

国際小児難病フォーラム2010

国際小児難病フォーラム実行委員長
衛藤義勝

難病財団主催で、国際小児難病フォーラム：小児難病の診断と治療の最近の進歩に関するフォーラムが港区芝の東京プリンスホテルで平成22年7月17～18日の2日間にわたり開催された。参加人数は2日間で約250名であり、海外演者は13名、我が国からは18名の演者で、全国の小児科医、難病に関わる研究者並びに患者団体が一同に会して熱心に討論された。

小児難病の範囲は広く今回はサブタイトルを小児難病の最近の診断と治療戦略とし、初日の開会式では、衛藤義勝実行委員長（写真1）、吉原健二難病財団理事長（写真3）挨拶、引き続いて秋篠宮殿下に御言葉を賜り（写真2）、UCLAのMcCabe教授に海外招聘者を代表してご挨拶を頂いた。

秋篠宮同妃両殿下には開会式と基調講演へ御臨席をいただき、基調講演をご聴講のあと、研究者及び患者やその家族など関係者と親しく御言葉を交わされるなど、関係者一同にとって大きな励ましとなったことは特筆すべきことである。（写真4）

Keynote レクチャーとしては、会長講演とし衛藤実行委員長の「小児難病の診断と治療法の最近の進歩に関して」、McCabe教授の「ヒトゲノム医学の進歩と小児科学」、横浜市大の横田俊平教授が「リュウマチの新しい抗体治療薬に関して」講演された。つづいて、中国の北京小児病院Shen教授は「H1N1インフルエンザの流行に関して」、国立感染症研究所の岡部信彦博士による「我が国のパンデミック感染症に関するインフルエンザ流行について」講演があり、チリー

大学のオライアン教授からは最近の新しいワクチンとして、ロタウイルスワクチンなどに関する最新の知識の講演があった。午後の部では、我が国の難病対策の問題点に関してシンポジウムを開催し、国立成育医療研究センター病院長の松井陽先生、杏林大学の別所文雄教授の司会の下に、厚生労働省の森岡久尚先生から小児難病の保健医療施策を国の立場から、患者団体の小林信秋さん、患者代表の平岡まゑみさんから患者の立場で、そして医師の別所文雄教授は医師の立場から、各々の問題点を浮き彫りにして頂き、大変有意義なシンポジウムであった。特に小児慢性特定疾患の20歳での打ち切りは患者には大変大きな負担となっているので、なんとかしてほしいとの要望は極めて重要な点である。難病児患者の社会的認知、教育の援助、社会での交流など幅広い援助が必要である。つづいて、遺伝病、特にライソゾーム病での酵素補充療法最近の進歩について、東京慈恵会医科大学大橋十也教授が、また、Arenoleukodystrophy(ALD)、Metachromatic Leukodystrophy(MLD) に関しての遺伝子治療については、フランスパリ大のArbourg教授が遺伝子治療の成功例を報告し、大変注目された。ALDの2例の患者での報告は大変貴重であり、今後ライソゾーム病を含め、レンチウイルスベクターでの治療効果が期待される。

次に福岡大学廣瀬伸一教授によるてんかんの新しい遺伝子の異常が報告され、てんかんが分子遺伝病であることの重要性を再度認識した。大井静雄教授は、小児の脳奇形症候、特に水頭

症の脳外科手術の進歩に関して、大変広範囲な成果を報告した。初日の目玉の一つである川崎病シンポジウムは、川崎富作先生をお招きして最近の川崎病の病因論を、理研の尾内義広先生が遺伝子レベルでの異常を明らかにしている。また、治療の進歩としてカナダの McBrindle 教授が、プレドニン、ガンマグロブリン治療の比較、佐治勉教授が我が国での川崎病の治療効果を纏めて講演頂いた。川崎富作先生は大変人を魅了する講演で、今後の展望を含めて講演され、本シンポジウムは大変多くの成果を挙げた。最後は、米国の Kay 先生が難病の最近の中樞神経系での治療法の進歩に関して講演され、1日目を終了した。終了後、患者、講演者、研究者を交えて懇談会を開き、再度研究の成果を確認した。

2日目は、順天堂大学の山城雄一郎教授によるプロバイオテイクスの効果、特に未熟児の健全育成での効果を示された。新生児医療に関しては、スタンフォード大学副学長の Stevenson 教授による新生児黄疸の機序及び治療に関する基礎的な研究成果を発表された。香港の Lau 教授は、先天性免疫不全症の患者の分子遺伝的病因の解析を明らかにした。つづいて、三重大学の三谷義英准教授とスイスジュネーブ大学の Beghetti 教授による肺高血圧の原理、また最新の治療法に関して講演頂いた。パキスタンの Bhutta 教授は、アジアでの栄養障害と乳児死亡率低下の取り組みをWHOと共同事業として行い、乳児死亡率の低下に大変貢献した成果を報告された。2日目の午後は、スタンフォード大学の Rosenfeld 教授による低身長分子メカニズムの最近の進歩を分かりやすく講演して頂いた。阪大の大藪恵一教授は、軟骨無形成症などの成長障害の機序並びに治療に関して講演された。最後に小児難病の早期診断、治療の為に新生児スクリーニングの成果に関して、韓国の D.Lee 教授並びに島根医大の山口清次教授の成果を発表され、新生児スクリーニングの重要性を明らかにした。

