NPO 法人日本ライソゾーム病研究センター活動

2021－2022年

1. NPO 法人主催或いは共催　国際カンファレンス企画運営

1）国際ライソゾーム病 Web セミナー【International LSD　Web conference】

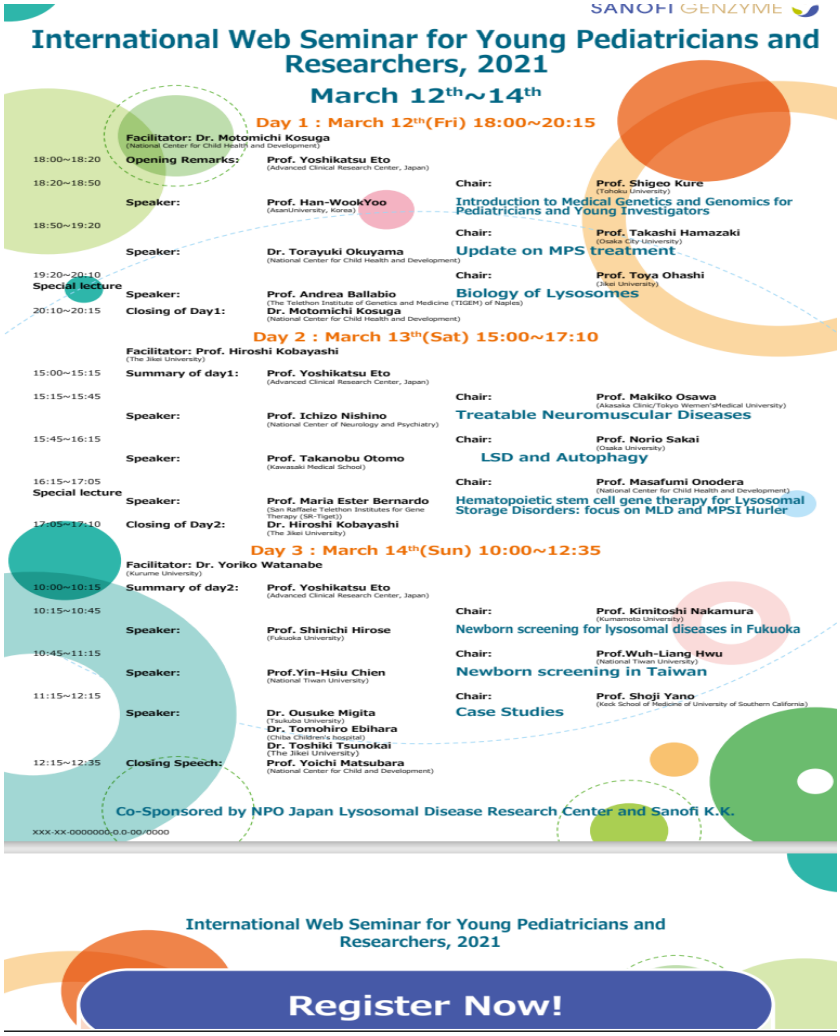
毎月国際的に有名な海外演者の講演を2020年11月より開催している。

（Web　アドレス：https://www.ildweb.jp/)NPO 法人主催

2)International Seminar for Young Pediatricians and Researchers.

若手小児科医の育成プログラム（NPO 法人6年間施行）（添付資料参照）

若手研究者＆小児科医を国際的に育成するために NPO 法人日本ライソゾーム病研究センターが6年間企画運営する。



2. 国際協力遺伝病遺伝子治療フォーラム共催

毎年12年間 NPO 法人日本ライソゾーム病センターと共催（添付資料参照）

The 12th International Collaborative Forum for Gene Therapy of Genetic Diseases

Expanding clinical application of gene therapy for genetic diseases

Date

2022 1.20 Thu 9:00～17:30

Venue

The Jikei University School of Medicine, Building 1 Hall

President

Takanori Yamagata

(Professor, Department of Pediatrics, Center for Gene Therapy Research, Jichi Medical University School of Medicine)

Registrataion Fee

Regular: 3,000 JPY Company: 10,000 JPY

Student: Admission free (with verification card)

