

ふくろう通信

2022年
10月号
(通算 63号)



目次

- 1 巻頭言 原田久生会長 P.2
- 2 最高顧問挨拶 衛藤義勝先生 P.3
- 3 会員便り（北から南から）東北ブロック JFA会員 P.5
- 4 講演録 衛藤義勝先生 P.6
- 5 国内Topics 岡田正恵 理事 P.12
- 6 海外Topics 郭育子 理事 P.13
- 7 特定社会保険労務士による障害年金のお話 佐々木久美子氏 P.15
- 8 Owl newsletter P.16
- 9 ふくろうライブラリー P.18
- 10 編集後記 P.18
- 11 お問い合わせ 巻末

巻頭言

「全国活動には各地難病連に加盟することが大事」

各地患者会 → 各地難病連 → 各自治体 → 厚労省（この流れが大事）

ふくろうの会 会長
原田 久生

去る5月29日（日）東京・広尾にある東京難病連（NPO）にて、榊原前理事長に引き続いての第6代目理事長となりました。当会（全国ファブリー病患者と家族の会）はこれまでに、全国活動する拠点として、北海道・宮城・東京・岐阜・大阪・福岡・沖縄の7主要地区にある難病連に加盟等をし、各地域に即した活動をしてまいりました。東京難病連もその一つであります。

東京難病連は、今年、難病連活動としては50周年、法人設立20周年（当会と同じ）というメモリアルな年度を迎えることが出来ました。しかも各地にある難病連の中では最も古く、50年の歴史は我が国の難病対策と慢性疾病対策の歴史だったとも言えます。1972年4月1日にベーチェット病・重症筋無力症・全身性エリテマトーデス・スモンの4疾病が難病指定されてから始まったのです。同年5月1日に東難連が設立されました。（参考:1999年（平成11年）4月1日にファブリー病が難病指定されました（56疾病））東京難病連の主たる事業にピア相談以外に患者会の声を届けるべく東京都議会（自民党、都民ファースト、立憲民主、公明党、共産党）や東京都に対して次年度予算に反映してもらうための要望活動を毎年しています。今年も令和5年度東京都予算に関する要望事項として、福祉保健局に対して全体要望17件、疾病別要望10件、教育庁5件、産業労働局6件、病院経営本部3件の合計41件の要望事項となりました。

～ 厚労省が難病患者に「登録者証」発行する～

従前から要望していた登録者証について、「難病患者に「登録者証」発行へ、各種手続きの手間・費用負担を軽減…対象は100万人超（9月5日付読売新聞）」と厚生労働省が発表し、指定難病の患者が障害福祉サービスや就職支援を受ける際に使える「登録者証」（仮称）を発行する方針を固めました。重症度にかかわらず取得でき、対象は少なくとも100万人を超える見込みで、患者にとっては各種手続きの度に診断書を用意する手間が省けるうえに、登録者証発行をきっかけに患者情報を国のデータベースに集め、治療開発に生かす狙いもあるとされています。患者会が直接厚労省に要望する以外に、各地の、特に東京都から国への働きかけは効果的な結果を招いたと言えます。

登録者証があれば、診断書を入手するために医療機関へ行く必要がなくなり、当事者の手間や費用負担を大幅に軽減できます。登録者証の制度化を、次期国会への提出を目指す難病法改正案に盛り込むようです。2024年度にも発行するとしています。このような各自治体から中央への働きかけこそ大事で、患者サービスは国と自治体が相互に負担しあっていて、また当該の自治体の難病相談支援事業は当該の難病連に委託しているからです。今後、患者会が自ら動き、こうした働きかけをしていくことが大事と考えます。

最高顧問挨拶

ファブリー病国際会議並びに SSIEM に参加して

財) 脳神経疾患研究所先端医療研究センター長
ふくろうの会 最高顧問
衛藤 義勝 先生



皆さんお元気ですか？ オミクロン株の第7波の流行はやや下火になってきましたが、9月17日現在、未だ全国で1日に7万人が罹患し、その内死亡者数は1日230人前後で未だ予断を許せません。既にわが国では2000万人が罹患し、この2年半で罹患死者数は4万人を超えております。高齢者並びにハイリスク者は油断できません。皆さん十分に注意し、感染予防に努めてください。

さて、今年5月末に4日間ドイツのWürzburg市(南ドイツ)で第7回Fabry Nephropathy国際会議が現地開催されました。



図1 Würzburg市のシンボルであるマーリエンベルグ要塞

2年半ぶりに海外学会の出席で、長年の友人であるアリゾナ大学の腎臓内科のWarnock教授(図2)が毎回主催し、現地での会長はWürzburg大学腎臓内科のC. Wanner教授です。私も毎年司会その他で招聘され、楽しみにしている学会です。約200~300人程度ファブリー病研究に関心のある研究者が世界中から毎回参加し、ファブリー病の最先端研究が発表されます。Würzburg大学はX線を発見したレントゲン教授、それ以前は幕末の日本に西洋医学を伝搬したシーボルト博士がおられ、シーボルト博物館も大学内にあり、日本とも幕末のシーボルト事件で非常に関係の深い街であり、大学です。

学会での内容ですが、図2に見られる内容です。いずれも大変興味ある演題です。

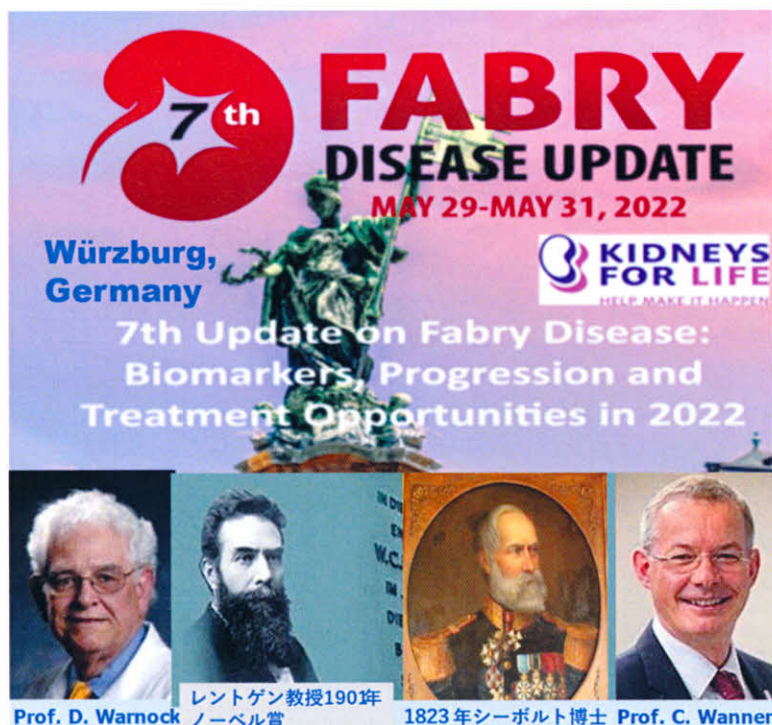


図2. 第7回Fabry Nephropathy国際会議 主催者:D. Warnock教授、
現地会長:C. Wanner教授

トピクス

1. ファブリ病の遺伝子治療：最新情報
2. 新しい酵素製剤: Peg ERT & 診断法
3. 酵素治療の最適方法
4. 酵素治療の新しいバイオマーカー
5. ファブリ病の脳神経系の病因
6. 消化器症状の原因と新しい治療法
7. 新しい基質合成抑制治療法
8. ファブリ病の炎症機序と治療法
9. 酵素治療に対する抗体産生と治療法
10. 心臓-腎障害診断、治療、AIによる診断
11. ポスター発表 約50

