

【学会発表】

- 1) Tomohiro T, Kashiwayama Y, Imanaka T, Hatanaka Y. : Identification of a substrate-binding site in a peroxisomal β -oxidation enzyme by diazirine-based photoaffinity labeling. 8th AFMC International Medicinal Chemistry Symposium : Frontier of Medicinal Science, Tokyo, 2011.9
- 2) 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 の細胞内局在化における N 末端疎水性アミノ酸配列の役割. 日本生化学会北陸支部第 29 回大会, 金沢, 2011.5
- 3) 守田雅志 : 極長鎖脂肪酸代謝異常と副腎白質ジストロフィー. 第 12 回 Pharamaco-Hematology シンポジウム, 富山, 2011.6
- 4) 谷口範壮, 新保沙織, 守田雅志, 今中常雄 : ABCD1 欠損マウス脳由来初代培養アストロサイトの極長鎖脂肪酸代謝と遺伝発現解析. 第 12 回 Pharamaco-Hematology シンポジウム, 富山, 2011.6
- 5) 守田雅志, 新保沙織, 今中常雄 : ペルオキシソーム膜 ABC タンパク質 ABCD1 欠損アストロサイトの遺伝子発現解析. 第 84 回日本生化学会大会, 京都, 2011.9
- 6) 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) の存在状態の解析. 第 84 回日本生化学会大会, 京都, 2011.9
- 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 の細胞内局在化機構-ヒト, 線虫及び粘菌での共通性-. 第 84 回日本生化学会大会, 京都, 2011.9
- 8) 李 朝香, 朝日彰子, 阪口雅郎, 柏山恭範, 今中常雄 : ABC タンパク質サブファミリーD のオルガネラ膜への選別輸送機構:N 末端マルチオルガネラ移行シグナルの解析.第 10 回次世代を担う若手ファーマ・バイオフォーラム, 仙台, 2011.10
- 9) 上杉泰介, 赤池宗輔, 柏山恭範, 守田雅志, 加藤博章, 今中常雄 : 小胞体膜上に局在する ABCD4 (P70R) の存在様式と機能. 第 33 回生体膜と薬物の相互作用シンポジウム, 岡山, 2011.11
- 10) 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) の存在状態の解析. 日本薬学会北陸支部平成 23 年度第 1 回総会及び第 123 回例会, 金沢, 2011.11
- 11) 守田雅志, 新保沙織, 浜田知世, 今中常雄 : 副腎白質ジストロフィーモデルマウス由来初代培養アストロサイトの極長鎖脂肪酸代謝と遺伝子発現解析. 第 53 回日本先天代謝異常学会総会・第 10 回アジア先天代謝異常症シンポジウム, 千葉 2011.1
- 12) Uesugi T, Kashiwayama Y, Imanaka T : Complex formation of ABC protein, P70R/ABCD4 on endoplasmic reticulum membranes. 第 34 回日本分子生物学会年会, 横浜, 2011.12
- 13) Morita M, Shinbo S, Asahi A, Imanaka T : Very long chain fatty acid β -oxidation in astrocytic cells ; contribution of ABCD1-dependent and -independent pathways. 第 34 回日本分子生物学会年会, 横浜, 2011.12

小林 博司

【研究発表】

- 1) Kobayashi H., Izuka S., Ariga M, et al. : Lentivirus mediated neonatal gene therapy for Krabbe

- disease. 14th annual meeting of American Society of Gene and Cell Therapy (ASGCT), Seattle, WA, 2011.5
- 2) 小林博司, 飯塚佐代子ほか: レンチウイルスベクターを用いたクラッペ病に対する遺伝子治療 第17回日本遺伝子治療学会, 福岡, 2011.7
 - 3) 有賀正道, 小林博司ほか: レンチウイルスベクターを用いたムコ多糖症 VII 型に対する遺伝子治療 第53回日本先天代謝異常学会, 千葉, 2011.11

