## 第3日目/11月23日(土)

8:00~8:50 モーニングセミナー2

(共催:SBIファーマ株式会社)

座長:中島 元夫(SBIファーマ株式会社)

グアニン4重鎖構造(G4)と相互作用するポルフィリンの生合成原料としての5-アミノレブリン酸(5-ALA)の利用の可能性

中島 元夫 SBI ファーマ株式会社

5-ALA/SFCの脳神経症状を中心とするミトコンドリア病に対する多施設共同医師主導治験

大竹 明 埼玉医科大学

休憩(10分)

9:00~10:20 シンポジウム3

ミトコンドリア病治療へ向けた創薬研究の最前線

座長:小坂 仁 (自治医科大学小児科学講座) 今澤 俊之(国立病院機構 千葉東病院)

1) 抗フェロトーシス薬としてのアポルフィンとその誘導体

小坂 仁 自治医科大学小児科学講座

2) MA5について(仮)

阿部 高明 東北大学大学院医工学研究科分子病態医工学分野 3) ミトコンドリアDNA標的化合物によるマイトファジー誘導とその関連疾患治療

永瀬 浩喜 順天堂大学大学院医学研究科 難治性疾患診断・治療学

4) チトクロムcオキシダーゼ(CcO)活性化によるミトコンドリア病に対する創薬研究

新谷 泰範 国立研究開発法人 国立循環器病研究センター 分子薬理部

休憩(10分)

10:30~11:30 一般演題3

座長:山田 勇磨(北海道大学大学院薬学研究院 薬剤分子設計学研究室) 魏 范研 (東北大学加齢医学研究所 モドミクス医学分野)

O3-1 m.3243A>G変異mtDNA比率を双方向に改変するTALEN の開発

八幡 直樹 藤田医科大学 医学部 発生学

O3-2 ミトコンドリア枯渇症候群に対する新規診断法の確立に向けた取り組み

岡﨑 敦子 順天堂大学大学院 医学研究科 難治性疾患診断・治療学

O3-3ドーパミン細胞特異的なマイトファジーの検証佐藤 栄人順天堂大学

O3-4 **単離ミトコンドリアによる細胞内糖および脂肪酸代謝の変化** 柴田 貴弘 ルカ・サイエンス株式会社 O3-5 ミトコンドリアの凝集抑制による安全なミトコンドリア移植治療法の開発

草森 浩輔 東京理科大学薬学部

O3-6 細胞間ミトコンドリア輸送を介した治療はマウスモデルで Leigh症候群の病勢と死亡率を低下させる

中井 りつこ

大阪大学大学院医学系研究科 血液・腫瘍内科学

11:30~12:00 招待講演3

座長:北 潔(長崎大学 熱帯医学・グローバルヘルス研究科)

OXPHOS Dysfunction in Mitochondrial Fatty Acid beta-Oxidation (FAO) Deficiencies

> Matthew McKenzie Senior Lecturer in Biomedical Science Institute for Physical Activity and Nutrition (IPAN), School of Life and Environmental Sciences Deakin University

休憩(10分)

12:10~13:00 **ランチョンセミナー3**(共催:サノフィ株式会社)

ミトコンドリアとライソゾーム病 ~ファブリー病、ゴーシェ病を中心に~

座長:村山 圭 (順天堂大学大学院医学研究科 難治性疾患診断・治療学 / 小児科学)

ライソゾーム病におけるミトコンドリア障害

村山 圭

順天堂大学大学院医学研究科 難治性疾患診断・治療学 / 小児科学

# 成人期の肥大型心筋症・拡張型心筋症におけるファブリー病、ミトコンドリア病の検出

野間 貴久

香川大学医学部循環器・腎臓・脳卒中内科学

13:00~13:20 閉会の辞

休憩(40分)

14:00~16:10 市民公開講座

挨拶:村山 圭(順天堂大学大学院医学研究科

難治性疾患診断・治療学)

小坂 仁(自治医科大学小児科学講座)

#### ミトコンドリア病診療の進歩と課題

三牧 正和

帝京大学医学部小児科学講座

#### ひとりじゃないよと伝えたい

高橋 和恵

ミトコンドリア病患者・家族の会(MCM の会)

### 障害のある子と共に生きる~幸せの形は多様で無限

松永 正訓

松永クリニック小児科・小児外科