

ふくろう通信

2023年
7月号
(通算66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 講演録 簗原哲弘課長 P.5
- 4 会員便り 岡田利江さん P.13
- 5 国内Topics 岡田正恵理事 P.14
- 6 海外Topics 郭育子理事 P.15
- 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.18
- 8 新着情報 P.19
- 9 ふくろうライブラリー P.20
- 10 編集後記 P.20
- 11 お問い合わせ 巻末

巻頭言

「第21期定時総会を終えて」 衛藤義勝先生に感謝! 未知の世界へ!

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）会長
原田 久生



去る5月14日（日）3年振りのシンポジウムを東京慈恵会医科大学1号館3階講堂にて「関東甲信越静岡ブロック／東京シンポジウム2023」を開催しました。学会などは昨年対面式で開催していましたが、患者会はリモートのところが多いのが現状です。そんな中、当日の午前中に第21期定時総会を無事に終える事が出来ました。会員の方々から東京には行かれないがシンポジウムには是非参加したいという要望が多くありましたので、急遽ハイブリッドでの開催となりました。

シンポジウム冒頭で実施した衛藤義勝先生への感謝状授与式は、こうして全国の会員の見守る中で執り行え大変良かったと思います。会設立20周年特別記念講演のスタートは昨年5月イタリアミラノからロバートJデスニック先生「30年間の治療法の発展から私達が学んできたこと」で始まり、最後を飾ったのは衛藤義勝先生の「ファブリー病研究と共に20年一世界に羽ばたく」の記念講演となりました。衛藤義勝先生には長年の労苦に対し感謝の意を表し、これからの患者中心主義の時代に即した新しい医療提供体制を求め、共に歩んでいけることを願っての授与式となりました。

患者会初代会長の佐々木勝弘（享年50）氏から私（原田久生）で5代目となりました。この間、衛藤先生からは変わらぬご指導を賜りました。とりわけ私とは全国5ブロック・7主要地区（仙台・東京・名古屋・大阪・福岡・札幌と那覇は隔年実施）を約10年間毎年セミナー・シンポジウムを重ねてきました。言うなれば全国の患者・家族に、また患者を診て頂いている各医療機関の多くの先生方に直接お会いしてきたのは衛藤義勝先生だけではないでしょうか。今も3つの診療所・研究所を務められ、国内外の学会に積極的に活躍されています。当疾病は遺伝病ですので3代（祖父母、親、孫）診て頂いています。こうした活動以外に早期診断で早期治療への手立てとなるオプショナルスクリーニング（新生児スクリーニング）の全国展開や我が国の遺伝子治療にも取り組もうとされています。

当疾病は昔、40代で亡くなっていましたが、今は一定の摂生をし、酵素補充療法、シャペロン療法等を続けることで60代、70代へと長生きが出来てきています。余病や、内部障害を抱えながらも対症療法を経て、人生100年時代に突入しようとしています。新たな医療提供体制を求めながらファブリー病患者・家族にとっては未知の世界に入っていきます。



衛藤義勝先生(81歳)表彰式



関東甲信越静岡ブロック／
東京シンポジウム2023



最高顧問挨拶

米国遺伝子細胞治療学会に参加して

一般社団法人 全国ファブリー病患者と家族の会 最高顧問
東京慈恵会医科大学名誉教授
衛藤 義勝 先生



今年、新型コロナウイルス感染症も5類に変更緩和され、国際会議などに参加可能となる機会に、最近進歩の著しい遺伝子治療の最新知識を勉強するために、今年5月16日～20日までロサンゼルスで開催された米国遺伝子細胞治療学会に出かけた。会場はロサンゼルスのダウンタウンにある国際会議場（写真1）で開催された。

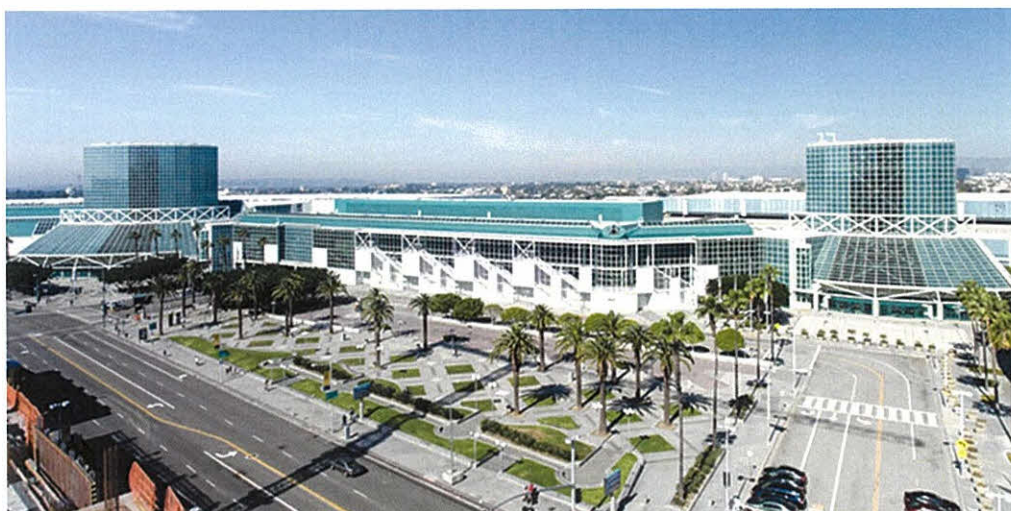


写真1 ロサンゼルス国際会議場の全景

米国の国際会議場はどこも大きく、1会場で5000名近く収容できる会場で、今回の現地参加者は過去最高で1万人近い参加者であった。毎年うなぎ上りの参加人数であり、また100社以上の多くの新興バイオベンチャー会社が、学会会場でブースを出していた。特に目立つのは、遺伝子治療の為にベクター会社が多数出展していたことで、日本の会社では武田薬品工業、アステラス製薬、富士フィルム、テルモ等が出展していた。会場はあまりの人の多さで熱気がムンムンとし、米国の遺伝子治療ビジネスのすごさを肌で感じた。日本はそれに比べると、米国遺伝子細胞治療学会より2年ほど早く設立されたにもかかわらず、この20年間、学会参加者は微増で、多くても700～800人程度の参加者であり、米国の10分の1以下であり、参加人数の増加は日本経済と同じでプラトーである。又わが国は遺伝子治療を支える人材不足で、遺伝病の遺伝子治療研究を進めている大学は自治医大、慈恵医大など数校に限られ、今後遺伝子治療の基礎研究を支える人材育成が急務である。

さて、米国遺伝子細胞治療学会では、今回の遺伝病に対する臨床治験はすでに数百種にのぼる。ライソゾーム病は特に遺伝子治療の臨床治験が進んでおり、ポンペ病だけでAAVベクターでの遺伝子治療が5社、レンチウイルスベクターで2社と多い。ファブリ病もAAVベクター遺伝子治療がサンガモ社を含め5社、レンチウイルスではAvrobio社が先頭を切り5年前から開始していたが、FDAの指摘で一時中止になっている。ゴーシェ病は、数社がレンチウイルスベクターで遺伝子治療のヒト臨床治験を開始している。

ライソゾーム病で唯一遺伝子治療薬として承認されているのは、異染性白質ジストロフィー症であり、EUで2021年に承認され、価格がなんと4億円近い非常に高価な遺伝子治療薬である。この治療はレンチウイルスベクターを用いた遺伝子治療で、EUではすでに数十名治療されている。同じレンチウイルスベクターで、ムコ多糖症I型も遺伝子治療により、大変良い成果がNew England Journal of Medicine に発表されており、近いうちに承認されると思われる。また副腎白質ジストロフィー症（ALD）も米国のブルーバードバイオ社が臨床治験をし、FDAで昨年承認された。そのほかPKUのアミノ酸代謝異常症、糖原病I型 ウイルソン病、OTC欠損症など多数、ヒトでの遺伝子治療の臨床治験が発表された。