AAVの遺伝子治療の成果も英国、米国のバイオ会社が発表していました。またファブリ病の基礎的病因、新しい治療薬等、大変盛りあがりを見せました。聴衆はマスクもしておらず、日本への帰国時にコロナPCR感染テストを受ける必要があり、コロナ感染防止に会期中マスクをしていたのは私だけでした。大変勉強になった会議でした。

その後、8月29日～9月2日までドイツのフライブルグ市で2500名を集め、現地開催でヨーロッパ先天代謝異常学会が開催されました。私も含め、日本からは20名程度参加しており、やはりライソゾーム病の遺伝子治療の演題が、一番興味が注がれていました。(図3)

海外の発表は皆さん基礎的な面からも大変掘り下げて素晴らしい講演が多く、日本の研究者の更なる奮起を期待します。患者会の皆様の応援もお願い致します。

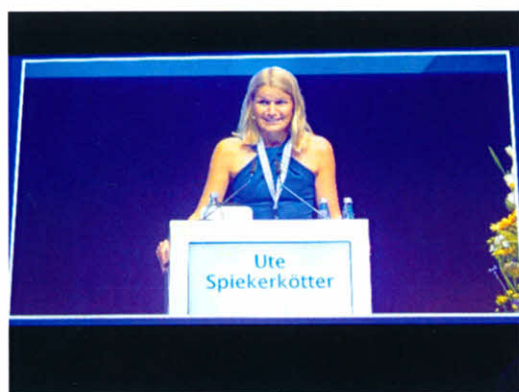


図3 SSIEM会長ドイツフライブルグ大学 Spiekerkötter教授



SSIM会場風景(約2500名参加)

》～会員便り（北から南から）～

「腎臓移植を終えて」

東北ブロック JFA 会員
匿名希望

ある時、医者親友が、自分と共通の友人の結婚式に出るため、帰郷し、家に泊まった時に移植の話になりました。親友はよく移植の話を勧めてくれました。既にクリニックの先生にも移植を勧められていましたが、自分自身は移植してまでとっていました。

そんな時に、自分と親友と父親が揃った時に、初めて移植の話になりました。親友は自分と父親に移植に関して色々詳しく説明してくれました。今は血液型が合わなくても問題ないと、ただ免疫抑制剤の服用を一生続けることも教えてくれました。昔の移植は色々適合しないと出来ないと思っていたので医療の進歩に驚きました。移植するとしても入院費用や交通費は自分で負担しなければならない事も教えてくれました。

1番は透析しなくてよくなる事を言ってくれたのです。そこで父親に腎臓くれるか？と聞いたら、良いよと言ってくれたので移植するか迷っていましたが、父親も70代後半だったので移植するにも最後と思いきり移植する事にしました。父親と親友には感謝です。

親友から東京の病院を紹介されました。父親に移植する確認を取って、レシピエント移植コーディネーターに最初メールで連絡を取り、次に電話で連絡を取りました。コーディネーターからは、まずクリニックの先生に紹介状を書いて貰ってから予約を取る事でその間はメールでのやり取りをしていました。コーディネーターから、ご家族からの生体腎移植希望ですか？亡くなった方からの献腎移植の登録を希望ですか？とメールが届き、父親（ドナー）から生体腎移植希望と告げ、名前 ふりがな 生年月日 電話番号をそれぞれ書いて返信しました。紹介状が出来たので連絡して予約を取るようになりました。透析日があるので無い日に予約をして父親と一緒に受診して診察、コーディネーター面談、採血等検査を行いました。予約日は父親の弟（叔父）が東京に住んでいるので、病院まで案内してくれたのでスムーズに病院に着きました。

診察の時、父親が高齢なので移植可能か心配でしたが、先生が大丈夫と言ってくくださったので安心しました。地方から東京に来てるので月1回で病院に通い検査する事になり、最初の診察から手術日が決まるまで約1年かかりました。その間、病院を移ったり、手術日が決まっていたのですが、コロナ患者が増えて緊急事態宣言が出たため、父親と話し合い先生に1度手術を延期にして貰いました。後日、診察で先生と話し合っても手術していること、病院も感染対策を徹底していることを聞いて三カ月後に2回目の手術日を決めました。父親は今回手術が出来なかったら次は無い事を言われました。この時はまだワクチンもなかったため感染したらお互い大変なので仕方ないと思いましたが、何とか手術の1週間前に入院出来ました。病室に入ると感染対策で全てのカーテンが閉められていてびっくりしました。病室でPCR検査して入院生活が始まり、コロナ中だったので面会禁止で売店に行くのも禁止、買い物は看護師が代わりに行ってくれました。

透析と点滴をして、手術前日に先生方と手術の説明等を聞いて次の日を待ちました。朝は緊張しながら手術準備し10時頃看護師さんが来て一緒に歩いて手術室まで行って本人確認後に手術室に入って手術台に上がり麻酔をかけられ知らぬ間に寝てました。名前を呼ばれ麻酔から目を覚めると先生方と看護師さんがベッドの周りにいました。手術は成功し父親も大丈夫と言われたのでホッとしました。

手術後は、ベッドから動けるまでベッドの上でテレビを観たりゲームをしていました。その後膀胱が小さくなっているため、膀胱を大きくするための作業があり、間隔（尿意がしたら行く）を開け尿量チェック表に時間と尿量を記入するのが24時間続きます、これが大変で寝て起きて尿量チェックの繰り返しで寝不足になりました。間隔は先生の指示で少しづつ長くなってゆき先生の指示で終わり、行きたい時に行けるようになり、腎臓のエコー検査、手術の傷口確認、リハビリ等を経て退院しました。

退院後は、経緯を診るので週1回東京の病院に通いますが、今は約2ヶ月に1回のペースで病院に通っています。週3回の透析に行かなくて済むことがどんなに良いことか、今は普通の生活が出来るようになったことに感謝しています。

一般社団法人全国ファブリー病患者と家族の会 設立20周年記念特別講演 東京ウェビナー 2022

* 講演録 *

「我が国のファブリー研究の歴史」

東京慈恵会医科大学 名誉教授
ふくろうの会 最高顧問
衛藤 義勝 先生



ふくろうの会 20 周年の会にお招きいただきありがとうございます。私はこの会の発足以来、皆さんと一緒に色々な活動をさせていただきました。20 年は早いもので、最初は佐々木さんなど患者さん方が会長をやられていましたが、その後、原田さんが会長になり、この会も非常に大きくなりました。20 周年は大きな節目の年ではありますが、今後さらなる発展を祈念したいと思います。

今日は、我が国のファブリー病研究の歴史ということで、皆さん方が知らない点もたくさんあると思いますので、ご紹介させていただきたいと思えます。



これはダイヤモンド富士です。これからのファブリー病患者の会が輝くようにこの写真を借りてきました。よろしくお願いします。

わが国のファブリー病研究の歴史と将来展望

1. ファブリー病と日本：Anderson博士
2. ファブリー病蓄積物質—飯田静夫、宮武正、山川民夫
3. 酵素診断 & バイオマーカー (LysoGb3)、遺伝子解析 (櫻庭均)
4. 酵素補充療法 (衛藤義勝、大橋十也)
 - 1) 治験 (衛藤 義勝)
 - 2) 抗体問題 (大橋十也)
5. シャペロン治療—鈴木義之
6. 新生児スクリーニング—熊本グループ (遠藤文夫、中村公俊)
6. 将来治療：胎児治療、遺伝子治療 (大橋十也)

