

web開催 中性脂肪学会 第6回学術集会
テーマ：希少難病と家族が直面する困難-特発性TGCVを考える-

主催 一般社団法人中性脂肪学会
共催 厚生労働省TGCV研究班 / TGCV患者会
会長 宮内 秀行 (千葉大学大学院医学研究院 循環器内科学)

TGCV患者会/栩野財団企画
TGCV患者会発足10年を迎えて
-明るい未来のために！つなげよう、支援の輪-



本紙では2023/7/1に開催された第6回中性脂肪学会学術集会の要旨、患者会の活動報告、一般財団法人 栩野財団が実施している患者さんの支援を目的としたクラウドファンディングについてまとめております。ご一読下さり、改めて皆様の温かいご支援を頂戴賜れば幸甚で御座います。

会長講演

“私がTGCVに関わらずにいられない理由”

宮内 秀行 先生

ご自身の専門である心臓核医学の道へ進むに至った経緯、これまで診療にあたったTGCV患者さんが直面した様々な困難や、**悲劇的な転帰を辿り医師として救命できなかった方の例**をご紹介され、“**医師・研究者としての使命感**”が“**TGCVの病態究明・患者救済への原動力**”に繋がっていることをお話された。さらに、**救済法の光が見えてきたTGCV研究の現状および今後の展望に強い希望**を抱かされていた。

代表理事講演

“1日でも早くこの難病を克服するために何ができるか”



平野 賢一 先生

TGCVは、心臓移植待機症例から見出した心臓難病で、細胞内TG分解障害により重度心不全・びまん性冠動脈狭窄を含む多彩な病態を起こすこと、**また治療法が未確立でその自然予後は代表的指定難病の拡張型心筋症と同等であること**、また大阪大学でアカデミア開発された**治療薬CNT-01 (トリカプリン) による検証的治験が実施されていること**から、「可及的早期の指定難病化」「CNT-01の先駆け医薬品・希少疾病用医薬品への早期承認」「診断治療体制の確立」を目標としたご自身の活動についてお話され、産・患・官・学の協力体制の重要性について強調された。またCNT-01が早期承認さえされれば疾患克服への希望がみえる光の射した現状と、**指定難病化の難航・治療薬承認まで長期化という患者の直面する闇が拮抗した現状を踏まえ、少しでも多くの人的・金銭的サポートが患者救済の為に必要である**ことを力説されていた。

患者会代表世話人 橋本 千佳子 氏



学会テーマである患者の直面する困難に対して声を上げているが、指定難病化の難航・治療薬早期承認の遅延からサポートが行き届かず、歯がゆい現状を打破するために1万筆を超える署名を国に提出したこと、**患者救済目的の資金枯渇からクラウドファンディングを開始し、ぜひ患者さんの治療継続のために力を貸して欲しい**と強調されていた。

TGCV患者会共同代表 望月 稔仁 氏



奥様が重度の心不全を発症され、当初拡張型心筋症の診断のもとに治療中、TGCVの診断が出来る医師に巡りあうことが出来た。**治験に参加したことで症状はとても良くなったが、治験期間終了後に悪化の一途を辿り63歳の若さで死亡した。**

治験で有効性を実感しながらも診療に反映されないもどかしさ、高額な医療費による金銭的な、そして医療従事者にも理解されない孤独感による精神的不安がTGCVの恐ろしさだ、と語り、指定難病化の早期実現への強い姿勢を貫き、今後も患者会から声を上げていくと強調されていた。

その他：

患者会より救済への強い想いのお言葉 2名
協力医療施設よりTGCV診断・治療・啓蒙の取り組み 2施設
栄養療法体験者の想い 2名
各医療施設での症例提示 ~このように診断しました~ 8症例

◎栩野財団主催クラウドファンディングについて

- ①TGCV疾患啓発活動
- ②TGCV患者会会員との交流の場の提供
- ③患者さんの栄養療法サポート (下図)

TGCV患者会は、栩野財団のサポートを受け、上記3点を目的として**現在も栄養療法を無償提供**していますが、**いよいよ活動資金の枯渇・活動の縮小が眼前に迫っています。**

③患者さんの栄養療法に関するサポート



栩野財団ではこれまでもTGCV患者さんに対して栄養療法の支援を行っております。

栩野財団によるトリカプリン栄養療法の支援者数	
2023年6月末現在	
全国医療機関 延べ数	12施設
国内TGCV患者 延べ数	23名
海外TGCV患者 延べ数	3名



管理栄養士によるトリカプリン栄養療法の取り組み

TGCVエキスパートチーム始動

構成メンバー： 医師、管理栄養士、看護師

2022年10月15日中性脂肪学会第5回学術集會にてキックオフ

このように全国で最善を尽くしていますが、それでもまだ支援が行き届いていない患者さんは沢山いらっしゃいます。

救える命を救うため、皆様のご支援を何卒お願いいたします。