矢部 普正

【論文発表】

- 1) Hyodo H, Ishiguro H, Yabe H, et al. : Decreased serum testosterone levels in long-term adult survivors with fatty liver after childhood stem cell transplant. *Biol Blood Marrow Transplant*, 2012.1.13, [Epub ahead of print]
- 2) Koike T, Yanagimachi N, Yabe H, et al. : High Incidence of Radiation-Induced Cavernous Hemangioma in Long-Term Survivors Who Underwent Hematopoietic Stem Cell Transplantation with Radiation Therapy during Childhood or Adolescence. *Biol Blood Marrow Transplant*, 2011.12.23, [Epub ahead of print]
- 3) Mynarek M, Tolar J, Yabe H, et al. : Allogeneic hematopoietic SCT for alpha-mannosidosis : an analysis of 17 patients. *Bone Marrow Transplant*, 2011.5.9, [Epub ahead of print]
- 4) Maekawa K, Yoshimitsu M, Yabe H et al. : Successful allo-HSCT with a minimal myeloablative conditioning regimen in an adult patient with Fanconi's anemia. *Bone Marrow Transplantation*, 2011, doi : 10.1038/bmt.201
- 5) Yagasaki H, Kojima S, Yabe H, et al. : Acceptable HLA-mismatching in unrelated donor bone marrow transplantation for patients with acquired severe aplastic anemia. *Blood*, 118(11) : 3186-3190, 2011
- 6) Yabe M, Shimizu T, Yabe H, et al. : Alternative donor marrow transplantation in children with aplastic anemia using low-dose irradiation and fludarabine-based conditioning. *Bone Marrow Transplant*, 46(8) : 1148-1150, 2011
- 7) Kamio T, Ito E, Yabe H, et al. : Relapse of aplastic anemia in children after immunosuppressive therapy : a report from the Japan Childhood Aplastic Anemia Study Group. *Haematologica*, 96(6) : 814-819, 2011
- 8) Yoshida N, Yagasaki H, Yabe H, et al. : Predicting response to immunosuppressive therapy in childhood aplastic anemia. *Haematologica*, 96(5) : 771-774, 2011
- 9) Suzuki D, Yabe M, Yabe H, et al. : Precursor-T lymphoblastic lymphoma after unrelated bone marrow transplantation in a patient with Fanconi anemia. *J Pediatr Hematol Oncol*, 33(1) : 22-24, 2011
- 10) Yabe M, Morimoto T, Yabe H, et al. : Therapy-related myelodysplastic syndrome of recipient origin in a juvenile myelomonocytic leukemia patient 17 years after allogeneic BMT. *Bone Marrow Transplant*, 46(7) : 1023-1025, 2011

- 11) Tomita Y, Yabe H, Yabe M, et al. : High incidence of fatty liver and insulin resistance in long-term adult survivors of childhood SCT. *Bone Marrow Transplant*, 46(3) : 416-425, 2011
- 12) Imaizumi M, Yabe H, Horibe K, et al. : Prospective study of a therapeutic regimen with all-trans retinoic acid and anthracyclines in combination of cytarabine in children with acute promyelocytic leukaemia : the Japanese childhood acute myeloid leukaemia cooperative study. *Br J Haematol*, 152(1) : 89-98, 2011

