



低ホスファターゼ症コミュニティ

HPP HOPE

2024年度(第1期)活動報告書

本報告書は、NPO法人HPP HOPEが
2024年度（第1期）に取り組んできた活動と、
その背景などを広く共有することを目的としています

1. HPP HOPEとは
2. 2024年度の歩み
3. 今後の活動と展望
4. 活動計算書
5. 組織運営
6. 最後に

ごあいさつ

本報告書をお手にいただきありがとうございます。

2024年度は、NPO法人化を含め、団体としての基盤を整えながら活動を進めた一年でした。患者会としてこれまで大切にしてきたつながりを守りつつ、NPO法人としてどのように活動をしていくべきかを考え、試行錯誤を重ねてきた期間もあります。

現在もなお、検討や準備の段階にある取り組みもあり、本報告書はその「途中経過」をまとめたものです。私たちが何を大切にし、どのような姿勢で活動を進めてきたのかを共有できればと考えています。

今後も活動を重ねながら、低ホスファターゼ症の課題解決に向き合ってまいります。



NPO法人 HPP HOPE代表理事

小野澤 侑 Yu Onozawa

1. HPP HOPEとは

定款記載の目的 :

この法人は、低ホスファターゼ症で苦しんでいる子供たちやその家族及び成人に対して、低ホスファターゼ症に関する正しい情報の提供、相談、親睦等の支援事業や低ホスファターゼ症を多くの人に知つてもらうための啓蒙活動や低ホスファターゼ症以外の難病に係る問題の改善や解決を支援し、社会福祉に寄与することを目的とする

「低ホスファターゼ症（HPP）」とは

約15万人に1人の発症と言われている低ホスファターゼ症（HPP）。指定難病であり、未だ根本治療の方法は未確立です

「低ホスファターゼ症」とは

非常に稀な疾患であり、診断や治療が難しい指定難病。骨や歯の石灰化が不十分になる遺伝子疾患で、骨が弱くなり、様々な症状が現れます。また、現在は酸素補充療法という治療法があります。

周産期重症型

妊娠22週から出生後7日未満に発症

周産期良性型

骨の石灰化が割と良好で予後が良い

乳児型

生後6ヶ月までに発症

小児型

小児期に発症

成人型

成人期に発症し、病的骨折や骨痛を伴う

歯限局型

主に歯に影響を及ぼす

症状よってどんな悩みを抱えるのか
...



