



PKD 財団の使命は多発性嚢胞腎の原因を確定し、治療法を改善し、治療への道を見つける研究をすることです。

PKD Progress 誌は患者、医者と医学研究者のためのニュースレターです。専門家の記事で表明された意見はこの寄稿者のもので、PKD 財団の意見を反映していません。

作品の帰属の記載があれば自由に転載できます。

注1) 本資料は米国のPKD財団により発行された Progress 誌をPKD財団の許可を得て、PKDの会が翻訳したものです。

注2) 本誌は Progress 誌全てではなく、PKDの会が一部を選んで翻訳したダイジェスト版です。

注3) ここに記載された情報に起因する損害または権利の損害に関して、PKDの会は一切その責任を負いません。

PKD Progress Vol.26 Issue1 2010 年春号



3 PKD 研究

5 注目すべき進歩

7 ペロン医師の言葉



1 専門家に聞く



8 キャンペーン



10 PKD 治療会

専門家に聞く

回答はバーミングガムのアラバマ大学医学博士のリサ・ゲイウッドフォード医師から寄せられました。ARPKD（常染色体劣性遺伝嚢胞腎）について PKDcure.org の PKD 学習センターで学びましょう — スペイン語でも。

Q どのようにして ARPKD になるのですか？

A 例えから始めてみましょう。私たちは約 3 万の遺伝子を持って生まれ、そして各々の遺伝子は 2 つのコピーからできています；このように考えてみて下さい。歌が入ったカセットをいっぱい持っていて、小さなケースにため込んでいましたよね。そうです、遺伝子は染色体と呼

ばれる組織に積み込まれています。そして、あなた方の遺伝子を構成しているひとつのコピーを父親から、および遺伝子を構成しているもうひとつのコピーを母親からもらっています。さらに例えるなら遺伝子は歌のようなものです。何故なら歌は情報をもっていますし、遺伝子もある情報をもっています。例えば眼の色です。この例えを引用するなら、あなた方は母親からのひとつのバージョンと父親からのもうひとつのバージョンを持った歌があります。それ

はひとつのコピーにフランク・シナトラの歌と、もうひとつハリィ・コンニック - ジュニアの歌があるようなものであります。それは非常に似ていますが、あなた方は二つの歌は異なると言うことができます。それ故にそれは組織であります。遺伝性疾患では、いろいろの理由のため、これらのコピーのひとつまたは両方とも、ある理由のため、欠陥 — 適切に役割をなさないこと — が起こります。優性疾患では、あなたはうまく機能しないひとつのコピーを持って生まれます。劣性疾患ではあなたが母親からのコピーと父親からのコピー両方ともうまく機能しませんが、本質的に歌は歌われません。

Q ARPKD の診断にバラつきはありますか？

A はい！実際、それが非常に重要なポイントであります。何故なら、みなさんがインターネットで見たり、あるいはテキストで読むときでさえ、それは胎児や新生児の病気であると伝えてあります。それはすなわち、実際、最も普通の ARPKD の説明であります。しかしながら、生後1年で（病気）と診断される子供たちがいます；つまり（体調）が変わり易い幼児期に（病気）と診断されてしまう子供たちです。それで私たちは ARPKD と成人で初めて診断したヨーロッパの研究報告、そしてより最近では、メイヨ・クリニック (Mayo Clinic) からの研究報告を正しく理解することに着手しつつあります。これは大変重要なポイントであります。何故なら病気の診断の時期によって病気のあらわれ方が違って来るからであります。もし胎児で診断されるなら、通常レベルの羊水を作りだすことを維持または継続することに問題を生じるかもしれませ