写真2は国際会議場の熱気のある風景である。

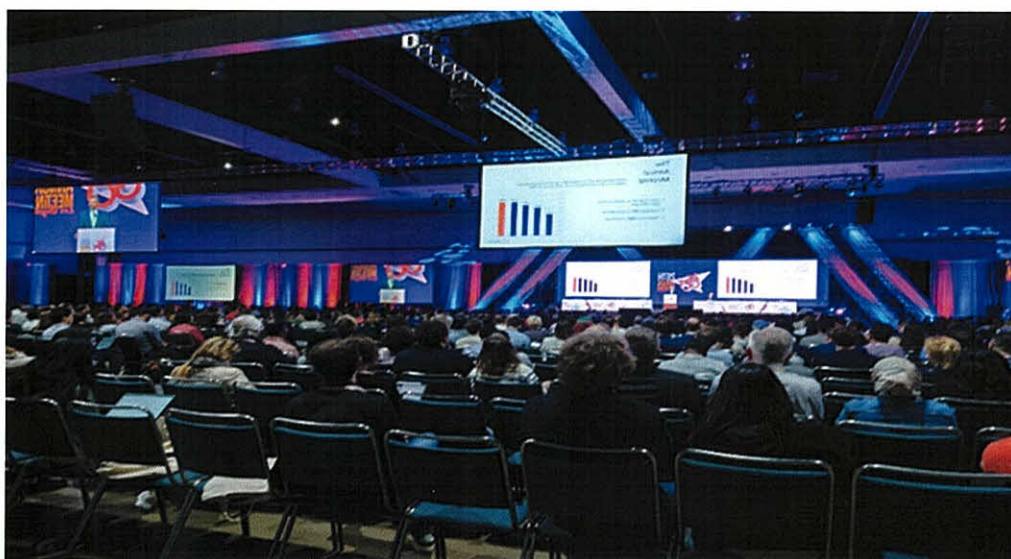


写真2 会場内の風景

今後わが国も、多くの遺伝子治療が外資系製薬会社から紹介され、今までの酵素補充療法に代わり、治療に用いられることが期待される。基本的には遺伝子治療の場合、1回の注射で治療することが可能と思われるが、遺伝子治療の持続期間は患者により異なる可能性もあり今後の成果による。今後数年以内に、日本でも多くの希少疾患で、遺伝子治療が実施されると予想されるが、問題は超高額な遺伝子治療薬の価格であり、現在まで1万種以上の希少疾患のあるなかで経済的問題も無視できない。以上、米国遺伝子細胞治療学会での参加をしての印象記である。

《一般社団法人全国ファブリー病患者と家族の会》

【東京シンポジウム2023】

2023年5月14日 開催

* 講演録 *

「難病・小児慢性特定疾病対策について」

厚生労働省健康局難病対策課
簗原 哲弘 課長




【プロフィール】

- 平成 11 年 4 月 厚生省入省
- 平成 29 年 7 月 厚生労働省大臣官房総務課企画官（健康局総務課原子爆弾被爆者援護対策室長 併任）
- 平成 30 年 4 月 厚生労働省健康局健康課受動喫煙対策推進官（健康局総務課原子爆弾被爆者援護対策室長 併任）
内閣府経済社会システム担当政策統括官付社会システム担当参事官付企画官 兼 同本府高度人材受入推進担当室企画官
- 令和 3 年 9 月 厚生労働省健康局難病対策課長 兼 がん・疾病対策課肝炎対策室長（B型肝炎訴訟対策室長 併任）

難病・小児慢性特定疾病対策について

令和 5 年 5 月 14 日

 厚生労働省健康局難病対策課長 簗原 哲弘

【目次】

- 難病・小児慢性特定疾病対策の法施行5年後見直しについて
- (1) 難病法等の施行5年後見直しに関する検討経緯について …… P.2
 - (2) 難病法及び児童福祉法一部改正法の概要について …… P.3
 - (3) 令和5年度 難病・小児慢性特定疾病対策 に関する予算について(概要) …… P.9

昨年 12 月に可決成立させていただいた難病法、児童福祉法の改正の内容を中心に、直近の予算の内容、また日頃から私が考えていること等をお話しさせていただければと思います。

本日は、難病法等の施行 5 年後見直しに関する検討経緯と、一部改正法の概要を簡単にご説明させていただいた後、令和 5 年度の難病・小児慢性特定疾病対策の予算についてご説明させていただきたいと思っています。

4-① 症状が重症化した場合に円滑に医療費支給を受けられる仕組みの整備

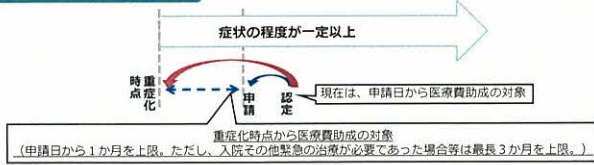
現状・課題

- 現行の難病・小児の医療費助成の開始時期は、申請日。
- 医療費助成の申請に当たって、診断書が必要となるが、診断書の作成に一定の時間を要している実態があり、診断されてから申請にいたるまで時間がかかる。

見直し内容

- 医療費助成の開始時期を、「重症度分類を満たしていることを診断した日」（重症化時点）とする。
- ただし、申請日からの遡りの期間は原則1か月とし、入院その他緊急の治療が必要であった場合等は最長3か月。
※軽症高齢対象者については、軽症高齢の基準を満たした日の翌日以降にかかった医療費を対象とする。

医療費助成の見直しのイメージ



4

まず、医療費助成の前倒しに関して。こちらは審議会等でもお諮りさせていただきましたが、基本的には現状申請日まで（上の図の青い矢印）は遡ることになっているところ、原則1か月までではありますが、重症化時点、医師が重症であると診断した日まで遡るということにさせていただきます。重症化した日の遡りは3か月を上限と考えており、審議会でもそのようにお示しいたしました。また、緊急の治療の必要であったなど、止むを得ない場合は判断事項になってきます。これに関しては、審議会でも国会での審議でもありましたが、自治体によって運用の差がないようにしてほしい、また形式的に判断せず実情に応じた判断ができるように、しっかりとした事例の収集や事前に自治体の窓口のご担当の方にお示しすることで、混乱のない施行にするようにとご指摘を多々いただいている所です。

現状、患者会の方々からもご意見をいただき、自治体の皆様方からも、日々現場でやっている中で、「こういう場合はどこに該当するのか」といったご質問やご意見をいただいています。そういったものを事例にまとめ、夏ぐらいになると思いま

すが、審議会にもお諮りをして、施行に向けた事例を示していきたいと考えています。当然ながら施行後も色々な具体的事例が出てくるかと思いません。そういったものもアップデートしながら、患者の皆様、ご家族の皆様方の実情に応じて医療費助成の前倒しを運用できるように努めていきたいと考えています。

4-② 難病患者等の療養生活支援の強化①

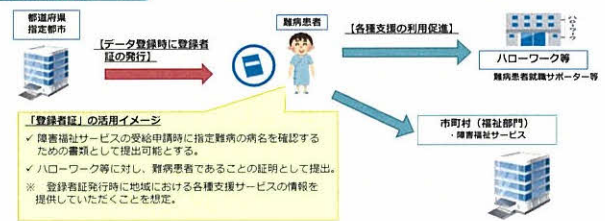
現状・課題

- 指定難病患者は各種障害福祉サービス等を利用できるが、必ずしも認知されておらず、利用を促進する必要がある。

見直し内容

- 福祉、認知等の各種支援を円滑に利用できるようにするため、都道府県等が患者のデータ登録時に指定難病に罹患していることを確認し、「登録者証」を発行する事業を創設。
- これによりデータベースへのデータ登録の促進にも資することが期待される。