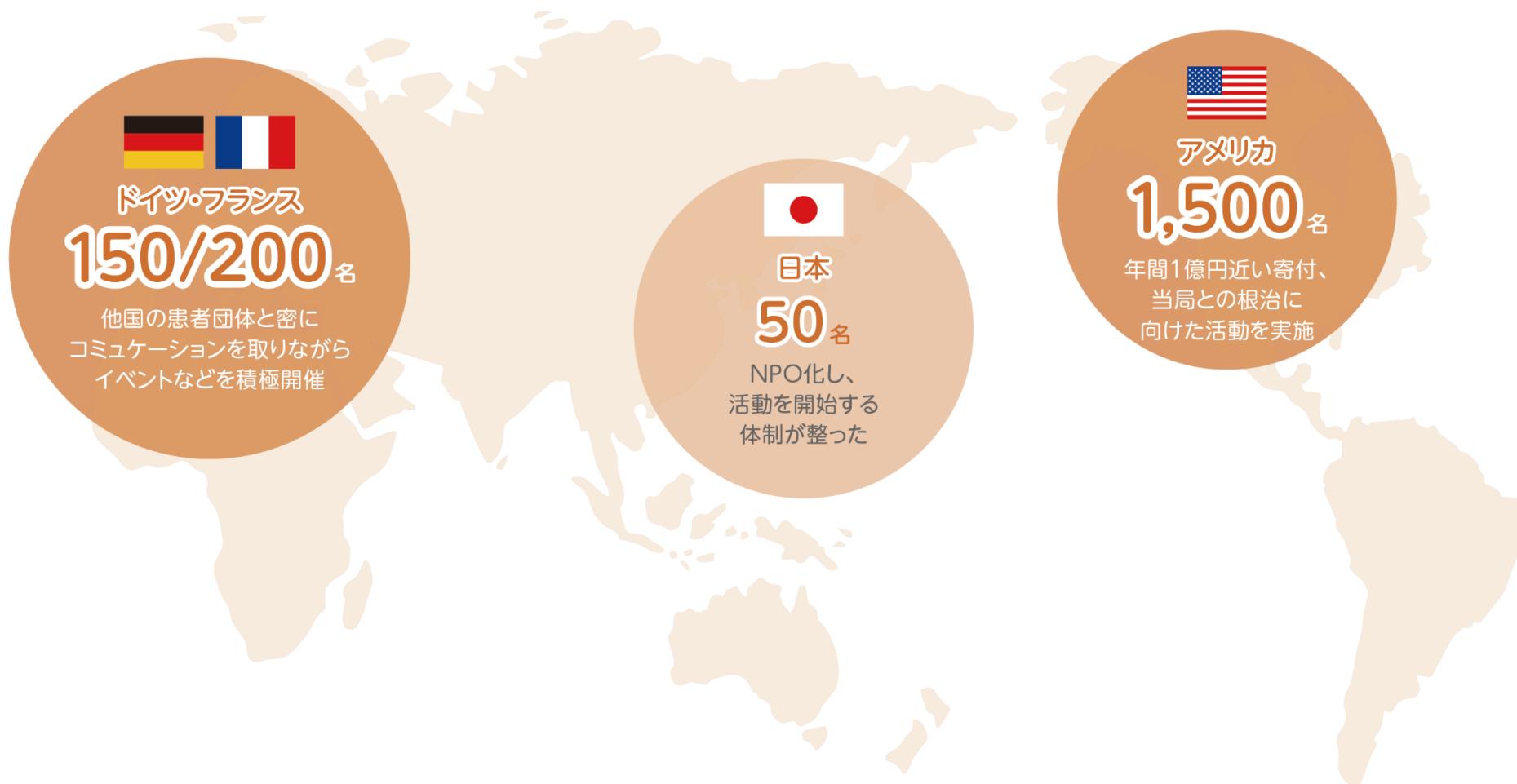
専門医が少なく相談が困難な場合がある

治療に使う注射が痛く高頻度で実施しないとならない

世の中に情報が少なく、不安を解消しづらい

患者会が考える「低ホスファターゼ症(HPP)」における課題

世界の患者団体は多くの会員があり、各国で根治に向けた活動が進められていますが、日本においては患者会の研究参画はメジャーではありません



NPO法人HPP HOPEの役割

私たちは、患者・家族の生活にとって意味のある支援を、一つずつ積み重ねていくことを大切にしています



世の中の動きや患者の不安

- 根治方法が確立されていない、また、薬が1つしかない
- 情報が入ってこず将来への不安は募るばかり



活動などの課題

- 患者団体が根治に向けて具体的な動きができていない
- 製薬企業/研究機関とのコミュニケーションが積極的に取れていない
- HPPの最新情報（主に海外）に辿り着けていない
- 患者団体としての運用資金の確保がうまくできていない