我が国でファブリー研究が色々行われてきて、どういう貢献をしてきたかということをお話

します。

「ファブリー病と日本」

これは前にもお話したとおり、ファブリー病はアンダーソン病とも言います。イギリスのアンダーソン先生が日本に来て、日本の医師を育てました。その中に高木兼寛という、東京慈恵医科大学を創設した方がいて、アンダーソン先生のおかげでイギリスのセントトーマス病院医学校に留学し、帰国後に慈恵医大を作ったという歴史的なことがあります。

「ファブリー病蓄積物質」

これは東大の生化学の山川教授、その下におられた飯田教授です。東京医科歯科大の教授になられた先生ですが、蓄積物質 Gb3 が α 結合であると構造決定をしました。これはまた後でお話します。

「酵素診断&バイオマーカー、遺伝子解析」

先ほどデスニック先生の話にもありましたが、櫻庭先生が酵素診断、あるいは lyso-Gb3、遺伝子診断を積極的にやられて国際的に大変大きな評価を得ました。デスニック先生のところで最初にやられております。

「酵素補充療法」

私がリプレガル、ファブラザイムの治験を 2000 年頃に日本で始めました。酵素抗体に関する問題は、大橋先生がずいぶん細かく研究されており、国際的な評価も非常に高いです。

「シャペロン治療」

これは鈴木義之先生が開発に関わり、現在のシャペロン治療がうまくいっています。

「新生児スクリーニング」

今日お話しされる熊本グループの中村教授と遠藤教授らが、ファブリー病をはじめとするライソゾーム病の新生児スクリーニングを 20 年近く続け

て、現在のような発展につながっています。

【将来新しい治療】

今は遺伝子治療がどんどん進んでいます。日本では遺伝子治療は大橋先生や、小林博司先生らがライソゾーム病の遺伝子治療研究を進めております。



病気の治療、歴史というのはとても大事です。120年前にファブリー・アンダーソン先生が見つけて、その後スウィーリー先生と山川先生が構造決定を行ない、そして、α結合であるということでアルファガラクトシダーゼの酵素欠損をブレイディ先生が発見しました。櫻庭先生は酵素診断あるいは遺伝子診断、そして酵素治療、先ほどのデスニック先生がファブプロザイムを開発しました。遺伝子の構造決定、遺伝子工学的手法での酵素作成方法を開発しました。現在低分子治療、シャペロン治療も承認されております。

【ファブリー病患者さんとの出会い】

1985年に古典型の患者さんを最初に診察させていただき、私とファブリー病患者さんの最初の出会いとなりました。今でもこの患者さんは診ております。1990年には心型のファブリー病を診させていただきました。

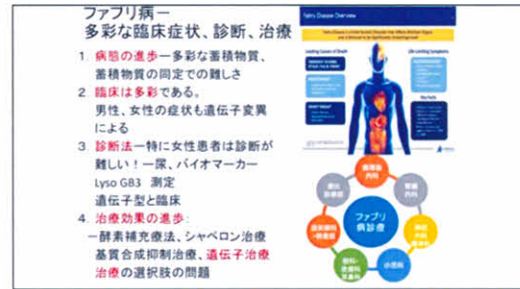
ファブリー病を発見したのは1898年ドイツのファブリー先生と英国のアンダーソン先生により別々に報告された。



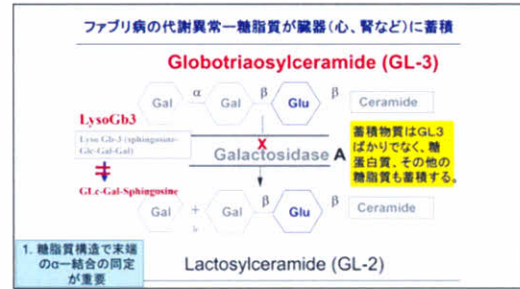
特に、アンダーソン先生は日本と非常に深く関係しました。慈恵医大の創始者である高木兼寛先生を英国のセントトーマス医学校に留学させ、慈恵大の創設に深く関わりました。



その後蓄積脂質の構造が決定され、酵素の遺伝子の異常が見つかり、2020年にαとβの酵素製剤での治験を行なわれました。β酵素はデスニック先生が開発しました。αはシェフマン先生ら NIH のグループが主に開発したわけです。



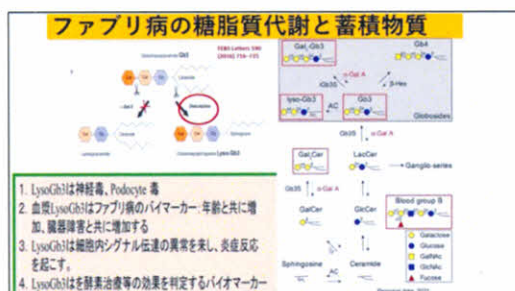
このようにファブリー病は、病態、臨床、診断法、治療において日本が非常に貢献したということはお分かりかと思えます。



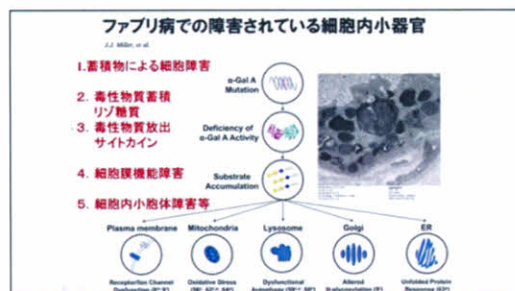
そして、Gb3、溜まっている物質、末端がαかβかということは非常に大切です。溜まっているGb3というのはグルコース、ガラクトース、末端のガラクトースの結合がβ結合、α結合が重要です。アルファガラクトシダーゼのガラクトースを切る酵素がファブリー病では欠損しています。



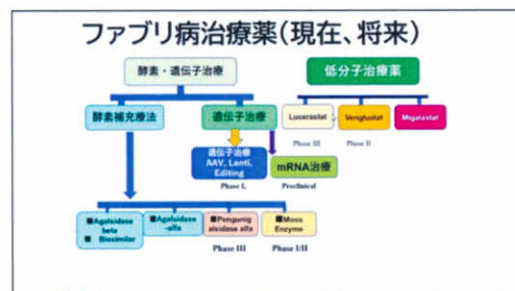
1970年に山川教授の研究室で報告されました。質量分析器、NMRで α 、 β を決定されました。



その後、lysoがついた脂肪酸が抜けた lyso-Gb3が細胞に悪い作用をし、細胞毒や腎臓毒があったりする、そういう作用が見いだされました。



ファブリー病の患者さんの皮膚を少し取って電子顕微鏡で見るとこの写真のように溜まっております。酵素治療やシャペロン治療により蓄積物質を分解するわけです。この細胞の中には、ライゾゾームだけでなく細胞膜機能、ミトコンドリアの機能も悪くなったりするため、早期診断、早期治療が大事になってきます。



そういう意味で、酵素、遺伝子治療、現在低分子治療薬のミガラスタッドは治療に有効です。先

ほどお話しした基質合成抑制治療は現在治験中であり、遺伝子治療も治験されております。

酵素補充療法は現在 α 、 β 酵素の他、バイオシミラーの3種類が日本では売られています。又現在治験中なのは、ペグニガルシダーゼアルファという植物由来の酵素で長時間発現します。月1回の投与で良いかもしれません。

