第26回日本ライソゾーム病研究会

演題応募抄録用紙（サンプル）

抄録は、10ポイントでA4にタイトル、所属、氏名含め、1枚に収まるようにしてください。

次ページに入力フォーマットがあります。

|  |  |
| --- | --- |
| 演題名 | ○○○症候群に対する酵素補充療法の3年間の臨床経過報告 |
| 所属 | １．東京慈恵会医科大学 小児科学講座、 2．同大学 総合医科学研究センターDN医学研究所遺伝子治療研究部 |
| 氏名 | ○○○○1,2、○○○○2、○○○○1 |
| 【背景】○○○症候群は、ライソゾーム病の一つで、○○○の遺伝子欠損によって、○○○が蓄積し、症状を引き起こす。今回、我々は、日本で初めて保険収載された○○○症候群の治療法である「○○○○○○」による酵素補充療法を5例の○○○症候群に施行したので、その臨床経過を報告する。  【対象及び方法】対象は、○○○症候群で、造血幹細胞移植を行っていない５名。方法は、対象の臨床経過である年齢・性別・発症年齢・症状・血液検査所見・心臓超音波・腹部CT・白血球中○○○酵素活性測定、尿中○○○定性分析を抽出し、酵素補充療法開始前と3年後の比較を行った。  【結果】男女比は、3:2で、年齢の中央値は12歳であった。治療前の白血球中○○○酵素活性は、1.2nmol/hr/mg protein（正常 300nmol/hr/mg protein）・・・・・。副反応としては、1例に頭痛を認めるのみであった。・・・・・・  【考察】○○○症候群に対する酵素補充療法が、欧米にて2000年に承認され、日本では2005年に承認された。・・・・・・。治療開始1ヶ月後には、酵素活性の上昇を認め、半年後には尿中○○○の陰性化を確認し、臨床症状としては、・・・・・の改善を認めた。今後の症例の蓄積により、・・・が明らかになると考えられた。 | |

なるべく上記に合わせて記載して下さい。

次ページに入力フォーマットがあります。

|  |  |
| --- | --- |
| 演題名 |  |
| 所属 |  |
| 氏名 |  |
|  | |