謝異常学会総会, 2008

松田 純子

【論文発表】

- 1) Hojo H, Katayama H, Tano C, et al. Synthesis of the sphingolipid activator protein, saposin C, using an azido-protected O-acyl isopeptide as an aggregation-disrupting element. *Tetrahedron Lett* 52 : 635-639, 2011
- 2) Yoneshige A, Suzuki K, Suzuki K, et al. A Mutation in the Saposin C Domain of the Sphingolipid Activator Protein (Prosaposin) Gene Causes Neurodegenerative Disease in Mice. *J. Neurosci. Res* 88 : 2118-2134, 2010
- 3) Yoneshige A, Sasaki A, Miyazaki M, et al. Developmental changes in glycolipids and synchronized expression of nutrient transporters in the mouse small intestine. *J. Nutr. Biochem* 21 : 214-226, 2010

【学会発表】

- 1) 米重あづさ, 渡辺 昂, 武藤真長, 松田純子. サポシン C 欠損 *twitcher* マウスにおける領域特異的な神経細胞死の解析. BMB2010 第 33 回日本分子生物学会年会・第 83 回日本生化学会大会合同大会, 神戸, 2010.12
- 2) 渡辺 昂, 米重あづさ, 武藤真長, 鈴木明身, 松田純子. マウス消化管におけるスフィンゴ糖脂質のセラミド構造の発現制御. BMB2010 第 33 回日本分子生物学会年会・第 83 回日本生化学会大会合同大会, 神戸, 2010.12
- 3) 武藤真長, 米重あづさ, 渡辺 昂, 松田純子. マウス胚発生におけるプロサポシンの役割. BMB2010 第 33 回日本分子生物学会年会・第 83 回日本生化学会大会 合同大会, 神戸, 2010.12
- 4) 久樹晴美, 只野一有富桂子, 内田俊也, 松田純子, 岡崎具樹. Saposin D 欠損マウスの多飲・多尿は中枢性の飲水行動異常によって引き起こされる. BMB2010 第 33 回日本分子生物学会年会・第 83 回日本生化学会大会 合同大会, 神戸, 2010.12
- 5) 松田純子, 米重あづさ, 武藤真長, 渡辺 昂. クラッベ病モデルマウスにおけるラクトシルセラミドの蓄積と神経細胞死. 第 15 回日本ライソゾーム病研究会. 東京, 2010.12
- 6) 松田純子. ラクトシルセラミドの蓄積と神経細胞死. 第 8 回糖鎖科学コンソーシアムシンポジウム, 東京, 品川, 2010.12
- 7) 松田純子, 武藤真長, 米重あづさ, 渡辺 昂. マウス胚発生におけるプロサポシンの役割. 第 52 回日本先天代謝異常学会, 大阪, 2010.10
- 8) Yoneshige A, Matsuda J. Deficiency of saposin C in the mouse model of Krabbe disease showed neurodegeneration with accumulation of lactosylceramide. The 25th International Carbohydrate Symposium (ICS2010), Makuhari, Japan, 2010.8
- 9) Watanabe T, Yoneshige A, Suzuki A, Matsuda J. The differential ceramide structures of glycosphingolipids and their regulations in the mouse gastrointestinal tract The 25th International Carbohydrate Symposium (ICS2010), Makuhari, Japan, 2010.8
- 10) Mutou M, Yoneshige A, Matsuda J. Lack of prosaposin in mice causes embryonic lethal phenotype and placental dysgenesis. The 25th International Carbohydrate Symposium (ICS2010), Makuhari, Japan, 2010.8
- 11) Matsuda J, Yoneshige A. The role of sphingolipid activator protein, saposins A-D in the nervous system : lessons learnt from mouse models of specific saposin deficiencies. Naito conference : Glycan Expression and Regulation [I] : Functions and Disease mechanisms, Kanagawa, Japan, 2010.8
- 12) Yoneshige A, Watanabe T, Suzuki A, Matsuda J. The differential ceramide structures of glycosphingolipids and their regulations in the mouse gastrointestinal tract. Naito conference : Glycan Expression and Regulation [I] : Functions and Disease mechanisms, Kanagawa, Japan, 2010.8

