

LYSO LIFE



ライソゾーム病といっしょに。

ゴーシェ病 ファブリー病 ポンペ病 ムコ多糖症 ASMD

ライソライフでは、ライソゾーム病（ゴーシェ病、ファブリー病、ポンペ病、ムコ多糖症、ASMD）患者さんご家族を応援し、日常生活に役立てていただくためのさまざまな情報をご紹介します。

<p>LYSO LIFE ゴーシェ病</p> <p>ライソライフ ゴーシェ病</p> <p>https://www.lysolife.jp/gaucher</p>	<p>LYSO LIFE ファブリー病</p> <p>ライソライフ ファブリー病</p> <p>https://www.lysolife.jp/fabry</p>	<p>LYSO LIFE ポンペ病</p> <p>ライソライフ ポンペ病</p> <p>https://www.lysolife.jp/pompe</p>	<p>LYSO LIFE ムコ多糖症</p> <p>ライソライフ ムコ多糖症</p> <p>https://www.lysolife.jp/mps</p>	<p>LYSO LIFE ASMD</p> <p>ライソライフ ASMD</p> <p>https://www.lysolife.jp/asmd</p> <p><small>*別名ニーマン・ピック病A型、B型 他に中間型がある</small></p>
---	---	---	---	--

<p>> ライソゾーム病とは？</p> <p>> 動画でわかりやすく解説！</p> <p>ライソゾーム病や遺伝子の変化とその伝わり方について紹介した動画を公開しています。</p>	<p>医療機関を探す</p> <p>全国一貫</p> <table border="1"> <tr><td>北海道</td><td>東北</td></tr> <tr><td>中部</td><td>関東</td></tr> <tr><td>近畿</td><td>中国</td></tr> <tr><td>四国</td><td>九州/沖縄</td></tr> </table>	北海道	東北	中部	関東	近畿	中国	四国	九州/沖縄	<p>ライソゾーム病の患者さんご家族へのメッセージ</p> <p>ライソゾーム病とうまくつきあうために専門医からメッセージ。</p> <p>> 詳しくはこちら</p>	<p>知っておきたい社会保障制度</p> <p>医療費助成制度や療養生活に役立つ支援制度を紹介。</p> <p>> 詳しくはこちら</p>
北海道	東北										
中部	関東										
近畿	中国										
四国	九州/沖縄										



患者さんサポートプログラム

ライソゾーム病（ゴーシェ病・ファブリー病・ポンペ病・ムコ多糖症・ASMD）の患者さんご家族のお役にたちたいと考えています。

てとての窓口

お気軽にお問い合わせください

フリーダイヤル **0120-558-279**
[受付時間] 9:00~17:00 月~金<土日祝日・休業日を除く>

tetote@sanofi.com
メールでのお問い合わせは、返信にお時間を頂く場合もございます。

免責事項：「てとての窓口」では、病気に関連する情報を可能な限りご提供いたしますが、ご期待に添えない場合もございます。また、「てとての窓口」は医療機関ではございません。法律で定められておりますので、診療や治療、薬剤の提供はいたしません。あしからずご了承願います。
個人情報の取り扱い：「てとて」で取り扱う個人情報は、弊社の規定に従い厳重に管理いたします。また、「てとて」のサービス内のみで使用し、同意を得ることなく目的外的使用や第三者に提供することはありません。