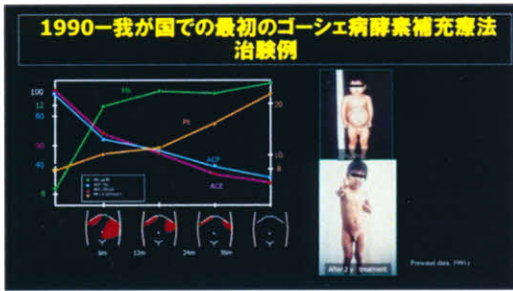


このように治療法も進歩してきています。先ほどデスニック先生も話したように、1991年にゴーシェ病で初めて酵素補充療法ができました。ブレイディ先生が胎盤を一生懸命すり潰して、胎盤を何万個集めて酵素を精製して、最初にゴーシェ病患者に2週間に1回酵素治療をしたのが始まりです。

ブレイディ先生の酵素を商品化しようということで、今から40年前の1981年にジェンザイム社のヘンリー・ブレイヤーという先生が、ボストンの町工場のようなところで20人ほどの会社を作りました。NIHから研究費をもらって、最初の酵素を製造しました。それがセレデースです。その後、ヘンリー・ターミア CEOが、ジェンザイム社を大きくし、様々な酵素を作りました。



酵素治療の原理はマンノースー6—リン酸が酵素取り込みに非常に重要であることを UCLA のニューフェルド先生とビル・スライ先生のグループによって発見されました。



このスライドは、1990年、私と北川先生で担当したゴーシェ病の酵素補充療法の最初の治験例です。この患者さんは、3年くらいで臨床症状が非常に良くなって驚きました。その後多くの酵素製剤が承認されることになり、様々な酵素治療の治療が開始されました。それから32、33年経って、ファブリー病、ムコ多糖症まで進んでいるわけです。



私が治験導入に関わった酵素製剤としては、セレザイム、ファブラザイム、アルドラザイム、マイオザイム、エラプレースがあります。そういうことで現在までに、色々な酵素治療が出てきたわけです。

我が国での酵素補充療法の現状 (2021, Total: 1,500)

Diseases	Enzyme	ERT Numbers
Fabry Disease	aglycosidase beta / Fabryzyme / aglycosidase alpha / Biosimila	about 1,000
Gaucher Disease	glucocerebrosidase / eliglustat / eliglustat alpha	about 100
MPS I	iduronidase	40
MPS II	iduronidase	125
MPS III	Mucopolysaccharidase (Intraventricular ERT)	>20
MPS IV	iduronidase alpha	20
MPS VI	glucuronidase	2
Hurler syndrome	aglycosidase alpha	11
Ehlers-Danlos	collagenase alpha	4

今や日本での酵素治療患者数は1500人以上、そのうちファブリー病は1000人以上が治療されています。

酵素補充療法の長所・短所

長所	短所
1. 20-30年近くの使用実績がある 2. 効果・安全性が確認されている 3. 経静脈的に注射—どの病院でも治療可能 4. 欠損酵素を補うことで理論的である	1. 1週間&2週間に1回投与 2. 高額である 3. 抗体産生の問題 4. 組織、細胞により治療効果が異なる

酵素治療は、今やもう標準化されて当たり前

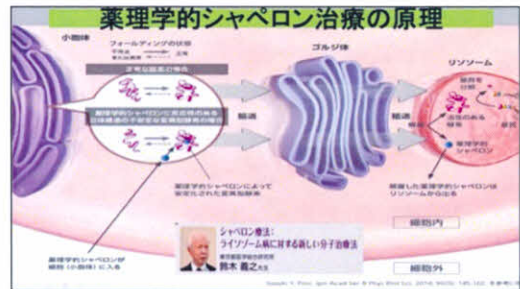
時代になってきておりますが、長所としては安全性が確認されていること。そして、どこの病院でも治療が行えます。ただ問題は、1週間又は2週間に1回の点滴投与が必要で、非常に高額であります。又酵素に対する抗体産生があり、治療効果に影響があるかもしれないといったこともあります。

ライゾーム病の低分子治療薬(経口薬)

経口薬の種類

- 1) 基質合成抑制治療
 - Miglustat- Gaucher 病, Niemann Pick C病
 - Eliglustat—Gaucher病
 - Venglustat- Fabry 病, ゴーシェ病神経型
 - Lucerastat— Fabry病
- 2) シャペロン治療
 - Migalastat- Fabry病
 - Ambroxol— Gaucher病

最近、低分子治療薬が出てきます。これは経口薬です。コロナの中、経口薬が便利で、基質合成抑制治療薬が治験されておりますが、まだ実際には承認されていません。ゴーシェ病では承認されています。エリグルスタットとか、ニーマンピックC病ではミグルスタットというのがありますが、シャペロン治療としてはミガラスタット、ゴーシェ病ではアンブロキシールという薬が現在治験中です。



図はシャペロン治療の原理ですが、不完全な酵素蛋白をレスキューして、酵素活性を上昇させる、経口薬です。

シャペロン治療の長所・短所

長所	短所
1. 経口薬—隔日投与 125mg 利便性がある 2. 低分子薬—組織移行性が良い 3. 免疫反応、抗体産生がない 4. 心等への効果が期待できる	1. 長期間の安全性データがない 2. 遺伝子変異依存性—日本人で30%が適応 3. 食事、薬物との相互作用がある 4. Amenableでも効果が少ない症例もある 5. 75歳以上、16歳未満、妊娠希望或いは妊娠中患者、重度腎障害患者では適応がない。

皆さんご承知のとおり、シャペロン治療は、経口薬で約30%の方が治療に反応します。免疫反応、抗体産生がありません。低分子薬で組織移行性がありますが、長期間の安全性データがなく、遺伝

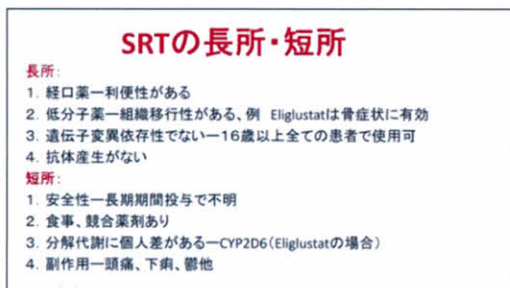
子変異に依存性で日本人の30%ぐらいが反応します。食間で忘れてしまうことがあるかもしれない。16歳以上の患者さんに使用可能です。各治療法には各々長所、短所があります。



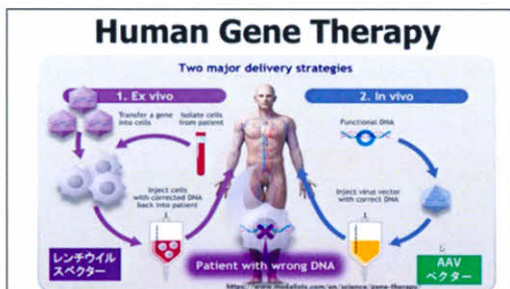
基質合成抑制治療、これを開発したのがミシガン大学のノーマン・レディン先生です。現在はセイマン教授が跡を継いで開発研究を進めております。蓄積物質の合成を抑える原理です。



ベングルスタット、ルセラスタットというのが、基質合成抑制治療薬です。現在治験中で、どのくらい効果があるのかは、まだ分かっておりません。



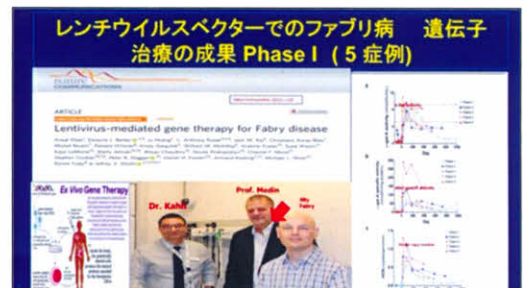
SRTの長所、短所は未だ十分成果が報告されておりませんが、経口薬で、低分子薬で遺伝子変異依存性がない、抗体産生がないというのが長所です。治療効果に関しては、今後の課題かと思えます。



