

## 2023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の感染症法上の位置づけが5月8日から5類に移行したこともあり、オンラインミーティングシステムを活用しつつも、対策を立てながら対面での活動も実施した。

筋強直性ジストロフィーに対する治療薬開発が全世界的に進む中、日本には「ドラッグ・ロス」という問題がある。海外企業が日本でも治療薬を販売できるよう、患者と家族の存在を世界的に発信していくことが欠かせない。さらには患者と家族に向けて、治験はベネフィットだけではなく、リスクを伴うことを理解し、同じ病気の患者同士が互いに貢献しようとするマインドを育てていくことも必要である。よって、2023年度は7月にセミナーを開催し、病気に関する正しい情報とともに、治療薬開発情報、社会サービス、専門家による個別相談などを行った。また、9月には「国際筋強直性ジストロフィー啓発の日」にちなみ、東京・大阪の2カ所でセミナーおよび交流会を当会の会員以外も対象として実施し、10月には、病気の根本的な原因である「遺伝子」「ゲノム編集」についての理解を深めるセミナーを開催した。11月には、着床前診断の制度変更に伴う客観的な知識を得るためのセミナーを開催するとともに、制度変更に伴う「意見書C」への対応も行った。

さらに、先天性筋強直性ジストロフィーの親に向けて、あとに続く母親たちとともに談話する会をはじめ、構音障害に関するリハビリ法や嚥下障害に対応する食事に関するセミナーも実施した。また、医療者・研究者・企業に協力するPPI活動、英会話サークルの活動も昨年度までと同様に実施した。

加えて、患者・家族から同じ患者・家族への支援として「対話支援」の可能性について探索する研究を2年計画の1年目として行った。悩みを聞くなかで、患者自身が回答を見つけられないか、それにはどのようなことを学ぶべきかについて探索した。

## 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【3,593】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に協力する事業	日本小児神経学術大会 患者会ブース出展	5月25日 ～27日	岡山	10	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	498
	日本神経学会学術大会 患者会ブース出展	5月31日 ～6月3日	千葉	10			
	日本筋学会・筋ジストロフィー医療研究会合同学術集会に向けた協賛金提供（バナー掲載）	8月18日 ～19日	大阪	2			

	日本筋学会・筋ジストロフィー医療研究会合同学術集会におけるシンポジウム登壇、患者会テーブル出展	8月18日 ～19日	大阪	3			
	日本医療研究開発機構 (AMED) 「筋強直性ジストロフィーの自然歴とバイオマーカー研究－国際協調と先天性を含めた全年齢化研究班」に協力員として参加	通年	オンライン	1			
患者と家族 に向けた 識提供・患者 交流事業	会員同士が病院で交流するためのバッジ・ポスター配布	7～8月	全国	3	筋強直性 ジストロ フィー患 者・家族	約270名	1,610
	交流会 in 大阪 (国際筋強直性ジストロフィー啓発の日記念)	9月10日	東京	10	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、先 端医療の得 たい方	約50名	
	交流会 in 東京 (国際筋強直性ジストロフィー啓発の日記念)	9月10日	大阪	7	筋強直性 ジストロ フィー患 者・家族	約30名	
	構音障害リハワークシ ョップ	12月17 日	オンライン	5	筋強直性 ジストロ フィー患 者・家族	13名	
	先天性親の会	1月20日	オンライン	5	cDM の患 児を持つ 会員	22名	
	患者・家族に向けた「対 話支援」に関する探索研 究	通年	東京、オン ライン	16	筋強直性 ジストロ フィー患 者・家族	国内推定患 者数約1万 人	
	着床前診断「意見書C」 への対応		書面	2		約270名	
	英会話サークル		オンライン	2			
	メールマガジンによる 情報提供			3			
患者と家族 及び一般社 会筋スー パー の啓 発	「これから変わる、筋強 直性ジストロフィー」セ ミナー	7月29日	盛岡 (オンライ ン併用)	10	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	144名	1,485
	「わかる遺伝子とゲノ ム編集」ウェビナー	10月15日	オンライン	5		161名	

「筋強直性ジストロフィー 着床前診断の今」ウェビナー	11月19日	オンライン	5	機関等、先端医療の知見を得たい方	約100名
会報13号・14号発行	2月、10月	全国	6		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
当会ウェブサイト改訂	3月	オンライン	3		患者（全世界推計約15万人）、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
当会英語ウェブサイト構築	3月	オンライン	3		患者（全世界推計約15万人）、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
国際会議向けフライヤー作成	3月	オランダ	3		患者（全世界推計約15万人）、家族
「国際筋強直性ジストロフィー啓発」ラウンドテーブル参加	5月、9月、11月	オンライン	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
クレジットカードシステム改修	通年	オンライン	4	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、先端医療の知見を得たい方	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
認定NPO法人「難病のこども支援全国ネットワーク「親の会」」に参加し、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	通年	オンライン	4	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、先端医療の知見を得たい方	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