解決策

- 患者団体をNPO化することで、さらなる活動を推進しつつ、他の団体と繋がり
- 最新情報を取得、公開することで不安・課題の解消を目指す



NPO法人HPP HOPEの将来像

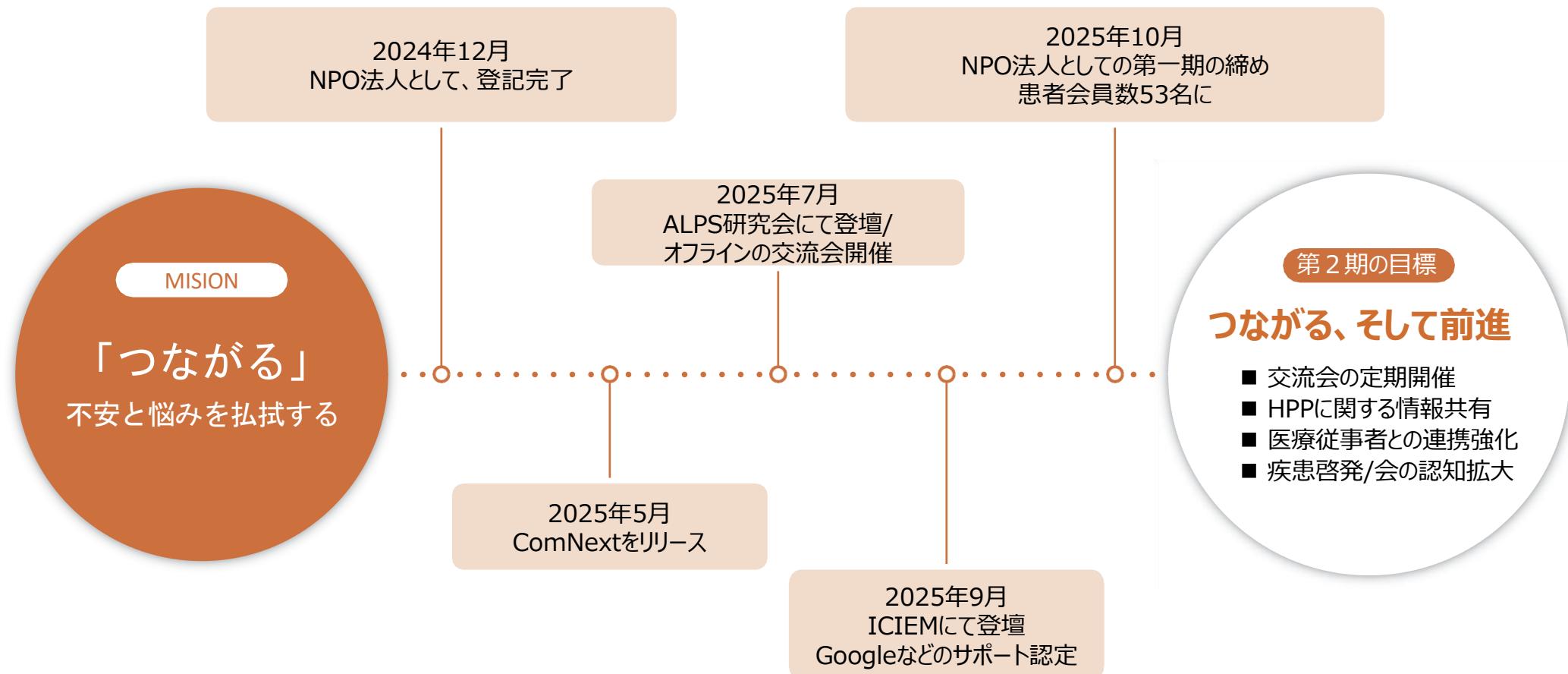
私たちは、患者・ご家族、医師や製薬企業・研究機関などとつながり、“架け橋”となることを目指します



2. 2024年度の歩み

2024年度の歩み 2024年度～次年度に向けた主な動き

設立当初の思いである「つながる」ことを大事にしながら、活動を進めてまいりました



2. 2024年度の歩み

患者交流会

オンラインの患者交流イベントのご紹介



隔年実施されている、**ALPS研究会**（第16回）に併せて**患者交流会**を実施いたしました。
今年度の開催は**沖縄**でしたが、現地には**20名を超える**方がご参加いただきました。また、オンラインでも参加できるようハイブリッドで開催され、“**つながるHPP**”として
・低ホスファターゼ症における口腔ケア
・最新のHPPの遺伝子治療開発について
・HPP診療ガイドラインについて
の3つのテーマを先生方よりお話しいただきました。

