

療育研修会

北海道 分科会

◆テーマ

筋ジストロフィーの基礎研究～治療法の開発を目指す道のり～

講師： 愛媛大学大学院医学系研究科 医化学・細胞生物学講座 教授 金川 基

【内容】

単一遺伝子疾患の治療法開発に至る道のり(基礎研究)

1. 病気の原因となる遺伝子を探し出す
2. その遺伝子を設計図とするタンパク質の役割(機能)を調べる
3. そのタンパク質の機能が失われると、あるいは機能が異常に亢進すると、どのような細胞障害が起こるか調べる(病気のメカニズム)
4. 病気の原因をなおすための戦略を考える。
 - ・細胞障害を是正
 - ・タンパク質のはたらきを修復
 - ・遺伝子の変異を修正する
 - ・遺伝子を直接運びこむ
7. 病気のモデル細胞やモデル動物を使って、治療戦略が成立するか調べる
8. 治療に用いる薬・化合物が、安全なのか、人に使えるか調べる
9. 治験準備・申請

研究への患者・市民参画(PPI)とは？

医学研究・臨床試験プロセスの一環として、研究者が患者・市民の知見を参考にすること
※患者・市民:患者、家族、元患者(サバイバー)、未来の患者
理念

(PPIを進めることで実現されること)

- ※ 患者等にとってより役に立つ研究成果を創出する
- ※ 医学研究・臨床試験の円滑な実施を実現する
- ※ 被験者保護に資する(リスクを低減する)

療育研修会実施状況

北海道 分科会 参加数 48 名

実施場所 社会福祉法人HOP 会議室



※ 今回、素敵な音楽の演奏を聴けてとても感動いたしました。他にも好きなことなど、工夫して楽しんで、頑張っている方がいると思うのでそういう方々の紹介とか良いとおもいます。こちら前向きな気持ちになれたので。

※ 最初、音が何も聞こえずそのうち直るのか思ったけど退出して入りなおしてから聞こえるようになったので音楽は聴けませんでした。