ん。それは大きな問題です。何故なら胎児の正常な肺の成長に羊水は重要だからです。もし羊水が通常量と組成がなければ子供はごく普通に肺が発達しないか—またはそのリスクを持つことになります。それを解決するのは腎臓を機能させることではないでしょうか？そう！妊娠のごく初期から羊水は大部分が腎臓の産物であり。それは胎児の排尿であります。それ故に、腎障害をもつこと— ARPKD のような様々な腎障害は、肺の発達が十分でなく、羊水の量および通常の羊水組成に変化をもたらします。その結果、子供は、子宮内生活から移動するとき、そこで母親の血流から酸素を得て子宮外生活へ移ります。そして呼吸をしなければならないのです。もし子供の肺が最低限の（成長）レベルに発達していなければ自力で酸素を吸入できないのです。それは子供が ARPKD をもって1日か2日以内に死亡することになります。彼らはまさに外部環境に自分自身を維持するだけの十分発達した腎臓を備えていないのです。診断年齢により ARPKD をもつ子どもとして、様々な理由に対して医学的注意が払われます。大きな腎臓 — ごく小さい子供、つまり乳児の腹部の塊の最も一般的な原因 — は実際、ある種の腎臓異常であります。彼らは医学的注意が払われます。何故ならある理由で、高血圧症を持つとわかっているからです。さらに泌尿器系感染症をもつため、メディカルチェックをされ、そしてその後に行われるスクリーニングにおいて超音波検査が実施されて ARPKD からなるパターンで肥大した腎臓が明らかになります。子供が年齢を重ねても、腎障害が現れないことも稀にありますが、肝臓疾患として現れます。それ故に診断年齢により病気のあらわれ方はさまざまになるのです。

解説：PKD Progress の 2009 年冬の刊行における処方薬；バクトリム(Bactrim)についての情報は、ミスリードされていた。“どんな医薬を避けるべきか？”との質問に対し、「クレアチニン (creatinine) の分泌を減少させる可能性があるので避けるべきである」との答えである。私たちの専門家によれば、このステートメントは事実であるが、バクトリムによるクレアチニンの減少は人為的であつ真実ではない。大半の PKD 患者には安全であるが。しかしながら専門家はバクトリムの摂取に興味をもつ人には、最初に内科医に尋ねるべきであることに同意している。

PKD 研究

私たちの位置は？どこに向かおうとしているか？

1984 年 PKD 財団は \$ 25,000 の最初の研究費を提供し、2004 年までに PKD を治療すべく薬 —トルバプタン(Tolvaptan)— の最初の臨床試験が行われました。今日、PKD 財団は毎年、総額数百万ドルを PKD 研究プロジェクトに提供しています。そして PKD 病気の進行を遅らすための治療に 5 つの薬品が試験されているのです。

あなた方の支援は実際、驚くべき進歩をさせました。しかしまだなすべき事はあります。

PKD のための薬を開発すること —基礎科学から臨床試験へもっていき、米国食品医薬品局 (FDA) の認可を得て、最終的に地方の薬局までもっていくこと— は長期かつ長いプロセス (添付のチャート参照) であり、一方で PKD 財団はこれを促進させるために絶え間なく働いています。

私たちは薬開発のスピードアップのために私たちの計画を促進すべくあなた方と共有していくことを希望します。一方私たちは、すでに進めている既存の作業に関する追加情報を提供したいのです。そして私たちが PKD から開放される未来に近づける研究を約束したいのです。

5 ページではあなた方は、サンジェゴで最近の米国腎臓学会 (ASN) 腎臓週間について学ぶで

しょう。そこでは PKD は、最近の研究成果に関する 120 件以上の発表がセンターステージを得ています。私たちはこれらの研究結果の幾つかに明るい光を当て、そしてまた、PKD 財団の有名な科学的助言委員会 (Scientific Advisory Committee) の議長であるロン・ペロン医師 (Ron Perrone, MD) からのコラムを共有するでしょう。

しかし最初に、臨床試験指導員……さらに何を望みますか？PKD website, www.pkdcure.org、の新しく拡張された研究部門を訪ねてください。



臨床試験のフェーズ

PKD を治療する新薬は、FDA 認可に向け検討される前に、各々のステージを通らなければなりません。さらに詳しくは以下の医薬開発の時系列を見て下さい。

1 ; 予備臨床開発 (PRECLINICAL DEVELOPMENT)