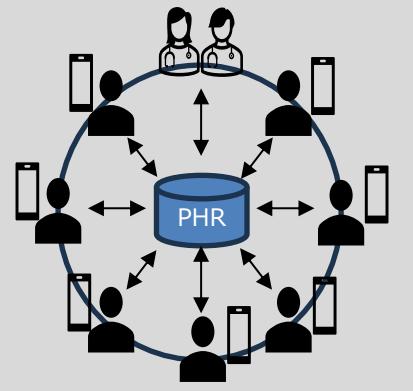
創薬・研究開発サポート

①

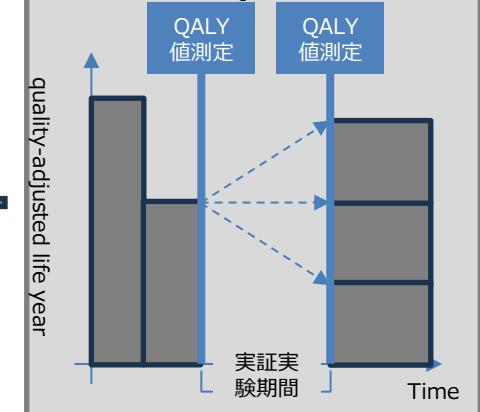
＜患者を主体としたQALY値の向上のための実証実験＞

生活習慣病等における個人の状態に合わせた臨床介入により、
QALYの向上を目指す研究の基盤としての役割
日本医療研究開発機構(AMED)での研究公募▶落選

患者母集団の形成と臨床支援



ComNextによるQALY値の測定



②

＜新治療薬開発における、主観情報・QOLモニタリング支援＞

治験の臨床的な安全性・効果測定とは別に、
治験中の主観情報やQOLを観測し「治療薬の効果」に加え
実際の生活にどのような影響があるのかを可視化

日本医療研究開発機構(AMED)での研究公募中(2026年1月時点)

2. 2024年度の歩み

啓蒙活動

講演・登壇

講演回数

4回

2024年度は、NPO化したばかりであることからまずはHPP HOPEがNPO化できたことの周知、そして低ホスファターゼ症の疾患啓発を目的にいくつかの会で登壇させていただきました。

学術大会などに参加させていただき、医療従事者あるいは研究者のみなさまとお話しさせていただいたことで、多くの方に低ホスファターゼ症を知っていただく良い機会だったと感じております。また、低ホスファターゼ症の患者様を診ていらっしゃる先生ともコミュニケーションを図ることで、患者団体であるHPP HOPEの存在を知っていただき、少しずつ会員になっていただける患者様も増えてまいりました。

これからも積極的に医療従事者あるいは研究者の皆さんと交流を図らせていただき、私たちの「つながり」をさらに広めていければと考えています。

2025
7月

ALPS研究会

アルカリホスファターゼ(ALP)に関する研究・検査・臨床に従事する基礎および臨床の研究者が一堂に会する機会である研究会にて、お世話になっている先生方にHPP HOPEがNPO化したご報告とご挨拶を兼ねて登壇いたしました

製薬企業事業本部キックオフMTG

製薬企業様の医療情報担当者と呼ばれる営業職の方々(MR)を対象としたキックオフミーティングにて、難病患者としての実情や悩み、生活に対する不安などを中心にこれからのお話しさせていただきました

2025
9月

国際先天代謝異常症学会

京都にて開催された、国際的な先天代謝異常症に関する学術大会にて、低ホスファターゼ症についてと、HPP HOPEについてお話しさせていただきました
また、他指定難病の患者団体様たちもご登壇されていました

2025
10月

日本小児内分泌学会

内分泌系の疾患を持つこどもの専門的治療などの研究を行っている医師や研究者が集まる学術大会にて、ポスター発表形式で低ホスファターゼ症における患者目線での課題についてと、HPP HOPEの展望についてお話しさせていただきました