【学会発表】

- 1) Yabe H, Koike T, Ootsubo K, Morimoto T, Shimizu T, Takakura H, Kato S, Yabe M : Endocrine function in Japanese Fanconi anemia patients. 23rd Annual Fanconi Anemia Research Fund Scientific Symposium, Barcelona, Spain, 2011.10
- 2) Yabe M, Yabe H, Shimizu T, Morimoto T, Koike T, Takakura H, Ootsubo K, Kato S : Clonal chromosomal aberration in Fanconi anemia patients with myelodysplasia. 23rd Annual Fanconi Anemia Research Fund Scientific Symposium, Barcelona, Spain, 2011.10
- 3) Yabe H : on behalf of the Stem Cell Transplantation Committee of Tokyo Children's Cancer Study Group (TCCSG), Tokyo, Japan. Intensified conditioning with total-body irradiation, etoposide, and cyclophosphamide for children with acute lymphoblastic leukemia in first and second complete remission. 37th Annual Meeting of the European Group for Blood and Marrow Transplantation, Paris, France, 2011.4
- 4) Yabe M, Yabe H, Morimoto T, Shimizu T, Koike T, Takakura H, Kato S : Experience with marrow harvesting from paediatric donors at a single center : safety and efficacy. 37th Annual Meeting of the European Group for Blood and Marrow Transplantation, Paris, France, 2011.4
- 5) 矢部普正, 笹原洋二, 佐藤 貴, 今井千速, 石田宏之, 大杉夕子, 小池和俊, 井上彰子, 今井 正, 石井栄三郎, 小島勢二 : 小児再生不良性貧血治療研究会 再生不良性貧血に対する骨髄移植後にドナータイプの造血不全を呈した 18 例. 第 33 回日本造血細胞移植学会総会, 松山, 2011.3
- 6) Yabe H, Adachi S, Oota H, Honda Y, Shiomi M, Fujita N, Niizuma H, Kato K : Engraftment depends on the schedule of fludarabine and melphalan in reduced-intensity CBT. 第 73 回日本血液学会総会, 名古屋, 2011.10
- 7) Yabe M, Yabe H, Shimizu T, Morimoto T, Koike T, Takakura H, Mori T, Yoshida H, Ohtsuka Y, Shiomi M, Kato S : Alternative donor hematopoietic stem cell transplantation in inherited bone marrow failure syndrome. 第 73 回日本血液学会学術集会, 名古屋, 2011.10
- 8) Koike T, Yanagimachi N, Yabe H, Yabe M, Morimoto T, Shimizu T, Ishiguro H, Takakura H, Kato S : Radiation induced cavernous hemangioma (RICH) in long term survivors who underwent BMT. 第 73 回日本血液学会学術集会, 名古屋, 2011.10
- 9) Ishiguro H, Hyodo H, Tomita Y, Takakura H, Koike T, Shimizu T, Morimoto T, Yabe H, Yabe M, Kato S : Decreased testosterone levels in long-term adult survivors with fatty liver after childhood SCT. 第 73 回日本血液学会学術集会, 名古屋, 2011.10
- 10) 矢部みはる, 矢部普正 : リバージョン・モザイク型 Fanconi 貧血の診断と臨床. 第 53 回日本小児血液・がん学会学術集会シンポジウム, 前橋, 2011.11
- 11) 大坪慶輔, 清水崇史, 小林真弓, 高倉広充, 森本克, 松田晋一, 神園淳司, 矢部みはる, 矢部普正,

加藤俊一：著明な心機能低下を認めた再発 AML に対して 2 度の臍帯血移植を施行した一男児例. 第 53 回日本小児血液・がん学会学術集会, 前橋, 2011.11

- 12) 小林真弓, 高倉広充, 大坪慶輔, 小池隆志, 清水崇史, 森本克, 矢部みはる, 矢部普正, 加藤俊一：Minor bcr-abl が検出された急性巨核球性白血病の一例. 第 53 回日本小児血液・がん学会学術集会シンポジウム, 前橋, 2011.11

加藤 剛二

【論文発表】

- 1) Kato K, Yoshimi A, Ito E, et al : Cord blood transplantation from unrelated donors for children with acute lymphoblastic leukemia in Japan : The impact of methotrexate on clinical outcomes. Biol Blood Marrow Transplant, 17 : 1814-1821, 2011
- 2) Watanabe N, Matsumoto K, Kojima S, et al : Invasive fungal infections in pediatric patients with hematologic malignancies receiving oral amphotericin B solution and early intravenous administration of fluconazole. J Pediatr Hematol Oncol, 33 : 270-275, 2011
- 3) Watanabe N, Takahashi Y, Matsumoto K, et al : Prognostic factors for outcomes of pediatric patients with refractory or relapsed acute leukemia undergoing allogeneic progenitor cell transplantation. Biol Blood Marrow Transplant, 17 : 516-523, 2011

【学会発表】

- 1) 加藤剛二, 坂口大俊, 吉田奈央, 他：先天性代謝異常症に対する RIST による同種造血細胞移植 第 33 回日本造血細胞移植学会総会, 松山, 2011.3.9

加我 牧子

【論文発表】

- 1) 加我牧子：副腎白質ジストロフィー症の話題. 東京小児科医会報, 100 : 47-53, 2011
- 2) 加我牧子：小児の誘発電位 基礎. 臨床神経生理学, 394 : 227-331, 2011
- 3) 加我牧子：小児聴覚失認の診療. 音声言語医学, 52 : 316-321, 2011