新薬は、安全性、投薬範囲および副作用について少数の健康な協力者で試験されます。

2 ; 主要点評価試験 (PIVOTAL TRIALS)

新薬は、PKD 患者の少数協力者で安全性、効能を試験されます。

3 ; 臨床試験 (CLINICAL TRIALS)

新薬は、効能検証、副反応検知を多数の PKD 患者の協力者で試験され、そして現在の治療法と結果を比較します。

臨床試験で集められたデータは解析され、法律的審査のため FDA に提出される。審査は 1~3 年かかります。一度認可されるとその新薬は PKD 治療にあたる内科医によって処方されます。

4 ; 認可後調査 (POST-APPROVAL STUDIES)

これらの調査はその薬が認可され、使用された後で行われます。危険性、利点、最適利用についての新たな追加情報が集められ、解析されます。

臨床試験のやり方

PKD 患者に対し、現在行われている試験には二つの方法、観察試験 (Observational Study) と介入試験 (Interventional Study) があります。

- **観察試験 (Observational Studies)** は、病気の経過をよりよく理解するために一定の期間、血圧または生活の質 (様子) など種々の臨床的および/または自覚的要素をチェックし、記録します。試験中は投薬せず、また他の介入手立てはしない。多発性嚢胞腎臓病放射線画像研究協会 (CRISP) の事業は観察研究でありました。
- **介入試験 (Interventional Studies)** は、同様に一定の期間、経験的な治療のみと薬の併用を行い、病気の变化をみるため、血圧または生活の質 (様子) など種々の臨床的および/または自覚的要素をチェックし、記録します。

臨床試験における有望な治療法

PKD に有望な治療法として種々の薬が現在試

験段階にあります。

- Tolvaptan (大塚製薬)
- Sirolimus (Wyeth 社) —aka rapamycin, Rapamune (商標名)
- Everolimus (Novartis 社) —この薬は Sirolimus の生化学的修飾剤。
- Somatostatin (Novartis 社) —Octreotide、として知られている。
- Lanreotide (Beaufourlpsen 社) —この薬は薬効期間延長させた Somatostatin の修飾剤。

他の期待される治療法

他に有望な治療ではまだ臨床試験に入っていないが、PKD の動物モデルでの有望な処方があります。

- **Plx5568** : Plexikkon で作られたこの薬に対し、フェーズ II 臨床試験が Roche によって計画されている。Plexikkon は予備臨床試験で細胞増殖をブロックすることを示した。薬の安全性、投薬、そして健康な協力者による副作用を評価するフェーズ I 研究は完結されている。

- **Roscovitine** は、細胞増殖をブロックする薬で、そして最近では癌での試験や嚢胞をもったマウスの PKD 予備臨床研究で試験されている。
- **Pioglitazone** は、細胞増殖をブロックする薬で、そして嚢胞をもったマウスの PKD 予備臨床研究で試験されている。
- **Reversin** は、予備臨床試験で進行した嚢胞疾患において腎臓機能を回復させた薬である。
- ヒト胚からの **Stem cell** が、嚢胞マウスに対する PKD の予備臨床研究で腎臓機能を回復させるかテストされている。

臨床試験になぜ参加すべきですか？

臨床試験に加わればあなた方は以下のことができます；

- あなた方自身の健康管理においてもっと活動的役割を果たすこと。
- 一般に適応されるまえに新しい治療にアクセスさせること。
- PKD に対する治療の開発に寄与すること。
- PKD を持つ次の世代により良いことを作っていくこと。