ライソゾーム病をご存じですか？



【監修】

埼玉医科大学 ゲノム医療科 希少疾患ゲノム医療推進講座
特任教授 奥山 虎之 先生

ライソゾーム病は どんな病気？

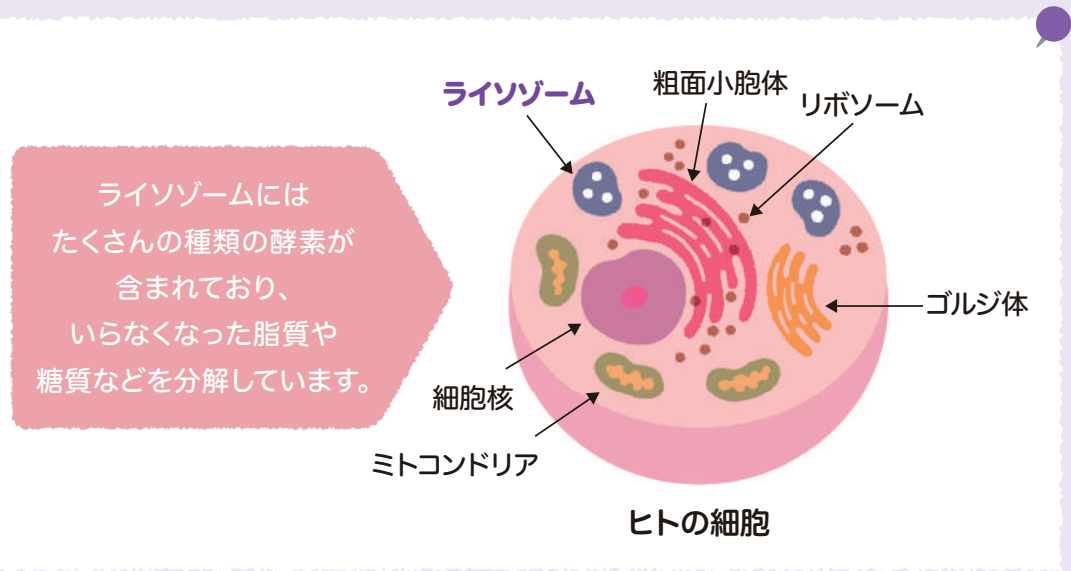


ライソゾーム病とは

ライソゾーム病は、私たちの体を構成する細胞の中にある「ライソゾーム」という小器官にかかわる病気です。

細胞は、生きていくために必要な成分やエネルギーを毎日作り出していますが、ライソゾームはいらなくなった脂質や糖質などを分解する働きをしています。

脂質や糖質などを分解するために、ライソゾームの中にはたくさんの種類の「酵素」と呼ばれるたんぱく質が存在しており、この酵素をつくる遺伝子に変化が起こることで、酵素がつかられなかったり、酵素の働きが弱いために発症する病気がライソゾーム病です。酵素がない、または酵素の働きが弱いことで本来分解されるべきものが細胞の中に徐々にたまり、それによってさまざまな症状が引き起こされます。



ライソゾーム病は、不足しているまたは働きが弱い酵素の種類によって病気の名前が異なり、「ゴーシェ病」、「ファブリー病」、「ポンペ病」、「ムコ多糖症」、「酸性スフィンゴミエリナーゼ欠損症 (ASMD)※」など50種類以上に分けられます。

※ASMDは別名ニーマン・ピック病A型、A/B型、B型とも呼ばれています。



遺伝子の変化として受け継がれるライソゾーム病

ライソゾーム病にかかわる遺伝子の変化は親から子へと受け継がれ、病気によってその伝わり方が異なります。また、親の遺伝子に変化がなくても、突然変異によって子が病気にかかわる変化した遺伝子をもっている場合があります。

じょうせんしよくたいせんせいいでん 常染色体潜性遺伝 (劣性遺伝)	ゴーシェ病、ポンペ病、 ムコ多糖症 (I型、III型、IV型、VI型、VII型、IX型)、ASMDなど
えんせいのせいでん X連鎖性遺伝	ファブリー病※、ムコ多糖症II型 ※女性でも症状が現れる場合があります。



早期診断の重要性

ライソゾーム病のうちゴーシェ病、ファブリー病、ポンペ病、ムコ多糖症※、ASMDなどは、酵素補充療法などによる治療が可能となっています。

ライソゾーム病は細胞の中に本来分解されるべきものが徐々にたまっていく病気ですが、その蓄積は産まれたときからはじまっており、年齢が進めば進むほど蓄積し、症状が進行します。また、症状が進行すると、治療をしても元に戻らない状態 (不可逆的な症状) となる場合があります。

そのため、早期に診断し、早期に酵素補充療法などによる治療を開始することがとても重要です。

※現在、ムコ多糖症I型、II型、IV型、VI型は国内で酵素補充療法を行うことができます。

ライソゾーム病の新生児スクリーニング

新生児スクリーニングとは、産まれてから数日の間に、かかとに小さな針を刺して少量の血液を採り調べることで、いち早く病気を見つけ、症状が現れるのを未然に防ぐことが期待される検査です。最近、希望される方にはライソゾーム病についても新生児スクリーニングに組み込むことができる医療機関が増えています。

詳しくはこちら

ゴーシェ病は どんな病気？



ゴーシェ病とは

グルコセレブロシダーゼという酵素がなかったり、酵素の働きが弱いため、グルコセレブロシドという物質がうまく分解されずに体の中にたまることで、全身にさまざまな症状が現れる病気です。お腹の膨らみ、出血しやすい・血が止まりにくい、貧血、骨折しやすい、骨の変形といった骨症状のほか、けいれん、発達の遅れ、斜視、口を開けにくい、喘鳴などの症状が現れることがあります。