加藤 俊一

【論文発表】

- 1) Yabe H, Yabe M, Koike T, Shimizu T, Morimoto T, Kato S. Rapid improvement of life-threatening capillary leak syndrome after stem cell transplantation by bevacizumab. *Blood* 115(13) : 2723-4, 2010.4.1
- 2) Hishizawa M, Kanda J, Utsunomiya A, Taniguchi S, Eto T, Moriuchi Y, Tanosaki R, Kawano F, Miyazaki Y, Masuda M, Nagafuji K, Hara M, Takanashi M, Kai S, Atsuta Y, Suzuki R, Kawase T, Matsuo K, Nagamura-Inoue T, Kato S, Sakamaki H, Morishima Y, Okamura J, Ichinohe T, Uchiyama T. Transplantation of allogeneic hematopoietic stem cells for adult T-cell leukemia : a nationwide retrospective study. *Blood* 116(8) ; 1369-76, 2010.4.26, 5.17 [Epub ahead of print]
- 3) Tomita Y, Yasuda Y, Hyodo H, Koike T, Shimizu T, Morimoto T, Hattori K, Matsumoto M, Inoue H, Yabe H, Yabe M, Shinohara O, Kojima S, Minemura T, Kato S. High incidence of fatty liver and insulin resistance in long-term adult survivors of childhood stem cell transplant. *Bone Marrow Transplant* 2010.6.21 [Epub ahead of print]
- 4) Takanashi M, Atsuta Y, Fujiwara K, Kodo H, Kai S, Sato H, Kohsaki M, Azuma H, Tanaka H, Ogawa A, Nakajima K, Kato S. The impact of anti-HLA antibodies on unrelated cord blood transplantations. *Blood* 116(15) : 2839-46, 2010.10.14, 7.13 [Epub ahead of print]
- 5) Yabe M, Morimoto T, Shimizu T, Koike T, Takakura H, Arakawa S, Kato S, Yabe H. Therapy-related myelodysplastic syndrome of recipient origin in a juvenile myelomonocytic leukemia patient 17 years after allogeneic BMT. *Bone Marrow Transplant*. 2010.9.27 [Epub ahead of print]
- 6) Yabe M, Shimizu T, Morimoto T, Koike T, Takakura H, Suganuma E, Sugiyama N, Kato S, Yabe H. Alternative donor marrow transplantation in children with aplastic anemia using low-dose irradiation and fludarabine-based conditioning. *Bone Marrow Transplant*. 2010.10.18 [Epub ahead of print]
- 7) 渡辺修大, 足立壮一, 堀部敬三, 永利義久, 加藤剛二, 田渕 健, 吉見礼美, 加藤俊一, 矢部普正. 日本小児白血病リンパ腫研究グループ(JPLSG) SCT委員会 小児急性骨髄性白血病第一寛解期でのHLA一致同胞間骨髄移植におけるGVHD予防(MTX単独 vs. CyA群)の比較 日本小児血液学会雑誌 24(1) : 32-36, 2010
- 8) 加藤俊一. ライソゾーム病の治療. 1)造血細胞移植. *血液フロンティア* 20(4) : 565-573, 2010
- 9) 加藤俊一. ライソゾーム病の治療. 造血細胞移植. *小児科診療* 2011(印刷中)

【著書】

- 1) 加藤俊一. よくわかる造血細胞移植コーディネート. 医薬ジャーナル社 1-2(編集), 2010
- 2) 加藤俊一. よくわかる小児の造血細胞移植 医薬ジャーナル社 (監修および共著), 2010
- 3) 加藤俊一. ムコ多糖症に対する造血幹細胞移植の現状と課題(骨髄, 臍帯血, 末梢血). 「ムコ多糖症 UPDATE」. イーエヌメディックス社 2011(印刷中)