【学会発表】

- 1) 宮内彰彦, 長嶋雅子, 森本 哲, 稲垣真澄, 加我牧子, 下澤伸行, 山形崇倫, 桃井真理子：内包から延髄の錐体路病変で発症した副腎白質ジストロフィーの 1 例. 第 53 回日本小児神経学会総会, 神奈川, 2011.5.26-28
- 2) 小関道夫, 下澤伸行, 矢部普正, 加藤俊一, 加藤剛二, 加我牧子, 辻 省次, 鈴木康之：副腎白質ジストロフィーに対する造血幹細胞移植効果：国内症例の包括的検討, HSCT for ALD in Japan. 第 53 回日本先天代謝異常学会, 千葉, 2011.11.25

横山 和明

【学会発表】

- 1) 西澤千穂, 永井 徹, 池田和貴, 守田雅志, 唐澤 健, 原田史子, 谷川和也, 佐藤典子, 田口 良, 下澤伸行, 今中常雄, 井上圭三, 横山和明. 第 84 回日本生化学会大会. 京都, 2011.10

大澤真木子

【論文発表】

- 1) Ishigaki K, Murakami T, Osawa M et al. : Close monitoring of initial enzyme replacement therapy in a patient with childhood-onset Pompe disease. *Brain Dev*, 34(2) : 98-102, 2012.2
- 2) Ishigaki K, Yoshikawa Y, Osawa M et al. : High-density CT of muscle and liver may allow early diagnosis of childhood-onset Pompe disease. *Brain Dev*, 34(2) : 103-6, 2012.2

【学会発表】

- 1) Ishigaki K, Saito T, Kuwatsuru R, Murakami T, Sato T, Onai S, Nonaka I, Osawa M : Longitudinal study of skeletal muscle images in childhood-onset Pompe disease patients receiving enzyme replacement therapy (ERT). 16th International Congress of the World Muscle Society. Algarve (Portugal), 2011.10

第2回国際協力 遺伝病遺伝子治療フォーラム

日時：2012年1月19日（木曜日）

場所：女性就業支援センター（東京都港区芝 5-35-3）

13:00 ■ 開催挨拶 ■

小野寺雅史（国立成育医療研究センター）
山本 尚子（厚生労働省健康局疾病対策課 課長）
小澤 敬也（日本遺伝子治療学会 副理事長）

13:25 ~ 14:05 ■ 特別講演 1：海外での遺伝子治療 ■

司会 島田 隆（日本医科大学）
Prof. N. Cartier (Hospital Saint-Vincent de Paul-University Paris)

14:05 ~ 14:45 ■ 特別講演 2：海外での遺伝子治療 ■

司会 小野寺雅史（国立成育医療研究センター）
Dr. Joong Gon Kim

14:45 ~ 15:25 ■ 特別講演 3：海外での遺伝子治療 ■

司会 小澤 敬也（自治医科大学）
Gene Therapy for Macular Degeneration by AAV vector
Dr. Abraham Scaria (Genzyme)

15:40 ~ 16:40 ■ 臓器別遺伝子治療 1 ■

司会 遠藤 文夫（熊本大学）・河合 利尚（国立成育医療研究センター）
1. 骨形成不全を呈する致死型低ファスファターゼ症の遺伝子治療
島田 隆先生（日本医科大学）
2. 骨髄間葉系幹細胞による皮膚再生機序を利用した表皮水疱症治療
玉井 克人先生（大阪大学）

16:40 ~ 17:40 ■ 臓器別遺伝子治療 2 ■

司会 山口 照英（医薬品医療機器総合機構）・大橋 十也（東京慈恵会医科大学）
3. 網膜色素変性に対する視細胞保護遺伝子治療
池田 康博先生（九州大学）
4. 筋ジストロフィーに対するエクソン・スキップ療法の現状と未来
武田 伸一先生（国立精神神経医療研究センター）

17:40 ~ 18:10 ■ 患者会から ■

司会 金田 安史（大阪大学）・藤本純一郎（国立成育医療研究センター）
1. 本間りえ様（ALD 親の会代表）
2. 小林信秋様（難病のこども支援全国ネットワーク）
3. 川元正司様（MPS 親の会）

18:10 ~ 18:30 ■ 総合討論 ■

司会 衛藤 義勝先生（東京慈恵会医科大学）

18:30 ■ 閉会の挨拶 ■

衛藤 義勝（代表幹事）

主催：厚生労働省難治性疾患調査研究班ライソゾーム病調査研究班（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 法人日本ライソゾーム病研究センター

