

患者が寄与する研究を目指して

～患者登録ご協力のお願い～



特定非営利活動法人 筋強直性ジストロフィー患者会

事務局長 妹尾みどり

謝辞

Remudy 筋強直性ジストロフィー患者登録に
ご協力をいただいている先生方に

患者と家族からお礼を申し上げます

患者が寄与する研究を目指して

- ・ 筋強直性ジストロフィー患者会とは
- ・ 多くの患者と家族の課題
- ・ 病気を知っている・知り続けていく必要
- ・ 患者登録は病気を認める第一歩
- ・ 患者登録ご継続のお願い

筋強直性ジストロフィー患者会とは



患者による、患者とみんなのための患者会



なぜ患者会を作ったか

「受診に来なくなる患者に
治験には患者登録数が必要だと
誰が伝えるの？」



理事長 籾野あかね

患者会を作って知らせていこう

当患者会が目指すこと

長く・幸せに生きていく

- ・ 患者登録数を増やす
- ・ 患者と家族の知識向上と交流
- ・ 筋強直性ジストロフィーの認知度向上

多くの患者と家族の課題

どんな病気か知らない

病気について知りたくない

病気であることを認めたくない

機会損失をしていることを知らない

早期対応できることを知らない→ 短い生命予後

患者登録が何かを知らない→ 治療薬獲得が困難

ぜひ、先生方から患者に
「患者登録」へのお声がけをお願いします

病気を知っている・知り続けていく必要

知っている必要

自分の病気に正しく向き合う

知り続けていく必要

意思ある患者として
望むことを伝える

知り続けていく必要

FDA が患者主導の治療薬承認を開始



出典：
FDAウェブサイトより

FDAは、患者に直接問いかける
“あなたにとって日常で一番困る症状は？”

知り続けていく必要

せきずい基金が臨床試験計画に関与

4. せきずい基金による 臨床試験計画への関与

研究者:「細胞を、注射と同様の簡単な注入操作によって移植」

基金:「腰椎穿刺ではまれに副作用が生じると聞いて」いるため『腰椎穿刺による(脊髄内)髄液への注入』と入れたほうが理解しやすい」

研究者:「臨床試験期間中に何らかの健康被害が発生した場合、適切な治療が受けられます。健康被害に対する補償は致しません」

基金:「臨床試験期間」／「1, 2年後に因果関係を示す健康被害が生じた際の対応」

(日本せきずい基金事務局, 2004, 「関西医大『患者説明書』へのコメント」, * 渡部基之
日本せきずい基金常任理事所蔵資料)

出典: 立命館大学大学院

先端総合学術研究科一貫制博士課程

坂井 めぐみ様

2016年7月7日シンポジウム「再生医療・
遺伝子治療の未来へ」講演

「患者にとっての臨床研究とリスク」より

「研究者とは異なる視点」を持つ「患者の知」を伝えるために

“患者と研究者の共通言語は「医療の言葉」”

患者登録は、病気を認める第一歩

病気を持つ者として考え続けるために

- ・ 遺伝子の病気だと認める
- ・ 自分の症状を説明できる
- ・ 世の中の動きを見続ける

そして

患者が研究に寄与するために

患者が先生方と
同じゴールを目指して
同じ言葉を話せるように

どんな障害があっても
研究に寄与できる患者になるように

これからも
患者登録・更新のご協力を
お願いいたします

“今日一日を大切に”



ご協力：

立命館大学大学院先端総合学術研究科一貫制博士課程 坂井 めぐみ様

2016年7月7日シンポジウム「再生医療・遺伝子治療の未来へ」講演「患者にとっての臨床研究とリスク」より