【学会発表】

- 1) Kamiya S, Yonezawa H, Woo T, Kurata S, Zaman C, Hanawa T, Kato S, Osaki T. Biofilm formation by *Helicobacter pylori* and its pathogenesis. 33rd International Congress on Microbial Ecology and Disease, Athen, Greece, 2010.9.6-10
- 2) Kato S. Cord blood banking and cord blood transplantation in children in Japan. 22nd International Congress of Pediatrics, Tehran, Iran, 2010.10.14-18
- 3) Koike T, Yanagimachi N, Yabe H, Yabe M, Morimoto T, Shimizu T, Ishiguro H, Takakura H, Kato S. High incidence of radiation induced cavernous hemangioma in long term survivors who underwent BMT with radiation therapy during childhood or adolescence. 2011 BMT Tandem Meeting, Honolulu, USA, 2011.2.17-21
- 4) Koike T, Yabe H, Morimoto T, Shimizu T, Koike T, Takakura H, Kato S and Yabe M. Recovery of gonadal function after allogeneic stem cell transplantation for Fanconi anemia. 22nd Annual Fanconi Anemia Research Fund Scientific Symposium, USA, 2010.10
- 5) Yabe H, Morimoto T, Shimizu T, Koike T, Takakura H, Kato S and Yabe M. Long-term follow-up after unrelated bone marrow transplantation in a patient with dyskeratosis congenita. 22nd Annual Fanconi Anemia Research Fund Scientific Symposium, USA, 2010.10
- 6) Yabe H, Yabe M, Kato S, Koike T, Takakura H, Hyodo H, Tomita Y, Ishiguro H, Shimizu T, Morimoto T and Akiba T. Recovery of gonadal function after allogeneic stem cell transplantation for aplastic anemia. 第72回日本血液学会総会, 横浜, 2010.9

遠藤 文夫

【論文発表】

- 1) Nakamura K, Sekijima Y, Nakamura K, Hattori K, Nagamatsu K, Shimizu Y, Yasude T, Ushiyama M, Endo F, Fukushima Y, Ikeda S. Cerebral hemorrhage in Fabry's disease. *J Hum Genet.* 55, 259-61, 2010
- 2) Nakamura K, Hattori K, Endo F. Newborn Screening for lysosomal disorders. *Am J Med Genet,* 2011, in press
- 3) Shigeto S, Katafuchi T, Okada Y, Nakamura K, Endo F, Okuyama T, Takeuchi H, Kroos MA, Verheijen FW, Reuser AJJ, Okumiya T Improved assay for differential diagnosis between Pompe disease and acid alpha-glucosidase pseudodeficiency on dried blood spots. *Mol. Genet. Metab* , 2011, in press

下澤 伸行

【論文発表(書籍)】

- 1) 下澤伸行. 極長鎖脂肪酸測定. 小児科臨床ピクシス 23 見逃せない先天代謝異常. 中山書店 112-115, 2010
- 2) 下澤伸行. ペルオキシソーム病. 小児科臨床ピクシス 23 見逃せない先天代謝異常. 中山書店 214-217, 2010
- 3) 下澤伸行. ペルオキシソーム形成異常症 -Zellweger 症候群-. 別冊日本臨床 新領域別症候群シリーズ No13 肝・胆道系症候群(第2版), 日本臨床社 515-518, 2010