注目すべき進歩は ASN 会議に脚光

昨年の**米国腎臓学会 (ASN) 腎臓週間**に、世界の主要な腎臓疾患会議で、PKD のトップ専門家は PKD 研究に関する 120 件以上のレポートを 10,000 人以上の医療従事者および研究者に発表しました。これらの発表の包括的テーマは、世界の PKD 研究は効果のある薬や治療によってその病気の恐怖から救える時期に劇的に近付きつつあることでもあります。トルバプタン(**Tolvaptan: V2** バンプレシン受容体拮抗薬)や HALT (促進テスト)、ソマトスタチン (**Somatostatin**: 生長ホルモン放出抑制ホルモン) のような臨床試験が、確実に進歩し、それに加えて実験室の成果を患者にもたらす目標は、手近かに近づいています。この顕著な PKD 研究の進歩の幾つかの例は以下に示します。**これらの多くのプロジェクトは PKD 財団によって資金援助されました。**

2009 年の ASN 腎臓週間は、PKD に関する一般的な問題 — 患者ケアの前線にいる医師や看護師のための重要な話題 — のマネジメントを議論する医師の会合でありました。もうひとつの重要な会合は、慢性腎臓病における臨床試験とこれらの分野における治療法開発の米国食品医薬品局 (FDA) の役割に焦点を当てました。過去 5 年間では多様な慢性腎臓病を治療するためには少数の

新薬しか認可されませんでした。何故なら臨床試験で測定すべき適切な因子を特定するのが難しかったためであります。尿蛋白の利用、嚢胞病の場合の嚢胞の大きさ、および腎系体球ろ過速度 (GFR) が最後の臨床研究のポイントとして検討されました。PKD 財団と FDA との共同作業は、PKD 臨床研究を促進することにしました。

既存の PKD 研究は 2009 年の ASN 腎臓週間から脚光を浴びる；

トルバプタン(Tolvaptan)はフェーズ 2 の研究で腎臓肥大を防止

菱田明医師 (Akira Hishida, MD) (訳注: 東原英二医師の間違いか?) をヘッドとする日本のグループは、医薬トルバプタンは、ADPKD 患者の腎臓肥大の防止に効果的であり、許容されていると報告しています。トルバプタンは、塩分濃度の不適切な増加を防止し、腎臓が過度に水分吸収しないよう維持し、トルバプタンが ADPKD をもつ動物モデルの嚢胞肥大を阻害することは以前に知られていた。現在の結果は、17 人の日本人患者で 3 年間の集中研究の最初の 2 年間の結果である。2006 年にトルバプタンは、FDA によって Fast Track (医療ニーズの高い治験薬として優先的に審査を行う FDA の制度) 指定され認可されました。Fast Track プログラムは開発を促進するように計画され、また重大なまた生命に危険を及ぼす状態を扱うことを意図して、まだ対処されていない医療ニーズを記述する可能性を示す新薬のレビューを促進させるように計画されています。PKD 財団は、速やかに嚢胞性動物モデルにトルバプタンを試験する研究に投資しました。

オクトレオチド (Octreotide) 重い多発性肝臓病患者の認知を改善

ビセント トーレス (Vicente Torres) 医師をヘッドとするメイヨ・クリニックのグループは、ソマスタチンに類似した薬は肝臓や腎臓の大きさを減少させ、重い多発性肝臓嚢胞病 (PLD) をもった患者の一般的な健康認知を改善します。この薬は長期効能性オクトレオチド (Octreotide) であり、Octreotide LAR とも言われ、OctLAR と略されています。PLD は ADPLD 単独または ADPKD との合併症で起こる、生命恐怖のある遺伝性疾病の群を包含しています。現在、PLD に対する治療または予防策はありません。この結果は、ADPKD 患者 36 人と ADPLD 患者、計 42 人の PLD 患者における OctLAR の 12 ヶ月の予備研究の結果であり

ます。予備実験は、その可能性チェックするかまたは研究手法を改善するために実施された研究です。OctLAR は、ARPKD の動物モデルで肝臓や腎臓を小さくことはすでに知られていました。このプロジェクトは PKD 財団から資金援助されています。