登録者証の活用イメージ



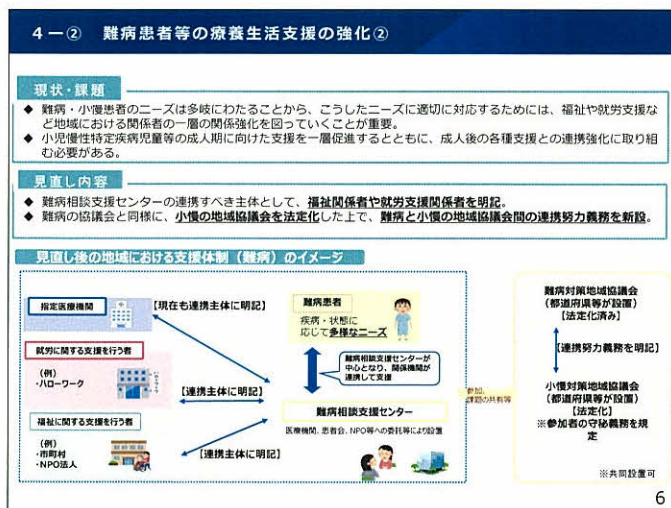
5

続きまして、難病患者等の療養生活支援の強化に関して、登録者証の発行を今回続けさせていただいて、来年4月に施行するというので、現状、ハローワークや障害者総合支援法のサービスを自治体に申請する時に、もともと持っている難病の窓口では当然ながら皆様方を難病の患者様とご認識いただいておりますが、ハローワークや市町村の窓口ではなかなか自分を難病患者やその家族だと示す証明書がないということで、サービスを円滑に利用できないというご指摘をいただきました。

そのボトルネックを解消するという観点から、登録者証を自治体、難病の窓口で発行し、ハローワークや市町村の窓口で障害者総合支援法のサー

ビスを利用する際にご提示いただくことで、円滑なサービスに繋げていくことを目的としています。こちらは原則としてマイナンバーカードとの連携ということで、紙で行うと紛失の可能性もありますし、今は受給者証も限度額の管理表も紙で別途管理いただいていますので、できればマイナンバーカード1枚でサービスが全体的に円滑に終了するようにしたいと考えている所です。

当然ながら難病の窓口等にもしっかり周知をするわけですが、実際に患者の方々にご提示いただく、ハローワークや市町村の窓口でもこの内容についてはしっかり知っていただく必要がありますので、省内の関係部局と連携して、現場に改正の趣旨等が伝わるように検討していただいている所です。

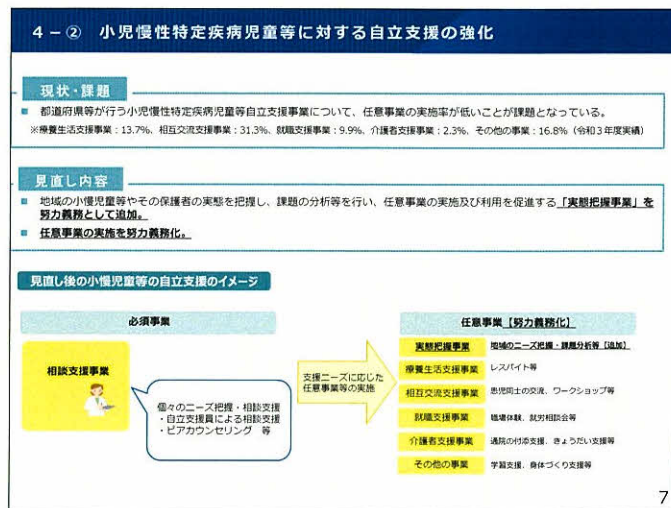


また、療養生活支援の強化に関して、都道府県の支援センター等の強化があります。連携主体とした就労支援、福祉の支援ということを改めて明記するというので、今までは難病の方にはありませんでしたが、小慢の協議会が法律に位置付けられていなかったので、それをしっかり法定化した

上で、移行期の問題もありますので、難病と小慢の協議会をそれぞれ連携するというを法律にしっかり明記させていただきました。

法律に明記しただけでは、実際に協議会の設置に至り、連携することが実行に移されるのかという課題も別途ありますので、法律の施行にあたっては、各都道府県なり各自治体にしっかり趣旨をお伝えすると共に、協議会についてもまだ設置いただけていない自治体が多々ありますので、そういった所に設置をお願いしたいと考えています。

難病と小慢の連携を今までやっていない自治体からすると、どういことをやっていったらいいか白地な所もありますので、事例等を蓄積して自治体にお示ししながら各自治体で、できるだけ同じようなサービス、同じような検討がされるような体制を国としてもしっかりととっていきたいと考えています。



続いて、小慢の自立支援強化に関して。小慢の自立支援事業自体は法律に規定はあるのですが、実施自治体の割合が非常に低いということで、ご家族の方々への支援や患者同士の交流、学習支援

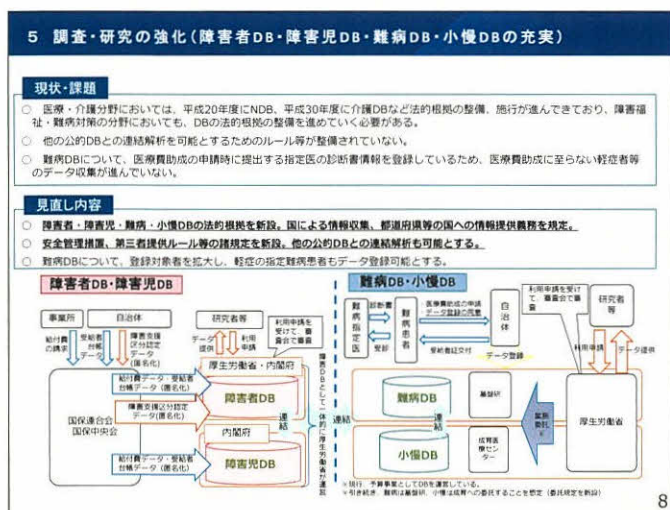
等、まさに小慢特有の支援が多々必要になってくるわけですが、なかなか進まないというのが現状です。

こちらに関しては、小慢の自立支援事業を法律上努力義務として追加することを全体としてさせていただくと共に、当たり前といえば当たり前ですが、自立支援事業の中の1つの中身として、ニーズを把握するというのを位置付けさせていただいています。こちらは後ほど予算の内容でも少し触れますが、法律に書いただけではなかなかすぐにそれに基づいて自立支援事業の実施割合が上向くわけではありませので、国としても自立支援事業の立ち上げ支援を予算上、手当をしています。昨年度は8つの自治体で実施させていただいて、今年度の予算でも同じような事業を続けさせていただいていますので、手を上げた自治体については基本的にお受けして、自立支援事業が各自治体でしっかり実施いただけるような支援も併せて行っていきたいと考えています。

ていましたが、漏洩のリスク等について、予算事業だけだと十分ではないのではないかとといったことや、特に障害の審議会でも議論いただいていたが、難病もしくは小慢の患者様が障害者総合支援法のサービスを使う時に、こういったサービスが実際に使われているのかという実態の分析も行い、患者様に対してどういう支援が必要かを自治体でもしっかり認識した上で、窓口対応をしていく必要があるのではないかとこの審議も行っていただいた所です。

今回の見直しでは、研究のために難病と小慢のデータベースを第三者に提供する際のルールをしっかりと法律上に位置付けています。また、連結の問題もありまして、小慢と難病のデータベースの連結、障害者・障害児のデータベースもできくればそれとの連結も含めて考えていくことが法律上では可能になっていますので、その実施に向けて具体的に検討していきたいと考えています。今まで難病の医療費助成の中で、おそらくデータベースの登録についてご同意いただいている方がだいたい6割くらいだと承知しています。登録いただけない理由としては、実際に登録したデータがどう活用されるかわからない、もしくは個人情報漏洩のリスク、特に難病・小慢の患者様に関してはそこを危惧され、なかなか登録に至っていないという所があると思います。

今申し上げた通り、安全への配慮を法律上しっかりと規定したわけですが、登録していただける可能性のある患者様やご家族の方々にはそれを認識していただく必要がありますので、わかりやすくご説明いただけるようなものを併せて考えてい



調査・研究の強化に関して、今までは難病と小慢のデータベースを予算事業でやらせていただい

きたいと思っていますし、できればもう少しデータ登録を進めて、それが研究に生かされ、最終的には治療法の開発につながるようなデータベースを構築できるように検討し、環境を整備していきたいと考えています。