全身に現れやすい症状

出血しやすい・
血が止まりにくい

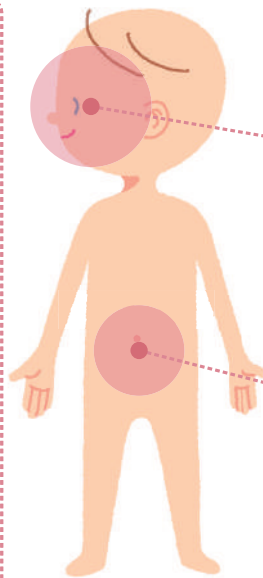
貧血

骨折しやすい

骨の変形

骨の痛み

発達の遅れ



けいれん

斜視

口を開けにくい

お腹の膨らみ

(肝臓・脾臓が大きくなる)

注) 現れる症状や時期、程度には個人差があります。



ゴーシェ病の治療方法

主な治療法は、酵素補充療法と基質合成抑制療法があります。治療しないと病気が進行してしまうため、治療を続けてグルコセレブロシドが体の中にたまらないようにすることが大切です。

酵素補充療法

体の中で不足している酵素(グルコセレブロシダーゼ)を点滴で補う治療法です。酵素を補充することで、体の中にたまったグルコセレブロシドが分解され、ゴーシェ病の進行を抑えることができます。

基質合成抑制療法

体の中にたまりやすいもの(グルコセレブロシド)ができる速度を遅らせ、体にたまる量を減らす治療法です。飲み薬を毎日飲むことで、グルコセレブロシドがたまりにくくなり、貧血や、お腹の膨らみ、骨症状を改善し、ゴーシェ病の進行を抑えることができます。

造血幹細胞移植

造血幹細胞の移植を行い、ゴーシェ病で働きが弱い酵素を体の中でつくるようにする治療法です。

各症状を抑える治療

貧血、けいれん、骨の痛みなど患者さんの症状にあわせて、対症療法が行われます。



遺伝子の変化と伝わり方



詳しくは
こちら

ゴーシェ病は、グルコセレブロシダーゼという酵素をつくる遺伝子に変化が起こることで発症します。この遺伝子の変化は常染色体潜性遺伝(劣性遺伝)と呼ばれる形式で伝わりますが、両親それぞれから変化のある遺伝子を受け継いだ場合に発症する伝わり方です。そのため、父親か母親のどちらか片方の遺伝子に変化があっても、もう片方の遺伝子に変化がなければ病気を発症しません。



ファブリー病は どんな病気？



ファブリー病とは

α -ガラクトシダーゼという酵素がなかったり、酵素の働きが弱いため、グロボトリアオシルセラミドという物質がうまく分解されずに体の中にたまることで、全身にさまざまな症状が現れる病気です。手足の痛み、汗をかかない・かきにくいといった症状や、しん き のうしょうがい心機能障害、じん き のうしょうがい腎機能障害、のうけつ かんしょうがい脳血管障害などが現れることがあります。

小児期から現れやすい症状

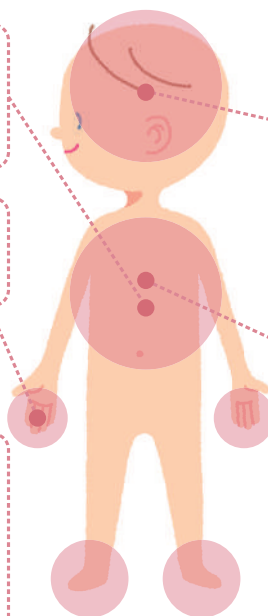
胃腸の症状
(腹痛、下痢、嘔吐)

手足の痛み

全身に現れやすい症状

汗をかかない・かきにくい

皮膚の赤い発疹



成人してから現れやすい症状

のうけつ かんしょうがい脳血管障害

耳が聞こえにくい

しん き のうしょうがい心機能障害

じん き のうしょうがい腎機能障害

注) 現れる症状や時期、程度には個人差があります。



ファブリー病の治療方法

主な治療法として、こう そ ほじゅうりょうほう酵素補充療法があります。治療しないと病気が進行してしまうため、治療を続けてグロボトリアオシルセラミドが体の中にたまらないようにすることが大切です。

