

国際シンポジウム「中性脂肪と希少難病 ー多様性の理解と孤立の解消のためにー」

International Symposium on Triglyceride and Rare Disease

-Understanding molecular/biological diversities and eliminating isolation-

実行委員長 平野 賢一

大阪大学大学院医学系研究科 中性脂肪学共同研究講座 特任教授

中性脂肪とお聞きになりますと「生活習慣病」「食べ過ぎ・運動不足」などをイメージされる方が多いと思われます。中性脂肪はともすれば「悪者」と見なされています。しかしながら、中性脂肪は生体の重要なエネルギー源です。この中性脂肪が上手く細胞で利用できずに、心臓、皮膚、骨格筋、白血球等に蓄積してしまう希少難病がいくつも存在することは一般の方のみならず医療関係者、研究者にもほとんど知られておりません。これら希少難病の患者さんの多くは、孤立する、診断されない、診断が遅れる、生活習慣病と誤解される、結果として患者さんたちは適切な治療、医療が受けられず苦しんでおられます。

私は、2008年に心臓移植が必要となるほどの重症心不全を来す新しい心臓難病、中性脂肪蓄積心筋血管症 TGCV を見出し (N Engl J Med. 2008)、厚生労働省や日本医療研究開発機構の支援を受けて、オールジャパンの研究チームを構築して診断法、治療法の開発を行って参りました。一方、中性脂肪は極めて多様な物質であり、上述のさまざまな難病を引き起こす一方で、治療としても使用可能である、分かりやすく言わせて頂くと「油の病気を油で治せる」可能性があることも近年明らかになって参りました。

昨今、世界共通の目標としてSDGsが叫ばれています。SDGsは、難病法制定と同じ平成27年に国連サミットにおいて全会一致で採択された持続可能な開発目標であり、誰一人として取り残されない社会を目指して、様々な活動、運動が地球規模で行われています。

これらを背景として、「中性脂肪という物質そのもの、構造、機能、作用の多様性、TGが引き起こす疾患の多様性を理解すること、国内外の医療関係者・研究者、そして患者さん達が集う」ことで、多様性の理解を進め孤立を解消することを目的に本シンポジウムを企画させて頂きました。

ニューヨーク在住の30才代の難病患者さんのOpening remarkから始まり、米国、英国、オランダ、オーストラリア、韓国からの招待講演、タイ、インドネシアから若手トラベル грант 招待者を交え、2日間で12セッションを行いました。心臓以外、骨格筋、肝臓、腎臓、大動脈に中性脂肪が蓄積する疾患、病態も取り上げ、多様性の理解に努めました。これら希少難病の疾患啓発、周知のため患者・市民参加 (Patient public involvement) 企画「難病対策のSDGsを考える」も開催しました。

多くの皆様にご参加頂くため、難病医学研究財団様、スポンサー企業様にご理解頂き、国際シンポジウム参加費は、40才以下は無料、41才以上は5,000円とさせて頂きました (PPI企画「難病対策のSDGsを考える」は、無料)。

本シンポジウムは、「中性脂肪と希少難病」をテーマとする初めての国際シンポジウムであり新たな研究・臨床・患者コミュニティの形成を促し、対象難病のグローバルな克服に向けて、一定程度の貢献ができたのではないかと考えております。

講演者、発表者、参加者の先生方／皆様、ご支援頂きました難病医学研究財団、関係者の皆様、国際シンポジウムの運営にご尽力頂きましたスタッフの皆様に厚く御礼を申し上げます。

最後に、「中性脂肪に関する希少難病」のみならず難病法第1条において「発症機構不明、治療法未確立、希少、長期の療養を要するもの」と定義されるすべての難病患者さんに良質・適切な医療が確保、療養生活の質の維持・向上がなされ、ひいては国民保健の向上が1日でも早く果たされることを祈念させていただきます。



Need Global Collaboration
Disease is diverse, but hope/mind is the same

NLSD-M	Primary TGCV
	
<p><i>I hope that this symposium will encourage global researchers and physicians to come together and pool their clinical information and knowledge with each other. There needs to be a push to develop therapies with the potential to improve the lives of individuals with NLSDM because they matter. We also need to motivate pharmaceutical companies to participate in this initiative even though the costs are high and the profits are low. It is my hope that this international symposium gives individuals with NLSDM a voice, an identity and a chance at a bright and promising future.</i></p> <p>Maria Zeppieri NLSD/TGCV patient group An organizing committee member</p>	
<p>A 30-year-old woman wants to dance again.</p>	<p>A 24-year-old man died of fatty heart.</p>