

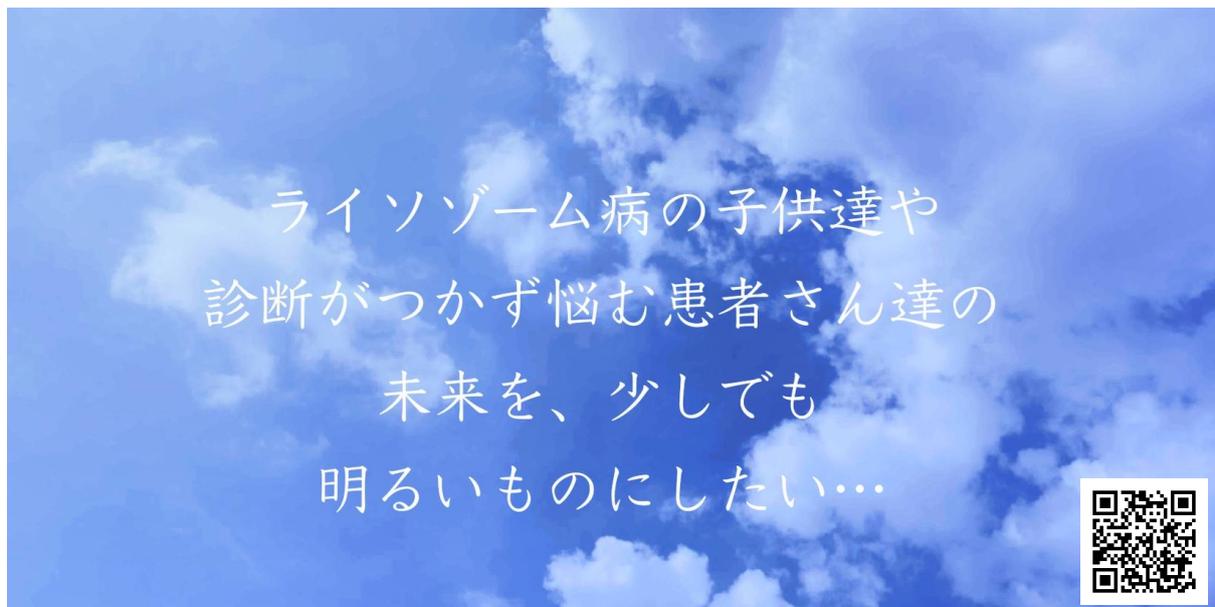
2025年9月11日

報道関係各位

一般社団法人 Sakura Network Japan
アマカス・セラピューティクス株式会社

9月22日は「ライソゾーム病の日」
診断の遅れ・診断ロスの是正、社会的理解の獲得など
難病支援の重要性を訴求する啓発動画を公開

一般社団法人 Sakura Network Japan（本部：愛知県名古屋市、代表理事：坪井 一哉、以下、さくら・ねっと）と、アマカス・セラピューティクス株式会社（本社：東京都千代田区、代表取締役：ジョン・カールソン、以下、ミカス）は、9月22日の「ライソゾーム病の日」に先駆け、ライソゾーム病の疾患啓発を目的とする動画を共同制作し公開したことをお知らせします。



さくら・ねっと、アマカス共同制作動画サムネイル

<https://www.youtube.com/watch?v=pmiMaMT4CDU>

今回の共同制作は、「潜在患者を含め、患者が置かれている環境をよりよくするための取り組みの第一歩として、まずはライソゾーム病という言葉を多くの人に覚えてもらう。また、そのためには国や自治体、医療機関、製薬企業、患者団体など、様々な関係者が連携して取り組むことが重要である」とのさくら・ねっとの理念に、「患者中心」を第一に掲げ、希少代謝性疾患の治療薬を開発・提供することを使命とするアマカスが賛同し、実現したものです。

本動画には、さくら・ねっとがライソゾーム病の疾患啓発と患者支援を目的に毎年開催している「Sakura の会」の様子とともに、医師、患者、支援者、「Sakura の会」への一般参加者の声が収録されており、ライソゾーム病を知ってもらうこと、早期発見の重要性、社会における難病支援の意義を訴えています。

本動画は以下閲覧サイトにて一般公開されると同時に、さくら・ねっととアミカスが開催するセミナーや疾患啓発イベントなどでも活用される予定です。

■ 動画サイトリンク先

- <https://www.youtube.com/watch?v=pmiMaMT4CDU>
- <https://www.sakura-net.org/>
- <https://www.fabryconnect.jp/>

■ ライソゾーム病とは

ライソゾームは人体を形づくる約37兆個の細胞一つ一つの中にあり、細胞内の様々な物質を分解し、細胞機能を正常に維持しています。ライソゾーム病は、このライソゾームに異常が起こり発症します。病気をひきおこす原因となる欠損する酵素によりサブグループに分類され、ゴーシェ病、ファブリー病、ポンペ病、ムコ多糖症など50種類以上の疾患があるとされています。いずれも患者数が少ない希少疾患で、治療法がある疾患もありますが、治療法の無い疾患が多数あり、早期の治療法の研究と開発が切望されています。

