

第2回 先天代謝異常症患者会フォーラム

テーマ：先天代謝異常症の最新治療と患者会の役割

日時：2013年8月11日（日）10：00～16：00

場所：TKP ガーデンシティ品川 グリーンウィンド

会長のあいさつ

先天代謝異常症患者会家族会のみなさまへ



奥山 虎之

(独) 国立成育医療研究センター 臨床検査部 部長

ライソゾーム病センター センター長

昨年8月に行いました第1回先天代謝異常症患者会フォーラムには、多くの患者さんやそのご家族に参加していただき、登録や疫学調査に重要性について認識を深めることができました。

先天代謝異常症のような希少疾患においては、患者さんたちが、どこに何人いらっしゃるのか、どのような生活をされているか、現行の治療法に満足されているか、困っていることは何かなどの情報を得ることは容易ではありません。しかし、そのような情報を集めてデータベース化すること（これを私たちは、「臨床情報バンク」と呼んでいます）は、新しい治療法のわが国への導入などにおいて必要不可欠の情報となります。

本年、8月11日に『第2回先天代謝異常症患者会フォーラム』を開催いたします。テーマは、「先天代謝異常症の最新治療と患者会の役割」です。先天代謝異常症と同様の希少難病の筋ジストロフィーと原発性免疫不全症候群の登録事業の進展状況や、最新の治療法としての遺伝子治療やシャペロン療法に関する講演を予定しています。また、患者会の役割として、ピアカウンセリングや患者会の国際交流についても皆様と一緒に考えてみたいと思います。猛暑の時期の開催となりますが、一人でも多くの皆様にご参加いただければ幸いです。よろしくごお願い申し上げます。

平成25年6月24日