今回の国際小児難病フォーラムは、国際的に第一線で活躍されている研究者、臨床家をお招きして我が国の研究者、患者団体と十分な討議を行い、大きなプロダクトを得ることが出来、大変有意義なフォーラムであった。

また、マスメディアを通じて国民にフォーラムの意義を報道して頂き、小児の難病の重要性を社会に発信することが出来た。初日の開会式での秋篠宮殿下の心温まる御言葉、また、妃殿下は午後の部まで長時間にわたりフォーラムの講演を熱心にご拝聴頂き、主催者としても大変嬉しいことでした。

最後に、本国際小児難病フォーラムの開催に裏から支えて頂いた難病財団の事務局長 宗前さん、事務の佐藤さんほか慈恵医大DNA医学研究所並びに小児科講座から多数の皆様がフォーラム開催にお手伝い頂き、更に各製薬会社の皆様からも本フォーラムを開催するにあたり多大なご寄附を頂き深く感謝申し上げます。

(東京慈恵会医科大学遺伝病研究講座 教授)



写真1. 衛藤義勝小児難病フォーラム実行委員長挨拶



写真2. 秋篠宮殿下の御言葉



写真3. 吉原健二難病財団理事長挨拶



写真4. 御懇談される秋篠宮同妃両殿下

International Forum of Child Intractable Diseases
-Recent Advances of Diagnosis/Treatment for Child Intractable Diseases-

国際小児難病フォーラム 2010

～小児難病の診断・治療の最近の進歩～

会 期：2010年7月17日(土)・18日(日)

会 場：東京プリンスホテル〒105-8560 東京都港区芝公園 3-3-1 電話 03-3432-1111

会 長：衛藤 義勝 (東京慈恵会医科大学遺伝病研究講座 教授)

副会長：山城雄一郎 (順天堂大学大学院プロバイオティクス研究講座 教授)

井田 博幸 (東京慈恵会医科大学小児科学講座 教授)

Keynote 講演 & 招待講演

小児難病の現状と治療法の進歩
ゲノム医学の進歩と小児科学
小児の健全育成と疾患予防に対するプロバイオティクスの役割
新生児医学の Up-Date
先天性免疫疾患の分子遺伝の進歩
小児リウマチ：最近の治療の進歩
小児の H1N1 感染症：最近の知見
最近の我が国のハンテック感染症
ライソゾーム病の酵素補充療法・遺伝子治療の最近の進歩
ALD, MLD の遺伝子治療の最近の進歩
最近のてんかんの分子遺伝の進歩
小児脳奇形の治療の進歩
肺高血圧症の病態：最近の知見
肺高血圧の治療の進歩
低身長分子メカニズム：最近の知見
骨代謝異常症の最近の治療
アジアの新生児スクリーニングの現状と進歩
我が国の新生児スクリーニングの現状とアジアとの連携
最近の新しいワクチンの進歩
Melenium Developmental Goal: Child Survival
最近の遺伝病の新しい治療法の進歩

シンポジウム

川崎病の最近の進歩：病因、治療

ワークショップ

"わが国の小児難病対策の問題点"

同時通訳が
あります。

海外招聘演者(予定)：

Prof. E. McCabe(UCLA), Prof. X. Shun(Beijing CH),
Prof. P. Aubourg(Paris Univ.), Prof. B. MacGrindle(Toronto Univ.),
Dr. E. Kaye(Boston), Prof. D. Stevenson(Stanford Univ.),
Prof. Y. Lau(Hong Kong Univ.), Prof. M. Beghetti(Geneve Univ.),
Prof. Z. Bhutta(Aga Khan Univ.), Prof. R. Rosenfeld(Stanford Univ.),
Dr. M. O' Ryan(Belgium), Prof. Don Hwan Lee(Soon Chu Hyang Univ.)

日本小児科学会専門医制度研修記録簿用 5 単位

参加費：医師：10,000 円、看護師・レジデント・研修医：3,000 円、患者 & 家族・面談、学生、マスコミ：無料

事務局：東京慈恵会医科大学小児科講座・遺伝病研究講座 Tel: 03-3433-1111 (内線 3321/2367)

URL：http://www.japan-soc-shoni-iryoseisaku.jp/lfcid_20100717/index.html

主催：財団法人 難病医学研究財団 / 国際小児難病フォーラム実行委員会

後援：厚生労働省・文部科学省・日本小児科学会・日本小児科医会・日本小児看護学会・こども難病ネットワーク

(予定) NPO法人 日本リソゾーム病研究センター・NPO法人 日本小児医療政策研究センター