

「一般社団法人こいのぼり」は、患者団体ではありません。ミトコンドリア病の治療法の

確立を目指し、医師・創業ベンチャー・創業者・投資家・科学者・製薬企業役員、そして患者・家族等が集まった、世界的にも珍しいと言われる、治療法開発のためのボランティア団体です。

現在、ミトコンドリア病創業プロジェクト「7 SEAS PROJECT (7SP)」を運営し、国内8大学、そして製薬企業との連携のもと、治療研究を進めています。倫理審査委員会の承認を受け、ミトコンドリア病の患者さんからご提供頂いた細胞(7SP Bank)も研究に活用し、7SPの目指す治療薬・治療法に効果があるかどうか、また安全性についてはどうか、実験が重ねられています。



この7SPにて代表を務めさせて頂いているのは、患者家族である私、篠原になります。私の娘の七海は、0歳でLeigh脳症を発症し、今年7歳になりましたが、寝たきりで人工呼吸器を使用し、声は出せず、手足もほとんど動かさず、口で食事をすることもできません。

私は今までずっと、命さえあれば、娘と一緒にいることさえできれば、それだけで他には何もいらないうと思ってきましたが、こいのぼりの活動に参加し、またたくさんの

ミトコンドリア病の患者さんに出会いお話を伺う中で、「いつか誰かが治療法をつってくれる未来」を待つのではなく、自分自身もそこに参画し、自分の全力を懸けて携わりたいと願うようになりしました。患者・家族は、ただ我慢して待つだけの存在ではない——。一日でも早く患者さんに治療を届けるために、こいのぼり、そして多くの研究者の方々と共に、このプロジェクトを進めていきたいと思っています。

このプロジェクトにご共感いただいた多くの患者さん・ご家族から、ご寄付やご支援が寄せられています。中には、患者さん自ら募金活動をされて、集まったお金を寄付くださるという方もいらっしゃいます。患者さんの思いが詰まった研究費は、特別なものです。研究者の方々の強力なモチベーションとなり、今日いまこの瞬間も昼夜を問わず、治療のための研究に活用されています。

昨年12月には、北海道大学および東京農工大学での研究成果をもとに、こいのぼりは、初めてのスピノフベンチャーとなる「ルカ・サイエンス株式会社」を設立しました(代表:菅沼正司)。「患者さんに、健康なミトコンドリアを移植する」という新しいコンセプトのもと、ミトコンドリア移植治療の実現に向けて、製薬企業と協働して開発を行っていきたく考えています。これからも、多くの患者さん・ご家族の思いとともに、私たちはミトコンドリア病の創業を進めて参ります。どうぞ引き続きのご支援を、よろしく願いいたします。

一般社団法人こいのぼり理事、7 SEAS PROJECT 代表 篠原智昭

- 7SPホームページ <https://7sp.life/>
- 7SPへのご寄付 → 「7SP 寄付」とご検索ください

交友交歓



サンサンこどもクリニック 院長 佐々木 望

当ミトコンドリア病医療推進機構理事長の高柳正樹、理事の大竹明、村山圭 諸先生達との楽しい交流の歩みに思いを馳せたい。私は千葉大小児科に入り、中島博徳助教授の内分泌班所属となった。昭和47年に中島先生は金沢大学小児科に教授として赴任された。高柳先生が小児科に入られたのはちょうど中島先生が千葉大教授として戻られた52年の時期にあたる。アレルギーと内分泌班だけであったのをたくさんの専門分野のある小児科にしようとした時期と一致する。県の予算もつき、代謝の分野を充実させていくにあたり、教授より代謝班の責任者に指名された。昭和63年に私が千葉県こども病院の開院準備として赴任、その後高柳先生が代謝科の責任者として、赴任された。そこで平成5年に私が埼玉医大に赴任するまで共に働いた。大竹先生は私の医局長2年目に入局した。この学年は研究志向の強いグループだった。大竹明先生は平成6年に埼玉医大に赴任していただき、代謝専門医として指導と研究の充実をはかって下さった。村山先生は千葉大から後期研修として平成11、12年の2年間にわたり埼玉医大で研修された。若い医師達の信頼も強く、良い若手医師として活躍して下さい、その良い影響を長く残して下さい。研究での接点は、大竹先生と千葉大の基礎の先生と勉強会をしていた時であろう。千葉県こども病院とは、埼玉医大小児科にあった高額研究器具を大学理事長の許可をえて、千葉県との契約のもとに貸し出した時から、村山先生のおくなき研究志向で成果を出して下さった時からであろう。3人の先生方が手を取り合い、協力して素晴らしい研究を継続し、こども達の力になって下さっている。3人の卒業年とは関係なく誰が上級生か定かではなくなる姿は、見ている私からは素晴らしい輪に見える。