Schedule

Time	Program
9:00～9:15	Opening Remarks Takanori Yamagata (President of the 12th Forum) Yoshikatsu Eto (Executive Chairperson of the Committee)
9:15～10:15	AAVを用いた遺伝子治療の臨床 1) Gene replacement therapy for spinal muscular atrophy (Novartis Pharmaceuticals) 2) Gene therapy using AAV vector for mucopolysaccharidosis type I and II (Dr. Marie-Laure Névoret, Regenx bio Inc.)
10:15～10:55	Hepatotoxicity and degeneration of dorsal root ganglion on AAV gene therapy Prof. James M. Wilson (University of Pennsylvania, USA)
10:55～11:00	休憩
11:00～11:40	Regulated control of gene therapies by drug-induced splicing Prof. Beverly L. Davidson (University of Pennsylvania, USA)
11:40～12:40	Haemophilia 1) Gene therapy for hemophilia B Dr. Gregory Di Russo (Pfizer Inc.) 2) Gene therapy for hemophilia A (BioMarin Pharmaceutical)
12:40～12:45	休憩
12:45～13:45	Lunch on Seminar (Takara Bio Inc.)
13:45～13:55	休憩
13:55～14:25	Support of Japan Agency for Medical Research and Development (AMED) for gene therapy research Dr. Michiko Takakura (AMED)
11:40～12:40	AADC deficiency 1) Gene therapy for AADC deficiency in Japan Dr. Karin Kojima (Jichi Medical University) 2) Gene therapy for AADC deficiency in Taiwan Prof. Paul Wuh-Liang Hwu (National Taiwan University Hospital, Taiwan)
15:25～15:40	休憩
15:40～17:10	ex vivo 1) Integration site of Lentiviral vector Dr. Naoya Uchida (The institute of Medical Science, The University of Tokyo) 2) Ex vivo gene therapy for Mucopolysaccharidosis type I Prof. Aiuti Alessandro (San Raffaele Telethon Institute for Gene Therapy, Italy) 3) Ex vivo gene therapy for Metachromatic leukodystrophy Dr. Chris Dott (Orchard Therapeutics, UK)
17:10～17:30	Closing Remarks and Welcome Greeting (President of the 13th Forum) Ryuichi Morishita (President of the JSGCT)

(敬称略)

The 12th International Collaborative Forum for Gene Therapy of Genetic Diseases

[主 催] 国際協力遺伝病遺伝子治療フォーラム実行委員会 [後 援] 一般社団法人日本遺伝子細胞治療学会

[共 催] NPO法人日本ライソゾーム病研究センター

Organizer: Department of Pediatrics, Jichi Medical University School of Medicine
3311-1 Yakushiji, Shimotsuke-shi, Tochigi 329-0496 Japan Tel: +81-285-58-7366

Secretariat: c/o SK Apex Plan Co., Ltd.
SS Bldg. 5F, 1-8-6 Shintomi, Chuo-ku, Tokyo 104-0041, Japan Tel:+81-3-3523-3722 Fax:+81-3-3523-3723 E-mail:info@skap.jp

http://www.gt-forum.net/

3. ライソゾーム病患者会への支援活動、講演会共催

1)全国ファブリ病患者と家族の会　―最高顧問として20年間 NPO 法人と共に支援、ホームページ、並びに一部参照資料 http://www.fabrynet.jp/

2）全国ポンペ病患者と家族の会―参照　講演他支援活動 https://pompe-family.com/

第6回ポンペ病
秋のオンライン勉強会2021
～Together We Are Strong～

コロナの終息の目途が立たないまま、集まるのは困難です。
そこでオンラインで開催します。
オンラインでポンペ病について考えていきましょう。

予定プログラム

座長　国立成育医療研究センター臨床検査部統括部長　ライソゾーム病センター長　奥山虎之　先生

講演１「ポンペ病の治療の現状と新しい治療の展望」
財団法人脳神経疾患研究所 先端医療研究センター長 遺伝病治療研究所所長　衛藤義勝　先生

講演２「成人筋疾患の臨床と移行期医療」
国立精神・神経医療研究センター病院　脳神経内科　森まどか　先生

講演３「ポンペ病など筋疾患の呼吸　～睡眠中に起こっていること～」
奈良県立医科大学　呼吸器内科学講座　山内基雄　先生

開催日時：2021年10月24日（日）13：00～15：00

参加費無料　※ Zoom を使用した web での勉強会です。ネット環境のある方ならどなたでも参加できます。

問い合わせ先（メール）：pompe_family@yahoo.co.jp

3）日本 ALD 患者会支援―講演他、顧問医師

4）日本ライソゾーム病患者家族会協議会：顧問医師；https://j-lsd.com/boardmember/

4. 研究業績：添付資料