最後に、遺伝子治療についてです。デスニック先生が少しお話しされましたが、大きく分けて2つの方法があります。ex vivo法は患者さんの骨髄を取って、そこにレンチウイルスベクターで遺伝子を入れます。一方アデノ随伴ウイルスベクター(AAVベクター)では直接静脈注射するin vivoの方法です。こちらの方が簡単です。



現在、遺伝子治療薬はものすごい勢いで進歩しています。100種類以上の遺伝性疾患が遺伝子治療されて、かなりの効果を上げてきています。AAVベクターを用いた遺伝子治療で承認されているのは、神経筋疾患の脊髄筋萎縮症(SMA)の遺伝子治療のゾルゲンスマです。日本でも承認されておりますが、とても高価で、1回の注射に1億6000万円近くかかります。レンチウイルス遺伝子治療ではアドレノロイコジストロフィー(ALD)やMLDが承認されましたが、アドレノロイコジストロフィーは、(ALD)は現在癌化の問題で中断されています。MLDの遺伝子治療はヨーロッパで承認されています。非常に良い成果を出していますが、まだまだ問題もあるようです。



ファブリー病のレンチウイルスベクターによる治療は、メディン教授が開発しました。こちらはファブリー病の最初の症例です。治療を担当したのはカーン先生で、48歳の患者さんです。今年の初めに発表され、良い成績だと思ったのですが、残念ながら、色々な問題があったようです。

ファブリー病 遺伝子治療プログラム2024年まで延期

- AVROBIO Reprioritizes Pipeline Programs
- Fabry disease program to be deprioritized, shifting focus to other clinical-stage programs in lysosomal disorder pipeline
- Data updates for cystinosis and Gaucher disease type 1 programs planned for 1H 2022, with regulatory interactions anticipated across multiple programs in 2022
- Cash runway to be extended into first quarter of 2024

*January 04, 2022 07:00 AM Eastern Standard Time

•CAMBRIDGE, Mass. —**BUSINESS WIRE**—AVROBIO, Inc. (Nasdaq: AVRO), a leading clinical-stage gene therapy company with a shared purpose to free people from a lifetime of genetic disease, today announced that it is shifting its portfolio priorities to focus on other clinical-stage programs and extending its cash runway into the first quarter of 2024. The company is deprioritizing its Fabry disease program due to several factors, including new clinical data showing variable engraftment patterns from the five most recently dosed Phase 2 FA8-GT patients, which would significantly extend the program's development timeline, as well as an increasingly challenging market and regulatory environment for Fabry disease.

原因として、あまり効果が均質的ではないことや、あるいはレンチウイルスベクターで白血病が出たりしたため、一応一時中止になっております。

遺伝子治療の問題点

1. 副作用の問題
 - 1) AAV ベクター： 肝障害（神経障害）
(X-linked tubular myopathy, SMA 他)
 - 2) レンチウイルスベクター： 癌化の問題
(Thalassemia, Adrenoleukodystrophy他)
2. 効果の不均一性： 例 Fabry 病レンチウイルスベクター 遺伝子治療
3. 超高額薬剤（例 Limelydy (MLD)一約4億円

そのようなことで、遺伝子治療も色々な問題はあるようです。AAV ベクターで肝障害が起こりやすく、ムコ多糖症あるいは各種ライソゾーム病、ファブリー病でも AAV 遺伝子治療がやられています。遺伝子治療は非常に多くの会社がやっていますが、どこまで効くかというのは今後の課題かと思えます。MLD 遺伝子治療薬は約 3 億円の薬価がついたそうです。とても高価です。1 回で成果が上がるのだらうと思えますが、まだまだ分からないところもあります。

ファブリー病の治療法の比較

方法	酵素補充療法 (SRT)	シャペロン治療法	最新合成酵素 (SRT)	遺伝子治療法
特長	経口薬	経口薬	経口薬	静注 (AAV) 静注 (レンチウイルス)
酵素製剤	経口剤 Fabry 酵素 (Fabry 病) Fabry 酵素 (Fabry 病) Fabry 酵素 (Fabry 病)	経口剤 Fabry 酵素 (Fabry 病) Fabry 酵素 (Fabry 病) Fabry 酵素 (Fabry 病)	経口剤 Fabry 酵素 (Fabry 病) Fabry 酵素 (Fabry 病) Fabry 酵素 (Fabry 病)	ウイルスベクター Fabry 酵素 (Fabry 病) Fabry 酵素 (Fabry 病) Fabry 酵素 (Fabry 病)
遺伝子治療 安全性	無し	無し	無し	無し
副作用	無し	無し	無し	無し
開発状況	承認 (2004)	承認 (2018)	承認 (日本、米国)	承認中 (米国)

現在、酵素補充療法、シャペロン治療法、基質合成抑制、遺伝子治療法の 4 種類があるわけですが、どれが良いかは今後の課題かと思えます。

ライソゾーム病治療薬開発会社

1. ゴーシェ病：酵素製剤 3 種、 SRT：2 剤、シャペロン 1 社、 遺伝子治療剤：将来 3 社
2. ファブリー病：酵素製剤：現在 3 社、将来 2 社、シャペロン：1 社、SRT 2 社、遺伝子治療薬：5 社
3. ホンバ病：酵素製剤：現在 2 剤、将来 3 剤、遺伝子治療：4 社
4. ムコ多糖症
 - I 型：酵素製剤 1 社、将来：2 社、遺伝子治療：3 社
 - II 型：酵素製剤 3 社、遺伝子治療：将来 3 社？
 - III 型：酵素製剤 将来 3 社、遺伝子治療 将来 4 社？
 - IV 型：酵素製剤 1 社、遺伝子治療：将来 2 社？
 - VI 型：酵素製剤 1 社、遺伝子治療：将来 1 社
5. その他：多数

そして、遺伝子治療会社あるいは酵素を作る会社がファブリー病だけで 10 社近くあり、大変な競争の時代に入ってきました。皆様方がどういう治療を選ぶかは、今後の成果によるわけです。



こちらは、遺伝子治療で世界的に有名なイタリアのナルディーニ先生です。日本に何回かお呼びし素晴らしい講演をしてもらいました。



こちらは、先ほど話したボブ・デズニック先生です。多くの先生たちの素晴らしい研究成果を勉強させていただいて、皆様方にこれからもさらに情報を提供していきたいと思えます。

そして最近、私は国際ライソゾーム病研究ネットワークを立ち上げました。ニュースレターを発行し、世界の人たちを結んで、多くの成果をできるだけ早く皆様にお知らせをしたいという目的もあって作成しました。

最後に、ふくろうの会、全国ファブリー病患者会設立 20 周年、誠にありがとうございます。

ご清聴ありがとうございました。

ふくろう通信編集委員会より

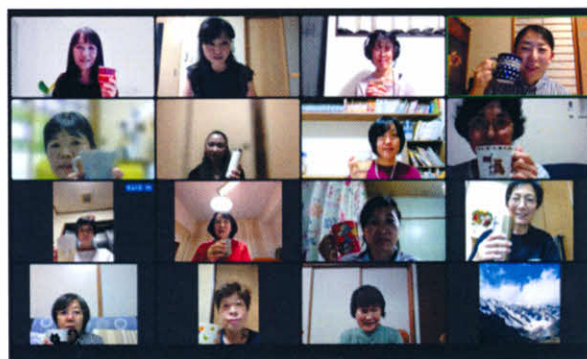
- 衛藤先生の親友のデズニック先生の講演内容は 2023 年新春 1 月号に特集で掲載することになっています。衛藤先生 (10 月号) に続いての掲載となります。会設立 20 周年記念特別企画です。ご期待下さい。
- 2023 年 3/30 ~ 4/1 「第 6 回国際ライソゾーム病フォーラム」が東京慈恵医科大学 1 号館 3 階と東京プリンスホテルマグノリアホールで開催されます。この時デズニックさんが来日されます。患者会の参加は OK ですので皆さんで参加しましょう。