■ こう そ ほじゅうりょうほう酵素補充療法

体の中で不足している酵素(α -ガラクトシダーゼ)を点滴で補う治療法です。酵素を補充することで、体の中にたまったグロボトリアオシルセラミドが分解され、ファブリー病の進行を抑えることができます。

■ シャペロン療法

働きが弱い酵素(α -ガラクトシダーゼ)の構造を安定化することで、酵素としての働きをサポートし、グロボトリアオシルセラミドをためずに分解できるようにする治療法です。2日に1回、飲み薬を服用します。酵素がつかられない場合や酵素の働きがない場合には効果がないため、投与前に患者さんの遺伝子の変化の種類を調べる必要があります。

■ 各症状を抑える治療

しん き のうしょうがい心機能障害、じん き のうしょうがい腎機能障害、のうけつ かんしょうがい脳血管障害、手足の痛みなど患者さんの症状にあわせて、対症療法が行われます。



遺伝子の変化と伝わり方

ファブリー病は、 α -ガラクトシダーゼという酵素をつくる遺伝子に変化が起こることで発症します。この遺伝子の変化はX連鎖性遺伝と呼ばれる形式で伝わります。この遺伝子の伝わり方は、両親のどちらが変化のある遺伝子をもっているかによって異なります。男の子が変化のある遺伝子を受け継ぐとファブリー病の症状が現れます。女の子が変化のある遺伝子を受け継ぐと、症状が現れる場合と現れない場合があります。



詳しくは
こちら



ポンペ病は どんな病気？



ポンペ病とは

酸性 α -グルコシダーゼという酵素がなかったり、酵素の働きが弱いため、グリコーゲンという物質がうまく分解されずに体の中にたまることで、全身にさまざまな症状が現れる病気です。筋力の低下、呼吸困難・呼吸器感染症、発達の遅れといった症状や、心機能障害などが現れることがあります。

乳児型

心機能障害

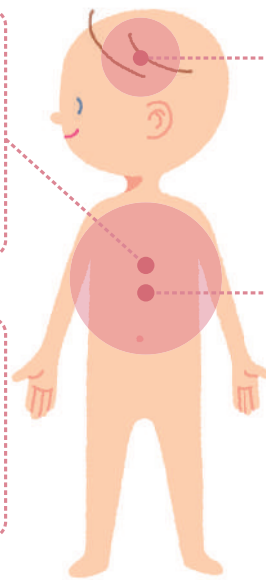
呼吸困難・呼吸器感染症

誤嚥性肺炎

全身に現れやすい症状

筋力の低下

発達の遅れ



小児型・成人型(遅発型)

頭痛

心機能障害

筋力の低下・腰痛

呼吸困難・呼吸器感染症

誤嚥性肺炎

全身に現れやすい症状

発達の遅れ

注) 現れる症状や時期、程度には個人差があります。



ポンペ病の治療方法

主な治療法として、酵素補充療法があります。治療しないと病気が進行してしまうため、治療を続けてグリコーゲンが体の中にたまらないようにすることが大切です。

酵素補充療法

体の中で不足している酵素(酸性 α -グルコシダーゼ)を点滴で補う治療法です。酵素を補充することで、体の中にたまったグリコーゲンが分解され、ポンペ病の進行を抑えることができます。

各症状を抑える治療

運動機能や呼吸機能の低下など患者さんの症状にあわせて、対症療法が行われます。また、十分な栄養やエネルギーを得るために、栄養士の指導のもと、バランスの良い食事をとるようにします。栄養状態が悪化してきた場合は、鼻やお腹から消化管内にチューブを通し、流動食を注入して栄養を補給する経管・経腸栄養を行います。



遺伝子の変化と伝わり方



詳しくは
こちら

ポンペ病は、酸性 α -グルコシダーゼという酵素をつくる遺伝子に変化が起こることで発症します。この遺伝子の変化は常染色体潜性遺伝(劣性遺伝)と呼ばれる形式で伝わりますが、両親それぞれから変化のある遺伝子を受け継いだ場合に発症する伝わり方です。そのため、父親か母親のどちらか片方の遺伝子に変化があっても、もう片方の遺伝子に変化がなければ病気を発症しません。



ムコ多糖症は どんな病気？



ムコ多糖症とは

ムコ多糖という物質がうまく分解されずに体の中にたまることで、全身にさまざまな症状が現れる病気です。ムコ多糖を分解する酵素は10種類以上あり、酵素の種類によって7つの病型（I型、II型、III型、IV型、VI型、VII型、IX型）に分けられています*。生後1～6ヵ月頃は蒙古斑、中耳炎、脱腸・でべそなど、1歳以降はお腹の膨らみ、いびき、発達の遅れなどの症状が現れることがあります。