内臓神経を切ることは慢性的な腎臓痛みを和らげる。

腎臓から或る神経 (内臓神経) を取り除くビデオ補助付き外科処置は、比較的腎機能が保たれている ADPKD 患者の慢性的痛みを治療するのに有用かもしれません。これはメイヨ・クリニックのトーレス医師によって導かれたもうひとつの研究の結論でもあります。この方法は、Videothoracoscopic sympathectomy (VSPL) と呼ばれます。この研究は、6 ヶ月間以上慢性的痛みをもち、オピオイド (Opioid ; アヘン系合成麻酔薬) を服用していた ADPKD 患者 10 人全員の VSPL 治療でした。手術の後、10 人全員が程度の差はあるものの直に (痛みが) 和らぐことを報告しています。10 人のなかで 6 人の患者は、オピオイド薬から離れるか、または止めています。このプロジェクトも PKD 財団から資金援助されました。

ソマトスタチン (Somatostatin) は多発性嚢胞肝臓病の肝臓肥大を減少させる。

ピエロ ルッグネーニチ (Piero Ruggeneenti) 医師をヘッドとするイタリアのグループは、苦痛を緩和するソマスタチンでの治療は ADPKD 患者の肝臓肥大を減少させる可能性があることを報告しています。彼ら科学者はこの治療は、長期の成果を改善するであろうこと、またさらなる研究を行う価値があると提案しました。PLD は ADPKD の頻繁な兆候であります。ルッグネーニチ医師らは、2005 年の予備試験においてソマトスタチン治療は 13 人の ADPKD 患者において腎臓肥大を抑えたことを発表しました。同

じ患者グループでの新しい研究において科学者たちは、苦痛を緩和するソマスタチンでの治療はプラシーボ（対照治療）と比較して著しく肝臓肥大を減少させたことを発表しました。これらの結果は、肝臓体積の変化は嚢胞ができると考えられる肝臓の特定な範囲（柔組織）で起こったことを示しました。

ADPKD をもつ女性の出産率は 71%

健全な腎機能を持った女性の ADPKD 患者は 71% の出産率であることがピッツバーグ大学のジェームズ ポスト (James Bost) 医師と研究者らの研究で明らかになりました。さらに研究者らは、妊娠しても妊娠に失敗しても、非妊娠者と比較して全体の腎臓体積および嚢胞体積の増大に関係していることを発見しました。この結果は、妊娠自体が肥大した肝臓嚢胞に関係することも示唆しています。高血圧や血尿は、妊婦と非妊婦における場合と類似していますが、妊娠に失敗した人では血圧はより高かった。CRISP (PKD の放射線画像研究協会) 女性参加者のなかで CRISP 参加中に妊娠した女性に焦点を当てました。そして妊娠に失敗した女性および閉経後で妊娠できない CRISP 女性参加者と比較されました。全体では 120 人の CRISP 女性参加者で健全な腎機能を持った 13 人の女

性が 17 例妊娠し、うち 12 例が出産しました (71% の出生率)。

腎臓嚢胞は高血圧と尿中血液と関係

ポスト医師のもうひとつの研究で、研究者らは ADPKD 患者の腎臓の全体積に関する年齢からくる高血圧や血尿を調査しました。CRISP の研究協力者のデータ解析は、高血圧は 1,000ml のぎりぎりの腎臓体積から引き起され、一方、血尿は若い子供で比較的小さい腎臓から始まり、また血尿の年齢的な増加の観察には、次第に大きくなる腎臓が必要となりました。研究者らは腎臓嚢胞が ADPKD における高血圧と血尿の主たる決定要素であると結論付けました。このプロジェクトは一部、PKD 財団の資金提供を受けました。

PKD 研究は分岐点に

これら脚光を浴びた 6 件の報告に加えて、ASN ミーティングでは他に多くの希望ある PKD 発表がありました。これら PKD 財団から資金提供された根気の要る研究は、PKD 患者のための効果的治療に近づきつつあり、臨床試験を推進させて成功にむけた年が最終的に始まっています。