にも、移行期の問題というのが非常に課題として残っています。

難病・小児慢性特定疾病対策に関する予算について（概要）		令和5年度予算（案）	（令和4年度当初予算増額）
		1,598億円	（1,563億円）
		令和4年度補正予算額	22億円
① 難病患者等への医療費助成の充実 R5予算（案） 1,276億円（1,250億円）			
<ul style="list-style-type: none"> 難病患者に対する医療費助成に必要な経費を確保し、患者の医療費の負担軽減を図る。 （主な事業） ・ 難病医療費等負担金 1,273億円 			
② 難病患者の社会参加と難病に対する国民の理解の促進のための施策の充実 R5予算（案） 12億円（12億円）			
<ul style="list-style-type: none"> 地域の様々な支援機関と連携した相談支援体制の構築などにより、難病患者の長期療養生活上の悩みや不安を和らげ、就労支援を推進するため、相談支援センターへの専門職の配置等への支援を行うとともに、難病についての理解を深める取組を推進し、難病患者が社会参加しやすい環境の整備を図る。 （主な事業） ・ 難病相談支援センター事業 6.7億円 			
③ 難病の医療提供体制の構築 R5予算（案） 8.7億円（9.5億円） R4補正予算額 5.2億円			
<ul style="list-style-type: none"> 都道府県における難病の医療提供体制の拠点となる難病診療連携拠点病院を中心とした連携体制の構築等に対する支援を行う。 （主な事業） ・ 難病医療提供体制整備事業 5.5億円 			
【一部R4補正】 難病指定医が勤務する医療機関のオンライン化支援事業 2.9億円、【R4補正】 5.2億円			

難病・小児慢性特定疾病対策に関する予算について（概要）		令和5年度予算（案）	（令和4年度当初予算増額）
		183億円	（179億円）
		令和4年度補正予算額	22億円
④ 小児慢性特定疾病対策の推進 R5予算（案） 183億円（179億円） R4補正予算額 1.8億円			
<ul style="list-style-type: none"> 慢性の疾病を抱える児童等に対する医療費助成に必要な経費を確保し、患者の医療費の負担軽減を図る。また、慢性の疾病を抱える児童等の自立を促進するため、療養生活に係る相談や地域の関係者が一体となった自立支援に対する支援を行うほか、先天性異常等に罹患している児童等が必要としている特殊ミルクの供給に対する支援の強化等を行う。 （主な事業） ・ 小児慢性特定疾病医療費負担金 167億円 ・ 小児慢性特定疾病児童等自立支援事業費負担金 9.2億円 ・ 代謝異常児等特殊ミルク供給事業 2.8億円 ・ 移行期医療支援体制整備事業 34百万円 			
【一部R4補正】 小児慢性特定疾病指定医が勤務する医療機関のオンライン化支援事業 1.0億円、【R4補正】 1.8億円			
⑤ 難病・小児慢性特定疾病等に関する調査・研究などの推進 R5予算（案） 119億円（113億円） R4補正予算額 15億円			
<ul style="list-style-type: none"> 難病等の研究を総合的・戦略的に実施するため、全国規模の指定難病・小慢データベースの充実を図り、難病患者・小児慢性特定疾病児童等の情報の円滑な収集を進めるとともに、この情報を活用するなどして、疫学調査、病態解明、治療法の開発（遺伝子治療、再生医療技術等）等に関する研究を行う。 （主な事業） ・ 難病等研究の推進のための患者データ登録整備事業等 12億円、【R4補正】 5.5億円 ・ 難病等制度推進事業 45百万円 ・ 難病ゲノム等情報利活用検証事業 3.3億円 ・ 難病性疾患政策研究事業／難病性疾患実用化研究事業 107億円、【R4補正】 6.0億円 			
【一部R4補正】 難病指定医が勤務する医療機関のオンライン化支援事業 2.9億円、【R4補正】 5.2億円			
（注1）計数は、それぞれ国庫入によっていて、国庫において合計と合致しないものがある。（注2）計数は、他県、デジタル庁計上分を含む。			

最後に予算についてですが、医療費に関しては従前通りしっかり確保させていただいています。同様に、福祉の関係、難病相談支援センターの事業等へもしっかり今年度予算で確保させていただいています。また、医療提供体制についても、難病連携ネットワークの各医療提供体制を構築するという事等も併せて、引き続き予算をしっかりと確保するという事を令和5年度も行っていただいています。

1つの問題としては、難病の制度と小慢の制度が異なるということで、小慢の制度としては対象疾病に入っていたものが難病に移行すると対象疾病から外れるといったことがあると思いますが、こちらはそれぞれの制度趣旨がありますので、越えるべきハードルがかなり高いと考えており、従前からご説明させていただいているところです。

難病・小慢の方では、先ほどお話しした自立支援事業の強化や、特殊ミルクの供給事業についてもしっかりと予算を確保させていただいています。また、移行期の医療支援体制整備事業に関して、こちらは調査研究という形で昨年度から開始したところです。そして、これは法律改正の中身ではありませんが、2015年1月に法律を施行した時

それ以外に、移行期の医療提供の問題は各地域でそれぞれ取り組んでいただいている所ではありますが、各病院任せになっていたり、医療の問題だけがどうしてもクローズアップされますが、当然ながら患者様やご家族の皆様は生活者ですので、移行期を迎えるにあたって、医療だけでなく就労や就学といったライフステージごとに考えておかなければいけない課題やステップがあります。

これまでは移行期医療ということで厚生労働省として検討してきたということもあって、一人の生活者という視点で他の支援もしくはサービス、

または就労する上で何が必要かという所を、周辺としてしっかり支援していくことが、移行期の問題としてクローズアップされず、正直、力を注いでいなかったというのは反省している所です。

事業としては移行期医療と書いていますが、医療に関わらず、そういったものが医療機関にかかっていく中で、患者様やご家族が今後の就労や就学はどう向き合っていくかという心構えや、それをいつの段階からやっていくのかといった所のモデルが、できていくことが重要なと思います。それぞれの病院で取り組んでおられる所もありますが、我々もそういったものを集積して、各地方で色々なやり方があり、これが正解だというものはないかと思いますが、各自治体が工夫して色々なやり方ができるように事例を示せるようにしていきたいと考えています。そういう意味では、今年度は移行期医療支援事業として、そういう多岐にわたる患者様やご家族が直面する課題について何ができるか、という所をしっかりとやっていきたいと思っています。さらに、難病の調査研究に関しても今まで通りやっていきます。難病のゲノムに関しても進めているところです。

今は調査研究という形ですが、いよいよ与党の議論でもそれを実際の医療に繋げていくために、どういう体制なり制度が必要になるか、小慢の場合だと、未診断の患者様にゲノム医療を活用して診断に繋げていく所が考えられるわけですが、それを例えば保険の適用にしていけるためにどういう課題があるか、診断しただけでは治療法がない疾病である場合も多々あり、そういう診断に直面したご家族へのフォロー体制が当然必要になってく

るわけです。単純に医療として診断して終わりではなく、その後、患者様なりご家族をフォローできる体制として、そういう診断をできる医療機関はどうあるべきかということも併せて検討していかなければならない状況です。

難病のゲノムに関してはずっと研究を続けてきましたが、いよいよそういう段階に近づいているということです。ここはしっかり力を入れて、患者様やご家族のご意見も伺いながら進めていきたいと考えています。