*V型、VIII型は欠番です。

全身に現れやすい症状

蒙古斑

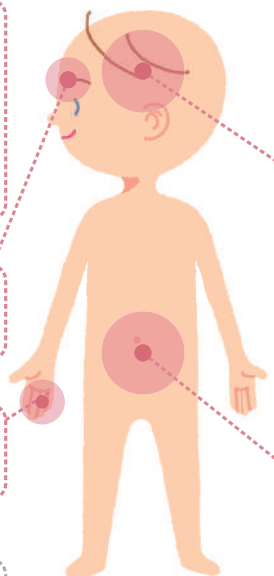
関節の拘縮

まゆげが太く濃い

指がゴツゴツしている

そのほか、現れる症状（一例）

- ・3～4歳以降の低身長
- ・多毛
- ・言葉の遅れ
- ・難聴 など



中耳炎

頭が大きい

発達の遅れ

いびき

脱腸・でべそ

お腹の膨らみ

● 生後1～6ヵ月頃

● 1歳以降

注) 現れる症状や時期、程度には個人差があります。



ムコ多糖症の治療方法

主な治療法として、酵素補充療法があります。治療しないと病気が進行してしまうため、治療を続けてムコ多糖が体の中にたまらないようにすることが大切です。現在国内では、ムコ多糖症I型、II型、IV型、VI型の4つの病型に酵素補充療法を行うことができます。

酵素補充療法

体の中で不足している酵素を点滴で補う治療法です。酵素を補充することで、体の中にたまったムコ多糖が分解され、ムコ多糖症の進行を抑えることができます。

造血幹細胞移植

造血幹細胞の移植を行い、不足している酵素を体の中でつくることのできるようになる治療法です。低年齢で移植を行った場合、神経症状への効果も期待できます。

各症状を抑える治療

ムコ多糖症は病型によって現れる症状がさまざまなので、患者さんの症状に応じて、薬の内服や処置などの治療を行います。



遺伝子の変化と伝わり方



詳しくはこちら

ムコ多糖症は、ムコ多糖を分解する酵素をつくる遺伝子に変化が起こることで発症します。この遺伝子の変化は、ムコ多糖症の病型によって伝わり方が異なります。

◆ムコ多糖症（I型、III型、IV型、VI型、VII型、IX型）

遺伝子の変化は常染色体潜性遺伝（劣性遺伝）と呼ばれる形式で伝わりますが、両親それぞれから変化のある遺伝子を受け継いだ場合に発症する伝わり方です。そのため、父親が母親のどちらか片方の遺伝子に変化があっても、もう片方の遺伝子に変化がなければ病気を発症しません。

◆ムコ多糖症II型

遺伝子の変化はX連鎖性遺伝と呼ばれる形式で伝わります。この遺伝子の伝わり方は、両親のどちらが変化のある遺伝子を持っているかによって異なります。男の子が変化のある遺伝子を受け継ぐとムコ多糖症II型の症状が現れます。女の子が変化のある遺伝子を受け継ぐと、一般的には症状が現れないとされていますが、まれに症状が現れる場合もあります。