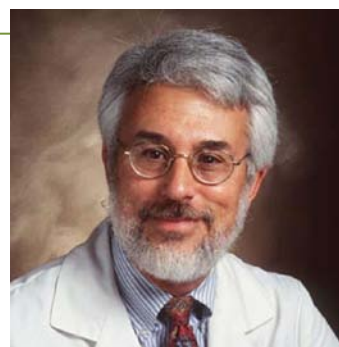
PKD 研究

Ronald D. Perrone 医師からの言葉

タフツ (Tufts) 大学メデカルセンター、PKD 財団科学助言委員会の議長

私は、多発性嚢胞患者の研究の進歩について興奮と楽観性を強く感じた米国腎臓学会のミーティングに印象が残った。世界中の科学者から多発性嚢胞疾患の展望を含む 120 件以上の発表がありました。それらには ADPKD と ARPKD の双方におけ

るシストジェネシス (Cystogenesis 嚢胞遺伝学) の基本的メカニズムを決定する研究があり、また動物や細胞モデルで可能性ある新薬をテストや、多発性肝臓嚢胞疾患に新しい画像手法を試み、また世界の多くの ADPKD 患者による臨床試験もあ



りました。

ADPKD をもった 1,500 人の患者の大半は「Tolvaptan」のテンポ (Tempo) 試験に参加しています。そして 1,000 以上の患者がホルト (HALT) PKD 研究に参加しています。

ホルトでは腎臓体積、腎機能および心筋の厚みに対するアンジオテンシン (Angiotensin) の封鎖性の役割に注目しています。私は、これらの試みの結果が向こう 3 年から 5 年以内に多発性嚢胞疾患のケアにインパクトを与えることを予測・期待しています。

これらの研究の募集は狭くなるが、しかし PKD 治療組織や臨床試験機関でさらに多くの情報が見出されるでしょう。

薬開発の努力 (患者が使用できる新薬をつくる試み) は顕著であります。これらの努力は、嚢胞ができる細胞や分子メカニズムを十分に理解しうる基礎研究によって加速しつつあります。動物や細胞 PKD モデルにおいて多くの有望な新薬がテストされ、そして総じて良い結果を示しています。科学的ミーティングでそのデータが発表されることは、普及品として公表される前は一般には準備段階で、追加確認を必要とすることを思い起こすことが重要であります。

腎臓病の薬開発のための、FDA との特別セッションがあり、PKD 財団の努力により PKD の薬学研究において効果的な短期指標として腎臓容積 (total kidney volume) を使った規定及び科学的コンセンサスに関する非常に有望な所見が作成されました。

‘希望へのキャンペーン’ (Campaign for Hope)

進歩・知識・発見

これら三つの言葉は、PKD 財団で私たちがすることの枢軸である。それ故にこれらの言葉は PKD 財団の ‘希望へのキャンペーン’ におけるメッセージの基本であり、希望、研究、教育、擁護、支援、および自己認識の PKD 財団の開拓プログラムをサポートする寄付者からの 1,200 万ドル以上の広い自発的ネット組織であります。

‘希望へキャンペーン’を通して PKD 財団は、研究と治療法の開発促進に 80%、教育と自己認識のために 20%を資金奉仕することを約束しました。

この寛大かつ熱烈な寄付者による大変な支援のために、財団は研究に約 1,400 万ドルの基金援助を行いました。その結果は PKD を治療し、治癒する真の可能性を意味します。

この顕著な活動は研究許容能力を増加させました。つまりさらなる PKD の特殊な臨床薬試験を促進、育成するための PKD 財団を可能にしました。

この研究投資の結果として、著名な PKD 科学者が認識され、2005 年から 2009 年のまる 5 年間に劇的に活発な臨床試験の数が増加しました。

2008年のPKD財団は全世界で56件の研究プロジェクトに資金提供しました；

- ・基本補助金、32件
- ・研究奨学金、12件
- ・若い研究者奨学金、3件
 - ・トランスレーショナル研究補助金、5件
 - ・コア補助金、1件
- ・共同研究補助 (TS Alliance と共同)、3件