難病等制度推進事業		令和5年度予算額 (令和4年度当初予算額) : 45百万円 (45百万円)	
事業目的			
■ 難病対策等の見直しの議論の中で、今後検討すべきとされた小児慢性特定疾病児童等自立支援事業や移行期医療支援体制について、その整備状況等の把握や課題の分析、実態把握等の調査研究を行い、制度の更なる推進を図るとともに、その成果を政策立案等に活用する。			
事業内容 (令和4年度実績)			
事業名	事業の内容	成果の内容	参考：令和5年度事業内容 (案) (※1)
小児慢性特定疾病児童等自立支援事業	・小児慢性特定疾病児童等自立支援事業(以下「自立支援事業」)については、意見書 ^(※2) において、更なる実施法の向上の観点から事業の具体的な立上げ支援など、さらに一歩踏み込んだ国の取組が必要とされている。 ・これを踏まえ、支援を希望する自治体に対し、立上げ等に際する専門的知識を有する者の派遣や令和3年度に作成した実態把握調査の引き継ぎの活用等により、自治体における円滑な事業の立上げを支援。	・令和3年度に引き続き、検討委員会を立ち上げた上で、8県市に対して、それぞれ自立支援事業の実施状況等に即した支援を実施。 ・具体的な支援内容は、令和3年度の同事業で決定した実態把握調査の引き継ぎ書を活用した各県市のニーズ把握調査の実施・回診の分析、及び当該分析に係る施策の提案が行われたほか、希望する自治体に対して、検討委員会の委員をアドバイザーとして派遣等。 ・支援した県市において、本事業により提案された施策の全部または一部を、令和5年度に予算化する方向で検討を進めているほか、その他の都道府県市において、自立支援事業の立上げを行う際に参考となる手帳マニュアルを策定。	・令和4年度の支援を通じて明確になった論点 ^(※3) の整理等を行うとともに、別の自治体を対象として、令和4年度と同様の支援を実施。
移行期医療支援体制実態調査	・小児慢性特定疾病児童等が、思春期・成人期を迎えるに伴い、小児科から成人診療科へ移行する際の転科対応や、都道府県に対して、移行期医療を総合的に支援する機能(移行期医療支援センター)の整備を求めている。 ・当該センターが全国で7都府県の位置に留まっている(令和4年2月時点)ことなどを踏まえ、移行期医療支援の充実のための必要な基礎情報の整理を行うための調査を実施。	・検討委員会を立ち上げた上で、7センターへのアンケート調査による実態把握のほか、在宅医療に尽力している医療従事者や患者家族会の代表等に対してヒアリングを行い、移行の失敗事例の把握等を通して、移行期医療支援を行っている現場で生じている課題を整理。	・令和4年度の調査を通じて把握した課題等の解決のための方策(案)を検討し、調査内に立ち上げた検討委員会での議論を踏まえ、一定の方策(案)を提示し、その実施性の検証等を実施。

11

先ほどお話したように、小慢の自立支援事業立ち上げ支援を昨年度は8つの自治体でやらせていただき、色々なモデルを構築しました。今までなかなか実施いただけていなかった自治体で実行に移すべく、各種の支援ができたと思いますが、今年度も引き続き同様の事業を新たな自治体に申請していただいて、しっかりやっていただけるように支援していきたいと考えています。移行期の話は先ほど申し上げた通り、医療だけではなく各種全般的な体制で臨めるように考えている所です。

今の予算に十分含まれていない内容については、現在「医療DX」というのを進めています。ご案内の通り、保険証をマイナンバーカードに統合していくということで、来年秋の完了を目指して進めていただいている所です。

一方で、難病・小慢等の公費負担医療に関しては、保険証と別に医療受給者証というのが自治体から交付されており、これは紙でそれぞれ管理していただいている所です。こちらは保険証がマイナンバーカードに統合された後も紙で残ってしまうという問題がありますので、今年度から少しモデル的に先行実施させていただいて、手を上げていただいた自治体でマイナンバーカードの保険者証を活用して、資格が確認できるような事業を進めていきたいと思っています。こちらはデジタル庁と連携して行う予定です。受給者証のエンドユーザーである患者様なり、ご家族の方々が使いやすいような形にもっていけるように、まずはモデル事業としてデジタル化を行っていきたくと思っています。それに併せて、限度額管理表が紙でありまして、現状は受給者証に貼り付けてお持ちいただいていると思いますが、こちらでもデジタルで管理できるように、どういう方策があり得るかを検討している所です。できれば併せてモデル事業の中でできればいいなと考えています。現状まだ出口が見えておりませんが、こちらもしっかりと検討していきたいと思っています。

全般的に、医療、福祉、就労支援含めて、患者様ご本人またご家族の方々のご意見が非常に重要です。そういった方々がサービスとして使いやすいように、また制度としてはできていても、ちょっ

とこの辺りがうまくいっていないとか、各自治体間で差があって、この地域ではなかなかうまくいっていないとか、連携として医療機関と自治体でなかなか共有できていない部分がある等、それぞれの地域で出てくるかと思います。

そういったものに1つ1つ丁寧に対応して、患者様なりご家族の皆様が円滑にサービスを利用できるような環境を各地域で作っていくためには、日頃から患者会の皆様としっかり意見交換しながら、日々起きている事象を行政としてしっかり把握しておくことが必要だと考えています。

ご静聴ありがとうございました。



ぜひとも引き続きご協力をお願いしたいと思います。ご清聴ありがとうございました

》～会員便り（北から南から）～

自分達で切り開く

近畿・中四国ブロック JFA 会員 岡田 利江さん

私が体に異変を感じたのは、中学3年の夏、炎天下で部活動のテニスをしていた時でした。強烈な足の指の痛みを感じた時、それは私が小さい時から見てきた兄と同じ痛みだと思いました。それまでの私は外で走りまわるのが大好きな子供でした。そしてその痛みを初めて経験した頃、部活仲間と同じ事をしているのにみんなと比べて汗の量が少ない事も感じました。また、いつも痛みで苦しんでいる兄と遺伝的なものを感じました。その時はまだ病名はわかっていませんでした。その頃の兄は、いくつかの病院で検査をしても痛みの原因、汗が出ない原因もわからず、体質だと言われて過ごしていたので私も病院に行く事もしませんでした。その頃から体を動かさなくてもできる仕事を兄も私も考えた記憶しています。

それから私は結婚、息子、娘が産まれました。息子が小学3年の時、兄と同じ様に足の指の痛みを訴えてきました。兄と同じく、その頃かかっていた総合病院小児科の先生に話しましたが検査もしないままでした。体にある赤い点に気づいてくれても、それがファブリー病の被角血管腫だと気づく先生方はいらっしゃいませんでした。それから小学校、中学校、高校でクラスが変わる度に担任の先生、保健の先生、中学、高校と進学する時は校長先生にも直接あって特に夏の過ごし方をお願いしてきました。高校を受験する時は、希望する高校に出向き、先生にお会いして症状を説明し、受け入れてくれるかを確認して受験しました。

そして息子が高校に入った夏、足首にできた潰瘍がきっかけで医大に行くことになり、他の症状もあることから春休みに検査入院したことで、ファブリー病がわかりました。息子が高校2年のときでした。検査入院では、異常はわからず退院を提案されましたが、何度もお願いして、追加の検査をしていただき、やっとファブリー病だとわかりました。県で初めてのファブリー病患者となり、そこから兄、私もファブリー病とわかりました。兄が症状を訴えてから37年かかりました。その頃に全く情報が無い中、こちらの患者会を知り本当に救われました。

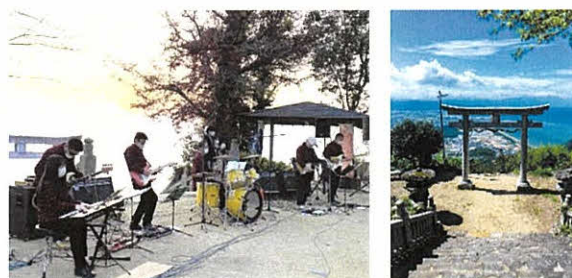
我が家は現在、私と子供2人の3大家族です。毎年開催される東京シンポジウムは旅行も兼ねて楽しみに参加しています。そこで直接、専門の先生方にお会いしてお話できたことは、私達家族が前向きに生きて行く勇気をいただくきっかけになりました。また患者の方々との交流も楽しみのひとつになりました。

ファブリー病と付き合っていくにあたり、何の仕事をするかはとても重要です。私は兄、私の事もあり、息子には症状の出た小学生ころから将来について選択肢が多いように勉強、大学の話は常にしていました。ただ、母子家庭ですので早くから塾に通うことはできず本人の意思と努力で将来を考えて頑張るように常に助言をしてきました。

私家族はファブリー病ですが、ファブリー病がわかったから東京に行けた、ファブリー病だから素晴らしい先生方に会えた、全国に仲間や知り合いもできた、と思っています。これからも毎日を笑顔で過ごせるように頑張っていこうと思っています。