2. 2024年度の歩み

患者の記録を 「患者自身の手元に残す」ための取り組み

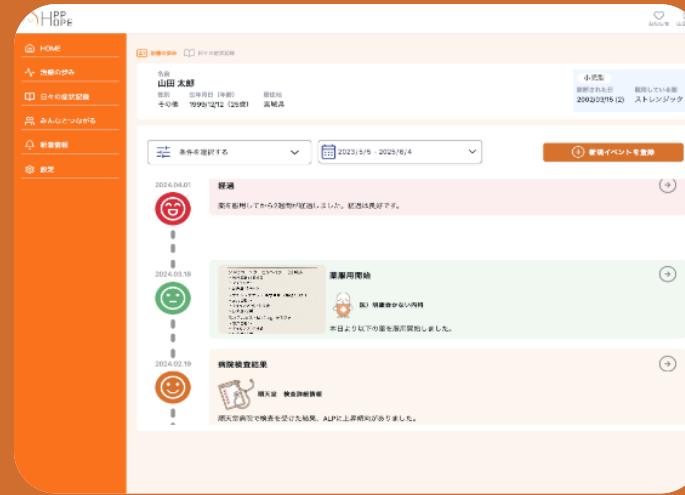
ComNext

- Complete (根治)
- Community (繋がり)
- Next (次のステップへ)

ComNextとは

我々患者が自身の情報を簡易的かつセキュアに管理でき、過去の出来事などを振り返ることができるもの

- これまでの治療のあゆみや投薬状況の管理
- 医療情報(血液検査結果、投薬)
- 日々の状態(副作用や体調、症状記録)
- 低ホスファターゼ症の最新情報の掲載



今後のどんな機能が追加される？

■ 低ホスファターゼ症の学習コンテンツ

現在世に出ている低ホスファターゼ症にまつわる記事や情報、論文は医学的な専門用語が多く、私たち患者が理解するのに困難な状況です。しかし、疾患の理解を深めていくことこそ不安を取り除けると考えており、医療従事者などの協力を得て、わかりやすい情報を提供できる機能を追加したいと考えています

■ つながる機能の強化

他の患者とのつながる機能のみならず、医療従事者やその他の人とコミュニケーションが取れ、必要に応じて相談できる機能を企画していく予定です

■ 研究等への活用に必要な機能

ComNextは患者のために作られていますが、難病領域の課題を解決するために研究などに役立てられるようなものを医療従事者と企画していく予定です。なお、研究への参加同意などの機能から考えていく必要があります。※研究等への活用にあたっては、倫理面・個人情報保護の観点を重視し、慎重に検討を進めていきます

会員数

会員数 53名



★ : ホームページご掲載の医療従事者の皆様(延べ23名)



顧問医師 大薙 恵一先生

医誠会国際総合病院 難病医療推進センター長
大阪大学 名誉教授

医誠会国際総合病院の大薙恵一と申します。低ホスファターゼ症とは1993年に周産期良性型の患者さんの出生に立ち会ってからずっと関わっています。本症の治療では、酵素補充療法の医師主導治験を行い、2015年に患者さんに薬を届けられました。世界のエキスパートとも連携するなど、様々な形で本症の診療に積極的に関与しておりますが、まだまだ、解決すべき課題があると感じております。低ホスファターゼ症コミュニティと連携し、課題解決に向けて活動を続けたいと思いますので、今後ともよろしくお願ひいたします。

