

## 2024年度

## 事業計画書

特定非営利活動法人 筋強直性ジストロフィー患者会

### 1 事業実施の方針

海外で治験を行っているが日本ではなされない「ドラッグ・ロス」は患者にとって大きな打撃であり、希望を失わせるものである。4月、国際筋強直性ジストロフィー会議「IDMC-14」に参加し、海外製薬企業とのコンタクトを持ちながら、オランダにおける患者・家族が実際に治験に臨んでいることを確認した。患者・家族に正しい治験の知識を提供し、協力を呼びかける医療者の様子から、日本でも同等の治験に関する正しい知識提供、治験を実施する可能性がある病院への通院が必要となることがわかった。

本年度は「ハイブリッドセミナー（ウェブ・会場）」で筋強直性ジストロフィーの療養、社会サービスの活用、国際共同治験を視野に入れた患者登録・自然歴研究、日本国内で医師主導治験を終了した治療薬の紹介に併せて原因遺伝子への作用機序の説明を行う。同セミナーでは当会会員から専門病院への通院実例を交えてそのメリットも紹介する。

さらなる治療の可能性や、薬事審査の一端を患者と家族が知ることも重要な点となる。

10月には筋ジストロフィー全般に起きる筋力低下に向けた治療についてのウェビナー、11月には医薬品医療機器総合機構（PMDA）から薬事審査を行う規制当局の取り組みについてのウェビナー、12月には会員内希望者に向けて海外製薬企業からのウェブプレゼンテーションを実施する。（「医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する法律」68条に関する厚生労働省ガイドラインに準拠し、当会会員の希望者のみに限定する）

患者と家族にとって欠かせない心理的サポートについて、昨年度から実施している「対話支援の探索研究」を継続し、パイロットテストを行って実施可能性を検証する。

また、「国際筋強直性ジストロフィー啓発の日」に茶菓付きのイベントを実施、専門医の話やストレッチのワークショップを行う。同日に世界各国の患者団体や研究所と同様に日本からもイベントの状況をソーシャルメディアによって公開する。

本年度初の取り組みとして、移動支援について、また患者と家族を支える父親や配偶者の交流を行う。

他にも、医療者・研究者からの研究協力、講演、原稿提供などに積極的に対応するほか、依頼に応じて着床前診断「意見書C」提供にも協力を継続する。

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【4,069】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	国際筋強直性ジストロフィー会議 (IDMC-14) 参加	4月8日～13日	オランダ、ナイメーヘン	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、家族、医療従事者、研究に関わる企業、研究機関等、300人	2,098
	日本神経学会 患者会ブース出展	5月29日～6月1日	東京	9			
	日本小児神経学会 患者会ブース出展	5月30日～6月1日	名古屋	8			
	日本筋学会参加	9月12日～14日	奈良	1			
	日本人類遺伝学会 患者会ブース出展	10月9日～12日	札幌	5			
	筋ジストロフィー医療研究会参加	11月1日～2日	東京	3			
	製薬企業からのプレゼンテーション	12月	オンライン	3		患者(推計約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	
患者と家族に向けた知識提供・患者交流事業	患者・家族に向けた「対話支援」に関する探索研究	～10月	全国 オンライン	24	筋強直性ジストロフィー患者・家族	当会内、希望する者(約50名)	824
	着床前診断「意見書C」への対応	通年	書面	3		当会内、希望する者(約270名)のうち希望者約20名	
	移動支援についてオンラインミーティング	1月	オンライン	3		当会内、希望する者(約270名)のうち希望者約20名	
	父親と配偶者ミーティング	2月	東京	3		当会内、希望する者(約270名)のうち希望者約20名	
	メールマガジンによる情報提供	通年	オンライン	3		当会内、希望する者(約270名)	

	研究協力者募集時の説明	通年	オンライン	3		当 会 内 (約 270 名)の内 希望者	
患者と家族及 び広く一般社 会に向けた筋 強直性ジスト ロフィー啓発 事業	患者・家族のための講演 と交流会	9月15日	埼玉	10		患者・家族 支援者など 80名	1,147
	ハイブリッドセミナー 「これから変わる、筋強 直性ジストロフィー」開 催	7月28日	広島/ オンラ イン	10		患者(国 内推計1 万人) 患者(国 内推計1 万人)及 び医療 従事者 に 関 連 する 研 究 機 関 等 75 名 オン ラ イン 450 名	
	ウェビナー「わかる遺伝 子と筋細胞」	10月初旬	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、 製 薬 企 業、研究 機関等、 先端医療 の知見を 得たい方	患者(国 内推計1 万人) 患者(国 内推計1 万人)及 び医療 従事者 に 関 連 する 研 究 機 関 等 75 名 オン ラ イン 450 名	
	ウェビナー「PMDA って 何？」	11月17日		5		患者(国 内推計1 万人) 患者(国 内推計1 万人)及 び医療 従事者 に 関 連 する 研 究 機 関 等 75 名 オン ラ イン 450 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	6月、8 月、11 月、3月		5		患者(国 内推計1 万人) 患者(国 内推計1 万人)及 び医療 従事者 に 関 連 する 研 究 機 関 等 75 名 オン ラ イン 450 名	
	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		患者(国 内推計1 万人) 患者(国 内推計1 万人)及 び医療 従事者 に 関 連 する 研 究 機 関 等 75 名 オン ラ イン 450 名	
	ウェビナー・ミーティン グアンケートシステム及 び結果解析	7月、10 月、11月	4	患者(国 内推計1 万人) 患者(国 内推計1 万人)及 び医療 従事者 に 関 連 する 研 究 機 関 等 75 名 オン ラ イン 450 名			
	会報 15 号・16 号発行	10月 3月	全国	6	会 員、医 療 支 援 者、製 薬 企 業 など約 600 冊		
	一般社団法人 日本 難 病・疾病団体協議会 難 病加盟	通年	全国	2	加 盟 団 体 99		