■ 希少疾患を取り巻く現状・課題

- **診断の遅れ・診断ロス:**
患者数が少ないため、医療従事者の認知度が低く、診断に時間がかかることがある。また、診断がつかない場合がある。
- **専門医療機関の不足:**
希少疾患の専門的な治療を提供できる医療機関が限られているため、患者さんは適切な医療を受けるために遠方の医療機関を受診しなければならない場合がある。
- **研究開発の遅れ:**
患者数が少ないため、研究開発が進みにくい。時間がかかる。
- **治療法の不足:**
希少疾患の多くは、治療法が確立されておらず、根本的な治療が難しい場合がある。
- **情報不足:**
疾患に関する情報が不足しているため、患者さんや家族は必要な情報を得られない場合がある。
- **社会的な理解の欠如:**
疾患に対する社会的な理解や認知度が低いため、患者さんは偏見や差別、社会的な孤立を経験することがある。
- **経済的な負担:**
希少疾患の治療や療養には、高額な医療費や介護費用がかかる場合がある。

■ 9月22日 ライソゾーム病の日とは

ライソゾーム病の疾患啓発と患者支援、および、希少疾患を持って生まれてくる子どもたちの未来を少しでも明るいものにするとともに、その長きにわたる治療期間への励ましになることを願って、さくら・ねっとが一般社団法人日本記念日協会に“ライソゾーム病の日（9月22日）”を申請し、2019年5月13日、正式に認定されました。

“9月22日”の由来は、ライソゾーム病の代表的な疾患であるファブリー病の原因遺伝子が、X染色体 q22（キウ・ニー・ニー）であることから“9月22日”としました。

■ 指定難病に登録されているライソゾーム病*

ゴーシェ病	ニーマン・ピック病 A 型、B 型／酸性スフィンゴミエリナーゼ欠損症
ニーマン・ピック病 C 型	GM1 ガングリオシドーシス
GM2 ガングリオシドーシス (テイ・サックス病、サンドホフ病、AB 型)	クラッペ病
異染性白質ジストロフィー	マルチプルサルファターゼ欠損症
ファーバー病	△コ多糖症 I 型 (ハーラー／シャイエ症候群)
△コ多糖症 II 型 (ハンター症候群)	△コ多糖症 III 型 (サンフィリポ症候群)
△コ多糖症 IV 型 (モルキオ症候群)	△コ多糖症 VI 型 (マロー・ラミー症候群)
△コ多糖症 VII 型 (スライ病)	△コ多糖症 IX 型 (ヒアルロニダーゼ欠損症)
シアリドーシス	ガラクトシアリドーシス
△コリピドーシス II 型、III 型	α-マンノシドーシス
β-マンノシドーシス	フコシドーシス
アスパルチルグルコサミン尿症	シンドラー病／神崎病
ポンペ病	酸性リパーゼ欠損症
ダンホ病	遊離シアル酸蓄積症
セロイドリポフスチノーシス	ファブリー病
シスチン症	

*難病情報センターより <https://www.nanbyou.or.jp/entry/4061> (2025 年 8 月現在)

■ 今後の「Sakura の会」開催予定 (プログラムなど詳細は [さくら・ねつとの WEB サイト](#) をご覧ください。)

<p>第 17 回 Sakura の会-Japan Art Festival 2025 会期：2025 年 10 月 25 日(土) -26 日(日) 会場：愛知県名古屋市中区本丸 1 - 1 第一会場：名古屋城 本丸御殿・孔雀之間</p>

<p>第 18 回 Sakura の会 in 春の岡山城 会期：2026 年 3 月 20 日(金) -21 日(土) 会場：岡山県岡山市北区丸の内 2 丁目 3-1 第一会場：岡山城 不明門 第二会場：岡山城 天守閣</p>

<p>第 19 回 Sakura の会 in 横浜市開港記念会館 会期：2026 年 5 月 30 日(土) -31 日(日) 会場：横浜市中区本町 1 丁目 6 番地</p>

=====

一般社団法人 Sakura Network Japan について

ライソゾーム病を中心に小児期から発症する希少疾患の診断や治療、専門知識の向上を図り、一方で疾患に対する社会からの認知度向上を目指す疾患啓発を行い、わが国に医療、公共の福祉の増進に寄与することを目的とし

て2017年9月に設立しました。ライソゾーム病の疾患啓発と患者支援を目的に、毎年「Sakuraの会」を開催しています。詳しくは、ウェブサイトをご覧ください。<https://www.sakura-net.org/>

アミカス・セラピューティクス株式会社について

患者中心を第一に掲げる米国を拠点とするバイオテクノロジー企業で、希少な代謝疾患の患者さんへ新しい高品質の治療薬を届けるため、創薬、開発、そして医薬品の販売に取り組んでいるグローバル企業 Amicus Therapeutics Inc.の日本法人です。ライソゾーム病の一種であるファブリー病ならびにポンペ病において自社による臨床開発、製造販売を手掛けています。詳しくは、ウェブサイトをご覧ください。<http://www.amicusrx.jp>

本件に関する報道関係者からの問合せ先

アミカス・セラピューティクス株式会社 患者支援・広報部門
Fax: 03-4563-4751 E-mail: info@amicusrx.jp