コロナ前の東京シンポジウムにて



天空の鳥居にてライブ

関東甲信越静ブロック 東京シンポジウム 2023 開催報告

2023年5月14日(日) 13:00～15:40 東京慈恵会医科大学1号館3階講堂

前日から降り続いた雨もあがり、少しひんやりとした清浄な空気に包まれた東京慈恵会医科大学の講堂で、東京シンポジウム2023を開催しました。新型コロナウイルス感染症も5類へと移行し、完全対面での開催をしやすくなり、会場へは約70名の方に足をお運びいただきました。ZOOMでの配信も同時に行い、こちらは約30名の方に視聴していただきました。



撮影準備中



受付の様子



たくさんの方にご来場いただきました

患者会を20年以上にわたり支えてくださっている衛藤先生へ 患者会より感謝状と記念品を贈呈

衛藤先生からは、医療者も患者と同じ目線で活動できるよう講演活動などを通じて患者に分かり易く話す努力が必要であり、また希少疾患に対する啓発活動が必要であることをお話しいただきました。患者、製薬会社、医療者、行政が一体となって成長していくことが大切と、長きにわたり医療や患者に人生を捧げられた先生の、次世代に繋いでいく、みなさんへの熱いエールでした。



★ 講演録は順次ふくろう通信にて掲載予定です ★

「ファブリー病研究と共に20年～世界に羽ばたく」

講演：衛藤義勝先生

(全国ファブリー病患者と家族の会最高顧問)

(東京慈恵会医科大学名誉教授)

司会：奥山虎之先生

(埼玉医科大学ゲノム医療特任教授)

(厚生労働科学研究難治性疾患政策研究事業

ライソゾーム病研究班研究代表者)



「患者中心の医療に求められるもの」

講演：中山和弘先生

(聖路加国際大学大学院看護学研究科

看護情報学分野教授)

司会：小林正久先生

(東京慈恵会医科大学小児科准教授)



「難病・小児慢性特定疾病対策の見直しについて」

講演：蓑原哲弘氏
 (厚労省健康局難病対策課 課長)
 司会：原田久生氏
 (ふくろうの会会長)



「各科専門医が緊密に連携したファブリー病診療」

講演：家田真樹先生
 (筑波大学循環器内科教授)
 司会：大橋十也先生
 (東京慈恵会医科大学医学部看護学科教授)



「大橋十也先生のなんでも相談コーナー」

シンポジウム終了後に懇親会をおこないました



ここ3年ほどはリモートでしか交流できずにいた患者会でしたが、懇親会では、久々にお会いできる方、初めてお会いできる方など、たくさんのお会いと交流の場となりました。また登壇していただいた先生方にも懇親会にご参加いただきました。とても気さくで研究熱心で患者思いの先生方ばかりで、患者からの質問などにも丁寧に応じていただきました。

シンポジウム開催にあたり、ご参加いただいた方々、ご協力いただいた全ての方々にお礼を申し上げます。

海外 Topics

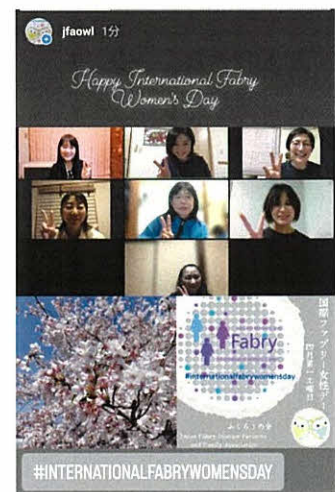
(海外担当理事 郭 育子)

①開催報告：International Fabry Women's Day
 国際ファブリー女性デー
 2023年4月1日第1土曜日

今年は、ファブリー病啓発期間の第一日目、国際ファブリー女性デーに合わせ、日本にて当会初の開催を4月1日に試みました。

日本各地在住の女性がオンラインで夜に集い、自宅ならではのオンラインの利点も生かし、少人数でリラックスして自分のお気に入りなどをカメラの前で見せ合ったり、和やかな雰囲気テーマについて楽しくおしゃべりしました♪女性だけのおしゃべり会もこれから時々開きますのでお気軽にご参加下さい。

【お問い合わせ】newsfukuro@gmail.com
 次回のおしゃべり会のご案内をさせていただきます。



【4月23日(第3日目)最終日】

- GLA 遺伝子 ファブリー病と女性

ジャーメイン教授 / フランス

- 遺伝子治療

ヒューズ教授 / イギリス

< パネル討論会 >

- ファブリー病変異の例 (D313Y) の捉え方

ウィルデン先生 / ドイツ

- 腎臓病の最新

オーティズ先生 / スペイン

- ファブリー病と栄養学の実践

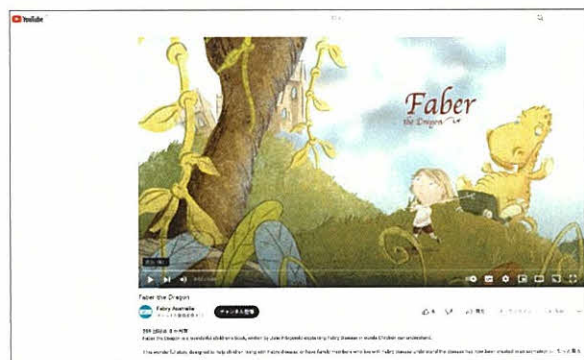
カンワール先生

- ファブリーオーストラリアの活動

絵本からアニメーション動画へ ダイアン ワリーン氏

ファブリー病の男の子のおはなし動画 Faber the Dragon

<https://youtu.be/6dMsoiXqqdk>



上記の4段ケーキの写真は、オランダ患者グループ FSIGN 20周年記念(2021年)のお祝いで提供されました。(壊してしまうのが勿体ない程でしたが、飾りではなく実際休憩時間に切り分けてみなさんと美味しくいただきました。)

元々ファブリー病の子供が自分の身体の事を学校で先生やクラスメートに簡単に説明できるように、この絵本が作られたと聞きました。今度は、アニメーションで声と音楽が付き更にアップグレードされています。

3日間を通して、三年振りに懐かしい仲間達と再会、新しい方との新しい繋がりができました。オンラインでは姿を拝見していましたが、やはり直に握手をし、お互いの活動を讃え合い再会を喜べたことは非常に感慨深い気持ちでした。

オランダの患者会からは、特に在宅治療の先進的取り組みで大きな力を頂き、お陰で日本の状況も少しずつ前進し感謝の気持ちを直に届けられた事も大きな成果がありました。この数年 FIN の課題であった若者層の新たな参加プロジェクトにおいては、コロナ禍でデジタル世代はとて遅く、世界中の若者たちが集える場所がオンライン上で確実に強くつながり構築されつつある報告がされました。(ついに6月中旬には、対面での若者向けの集いがバルセロナで初開催されました。)

今回のエキスパートミーティングでも、参加者の若い世代の存在感が増し、活発に彼らから今後患者会がどうあったら参加したいかなど、次世代の取り組みをみんなで考える試みも始まりました。日本からも是非そんな若者が今後はこの貴重な場所に繋がっていけるよう、みなさんと考えていければと感じます。この場には、患者や家族だけでなく協力パートナー企業の方、医師、研究者、ファブリー病や遺伝学の専門家、ソーシャルワーカー、他のライソゾーム病団体など多種多様な方が一気に集合します。それぞれの立場は違っても、これからファブリー病の環境を良くしたいという気持ちは1つになっています。そして、若者だけでなく多くの国の様に日本からも数名のチームで次回はこの素晴らしいネットワークに加わっていけるように望みます。

今年のファブリー病啓発月間のテーマ



「ファブリーヒーロー：キャンペーン」
特設コーナーで参加体験

特定社会保険労務士による障害年金のお話：④

～ 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



前号「障害年金の仕組み」で説明しなかった専門用語を今回は取り上げますが、その前に年金は保険であること、すなわち事前に保険料を納めていたから保険事故＝給付事由（老齢・遺族・障害）が生じたときに「給付である年金」が支給されることをご理解ください。傷病が生じてから保険料を納めても障害年金は支給されず、手帳・手当・税制と大きく異なる点です。