- 精神疾患は検査で分からず周囲から理解されない
- 見た目に分からないからこそ言葉で伝えたり可視化する事が大切（患者会の役目の一つ）

《女性とファブリー Zoom 茶話会》

茶話会の感想をいただきました

- 勉強になりました♪
- 女性ならではの安心感があります
- 患者の家族として参加しました
これからもよろしくお願いします
- 皆さんの困りごとや現状を聞いて参考になりました
- 今後の参考にします
- また色々とお話を聞かせていただきたいです 等々



みなさんカップを持っていいい笑顔で

海外 Topics

(海外担当理事 郭 育子)

日本では、非常にゆっくりと新たなニューノーマルの社会生活に戻っていく様子ですが、海外では早いスピードで既に多くの地域で通常生活が徐々に戻り、学会や患者グループでの集会在各地で数年振りに対面形式で再開されています。

欧州：ドイツ 【SSIEM 先天代謝異常学会】 8月30日～9月2日対面開催（一部オンライン）

欧州：イタリア 【AIAF イタリア アンダーソン・ファブリー協会】 9月対面開催

北米：カナダ 【カナディアン ファブリー協会】 女性 リトリート集会（3日間開催） 6月対面開催

北米：FSIG 【Fabry Support Information Group】 会長 ジョンソン氏 全米各地 患者対面集会
5月ケンタッキー州、7月テネシー州、9月サウスカロライナ州実施

11月11日～13日 第1回ファブリー女性サミット開催予定（ノースカロライナ州）



写真：写真下黄色いシャツの方が会長のウォルター氏、キャンプの参加者子ども達と一緒に

北米：アメリカ南東部（ノースカロライナ州）【NFDF National Fabry Disease Foundation】

2008年NFDFの会長を務めるウォルター氏は、このキャンプ（子供専用キャンプ施設 Victory Junction ビクトリージャンクション）の施設が行う病気を持った子供たち、患者家族が人生の困難とバランスを保てるように必要だと気づき視察に行きその数年後の2010年スポンサーに呼びかけて大きな資金調達に成功しました。それからは無料で患者家族が誰でも参加できるように企画しました。キャンプの前に、親が病気のことを学べる教育セミナーも追加されました。2020年と2021年は、新型コロナウイルスのパンデミックの影響でオンライン形式のバーチャルキャンプになりましたが、それまで毎年恒例行事として年一回このキャンプを恒例イベントとして行ってきました。ようやく今年、このファブリーキャンプが遂に再開されます。今年は、11回目のファブリーファミリー週末キャンプが10月14日から三日間開催されます。（同日大人のみ参加できる教育セミナーも同時開催予定）



写真：カーレーサーの故アダム ペティの意志を受け継ぎ作られた病気を持つ子供の医療サポート付きキャンプ施設



写真：施設内の敷地マップ、湖や森の自然の中で屋根付きのスポーツ施設やプールなど完備

※屋内外テーマパークのような施設でたくさんのアクティビティが用意されます。

乗馬、アーチェリー、カヌー、水遊び、屋内コートでのボール蹴り、バスケットボール、ミニゴルフ、ジップライン（中高生向け）、アートや手作り工作、髪型アレンジショップ、魚釣り、食堂

ビクトリー ジャンクション創設の経緯 ノースカロライナ州ランドルマンにある年中無休のキャンプ施設で、深刻な病気や慢性的な病状を持つ子供たちに、家族に無料で人生を変える体験を提供しています。夏休み期間の キャンプ セッション、秋と春の家族の週末、日帰りキャンプ、パートナー プログラム、セラピーライディングを通じて、これらの体験を提供します。ビクトリー ジャンクションのプログラムには、ノースカロライナ州とサウスカロライナ州の病院、診療所、ロナルド マクドナルド ハウスでの入院中の小児患者へのアウトリーチも含まれています。

このキャンプは、NASCAR 米国最大のモータースポーツ協会故ドライバーのアダム・ペティに敬意を表してレースカーをテーマにしており、深刻な病状を持つ子供たちにサービスを提供しています。ここのキャンプのテレビコマーシャルを見たその瞬間、国立ファブリー病財団 (NFDF) がファブリー病の家族のためのキャンプを組織するべきだと決心したと言う会長のウォルター氏。この施設の特別な所は、医療的ケアが必要な子ども達が使えるのは、滞在中ボディショップと呼ばれる場所で毎日健康チェック、薬局も完備して、点滴や透析なども受ける事が可能で場合によっては精密検査、緊急時の医療体制もしっかり地元の病院とも連携が組まれて全てのアクティビティは専門のキャンプスタッフによって管理されていることで実現されています。私が知るアメリカの 20 代の若い患者さん達は、このキャンプに幼少から思春期時代に参加してどんなに良かったかを話します。同じ病気の子達とここで仲間を作りその後人生が変わったと口々に熱く語ります。このような、若者がまたキャンプボランティアとして今度は支えるスタッフ側として関わりとても素晴らしい循環が形成されていると知りました。

参加資格：カナダを含む北米在住者対象 患者家族 最低 1 名 6 才から 16 才の子供患者がいる家族
子供が必要とされる米国での適齢期推奨のワクチン接種を済ませた患者
参加者全員、新型コロナウイルスのワクチンを接種済みの方で施設内はマスク着用
19 歳以上のキャンプボランティアも同時に募集中です。

オリジナル記事

A Special Place for the Fabry Disease Community
FABRY DISEASE NEWS Aug.17, 2022 より抜粋
<https://fabrydiseasenews.com/columns/special-place-fabry-disease-community-family-camp-north-carolina/>
National FABRY DISEASE Foundation www.fabrydisease.org

特定社会保険労務士による障害年金のお話：①

～ 障害年金 社労士の視点から ～

特定社会保険労務士
佐々木 久美子 氏



はじめまして、筆者は平成17年4月から障害年金を専門としています。障害年金を通して透けて見える社会の変化や人々の在り方を踏まえ、複数回にわたり「社労士の視点から」障害年金について私見を述べます。

●社労士の取り組み

最近では社労士と呼ばれることが増えてきましたが、正式名称は「社会保険労務士」です。といっても本当に何の仕事をしているのか、実態がわからないのが正直なところではないでしょうか。弁護士や税理士と同じ国家資格者なのですが、縁の下の力持ちとして企業や個人を支えることが多く、目立たない存在です。

全国社会保険労務士会連合会のホームページの「社労士とは」では次のように説明されています。「企業の成長には、お金、モノ、人材が必要とされておりますが、社労士はその中でも人材に関する専門家であり、『労働及び社会保険に関する法令の円滑な実施に寄与するとともに、事業の健全な発達と労働者等の福祉の向上に資すること』を目的として、業務を行っております。社労士は、企業における採用から退職までの『労働・社会保険に関する諸問題』や『年金の相談』に応じるなど、業務の内容は広範囲にわたります。職場や企業の悩みは、人を大切にする企業づくりの支援をしている、社労士にお任せください。」