第4回ミトコンドリア病研究公開フォーラムが開催されました。

「第4回ミトコンドリア病研究公開フォーラム」が大日本住友製薬株式会社のご協力を得、平成31年2月16日土曜日、同社東京本社3階大ホールにて184名の方々の参加を得て盛大に開催されました。

- 【参加者内訳】患者様・ご家族の方々90名、患者様・ご家族の方々の支援団体12名、製薬会社・企業関係者28名、医療関係者41名、研究者・研究協力者13名
- 【フォーラムの内容について簡単に報告します】
- 研究者からはタウリン、アミノレブリン酸、MA-5などのミトコンドリア病治療薬の治験の進捗状況、ミトコンドリア難聴、ミトコンドリア腎症、新生児ミトコンドリア病などの発表がありました。
- ミトコンドリア病における在宅医療に関する講演が行われました。
- 患者様・ご家族の方々が支援団体からは、それぞれの活動報告がなされました。また、希少難病における海外の薬剤を日本に導入するうえでの企業の役割についての発表がありました。

今回はお子さんと一緒に参加できるように、大ホールの映像を視聴できる別室を用意して参加しやすい工夫もいたしました。参加された方々から寄せられた感想・ご意見をいくつか紹介します。

参加の感想

私は大学病院の小児科に所属し、大学院でミトコンドリア病に関する研究をしております。このフォーラムには以前から参加させて頂いており、いつもとても貴重な経験をさせて頂いています。臨床医としては主に小児神経を専門として診療に携わって約10年になりますが、原因・病態が不明である病気を、治療の選択肢がとて限られている病気が多く存在することを痛感してきました。ミトコンドリア病も、今回フォーラムで腎症や難聴に注目しておりましたように、臨床症状が多様で注意すべき症状が多いこと、病因遺伝子が多様で診断が難しいこと、そして治療の選択肢が限られていることからとても難しい病気であると感じています。そうした点からも、ミトコンドリア病の診療では診療科や職種を超えた広い知識や連携が必要であると感じており、このフォーラムは、医学・医療の分野で最新の治療や診断方法の話を共有できるだけでなく、患者会からの患者さんやご家族の目線で日常生活上の問題点や診療上の疑問点を知ることのできる大変有意義な機会となっています。今回とても印象的だったのは、タウリンがミトコンドリア病の治療薬として初めて承認されたことについてのご発表でした。日本では初めてミトコンドリア病に対して保険適用された治療薬であり世界的に見ても先駆けといえるこのニュースは、患者さんは勿論のこと我々医療者に対しても大変な希望を与えて下さったと思います。それと同時に、演者の先生方のご研究の素晴らしい進捗状況や、手を取り合って協力しながらミトコンドリア病に向き合われている患者会の皆様の活動、そして実際に主体となって創業を目指して精力的に活動されておられる「こいのぼり」の皆様の取り組みにとても感銘を受け、刺激を受けさせて頂きました。このフォーラムは、医療者と患者さんやご家族との架け橋でありながら、臨床医・研究者としても医療の進歩を実感できる場でもあるのだと思います。このような素晴らしい会に参加させて頂き心より感謝申し上げます。私自身もミトコンドリア病の治療の発展に少しでも貢献できるよう、日々精進して参りたいと思います。誠に有難うございました。

参加者の感想

検討会議等)は欧米本社の背中を押すプラスアルファとなります。仕事柄希少疾患に携わることが多いのですが、このような特殊な市場、特にミトコンドリア病においては、研究者・医療従事者・製薬会社、そして患者・家族会の力が大きく作用しています。また、行政からの協力は欠かせない要素です。それぞれに分担された役割を果たし協力し合うこと(ミトコンドリア機能のように!)が、いち早く治療薬を保険適応で投与可能にする力(ATP!)を生み出すことであると改めて感じた会となりました。

保護者のお聲

やばい、原稿依頼がきてしまった。しかも、主治医の先生からである。普段、先生にはおんぶにだっこ、肩車までしてもらっている状況で断るわけにはいかない。二つ返事で依頼を受けてしまった。が、苦手である。苦手なのである。うん、苦行だ。真面目に書いたのは父の日文文以来かもしれない。しかし、書かねばならぬ。なんとしても。このような書き出しから始めてしまったが、何故この時期、自分に原稿依頼がきたのか考えたら、先日第4回ミトコンドリア病研究公開フォーラムに参加したんです。そう、これについて書けばいいんだ。

