

第2回神経代謝病研究会

新しい神経代謝病の治療に向けて

日時：2017年7月5日(水), 13:00-18:40

会場：東京慈恵会医科大学3階講堂

12:00-12:45 幹事会

13:00-13:10 開会の挨拶

衛藤義勝 (財団法人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)

13:10-14:20 神経代謝病 症例報告 司会：浜野晋一郎 (埼玉県立小児医療センター神経科)

萩野谷和裕 (宮城県立こども病院神経科)

- 1) 3歳で診断されたムコ多糖症II型男児例 右田王介 (聖マリアンナ医科大学小児科)
- 2) 眼球運動異常並びに発達障害で来院した Aromatic amino acid decarboxylase (AADC) の症例 衛藤 薫 (東京女子医科大学小児科)
- 3) 糖原病1b型に合併した點頭てんかんの一症例 吉田 登 (順天堂大学附属練馬病院小児科)
- 4) 本邦で初めて CLN8 のホモ接合性変異により神経セロイドリポフスチン症 (NCL) の診断に至った6歳男児例 堅田有宇 (東北大学病院小児科)
- 5) 本邦初例の CLN6 の症例 村松一洋 (自治医科大学とちぎ子ども医療センター小児科)
- 6) 遊離シアル酸蓄積症—Salla 病の一例 松浦隆樹 (埼玉県立小児医療センター神経科)

14:40-15:10 教育講演 I 司会：山本 仁 (聖マリアンナ医科大学小児科学教室)

中枢神経酵素治療薬開発—ライソゾーム病—

奥山虎之 (国立成育医療研究センターライソゾーム病センター)

15:10-15:20 Coffee Break

15:20-16:10 教育講演 II—低分子治療薬— 司会：新島新一 (順天堂大学附属練馬病院 小児科)

大野耕策 (山陰労災病院長)

- 1) Spinal Muscular Atrophy (SMA) の最新治療 斎藤加代子 (東京女子医科大学附属遺伝子医療センター)
- 2) Niemann Pick C (NPC) の最新治療 酒井規夫 (大阪大学医学部看護学専攻 生命育成看護科学講座)

16:10-18:10 遺伝子治療シンポジウム—遺伝子治療開発—

司会：廣瀬伸一 (福岡大学医学部小児科)

辻 省次 (東京大学医学部附属病院神経内科)

- Overview 小野寺雅史 (国立成育医療研究センター研究所成育遺伝研究部)
- 1) Glut-1 欠損症 小坂 仁 (自治医科大学小児科学講座)
 - 2) ムコ多糖症 小林博司 (東京慈恵会医科大学総合医科学研究センター遺伝子治療研究部)
 - 3) Adrenoleukodystrophy(ALD) 下澤伸行 (岐阜大学生命科学総合研究支援センターゲノム研究分野)
 - 4) Metachromatic Leukodystrophy (MLD) 大橋十也 (東京慈恵会医科大学総合医科学研究センター遺伝子治療研究部)

18:10-18:40 特別講演 司会：衛藤義勝 (先端医療研究センター&遺伝病治療研究所)

神経変性疾患の遺伝子治療—今後の新しい治療展開

村松慎一 (自治医科大学 神経内科部門&東京大学医科学研究所遺伝子・細胞治療センター)

18:40- 閉会の挨拶