【論文発表(論文)】

- 1) Miyoshi Y, Sakai N, Hamada Y, Tachibana M, Hasegawa Y, Kiyohara Y, Yamada H, Murakami M, Kondou H, Kimura-Ohba S, Mine J, Sato T, Kamio N, Ueda H, Suzuki Y, Shiomi M, Ohta H, Shimozawa N, Ozono K. Clinical aspects and adrenal functions in eleven Japanese children with X-linked adrenoleukodystrophy. *Endocr J.* 2010.9.16 [Epub ahead of print]
- 2) Morita M, Shimozawa N, Kashiwayama Y, Suzuki Y, Imanaka T. ABC subfamily D proteins and very long chain fatty acid metabolism as novel targets in adrenoleukodystrophy *Current Drug Targets* [Epub ahead of print]
- 3) Shimozawa N, Honda A, Kajiwara N, Kozawa S, Nagase T, Takemoto Y, Suzuki Y. X-linked adrenoleukodystrophy : Diagnostic and follow-up system in Japan. *J Hum Genet* [Epub ahead of print]
- 4) Shaheen R, Al-Dirbashi OY, Al-Hassnan ZN, Al-Owain M, Makhshed N, Basheeri F, Seidahmed MZ, Salih MAM, Faqih E, Zaidan H, Al-Sayed M, Rahbeeni Z, Al-Sheddi T, Hashem M, Kurdi W, Shimozawa N, Alkuraya FS. Clinical, biochemical and molecular characterization of peroxisomal diseases in Arabs. *Clin Genet* 2010 [Epub ahead of print]
- 5) Matsukawa T, Asheuer M, Takahashi Y, Goto J, Suzuki Y, Shimozawa N, Takano H, Onodera O, Nishizawa M, Aubourg P, Tsuji S. Identification of novel SNPs of ABCD1, ABCD2, ABCD3, and ABCD4 genes in patients with X-linked adrenoleukodystrophy (ALD) based on comprehensive resequencing and association studies with ALD phenotypes. *Neurogenetics.* 2010 [Epub ahead of print]
- 6) 下澤伸行. ペルオキシソーム病(副腎白質ジストロフィー, Zellweger 症候群), 小児科診療 2010 年増刊号, 小児の治療指針. 515-517, 2010
- 7) 下澤伸行. ペルオキシソーム病を見逃していませんか? 小児内科 42 : 1167-1173, 2010
- 8) 鈴木康之, 下澤伸行. 日本先天代謝異常学会学会賞受賞論文「ペルオキシソーム病との 30 年 : 二人三脚の旅」日本先天代謝異常学会雑誌 26 : 2-12, 2010

【学会発表】

- 1) 下澤伸行, 本田綾子, 梶原尚美, 桐山寛子, 小澤 祥, 長瀬朋子, 竹本靖彦, 鈴木康之. 副腎白質ジストロフィー発症前患者に対する早期介入の取組み. 第 52 回日本先天代謝異常学会, 第 9 回アジア先天代謝異常症シンポジウム, 大阪, 2010.10
- 2) 下澤伸行, 本田綾子, 梶原尚美, 小澤 祥, 長瀬朋子, 竹本靖彦, 杉尾陽子, 塚原正人, 鈴木康之,

Ronald JA Wanders. 岐阜大学ペルオキシソーム病診断システムの展開—プラスマローゲンによる近位肢型点状軟骨異形成症の診断— 第52回日本先天代謝異常学会, 第9回アジア先天代謝異常症シンポジウム, 大阪, 2010.10

- 3) 長瀬朋子, 玉置也剛, 梶原尚美, 本田綾子, 小澤 祥, 柴田敏之, 國貞隆弘, 下澤伸行 ペルオキシソーム病患者皮膚線芽細胞からの iPS 細胞樹立. 第52回日本先天代謝異常学会, 第9回アジア先天代謝異常症シンポジウム, 大阪, 2010.10
- 4) 下澤伸行, 本田綾子, 梶原尚美, 小澤 祥, 長瀬朋子, 竹本靖彦, 杉尾陽子, 塚原正人, 鈴木康之, Ronald JA Wanders. 近位肢型点状軟骨異形成症におけるペルオキシソーム病診断システムの有用性 —日本人初の RCDP type3 同胞例の診断解析— 第55回日本人類遺伝学会, 大宮, 2010.10

今中 常雄

【論文発表】

- 1) Iwashita S, Tsuchida M, Tsukuda M, et al. Multiple organelle-targeting signals in the N-terminal portion of peroxisomal membrane protein PMP70. *J Biochem* 147 : 581-590, 2010
- 2) Woudenberg J, Rembacz PK, Hoekstra M, et al. Lipid rafts are essential for peroxisome biogenesis in HepG2 cells. *Hepatology* 52, 623-633, 2010
- 3) Kashiwayama Y, Tomohiro T, Narita K, et al. Identification of a substrate-binding site in a peroxisomal β -oxidation enzyme by photoaffinity labeling with a novel palmitoyl derivative. *J Biol Chem* 285, 26315-26325, 2010
- 4) Sato Y, Shibata H, Nakatsu T, et al. Structural basis for docking of peroxisomal membrane protein carrier Pex19p onto its receptor Pex3p. *EMBO J* 29, 4083-4093, 2010
- 5) Kouno T, Watanabe N, Sakai N, et al. The Structure of physarum polycephalum hemagglutinin I suggests a minimal carbohydrate recognition domain of legume lectin fold. *J Mol Biol* 405, 560-569, 2011