と、その前に簡単に自己紹介。ミトコンドリア病の息子を持つ父親であります。息子は、病気が発症してから7年が過ぎ、この7年の間に数度の痙攣発作・入退院がありました。どうにか高校も卒業でき、成人式も迎えることができました。さて、フォーラムについて。このような集まりに参加するのは初めて。これまで興味は多少なりとも有ったのではあるが、都会に出るには「おっし、行くこ!」と少々気合いが必要で、参加にはなかなか踏み切りがつかなかったのである。今回、主治医の先生に、「ちょっと、来てみないかい?」とお誘いがあり、「これも断るわけにはいかない。行くべし!」と心を奮い立たせて、今回参加させて頂いたのであります。

フォーラムにおいて、少々難しいお話、泣けるお話、すごいと驚嘆するお話など、様々な角度からのお話を拝聴することが出来たわけでありますが、「ミトコンドリア病を持つ保護者にとってのお薬だ」と感じました。これまで、「この子はどうなるのだろう、どうしたらいいのだろう」といった不安を常に持ち続けてきましたが、フォーラムで話を聞いたおかげで、多少この不安が和らぎ、軽くなりました。そう、フォーラムの参加が自分の心のお薬になったのです。しかも結構効く薬でした。参加したことない方がもしこれを読んでいたら、機会があれば是非でも参加することをおすすめすることで、本稿を閉めさせていただきます。

- 「治療法がない」と言われる中で、新しい研究の話のいろいろお聞きし、ミトコンドリア病の今後に期待するとともに希望がもてました。
- 別会場中継はいい企画だと思います。
- 各臓器のミトコンドリア病に詳しい先生のお話が聞けてとても勉強になりました。
- 広範な内容を限られた時間内でたくさん伝えていただき、参加して本当に良かったです。

第三回 武蔵野ミトコンドリア病研究会 (2019年7月27日土曜日) のお知らせ

ミトコンドリア病診療においては、幅広い知識、診療科や職種を越えた連携が必要となります。そこで、より多くの医療関係者にミトコンドリア病に関心を持っていただき、関わりをもっていただきたく、下記により第2回武蔵野ミトコンドリア病研究会を開催いたします。研究だけでなく、よりフランクに臨床で困っている症例などを議論し、皆で検討したいと考えております。皆様お忙しいことと存じますが、気軽に演題を登録いただけましたら幸いです。多くの皆さまのご参加をお待ちしております。

【日 時】2019年7月27日(土曜日)14時から  
【場 所】帝京平成大学池袋キャンパス  
【参加対象者】医療従事者・研究者  
【演題締め切り】2019年6月29日(土曜日)  
演題の内容はミトコンドリア病関連であれば何でもかまいません。



■連絡先: morim@jichi.ac.jp (松戸市立総合医療センター 小児科 森 雅人)までメールでご連絡をお願いします。演題のみでなく、NPO法人についてなどお気軽にご相談ください。

患者フォーラムの大切さ

ミトコンドリアと言えば、思い出すのは生物の教科書でした。ミドリムシみたいな小さなものが細胞の中にある、とそういうば習ったけどなんだった? エネルギー生産工場? 独自の遺伝子持っていました。パラサイト・イヴってミトコンドリアの小説ありましたよね?? (製薬会社の社員なのにこの程度) 以前より先生方のご研究に関してご教授いただく機会も多かったのですが、今回、第4回患者公開フォーラムへ参加させて頂き、改めて驚きました。なんと奥の深い器官であることか。なんと様々な疾患が絡んでいることか。なぜならばミトコンドリアは全組織・全細胞に存在しており、たくさんステップの中で何か一つでも欠ければ機能がうまく果たせないからです。その「ステップ」を解明していく上で、猫や牛が大変大きな役割を果たしておりました。また、患者様にとって最も興味の高い治療薬開発において、タウリンやピルビン酸のような昔から存在する薬剤が実は他の疾患に対し効果を示す可能性がある場合でも、完全に新しいものを見つけ出す場合においても、膨大なデータの蓄積と時間とお金が必要となります。製薬会社の視点からは、開発・発売に関連する経費が回収できる(また収支としてプラスになる)だけのマーケットサイズかどうか大きなポイントとなり、更に厚労省からの希少疾患・新規薬剤に対する特別なシステム(オーファンドラッグ指定、難病指定、未承認薬・適応外薬