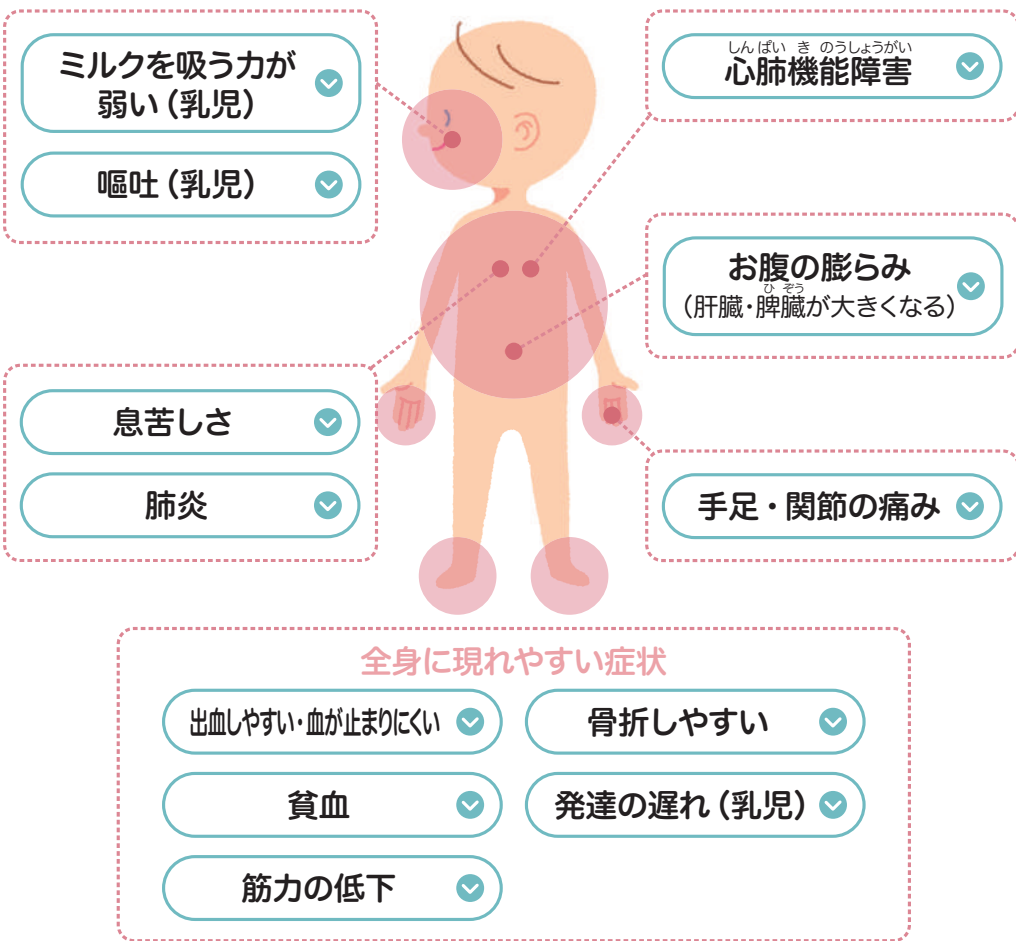
酸性スフィンゴ ミエリナーゼ欠損症 (ASMD)^{*}は どんな病気？

※ASMDは別名ニーマン・ピック病A型、A/B型、B型とも呼ばれています。



ASMDとは

酸性スフィンゴミエリナーゼという酵素がなかったり、酵素の働きが弱いため、スフィンゴミエリンという物質がうまく分解されずに体の中にたまることで、全身にさまざまな症状が現れる病気です。お腹の膨らみ、息苦しさ、肺炎、貧血などの症状が現れることがあります。



注) 現れる症状や時期、程度には個人差があります。



ASMDの治療方法

主な治療法として、酵素補充療法^{こうそほじゅうりょうほう}があります。治療しないと病気が進行してしまうため、治療を続けてスフィンゴミエリンが体の中にたまらないようにすることが大切です。

酵素補充療法^{こうそほじゅうりょうほう}

体の中で不足している酵素(酸性スフィンゴミエリナーゼ)を点滴で補う治療法です。酵素を補充することで、体の中にたまったスフィンゴミエリンが分解され、ASMDの進行を抑えることができます。

骨髄移植^{こつずい いしょく}

骨髄は骨の中心部分にあり、赤血球、白血球、血小板などの血液細胞をつくる組織です。骨髄移植^{こつずい いしょく}は、健康な人から採取した骨髄液を、患者さんの体に点滴で注入します。骨髄移植^{こつずい いしょく}をすることで、お腹の膨らみは改善しますが、中枢神経への効果はないとされています。

各症状を抑える治療

肺炎、貧血、手足・関節の痛みなど患者さんの症状にあわせて、対症療法が行われます。また、十分な栄養やエネルギーを得るために、栄養士の指導のもと、バランスの良い食事をとるようにします。栄養状態が悪化してきた場合は、鼻やお腹から消化管内にチューブを通し、流動食を注入して栄養を補給する経管・経腸栄養を行います。