3. 今後の活動と展望

2025年度（第2期）の目標：つながる、そして前進

第1期の活動から出た課題

交流会の定期開催

交流会を定期的に開催できず、頻度も低くまばらな開催になった

HPPに関する情報収集の強化

研究や論文が増えてきており、届いていない情報が多く存在する

医療従事者との連携強化

表に立つ機会が増え、発信する情報に影響力が出てきつつある

疾患啓発/会の認知拡大

HPPを知らない医療従事者や患者がまだ多い

2025年度（第2期）に目指す姿



交流の場が定期的に作られており、
気軽に・より多くの人に悩みの相談ができること
また、新たな情報も受け取りやすくなっていること



様々な団体とつながり、論文/研究結果などの
情報をできるだけ早く収集できる体制になっていること

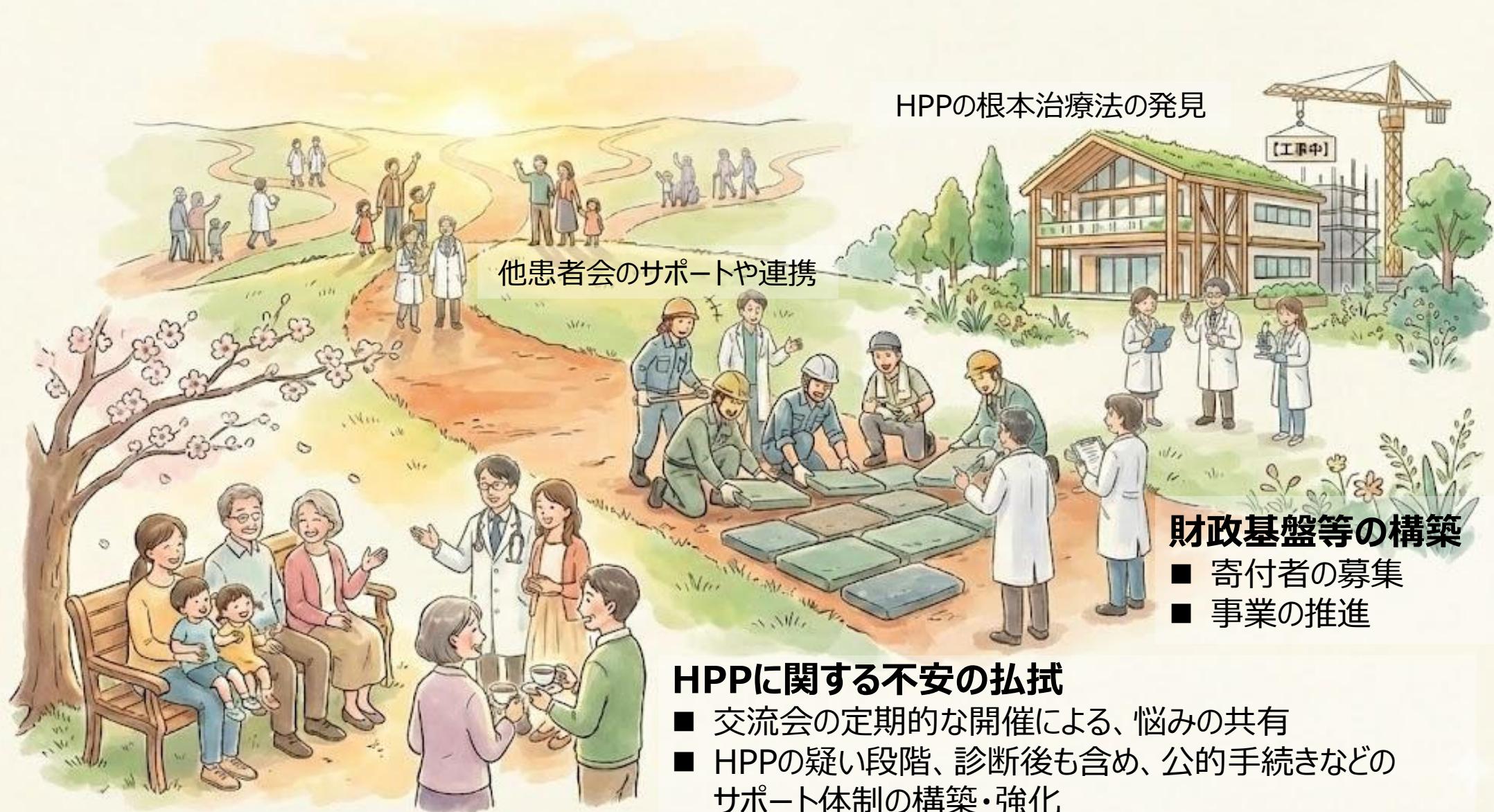


専門的な情報に対し、
医療従事者の意見などを踏まえ適切に発信
ができる団体となっていること



HPPの認知を広め、適切な診断・処方がされるよう
学会、イベント参加あるいはポスターなどを活用し、
情報発信を続けられていること

将来の展望：まずは「HPPに関する不安の払拭」を目指し、「財政基盤」を整えます



4. 活動計算書

2024年度 活動計算書

2024年度も沢山のご支援、ご協力、誠に有難うございました。2025年度も何卒宜しくお願ひ致します

活動計算書 令和6年12月2日至令和7年9月30日 [税込] (単位:円)