◎初診日

この言葉は今まで1回も出ていませんが、障害年金の手続きでは絶対に理解が必要です。国民年金法では「初めて医師又は歯科医師の診療を受けた日（以下「初診日」という。）」と定められていて、「診断がついた日」ではありません。誤解している医師もいらっしゃるの、要注意です。

どの制度で手続きするのかが初診日で決まります。20歳前なら国民年金、でも長い間症状が出ていなかったら厚生年金というように、経過によっても、どこを初診日にするか悩む病気（例えば網膜色素変性症）もあります。ファブリー病も症状の出方によっては、検討を要する可能性があります。

中には体調不良で会社をやめて無職になってから病院に行く方がいますが、症状が出始めた厚生年金の時に病院に行っていれば厚生年金で請求できたのに……ということになります。

長期に亘る疾患は、初診日を証明すること自体が困難だったりします。病院を変わる場合に常に診療情報提供書（いわゆる紹介状）を持参していれば問題はありません。

障害年金は提出する書類で診査（法律で使用されていて、審査ではありません）され、初診日の特定から始まります。生物学的・医学的な初診日と異なる日が、障害年金上の初診日となることもあります。20歳以後の期間について保険料納付又は免除申請していて未納がなければ、診断書や病歴・就労状況等申立書の内容を踏まえ、どこかを初診日として取り扱われます。

◎障害認定日

国民年金法では障害認定日とは初診日から1年6月を経過した日と定められていて、初診日が令和5年6月21日なら障害認定日は令和6年12月21日となります。傷病が生じ、病院で問診・聴診・打診等の後に諸検査を受け、診断されます。初日に病名が定まらないことは多々あり、決まることで治療が施行されます。時には特定の薬が効いたことをもって病名が固まることもあります。

1年6月経過して後遺した障害について、障害年金を手続きすることとなります。交通事故で足を切断したような場合は切断日が障害認定日となり、他にも1年6月を待つ必要のない傷病があります。

傷病が生じる前から障害年金制度を知っていれば障害認定日前から準備して障害認定日以後に診断書を作成してもらうことも可能です。

でも大半の方は障害年金制度を知らず、あとから手続可能なことを知ります。そうした時には①障害認定日と②請求日で診査してもらえますが、各々診断書が必要となります。障害年金の診断書には日常生活や労働の支障も記入しなければならず、②請求日であれば直ぐに説明すれば済みますが、過去である①障害認定日については今説明しても診療録＝カルテに追加することはできません。

あとからの障害認定日請求で支給されるのは、休職していた、手帳申請・民間保険請求のための診断書を作成していたような日常生活や労働の支障が記録されているケースです。

私は障害認定日請求を依頼されたときは、「ダメ元」とはっきり伝えていますが。医師にしてみれば当時に具合がそんなに悪かったと聞いていないという状況で、変えられない過去はあるのです。

金額が高いからと厚生年金での手続きにこだわる方がいますが、一概に有利とは言えません。同じような診断書が、国民年金だと2級、厚生年金だと3級に決定されるような現況があります。次号では「障害の程度」について法令を含め解説します。

【連絡先】：佐々木久美子社会保険労務士事務所 sasakikumiko@nifty.com

新着情報

サテライトシンポジウム ～遺伝病遺伝子治療シンポジウム 2023～ 開催

2023年9月9日(土) 午後2:00～6:00
東京慈恵会医科大学にて 参加費無料

◆衛藤先生が主催・企画され、日本における遺伝子治療の最新情報について、先生方がご講演されます。この機会に是非、ご関心をお持ちの方、また東京近辺の方なども、奮ってご参加下さい。

なお、ご不明点などございましたら、下記連絡先までお問合せください。

電話/FAX: 03-5786-1551 携帯: 080-5720-2085 (原田)

**国際ライソゾーム病フォーラム
日本遺伝子細胞治療学会 (JSGCT)**
～サテライトシンポジウム～遺伝病遺伝子治療
シンポジウム 2023～

テーマ: 我が国の遺伝病遺伝子治療-基礎と臨床


日付: 2023年9月9日(土) 午後2:00～6:00
会場: 慈恵大学 2号館 3階 B会議室

主催: NPO法人日本ライソゾーム病研究センター&国際ライソゾーム病フォーラム

～プログラム～ 参加費無料

2:00-2:10	開会挨拶	衛藤 義勝(財法人脳神経疾患研究所先医療研究センター長・慈恵医大名誉教授)
2:10-2:40	特別講演 I	司会 大橋 十也(慈恵医大医学部看護学科・健康科学疾病治療教授) 遺伝子治療の最近の進歩—概説 小澤 敬也(自治医科大学難治性疾患遺伝子細胞治療開発講座・客員教授・名誉教授)
2:40-3:10	特別講演 II	司会 山形 崇則(自治医大小児科前主任教授・栃木県立リハビリテーションセンター長) ゲノム編集治療の最近の動向: RECENT ADVANCES IN THERAPEUTIC GENOME EDITING 三谷 幸之介(埼玉医科大学医学部ゲノム医学研究センター 教授)
3:10-3:30	司会	小林 博司(慈恵医大・総合医科学研究センター遺伝子治療部教授) レンチウイルスベクターによる遺伝子治療: GENE THERAPY TARGETING HEMATOPOIETIC STEM CELLS FOR LSD 嶋田 洋太(慈恵医大総合医科学研究センター遺伝子治療部講師)
3:30-3:50	司会	奥山 虎之(埼玉医大ゲノム医療科特任教授) ムコ多糖症遺伝子治療: EX VIVO GENE THERAPY FOR MPSII 樋口 孝(慈恵医大総合医科学研究センター遺伝子治療部講師)
3:50-4:10	司会	村山 圭(順天堂大学難治性疾患診断・治療学講座教授/千葉こども病院代副科) AAVベクターを用いた遺伝子治療研究—AACD遺伝子治療 小島 華林(自治医大小児科准教授)
	休憩	(10分)
4:20-5:00	特別講演 III	司会 小坂 仁(自治医大小児科主任教授) 神経疾患のAAVベクターを用いた遺伝子治療 村松 慎一(自治医科大学オープンイノベーションセンター 神経遺伝子治療部門特命教授)
5:00-5:50	特別講演 VI	司会 衛藤 義勝(財団法人脳神経疾患研究所、先端医療研究センター長・慈恵医大名誉教授) 新しいAAV遺伝子治療ベクターと臨床応用 PROF. HILDEGARD BUENING(欧州遺伝子細胞治療学会前会長、ハノーバー大学教授)
5:50-6:00	閉会挨拶	小林 博司(慈恵医大総合医科学研究センター遺伝子治療部教授)

事務局: (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(センター長 衛藤 義勝)
〒215-0026 川崎市麻生区古沢都古255 TEL:044-322-0654


**ふくろうライブラリー
「本は人生のパートナー」**

今春、若田光一さんが宇宙から帰還されました。

「一瞬で判断する力」 私が宇宙飛行士として磨いた7つのスキル 若田 光一 日本実業出版社

閉鎖空間、ストレス環境下での宇宙飛行士の任務遂行する為には、過酷な訓練に耐え抜かなければなりません。頭脳だけではなく、体力も必要。コミュニケーション力などなど……

心身の健全さの大切さを痛感しました。ストレスと上手につきあいながら、プレッシャーを味方にする。宇宙 飛行士のメンタルは強靱です。

女性におすすめの本を紹介します。

「闘いの庭・咲く女・彼女がそこにいる理由」 ジェーン・スー

ジェーン・スーさんが俳優、タレント、美容家など13人の女性から聞いた、週間WOMAN掲載を収録した本です。

私が特に注目した2人の女性は、君島十和子さんと田中みな実さんです。

君島さんは、1995年にデザイナー君島一郎氏のご子息と婚約。ご主人の複雑な家庭環境が報じられ、結婚時はTVや週刊誌など、大々的に取り上げられました。

田中さんは、「ぶりっ子」「あざとい」など、嫌いな女子アナ1位にも選ばれたり、常に注目されている女性です。お2人の今に至る迄の人生、意外な素顔などタフに生きている、正に闘って咲いた女性です。