‘希望へのキャンペーン’中に30例を超える種々の臨床試験が進展しました。

この活動から資金援助を受けたトランスレーショナル研究（基礎研究から臨床応用研究への橋渡し研究）プロジェクト2件は、興味の引き金となりPKD財団の科学的助言委員会によって興味と援助を刺激しました。つまり治療の約束と楽観主義のために、これらの有望なPKD治療がなされます。

最初のプロジェクト、ADPKD患者に有望な効果があるシロリマス (Sirolimus ; 免疫抑制剤) プロジェクトが、アンドレス セラ (Andress Serra) 医師によってリードされました。セラ医師は、スイスのチューリッヒにある大学病院の腎臓クリニックの先端研究者です。PKD財団の多年の資金援助は最近、セラ医師と彼のチームによりフェーズⅢ臨床試験を支援しています。

第二のトランスレーショナルプロジェクトは、イタリアのベルガモのギルゼッペ レムツィ (Gillseppe Remuzzi) 医師によってリードされました。医師のプロジェクトはPKD財団が国際的なメジャー製薬会社と緊密な関係を築くのを可能にしました。財団が2つの追加PKDトランスレーショナル研究プロジェクトの支援に影響しました。結局、レムツィ医師はこのプロジェクト“birthed”の間に、さらに三つの追加PKD治療の機会を得ました。

‘希望へのキャンペーン’“パートナーズ (Partners)”によって与えられた**基金の20%**はPKD財団の科学的能力の強化に利用され、そして積極的結果を引き出す研究集中に影響しています。その目的は世界でPKDの家族の利益のための市場へ治療を加速することにあります。

‘希望へのキャンペーン’を通して、我われは治療法を開発すべく、戦略的なパートナーシップ構築によって発見の道を継続することを誓いました。

この投資は、連邦政府の代理店や製薬会社、ベンチャー企業、個人、およびバイオ技術会社との既存および新規の戦略的パートナーシップを通して、薬の開発を推進するためのPKD財団の許容力を拡大しました。

PKD財団はまた、最近ADPKDの臨床データベースを見出すため、米国食品医薬品局 (FDA)、医薬品工業会、および臨床医と共同作業をしています。

これらパートナーは共同して、既存患者の研究から提供されるデータを一つの情報源に

結び付ける計画を立てています。データベースは一度完成すれば、さらに多くの光をPDKに与え、将来の臨床試験の開発—最終的にはPKDのための新規開発を加速する開発を刺激することが期待されます。

“希望のキャンペーン”のもうひとつの目標は、PKD財団の教育、雇用、および普及啓発を高めています。

“希望のキャンペーン”が生み出した財源の20%は、PKD財団の新教育部門の発足を助けました。その部門は自由教育的ウィビナー（ネットでのwebセミナー）とPKD学習センターが特徴で、疾患の各段階にあるPKD患者のために、一時的

なメディア形式にされた情報のオンラインライブラリーであります。

自由な PKD 財団のウィビナーには世界の 88 カ国から 7,000 人以上の人々が登録しており、PKD の基本理念、栄養学、移植、および透析のような話題をカバーしています。遠くはアルバニアやアルゼンチン、ウクライナ、ベトナムから、そして米国全土からの参加者は、すべてこの分野の専門家から出される PKD 関連のいろいろな話題についてより深い情報を得るために、一時間のウェブベース学習に参加しています。

“希望のキャンペーン”はまた、大規模な普及キャンペーンとキャピトルヒル (Capitol Hill ; 国会議事堂のある丘の意味=政府) の支持を支援しています。この努力は、財団が“遺伝情報非差別法” (the Genetic information Non-Discrimination Act—GINA ; 2008 年制定) を通

過させるのに重要な役割を果たすことになり、2009 年の PKD 研究のための連邦資金に 2005 年の 2,500 万ドルからアップして、常にトップの 4,200 万ドルを保証しました。