【総 説】

- 6) Morita M, Shimozawa N, Kashiwayama Y, et al. ABC subfamily D proteins and very long chain fatty acid metabolism as novel targets in adrenoleukodystrophy. *Curr Drug Targets* in press

【学会発表】

- 1) 横山和明, 西澤千穂, 池田和貴, 永井徹, 守田雅志, 原田史子, 佐藤典子, 唐沢健, 今中常雄, 下澤伸行, 田口良. ペルオキシソーム病の線維芽細胞に蓄積する極長鎖脂肪酸含有脂質. 第52回日本脂質生化学会. 渋川, 2010.6
- 2) 志村裕介, 川道美里, 谷口範壮, 新保沙織, 渡辺志朗, 守田雅志, 今中常雄. 野生型および ABCD1 欠損マウス脳における極長鎖脂肪酸延長反応と関連タンパク質 ELOVL1 の発現. 日本薬学会北陸支部 第122回例会. 金沢, 2010.11
- 3) 柏山恭範, 今中常雄. ABC タンパク質サブファミリーD 群のオルガネラ選択的局在化機構. 第32

回生体膜と薬物の相互作用シンポジウム. 富山, 2010.11

- 4) 五十嵐喜子, 柏山恭範, 平裕幸, 今中常雄. ペルオキシソーム膜形成因子 Pex16p のペルオキシソーム局在化シグナルの解析. 第 32 回回生体膜と薬物の相互作用シンポジウム. 富山, 2010.11
- 5) 新保沙織, 志村祐介, 守田雅志, 渡辺志朗, 今中常雄. ABCD1 欠損マウス由来アストロサイトを用いた ALD 分子病態の検討. 第 83 回日本生化学会大会・第 33 回日本分子生物学会年会合同大会. 神戸, 2010.12
- 6) 柏山恭範, 今中常雄. ペルオキシソーム膜上に存在する raft 様構造体の解析. 第 83 回日本生化学会大会・第 33 回日本分子生物学会年会合同大会. 神戸, 2010.12
- 7) 李朝香, 朝日彰子, 赤池 宗輔, 柏山恭範, 守田雅志, 安川洋生, 今中常雄. ABC タンパク質サブファミリーD の細胞内局在化と N 末端アミノ酸配列. 第 83 回日本生化学会大会・第 33 回日本分子生物学会年会合同大会. 神戸, 2010.12
- 8) 中野雄太, 森達哉, 楠本梨賀, 柏山恭範, 今中常雄. ペルオキシソーム形成因子 Pex3p の存在状態と Pex19p との相互作用に伴う高次構造変化. 第 83 回日本生化学会大会・第 33 回日本分子生物学会年会合同大会. 神戸, 2010.12
- 9) 土屋裕貴, 柏山恭範, 今中常雄: ペルオキシソーム膜 raft 様構造体の機能解析. 第 83 回日本生化学会大会・第 33 回日本分子生物学会年会合同大会. 神戸, 2010.12
- 10) 東野和直, 上杉泰介, 柏山恭範, 今中常雄. 小胞体膜上に存在する ABC タンパク質 P70R(ABCD4) の存在状態と機能の解析. 第 83 回日本生化学会大会・第 33 回日本分子生物学会年会合同大会. 神戸, 2010.12
- 11) 西澤千穂, 永井徹, 池田和貴, 守田雅志, 唐澤健, 原田史子, 佐藤典子, 中西広樹, 田口良, 下澤伸行, 今中常雄, 井上圭三, 横山和明. ペルオキシソーム病の線維芽細胞にみられる極長鎖脂肪酸含有脂質の分子構造決定. 第 83 回日本生化学会大会・第 33 回日本分子生物学会年会合同大会. 神戸, 2010.12