社労士が取り扱える業務は法律で定められていますが、多岐にわたり、1つの分野で専門的に取り組む社労士も増えていきます。例えば、障害年金、就業規則、派遣、介護事業、助成金等。

特定社労士は裁判外紛争解決手続（ADR）の代理業務を行うことができます。ADRとは、裁判によらないで、当事者双方の話し合いに基づき、あっせんや調停、あるいは仲裁などの手続きによって、紛争の解決を図ることです。この資格の研修を通して、配置転換や解雇について知見を深め、障害の状態にある方の相談に役立てています。

●相談のハードル

障害年金に取り組み始めた当初に驚いたのは、手続きしたくても出来ない方が沢山いらっしゃる事です。障害の状態つまり重症度としては十分に該当しそうなのに、手続きする資格がないと門前払いされるのです。今でも状況が大きく変わったとは思えません。

年金は保険の仕組みで給付されますので、前提として保険料を納める又は保険料を支払えない時は免除申請することが求められます。障害の状態になってから条件を整えて、保険金である年金を受け取ることが許されません。ですが、前提となる手続きをしていない人が不真面目とは限らず、単に症状に苦しんでいたからであって、「実は役に立つ」障害年金が知られていないことを悔しく感じます。「もらい事故」で障害が残る可能性は誰にでもあり、ひとごとと考えてほしくありません。

このような状況を何とか解消できないかと考え、公立の小中学校等で出前授業に取り組んでいます。社会保障や労働条件を子どもたちに教え、自分や家族を守るために社会保障を活用できるよう「困ったら複数の大人に相談しよう、助けて！と言おう」と必ず伝えています。

とはいえ子どもたちが相談することは、言語化すること自体が困難な実態もあり、専門窓口での相談に至らないことが多々あります。子どもたちは、自分と他の家庭とを比較できない、何が正しい在り方かわからない、20歳台では悩む局面が押し寄せてくるようなこともあります。

子どもに限らず、身近に何が起きているか整理して案内できる役割の方が周りにいると救われます。私達専門家のドアをノックするには相当な勇気が必要ですが、「助けて！」と他を頼ると、人生が変わります。次号から皆様と共に障害年金を考えたいと思いますので、よろしく願います。



ふくろうの会設立 20 周年記念特別企画 (20 周年特別委員会からの情報提供)
開催決定! 「第 2 回ファブリー病と女性」 座談会

- ・開催日：12月3日(土) 14:00 - 16:00 Zoom 配信
- ・言語：日本語(同時通訳)
- ・内容：女性とファブリー病に関する議題について、台湾、オーストラリア、韓国等の各国の患者会の代表者と考えや経験を共有します。
- ・目的：女性への取り組みを近隣諸国と情報交換することで共通課題を見つける。日本国内の課題を発見する。
- ・対象：患者とそのご家族による会員限定
- ・主催：「女性とファブリー病を考える会」実行委員会
- ・共催：アミカス・セラピューティクス株式会社
 ペイシエント&プロフェッショナル アドボカシー部門



*視聴ご希望の方は、氏名・〒住所・mail・携帯番号等記載の上、Fax(03-5786-1551)で申込下さい。
 *当日の URL 等、詳細は後日お知らせいたします。この件に関するお問い合わせ先：080-5720-2085

ふくろうの会設立 20 周年記念特別企画 (20 周年特別委員会からの情報提供)

「12/4(日)「近畿中四国ブロック / 大阪オープンセミナー 2022」開催

近畿中四国の皆さん、3年ぶりの開催となりました！対面式のセミナーとなります。会も設立して今年が20周年となりました。記念すべき全国セミナーのキックオフとなります。

来年度にかけて、全国5ブロック・7主要地区(札幌・仙台・東京・名古屋・大阪・福岡・那覇)にスタートします。

- ・開催日・時：2022年12月4日(日) 12:00 受付開始 13:00 開始 15:30 終了
- ・対象エリア：近畿中四国ブロック(滋賀県・京都府・和歌山県・奈良県・大阪府・兵庫県・岡山県・広島県・鳥取県・島根県・山口県・愛媛県・高知県・徳島県・香川県 2府13県)
- ・対象：患者と家族、医師、医療従事者、製薬会社、行政、関係支援団体、一般の方等
- ・主催：一般社団法人全国ファブリー病患者Iと家族の会(別称：ふくろうの会)
- ・参加者には、軽食(ランチ)、20周年記念のマグカップをプレゼントします。

■オープンセミナー ―バーチャルファブリークリニック― 13:10 ~ 14:50
 座長：酒井 規夫 先生(大阪大学大学院医学系研究科 保健学専攻 教授) 10分

●基調講演：衛藤 義勝 先生「ファブリー病治療―最新情報―」
 (東京慈恵会医科大学名誉教授・ふくろうの会最高顧問) 30分

●教育講演：濱崎 考史 先生「ファブリー病の早期診断に向けて」
 (大阪公立大学大学院医学研究科 発達小児医学 教授) 20分

●教育講演：藤井 秀毅 先生「慢性腎臓病について考えてみよう！」
 (神戸大学大学院医学部研究科 腎臓内科 准教授) 20分

●教育講演：三木 健司 先生「日本でも一般化しよう。慢性疼痛に対する集学的診療」
 (大阪行岡医療大学 医療学部 特別教授) 20分

■酒井 規夫 先生のなんでも相談コーナー 15:00 ~ 15:30
 「ぶっちゃけこんなこときいても良いですか? ~第8弾~」相談コーナー―全体討論会―
 (大阪大学大学院医学系研究科 保健学専攻 教授)

*参加申込は、参加者のお名前・〒住所・携帯番号・質問等記載の上 Fax: 03-5786-1551 で申込下さい。
 又はホームページ (<http://www.fabrynet.jp>)、[mail:haradah1949@yahoo.co.jp](mailto:haradah1949@yahoo.co.jp) にて申込下さい。
 *問合せ先：080-5720-2085 次のページに、ポスターを添付してます(参考)

ファブリー病の今日的課題への取り組み ファブリー病のケア・ライフ・バランスを求めて

参加費
無料

20周年記念
マグカップ
プレゼント



近畿中四国ブロック

一般社団法人全国ファブリー病患者と家族の会
会設立20周年記念特別企画



大阪オープンセミナー2022

令和4年12月4日(日) 13:00 ▶ 15:30 (受付12:00 参加者に軽食を用意)

大阪大学医学部附属病院 14階大会議室 〒565-0871 吹田市山田丘 2-15

【総司会】 岡田利江氏 (一般社団法人全国ファブリー病患者と家族の会 副会長)

主催者挨拶 原田久生氏 (一般社団法人全国ファブリー病患者と家族の会 会長)

座長

酒井規夫先生 (大阪大学大学院医学系研究科 保健学専攻 教授)

基調講演

「ファブリー病治療 - 最新情報 -」

衛藤義勝先生
(東京慈恵会医科大学名誉教授・ふくろうの会最高顧問)

教育講演

「ファブリー病の早期診断に向けて」

濱崎考史先生
(大阪公立大学大学院医学研究科 発達小児医学 教授)

教育講演

「慢性腎臓病について考えてみよう！」

藤井秀毅先生
(神戸大学大学院医学部研究科 腎臓内科 准教授)

教育講演

「日本でも一般化しよう。慢性疼痛に対する集学的診療」

三木健司先生
(大阪行岡医療大学 医療学部 特別教授)

