

2022年度

事業報告書

特定非営利活動法人 筋強直性ジストロフィー患者会

1 事業の成果

新型コロナウイルス感染症を考慮し、安全を期すために本年度もビデオ会議システムを使用した活動を中心に行った。

6月に開催された国際筋強直性ジストロフィー会議（IDMC-13）最終日に、患者と家族だけでなく、広く一般に向け、治験実施中もしくは治験直前の治療薬に関するウェビナーを実施した。ウェビナーの利点を生かし、国内だけでなく海外からも参加可能にすべく、逐次通訳を導入し、日本発の開発状況を含め全世界で最新の治療薬開発状況を共有した。

また、IDMC-13における各国の患者団体プレゼンテーション、バーチャル展示、本会議のウェブサイトへの寄稿、会場での英語による年次報告冊子配布や撮影などのサポートを行った。

IDMC-13への医療者参加を呼びかけるため、日本神経学会、日本小児神経学会の患者団体ブース出展を行ったほか、神経筋疾患患者登録システム事務局の協力を得て、患者・家族へ広く参加を呼びかけた。

病気の子どもを育てている母親の多くが、自身のケアを後回しにしていること、昨年の研究報告で社会サービスへの知識を希望する声が大きかったため、先天性筋強直性ジストロフィーの親や家族に向けたウェビナーを行ったほか、9月15日の「国際筋強直性ジストロフィー啓発の日」を記念し、製薬企業から「遺伝子治療について」、最新の状況を解説するウェビナーを開催した。

さらに、9月から海外製薬企業と調整を行い、11月には患者会会員に向けた製薬企業からプレゼンテーションの機会を設けた。また、昨年度行った構音障害リハビリテーションの取組には高いニーズがあったため、本年度も実施した。

クレジットカードシステム改修、講演後のアンケート回収などに向けたシステム改修、PPI（患者・市民が参画する医薬品開発）に関するスタディを継続して行った。

患者と家族の交流会については、先天性筋強直性ジストロフィー親子に向けた交流会を2回実施し、うちひとつは理学療法士からケアのコツについて説明を行った。

「国際筋強直性ジストロフィー啓発の日」制定以来、継続して国際会議（ラウンドテーブル）にも出席し、世界で協調して啓発活動を展開するための情報共有を継続している。

2023年1月に公益財団法人 日本非営利組織評価センター「ベーシックガバナンスチェック」により透明性の高い団体として第三者評価を受けた。

2 事業の実施に関する事項

(1) 特定非営利活動に係る事業

(事業費の総費用【1,917】千円)

定款に記載された事業名	事業内容	日時	場所	従事者人数	受益対象者範囲	受益対象者人数	事業費(千円)
筋強直性ジストロフィーの治療法開発に協力する事業	海外向け患者会紹介パンフレット制作・印刷(英語)	4~6月	東京	3	筋強直性ジストロフィー患者・家族及び医療従事者、研究に関わる企業、研究機関等	患者(国内患者数推計1万人)、家族及び医療従事者、研究に関わる企業、研究機関等、不特定多数	236
	国際筋強直性ジストロフィー会議サポート	5月~6月	オンライン	6			
	日本神経学会学術大会患者会ブース出展	5月18日~21日	東京	10			
	日本小児神経学会患者会ブース出展	6月2日~5日	高崎	11			
	国内製薬企業向け講演	6月16日	オンライン	1			
	国際筋強直性ジストロフィー会議プレゼンテーション	6月22日	大阪	3			
	第9回筋ジストロフィー医療研究会ブース出展	10月21日	北海道	5			
	国内製薬企業へのプレゼンテーション	11月17日	オンライン	1			
	国内製薬企業へのプレゼンテーション	2月	オンライン	2			

	大阪大学大学院「ヘルスケアにおける AI の利益をすべての人々にもたらすための市民と専門家の関与による持続可能なプラットフォームの設計」のシンポジウムでプレゼンテーション	3月22日	大阪	2			
	日本医療研究開発機構 (AMED) 「レジストリと連携した筋強直性ジストロフィーの自然歴およびバイオマーカー研究班」に協力員として参加	通年	オンライン	1			
	大阪大学大学院「ヘルスケアにおける AI の利益をすべての人々にもたらすための市民と専門家の関与による持続可能なプラットフォームの設計」のアドバイザーボード、患者・市民参画 (PPI) パネルに参加	通年	大阪	2			
患者と家族に向けた 知識提供・患者交流事業	先天性筋強直性ジストロフィー (cDM) の親向けウェビナー開催	7月24日	オンライン	6	cDM の患者を持つ会員	55名	43
	交流会に関する意向調査	8月29日		5	筋強直性ジストロフィー患者・家族	約230名	
	クレジットカードシステム改修 (会費部分)	10月～12月		4			
	cDMの親に向けた交流会	10月23日		3	cDM の患者を持つ会員	55名	
	構音障害リハについてオンライン講義	12月17日		10	筋強直性ジストロフィー患者・家族	約230名	
	個別支援・交流会の開催	10月15, 22日、11月5, 19日、12月10日		6			
	英会話サークルの開催	12月3日		2			

	cDMの親に向けた理学療法士のレクチャーと交流会	2月		3	cDMの患児を持つ会員	55名		
	メールマガジンによる情報提供	通年		3	筋強直性ジストロフィー患者・家族	約230名		
患者及び一般社会と家族の啓蒙活動	「PPIセッション」告知用ウェブサイト制作(日本語・英語)	4月	オンライン	5	筋強直性ジストロフィー患者・家族及び医療従事者、研究機関等、不特定多数の関心を得たい方	患者(全世界推計約15万人)、家族及び医療従事者、研究機関等、不特定多数	1,638	
	「PPIセッション」告知用チラシ制作・配布	5月		2				
	「PPIセッション」参加費用クレジットカードシステム開発(日本語・英語)	4月		6				
	「PPIセッション」出演者交渉、調整	6月		1				
	「PPIセッション」開催(セッティング、逐次通訳、録画)	6月22日～25日	大阪 東京	8				
	遺伝子治療についてのウェビナー告知ウェブページ制作	9月	オンライン	2		患者(国内患者数推計1万人)、家族及び医療従事者、研究機関等、不特定多数		
	遺伝子治療についてのウェビナー開催	9月11日		6				
	会報11号・12号発行	10月、2月	全国	6				
	海外製薬企業からの開発状況説明	11月5日	オンライン	4		筋強直性ジストロフィー患者・家族		約40名
	「国際筋強直性ジストロフィー啓発デー」ラウンドテーブル参加	通年		2		全世界の筋強直性ジストロフィー患者		患者(全世界推計約15万人)、家族
認定NPO法人「難病の子ども支援全国ネットワーク「親の会」」に参画し、他疾患の子どもを持つ親同士の情報交換に加え、PPIの一環として社会に向けて協力を呼びかける	通年	2		cDMの患児を持つ会員及び医療従事者、研究機関等、不特定多数の関心を得たい方	cDMの患児を持つ会員及び医療従事者、研究機関等、不特定多数			