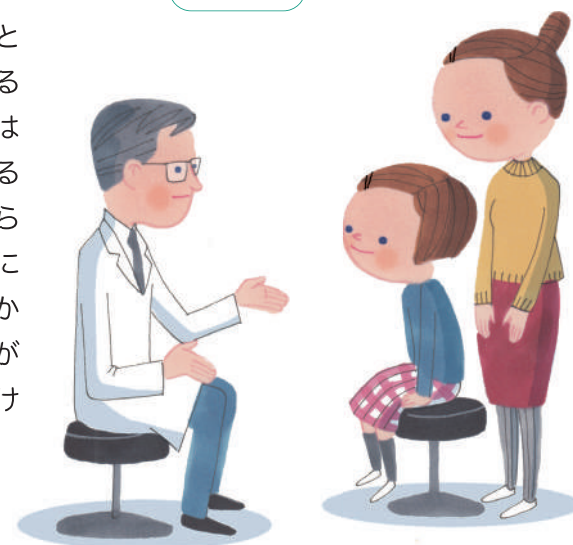




遺伝子の変化と伝わり方

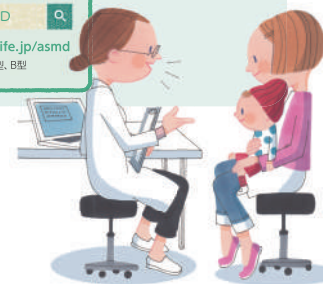


詳しくはこちら

ASMDは、酸性スフィンゴミエリナーゼという酵素をつくる遺伝子に変化が起ることで発症します。この遺伝子の変化は常染色体潜性遺伝(劣性遺伝)^{じょうせんしよくたいせんせい い でん れっせい い でん}と呼ばれる形式で伝わりますが、両親それぞれから変化のある遺伝子を受け継いだ場合に発症する伝わり方です。そのため、父親が母親のどちらか片方の遺伝子に変化があっても、もう片方の遺伝子に変化がなければ病気を発症しません。



病名	不足酵素	蓄積物質	病型	遺伝形式	症状 ^{注)}	治療方法	患者さんとご家族向け情報サイト LysoLife
ゴーシェ病	グルコセレブロシダーゼ	グルコセレブロシド	I型 (非神経型)	常染色体潜性遺伝 (劣性遺伝)	お腹の膨らみ、 出血しやすい・血が止まりにくい、貧血、骨折しやすい、骨の変形、けいれん、 発達の遅れ、斜視、 口を開けにくい、喘鳴など	酵素補充療法 基質合成抑制療法 造血幹細胞移植 各症状を抑える治療	 https://www.lysolife.jp/goucher
			II型 (急性神経型)				
			III型 (亜急性神経型)				
ファブリー病	α-ガラクトシダーゼ	グロボトリアオシルセラミド	古典型 (男性)	X連鎖性遺伝	手足の痛み、 汗をかかない・かきにくい、 心機能障害、 腎機能障害、 脳血管障害など	酵素補充療法 シャペロン療法 各症状を抑える治療	 https://www.lysolife.jp/fabry
			遅発型 (心ファブリー病、腎ファブリー病) (男性)				
			女性ヘテロ型				
ポンペ病	酸性α-グルコシダーゼ	グリコーゲン	乳児型	常染色体潜性遺伝 (劣性遺伝)	筋力の低下、 呼吸困難・呼吸器感染症、 発達の遅れ、 心機能障害など	酵素補充療法 各症状を抑える治療	 https://www.lysolife.jp/pompe
			小児型				
			成人型				
ムコ多糖症	(I型) α-L-イズロニダーゼ (II型) イズロン酸-2-スルファターゼ (III型) A型/ヘパランN-スルファターゼ B型/α-N-アセチルグルコサミニダーゼ C型/アセチル-CoA: α-グルコサミニドN- アセチルトランスフェラーゼ D型/N-アセチルグルコサミン-6- スルファターゼ (IV型) A型:N-アセチルガラクトサミン-6- スルファターゼ B型:βガラクトシダーゼ (VI型) N-アセチルガラクトサミン-4- スルファターゼ (VII型) β-グルクロニダーゼ (IX型) ヒアルロニダーゼ	ムコ多糖	ムコ多糖症I型	常染色体潜性遺伝 (劣性遺伝)	蒙古斑、 中耳炎、 脱腸・でべそ、 お腹の膨らみ、 いびき、 発達の遅れなど	酵素補充療法 ^{※1} 造血幹細胞移植 ^{※2} 各症状を抑える治療	 https://www.lysolife.jp/mps
			ムコ多糖症II型 (ハンター症候群)	X連鎖性遺伝			
			ムコ多糖症III型 (サンフィリップ症候群)	常染色体潜性遺伝 (劣性遺伝)			
			ムコ多糖症IV型 (モルキオ症候群)				
			ムコ多糖症V型 (マロト・ラミー症候群)				
			ムコ多糖症VI型 (スライ症候群)				
			ムコ多糖症VII型 (ヒアルロニダーゼ欠損症)				
			ムコ多糖症VIII型 (ヒアルロニダーゼ欠損症)				
			ムコ多糖症IX型 (ヒアルロニダーゼ欠損症)				
酸性スフィンゴミエリナーゼ欠損症 (ASMD)	酸性スフィンゴミエリナーゼ	スフィンゴミエリン	乳児期発症の内臓神経型ASMD (ニーマン・ピック病A型)	常染色体潜性遺伝 (劣性遺伝)	お腹の膨らみ、 息苦しさ、 肺炎、 貧血など	酵素補充療法 骨髄移植 各症状を抑える治療	 https://www.lysolife.jp/asmd <small>※別名ニーマン・ピック病A型、B型 他に中間型がある</small>
			慢性内臓型ASMD (ニーマン・ピック病B型)				
			慢性内臓神経型ASMD (ニーマン・ピック病A/B型)				



