

厚生労働科学研究費補助金（難治性疾患政策研究事業）  
（分担）研究報告書  
ムコ多糖症（MPS）I型、IV型診療ガイドラインの作成  
ペルオキシソームとペルオキシソームに関する英文書の出版

研究分担者 今中常雄 広島国際大学薬学部 客員教授

ムコ多糖症（MPS）I型ならびにIV型診療ガイドラインの作成に取り組んだ。  
I型については診療ガイドラインを出版し、IV型については推奨文の改訂を行なっている。  
ペルオキシソームとその疾患について、大学院生、基礎研究者、臨床医を対象にした英文書  
を出版した。

A．研究目的

客観的な評価に基づくムコ多糖症（MPS）I型ならびにIV型診療ガイドラインを作成する。早期診断と介入、適切な治療法の選択を可能にする。ペルオキシソーム病の病態と診断・治療法に関する英文の専門書を出版する。

B．研究方法

関連論文の1次、2次スクリーニング、SR、CQの推奨文を検討し、診療ガイドラインを作成する。専門書の出版に当たっては、内容の国際的レビューを受ける。ペルオキシソーム関連論文を調査し、ペルオキシソームの機能と疾患についてまとめる。

（倫理面への配慮）

学内倫理委員会の承認のもとに調査研究を進めた。

C．研究結果

SRの意見、エキスパートオピニオンを入れ、MPSI型診療ガイドラインを完成させた。ペルオキシソーム英文書は、査読を経て出版した。MPSIV型診療ガイドラインについては、関連論文の1次スクリーニングを行い、SR委員のレビューを経て推奨文を検討した。

D．考察

ガイドライン作成にあたっては、文献のエビデンスとSR、エキスパートオピニ

オンを考慮した。ペルオキシソーム英文書については、内容をペルオキシソーム研究以外の専門家も対象として考慮した。

E．結論

ガイドラインの作成に当たっては、希少疾患の特異性も考慮した。早期診断、早期介入、適切な治療法の選択が可能となる。英文書によりペルオキシソーム病の国際的な理解が深まることが期待される。

G．研究発表

1. 論文発表（著書）

1. 日本先天代謝異常学会：副腎白質ジストロフィー（ALD）診療ガイドライン 2019
2. ムコ多糖症(MPS)I型診療ガイドライン作成委員会：ムコ多糖症(MPS)I型診療ガイドライン 2019
3. Imanaka, T., Shimozawa, N. eds.: *Peroxisomes: Biogenesis, Function, and Role in Human Disease*. Springer Nature 2020

2. 学会発表

なし

G．知的所有権の取得状況

1. 特許取得

なし

2. 実用新案登録

なし

3. その他

なし