	特定非営利活動 に係る事業	その他の事業	合計
【経常収益】			
【受取寄付金】			
受取寄付金	1,131,977		1,131,977
【その他収益】			
雑 収 益	61		61
経常収益 計	1,132,038	0	1,132,038
【経常費用】			
【事業費】			
(人件費)			
人件費計	0	0	0
(その他経費)			
旅費交通費(事業)	526,330		526,330
その他経費計	526,330	0	526,330
事業費 計	526,330	0	526,330
【管理費】			
(人件費)			
人件費計	0	0	0
(その他経費)			
通信運搬費	24,345		24,345
租税 公課	3,150		3,150
支払手数料	1,980		1,980
雑 費	252,500		252,500
その他経費計	281,975	0	281,975
管理費 計	281,975	0	281,975
経常費用 計	808,305	0	808,305
当期経常増減額	323,733	0	323,733
【経常外収益】			
経常外収益 計	0	0	0
【経常外費用】			
経常外費用 計	0	0	0
税引前当期正味財産増減額	323,733	0	323,733
当期正味財産増減額	323,733	0	323,733
前期繰越正味財産額	0	0	0

貸借対照表 令和7年9月30日現在

	[税込] (単位:円)
《資産の部》	
【流動資産】	
(現金・預金)	
普通 預金	330,777
現金・預金 計	330,777
流動資産合計	330,777
資産合計	330,777
《負債の部》	
【流動負債】	
預り金	7,044
流動負債合計	7,044
負債合計	7,044
《正味財産の部》	
前期繰越正味財産	0
当期正味財産増減額	323,733
正味財産合計	323,733
負債及び正味財産合計	330,777

収益の内訳 :

- 2024年度は、アレクシオンファーマ合同会社様からのご支援に加え、新たに2社からご支援いただき、合計で**1,132,038円**のご寄付が集まりました

費用の内訳 :