ライソゾーム病は当冊子で解説した病気を含む50種類以上が報告されており、その診断や治療法の開発が望まれています。現在、31疾病が小児慢性特定疾患、指定難病対象疾患に指定されています。

ライソゾーム病一覧	
スフィンゴリポドーシス	30 ファブリー病 9 ファーバー病 1 ゴーシェ病 4 GM1ガングリオシドーシス 5 GM2ガングリオシドーシス(テイ-サックス病) GM2ガングリオシドーシス(サンドホッフ病) 5 GM2ガングリオシドーシス(GM2活性化蛋白質欠損症) 6 クラッペ病 7 異染性白質ジストロフィー 2 ASMD(ニーマン・ピック病A型、B型)
脂質蓄積症	26 酸性リパーゼ欠損症
ムコ多糖症	10 ムコ多糖症I型 11 ムコ多糖症II型 ムコ多糖症III A型 12 ムコ多糖症III B型 ムコ多糖症III C型 ムコ多糖症III D型 13 ムコ多糖症IV A型 ムコ多糖症IV B型 14 ムコ多糖症VI型 15 ムコ多糖症VII型 16 ムコ多糖症IX型
翻訳後修飾異常	8 マルチプルサルファターゼ欠損症 ムコリポドーシスII型(I-cell病) 19 ムコリポドーシスIII型(偽性ハーラー・ポリジストロフィー) ムコリポドーシスIII型(バリエント偽性ハーラー・ポリジストロフィー)
糖たんぱく症	20 α-マンノシドーシス 21 β-マンノシドーシス 22 フコシドーシス 23 アスパルチルグルコサミン尿症 24 シンドラー病/神崎病 シアリドーシス1型 17 シアリドーシス2型 18 ガラクトシアリドーシス
内在性膜たんぱく質障害	31 シスチン症 27 ダノン病 ・動作性ミオクローヌス-腎不全症候群 28 遊離シアル酸蓄積症 3 ニーマン・ピック病C型 ・ムコリポドーシスIV型
糖原病	25 ポンペ病
セロイドリポフスチノーシス	セロイドリポフスチノーシス1型 セロイドリポフスチノーシス2型 セロイドリポフスチノーシス3型 セロイドリポフスチノーシス4型 29 セロイドリポフスチノーシス5型 セロイドリポフスチノーシス6型 セロイドリポフスチノーシス7型 セロイドリポフスチノーシス8型 セロイドリポフスチノーシス10型 セロイドリポフスチノーシス11型 セロイドリポフスチノーシス12型 セロイドリポフスチノーシス13型 セロイドリポフスチノーシス14型

数字、太字は、ライソゾーム病の区分で指定難病とされている疾患を示します。

La Cognata V, et al.: Cells 9 (8): 1902, 2020
 難病情報センター：ライソゾーム病(指定難病19)(<https://www.nanbyou.or.jp/entry/4061>)
 (閲覧：2022年11月)より作成



ライソゾーム病患者さんとそのご家族向け資料

ゴ－シェ病	 疾患の理解   患者さんストーリー
ファブリー病	 疾患の理解  学校の先生へ  一緒に働く方へ       患者さんストーリー
ポンペ病	 疾患の理解  学校の先生へ  周りの方へ
ムコ多糖症	 疾患の理解  患者さん向け絵本  周りの方へ
ASMD	 疾患の理解  問い合わせ窓口  社会保障制度支援  社会保障制度支援 共通

Webサイト『ライソライフ』から
 1分の簡単入力
 資料をお届けします






MEMO

Lined writing area for page 17.

MEMO

Lined writing area for page 18.