小林 博司

【論文発表】

- 1) Kobayashi H, Yohta S., Ikegami M, et al. Prognostic factors for the late onset Pompe disease with enzyme replacement therapy : From our experience of 4 cases including an autopsy case. Mol. Genet. Metab 100 : 14-19, 2010
- 2) Kobayashi H., Fujigasaki J., Fukuda T. et al. Pathology of the first autopsy case diagnosed as mucopolidosis type III alpha/beta suggesting autophagic dysfunction. Mol.Gnet. Metab 102 : 170-175, 2011

【学会発表】

- 1) 小林博司, 飯塚佐代子, 有賀賢典, 島田洋太, 井田博幸, 衛藤義勝, 大橋十也. レンチウイルスベクターシステムを用いたクラッペ病の遺伝子治療(ポスター). 日本小児科学会, 盛岡, 2010.4
- 2) Kobayashi H., Ariga M., Shimada Y., Izuka S., Yokoi T., Iwamoto T. et al. Neonatal Gene Therapy for the mouse model of Krabbe Disease. Japanese Society of Gene and Cell Therapy, Utsunomiya, Tochigi, Japan, 2010.7

公開講演

—我が国の難病疾患の遺伝子治療体制確立に向けて—

第1回 国際協力遺伝病遺伝子治療フォーラム

1st International Collaborative Forum of Human Gene Therapy for Genetic Diseases

開催日：平成 23 年 1 月 26 日 (水) 13:00-19:00

会場：女性と仕事の未来館

〒108-0014 東京都港区芝5丁目35-3

Tel: 03-5444-4151 FAX: 03-5444-4152

参加費：無料

総合司会 奥山 虎之 (国立成育医療研究センター)

● 挨拶 13:00~13:45

フォーラム実行委員長 衛藤 義勝 (東京慈恵会医科大学)
厚生労働省健康局疾病対策課 課長 難波 吉雄
日本遺伝子治療学会 理事長 金田 安史 (大阪大学)

● 講演：欧米における遺伝子治療体制 13:45~14:30

司会 小澤 敬也 (自治医科大学)
『遺伝子治療における我が国と欧米との違い』
小野寺 雅史 (国立成育医療研究センター)

● 講演：ヨーロッパにおける遺伝治療体制 14:30~16:10

司会 小野寺 雅史 ((国立成育医療研究センター) 大橋 十也 (東京慈恵会医科大学)

◆イタリア

『Hematopoietic stem cell gene therapy for primary immunodeficiencies』
Dr. Alessandro Aiuti, HSR-TIGET, Milano and University of Rome Tor Vergata

◆フランス

『cGMP production of clinical grade vectors at Genethon: current and prospective applications for the gene therapy of monogenic diseases』
Dr. Mehdi Gasmi, VP Product Development and Manufacturing, Genethon
Dr. A. Galy, Head of Molecular Immunology, Inserm/Genethon

● 講演：米国における遺伝子治療体制 16:20~17:00

司会 島田 隆 (日本医科大学)
Dr. Paul Kaplan (Genzyme Corporation)

● 講演：企業での遺伝子治療創薬 17:00~17:40

司会 藤本 純一郎 (国立成育医療研究センター)
『タカラバイオにおける遺伝子治療臨床開発の現状について』
竹迫 一任 (タカラバイオ)

『遺伝子治療のRegulation』

山口 照英 (医薬品医療機器総合機構 / 国立医薬品食品衛生研究所)

● 講演：我国の難病研究の現状と将来 17:40~18:10

司会 衛藤 義勝 (東京慈恵会医科大学)
岡本 充功 衆議院議員 (厚生労働省大臣政務官)

● 総合討論：今後の展望 18:10~18:50

司会 小野寺 雅史、奥山 虎之、衛藤 義勝
Commentator: 藤本 純一郎・大橋 十也・島田 隆

主催：厚生労働省難治性疾患調査研究班ライソソーム病調査研究班 (衛藤班)
国際協力遺伝病遺伝子治療フォーラム実行委員会
共催：厚生労働科学研究費補助金 (難治性疾患克服研究事業) (小野寺班)
厚生労働科学研究費補助金 (医療技術実用化総合研究事業) (奥山班)
後援：NPO 法人日本ライソソーム病研究センター