研究の進歩を前進させ、知識を増やし、そして新しい道筋と関係の発見を励ますことは、PKD を終焉さすための“希望のキャンペーン”の目的でした。我われは、このプログラムを期待以上にするために貢献した総ての人々に感謝します。この支援は組織を前進させるべく厳しく活動する我われに勇気を与えます。

我われは、研究における関係を生かし、そして成長させること、また政府と患者の支持を増やし、そして PKD 共同体を全体として強化することを継続しますので、我われは PKD のない将来目標を達成することに限りなく近づけていきます。

PKD 治療会は進行中:

協会の物語を読みましょう!

PKD 財団は常に希望を与えることに集中しています。一研究、教育、擁護、および支援が PKD のない未来へ導く希望です。そのような厳しい仕事の継続を確かなものにするため、多くの思慮深い人たちが財産計画において PKD 財団を加えてきました。彼らの先見性は PKD の処置や終局的治療法への道を固めるでしょう。

これらの特別な計画の約束に敬意を表するため、寛大な人は PKD 治療会に入会してきました。2010 年の 6 月 30 日以前に計画に対する彼らの約束を我われに知らせる会員は、さらに PKD 治療会の協会員として認められるでしょう。

もしあなたが財産計画に PKD 財団を含め、そしてあなたの贈り物を我われに認められたいなら、PKD 治療会セクション ; www.pkdcure.org/

[planned giving](#) に従って入会申請書に書き込み、提出して下さい。

ここに 2 人の会員の物語があります...

キンベルリィ ガンプル
(KIMBERLY GAMBLE)

さんが、彼女の退会金の受け取り人として PKD 財団を指定する決断したこと



は単純で、正直なものでありました。

「私は PKD が治療されることを望む」と彼女は言いました。
ガンブルさんはテキサス州、オースチンにある PKD 財団会員のコーディネーターであったが、20 年以上 PKD と診断され、そして彼女自身の患者経験から他の患者に気を配ることを望んでいました。

「より大きな善のためには正しいと考えられることをしている」と言っていました。また「私は、他のひとが PKD になったり、失職の恐怖、動脈瘤破裂の恐怖、嚢胞破裂の苦痛を味わうことを望んでいませんでした。特に子供たちのようにまだ無知な人たちがそうなる考えると悲しくなります。それ以上に、私はこれらから彼らがそのような苦勞をすることを望まず、それが私の役目である。」というのです。

ガンブルさんは、他の会員が彼女の例に従い、そしてまた何らかの方法で PKD 財団に協力することを望んでいます。「私の父、Ed Bowers は ‘あなたができることは自分自身で何かをすることであると常に言っている。’



アトランタのマルコム ゲーリー氏
(MALCOM GAILY) も、PKD 財団の長い間の支援者として家族や友人達の

の例をあげ、同様な信念に従っています。ゲーリー

氏は、彼の妻、アイダ マエ (Ida Mae) さんが娘の誕生に続き診断を受けた後、PKD 財団に関係をもつようになりました。ほぼ 20 年の透析後、アイダ マエさんは 1991 年に亡くなりました。彼らの娘は PKD が遺伝し、丁度 10 年後、2001 年に順調な腎臓移植を受けました。

これら総てを通してゲーリー氏は、PKD 財団は彼の側に立ち、情報、支援、そして希望を提供してくれたと感じています。現在は、彼は自分の資産の遺産を通して PKD 財団へ支援を続けることを楽しみにしています。

“あなたができることは、あなた自身が何かをすることである”

ゲーリー氏は言います！「この疾患の治療と処置法の発見を助けるための調査において PKD 財団のような組織に参加することは素晴らしいことである。」と。

2010 年 6 月 30 日までにあなた方が計画する献身を我われに知らせるため、

PKD 財団; 1-800-PKD CURE(753-2873)にコンタクトするか、または pkdcure@Pkdcure.org にメールして下さい。