「成瀬は天下を取りにいく」 宮島 未奈 新潮社

地元で唯一のデパートの閉店を知り、女子高生が夏休み中にある行動を起こします。同級生も協力してくれたのに、願い叶わず……

それにもめげず、次は2人でM-1グランプリに出ることになります。その他にも、色々なことに挑戦していきます。最後は、2人の友情にホロリとさせられます。

【本のプチ案内人】

編集後記

- オランダで有名なチューリップの花言葉は思いやりだそうです。最近は多様なカラーが楽しめますね。 (埼玉 郭)
- 暑い夏がやってきました！毎年夏になると、もぎたての新鮮なトマトをたっぷり使い、香味野菜の香りがクセになるピリッと辛いサルサソースを作りたくなります。厳しい夏は美味しく楽しく乗り切りたいですね。 (愛知 岡田)
- 私達患者にとっては厳しい季節が今年もやってきました。今年は少し大きめの日傘を買い、外歩きも準備OKです。室内ではエアコンを上手に使って乗り切りたいと思っています。 (香川 岡田)
- 7月27日は何の日かご存知ですか？私の大好物「スイカの日」です。スイカの皮の縞模様を綱に見立て、「夏の綱(な(7)つのつ(2)な(7))」と呼ぶ語呂合わせが由来で、この日が記念日となったそうです。「絶妙な甘さ、みずみずしい食感が美味しいスイカ。今年もたくさん食べるぞー。」 (大阪 桑原)



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

〒108-6215 東京都港区港南2-15-3 品川インターシティC棟

【受付時間】9:30~18:00 【定休日】土・日・祝

KEI-55



●

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

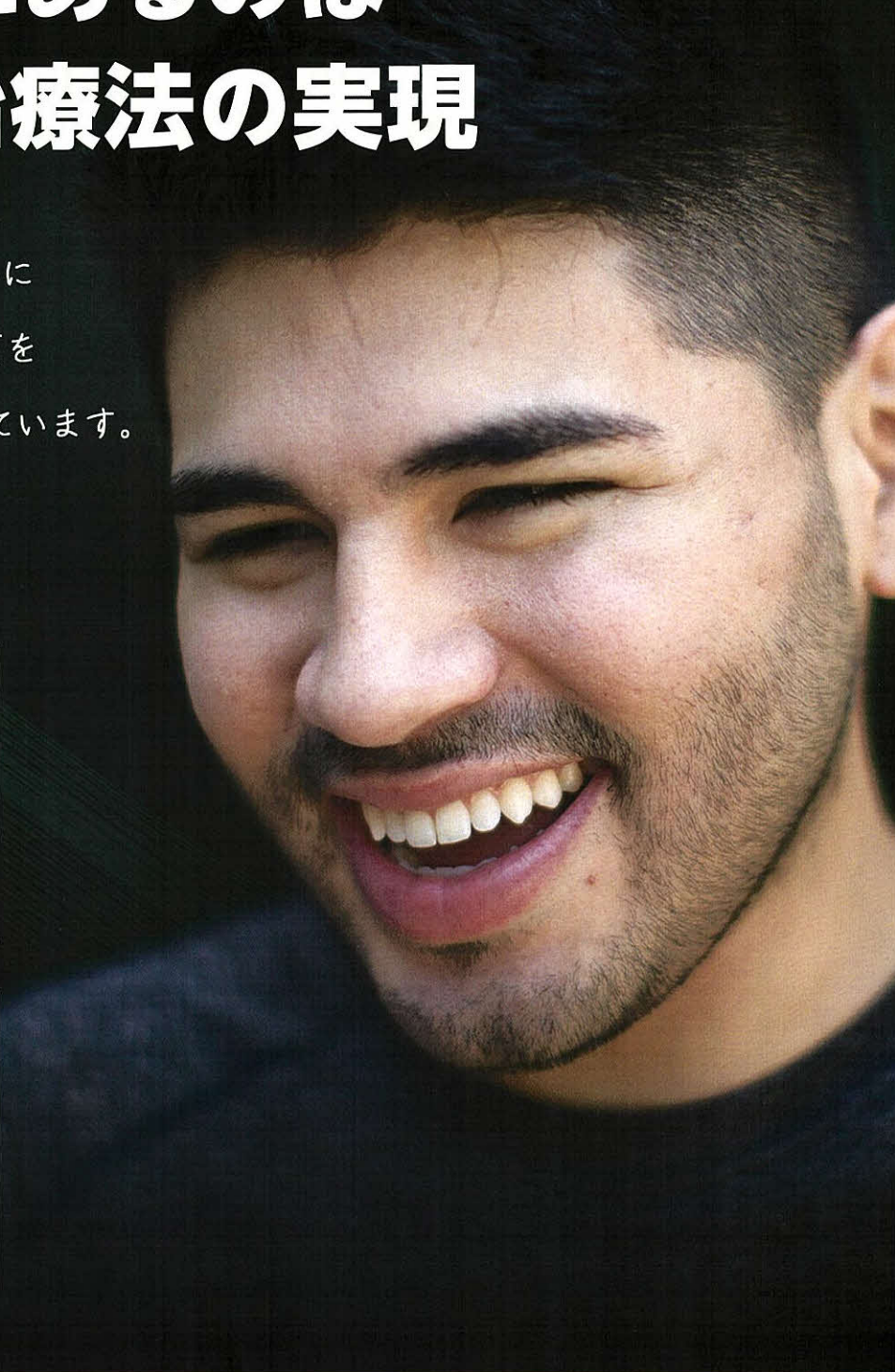
〒163-1488 東京都新宿区西新宿三丁目20番2号 東京オペラシティタワー

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

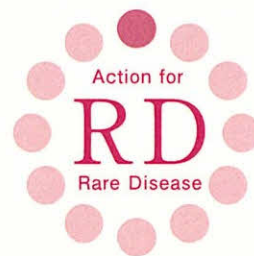
 **Amicus**
Therapeutics®

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。



Amicus Therapeutics

【参加無料】市民公開講座2023

つながり支え合う
～あなたの気持ち・家族の想い～

病気があなたと家族の生活の中心になっているときに考える、
自分らしい生き方とそのためにできること


日時 2023年9月30日(土) 14:00-15:30

プログラムはこちらから

ファブリーコネクト 検索

参加申込はこちらから

申込受付開始予定：7月20日（木）
主催：アミカス・セラピューティクス株式会社





海外新薬承認情報 News【米国とヨーロッパ地域】

Chiesi社とProtalix Biotherapeutics社の合同で、ファブリー病の新たな治療薬（成人向け）として開発中のElfabrio®（植物系点滴酵素製剤）がアメリカ食品医薬品局（FDA）と欧州医薬品庁の両方で承認された。（2週間に1回の投与のみ）
2023年5月10日付 キエジChiesi社ホームページ プレス公式発表
<https://chiesirarediseases.com/media/fda-approval-of-elfabrio>（英語サイト）

アメリカやヨーロッパのファブリー病患者においては治療の選択肢が増え更なるQOL向上に期待が寄せられる。今後鍵となるのは、特に長時間作用の効果（月1回の点滴治療など）が認められるかが注目のポイントになるでしょう。

医薬品医療機器総合機構（PMDA）ホームページ
海外の新薬情報等を定期的に纏め、掲載しています。（日本語サイト）
<https://www.pmda.go.jp/review-services/drug-reviews/review-information/p-drugs/0013.html>

ふくろう通信

2023年4月号（夏）7/15発行
[1・4・7・10月15日発行]

編集長 桑原 裕司
編集員 矢田 陽子 郭 育子 岡田 利江
倉知 佳徳 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



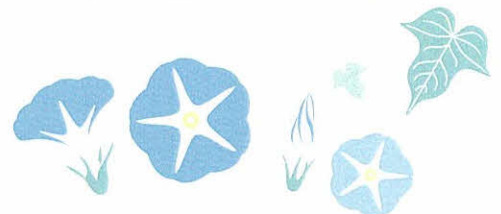
7月号
(通算66号)

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：2023年7月15日（土）