全体
討論会

大阪大学大学院医学系研究科 保健学専攻 教授
酒井規夫先生のなんでも相談コーナー
-ぶっちゃけこんなこときいても良いですか? ~ 第8弾~

お問合せ

ふくろうの会

一般社団法人 全国ファブリー病患者と家族の会

〒107-0052 東京都港区赤坂 8-5-9-305

Tel・Fax: 03-5786-1551 /

HP: <http://www.fabrynet.jp>

主催: 一般社団法人全国ファブリー病患者と家族の会 (ふくろうの会)

共催: JIKEI アンダーソン・ファブリー病患者の会 (第24回) / 日本ライソソーム病患者家族会協議会 (J-LSDA)

後援: 会設立20周年特別委員会

(NPO) 日本ライソソーム病研究センター / (財) 脳神経疾患研究所附属先端医療研究センター & 遺伝病治療研究所



ふくろうライブラリー 「本は人生のパートナー」

秋の夜長。食、芸術、スポーツのジャンルから選書しました。

「コンクールシェフ!」 五十嵐 貴久 講談社

作者が、テレビ番組「料理の鉄人」を書籍化する仕事をしていたとのこと。コンクールの決勝進出者6人は、フレンチ(2人)、中華、ポルトガル料理、和食、イタリアンで勝負します。

「十年ぶりに会う友人との夕食、そのひと皿」がテーマです。

このコンクールは、若手料理人の発掘と育成。アシスタントと制限時間内に作る料理。各国の料理の香りや味覚を、リアル感タップリに描かれています。

結果発表での審査の講評が、厳しさの中に優しさがあり、胸が熱くなりました。

「終止符のない人生」 反田 恭平 幻冬舎

日本人として、51年ぶりのショパン国際ピアノコンクール2位の快挙を達成した、反田さんの本です。

サッカー少年だった反田さんがピアニストになるきっかけとは...

5年に一度しか開かれないコンクールが、コロナ禍で1年延期された。ロシアでの留学生活。30歳までしかエントリー出来ない年齢制限の中での決断。コンクールの1次予選からファイナルまでの課題曲。緊張の演奏場面を読んでいると、手に汗が滲んできます。コンサート会場にいるような臨場感を味わえます。

「甲子園に行くのが夢だった 高校野球が教えてくれた大切なこと」

監修者 松坂 大輔 飛鳥新社

コロナ禍は、スポーツ界にも暗雲をもたらしました。高校野球も例外ではありません。

予選会を勝ち抜いても、コロナで本大会が中止になってしまったり、3年生は最後のチャンス。1、2年生でも、翌年に出られるかは、神のみぞ知る... 一生に一度の夢が、台無しになってしまうことにも、なりかねません。

家族や監督との心温まる絆に、今後の彼らの人生にエールを送りたくくなりました。

【本のプチ案内人】

編集後記

- 秋から冬にかけては、体内の熱からくる発熱に悩まされることも減り、一番過ごしやすい季節に感じます。こんな季節にはたくさん散歩して秋を満喫したいですね。(愛知 岡田)
- 秋と言えば私にとっては食欲の秋、桃栗南瓜にさつま芋、梨、葡萄、無花果などあれこれ美味しいものばかりでお初モノを手にするについ食べ過ぎてしまいます。読書の秋では、今回も一生懸命に委員一同各記事を担当し作成しましたので、楽しみにお読み頂けたら嬉しいです。(埼玉 郭)
- 今号より、当会が兼ねてからお世話になっております特定社会保険労務士の佐々木久美子さんから障害年金について、ご教授して頂くことになりました。これを機に、会員の皆様には障害年金を知り、理解し、活用して頂きたいと思います。(大阪 桑原)
- この2年、新型コロナの影響で全国的に色々なイベントが中止しておりました。今年になってからは感染対策をしながら、私の地元でもイベントが開催され始めました。会でも久しぶりの対面でのセミナーを12月に大阪大学で予定しています。やっと皆さんにお会いできると喜んでます。お近くの方は是非ご参加下さい。(香川 岡田)



Better Health, Brighter Future

タケダは、世界中の人々の健康と、
輝かしい未来に貢献するために、
グローバルな研究開発型のバイオ医薬品企業として、
革新的な医薬品やワクチンを創出し続けます。

1781年の創業以来、受け継がれてきた価値観を大切に、
常に患者さんに寄り添い、人々と信頼関係を築き、
社会的評価を向上させ、事業を発展させることを日々の行動指針としています。



訪問医療マッサージ
KEIROW

誤嚥防止訓練にも
取り組んでいます!

ご存知
ですか??

自宅や高齢者施設で
受けることができる



訪問鍼灸・マッサージの事

国家資格を持った施術師が
ご自宅までお伺いいたします。



健康保険適用※
自己負担金額で利用可

高額療養費
対象

介護保険
併用可

※健康保険適用には、医師の同意が必要です。

お問い合わせは下記より! まずはお気軽にご相談ください。



訪問医療マッサージ
KEIROW



0120-558-916

HITOWAライフパートナー株式会社 KEIROW事業部

〒106-0032 東京都港区六本木1-4-5 アークヒルズ サウスタワー

【受付時間】9:30~18:00 【定休日】土・日・祝

KE-055



●

We chase the *miracles* of science to improve people's lives

私たちは人々の暮らしをより良くするため、科学のもたらす奇跡を追求します。

●

サノフィ株式会社

〒163-1488 東京都新宿区西新宿三丁目20番2号 東京オペラシティタワー

www.sanofi.co.jp

sanofi

情熱の先にあるのは より良い治療法の実現

アミカスは、希少疾患とともに
生きる患者さんの生活の質を
より良くすることを使命としています。



FABRY FACTS

医療従事者向けファブリー病情報サイト

ファブリーファクト

検索

**FABRY
CONNECT**

患者さん向けファブリー病情報サイト

ファブリーコネクト

検索

 **Amicus**
Therapeutics®

最先端の治療法で希少疾患に挑む

アミカス・セラピューティクス株式会社

医薬品を通して人々の健康に貢献するために
JCRは、長年にわたって、希少疾病用医薬品の開発に取り組ん
でいます。治療薬を待ち望む多くの患者の皆さんと家族の思いに
一日も早く応えるため、独自のバイオ技術、細胞治療・再生医療
技術を活かした付加価値の高い新薬の開発を進めています。



希少疾病に、
JCRのできること。



JCRの医薬品を、
世界中の患者の皆さんへ。



2022年 会設立20周年 20th anniversary



ふくろう通信

2022年10月号（秋）10/15発行
[4/15・7/15・10/15・1/15発行]

編集長 桑原 裕司
編集委員 矢田 陽子 郭 育子
岡田 利江 倉知 佳徳
齋藤 良枝 岡田 正恵

発行人 原田 久生
印刷所 大圏社 〒101-0024 東京都千代田区神田和泉町 2-33
ホームページ <http://www.daikensha.com>
定期購読に関するお問合せ先 03-5786-1551 13:00～15:00
内容に関するお問合せ先 03-5786-1551 13:00～15:00
広告に関するお問合せ先 03-5786-1551 13:00～15:00

*法律で認められた場合をのぞき、本誌からの無断転載及びコピーを禁止します。

ふくろう 通信



10月号
(通算63号)

全国ファブリー病患者と家族の会
Japan Fabry Disease Patients
and Family Association

一般社団法人 全国ファブリー病患者と家族の会
<別称> ふくろうの会 (JFA)
Japan Fabry Disease Patients and Family Association

【事務所】

〒107-0052 東京都港区赤坂 8-5-9-305
秀和坂町レジデンス
TEL&FAX : 03-5786-1551

<http://www.fabrynet.jp>



定価：500円（税込） 発行：2022年10月15日（土）