- 頂いたご寄付は主に、ALPS研究会（沖縄那覇市）での交流会にご参加いただいた患者ご家族等の旅費交通費に活用させていただきました

5. 組織運營

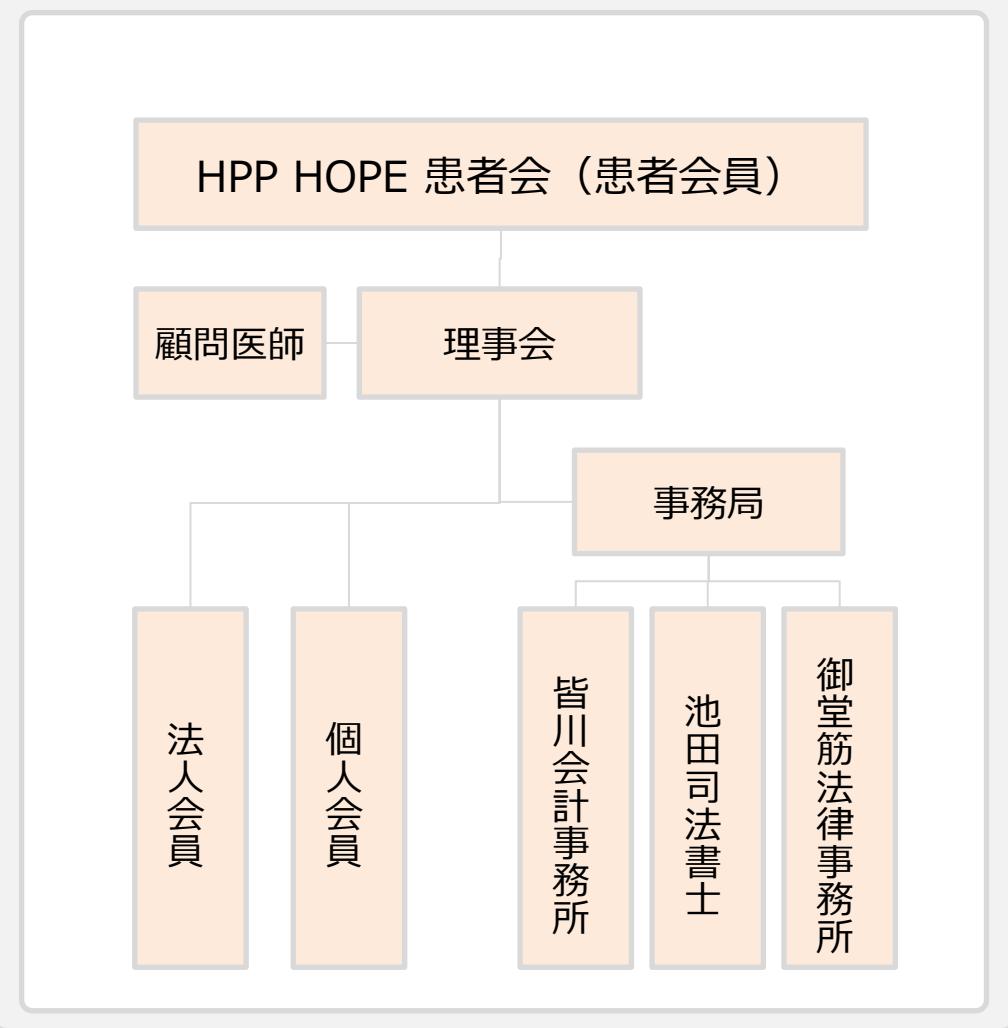
組織

2024年度も沢山のご支援、ご協力、誠に有難うございました。2025年度も何卒宜しくお願い致します

団体概要 令和7年10月1日現在

団体名	■ NPO法人 HPP HOPE
設立年月日	■ 2024年12月2日
代表理事	■ 小野澤 侑
団体の目的	低ホスファターゼ症に関する正しい情報の提供、相談、親睦等の支援事業や低ホスファターゼ症を多くの人に知つもらうための啓蒙活動や低ホスファターゼ症以外の難病に係る問題の改善や解決を支援し、社会福祉に寄与すること
会員数	<ul style="list-style-type: none"> ■ 個人会員 53名 (患者会員、正会員、賛助会員) ■ 法人会員 なし (法人正会員、法人賛助会員)

組織体制 令和7年10月1日現在



6. 最後に ご支援について



ご支援について

当団体の理念に賛同いただき、低ホスファターゼ症の根治に向け、ご支援、サポートいただける全ての皆様がご寄付いただけます
ご寄付は治療への提言、患者交流会の開催・情報発信など、当団体の目的を達成するために有効活用させていただきます

会員として支える

* * ... * ... * ... * ... * ... * ... * ... *

- 年5,000円から継続的なご支援
 - 当団体の会員として、年間の活動報告やメルマガ等の情報配信、不定期での患者交流会へご招待させていただきます



今すぐ支援する

* * ... * ... * ... * ... * ... * ... * ... *

- 1口100円から、お好きな金額を
 - その一歩が、私たちが活動していくための大きな励みとなり、原動力になります



お問い合わせ画面

個人会員

5,000円~/年

法人会員

100,000円~/年

寄付や団体に関するお問い合わせ

HPP HOPE 代表理事
小野澤 侑

✉ y.onozawa@patient-rd.com

050-1706-6881

※Webからのお問い合わせ：<https://patient-rd.com/>

最後までお読みいただきありがとうございました

2008年より続いてきた本患者会は、NPO法人として第1期を終えることができました。
患者会としての活動をより深めていくこと、そしてNPOとして体制や運営を整えていくこと、その両方に
向き合いながら歩み始めた一年でもありました。

まだ十分とは言えない点も多くありますが、私たち患者・家族の生活にとって
意味のある活動とは何かを問い合わせながら、着実に前へ進んでいきたいと考えています。

第2期以降も、
これまでと変わらぬご理解とご支援、ご指導を賜りますようお願い申し上げます。
また、本活動を通じて新たにHPP HOPEを知ってくださった
皆さまからのご支援・ご参加も、心よりお待ちしております。

NPO法人HPP HOPE