

2024 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

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、日本では治験が実施されない「ドラッグ・ロス」は患者にとって大きな課題である。4月、国際筋強直性ジストロフィー会議「IDMC-14」に参加し、海外製薬企業とコンタクトを持ち、情報を共有した。

今年度は「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・自然的研究、日本国内にて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いただくセミナーを設けた。同セミナーでは当会会員を通じ、専門病院への通院実例を交えてそのメリットも紹介した。

また、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であるため、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月には会員内の要求者に向けて海外製薬企業からのプレゼンテーション（オンライン）を実施した。なお、このプレゼンテーションは薬機法68条に関する厚労省ガイドラインに準拠し、当会会員の要求者に限定して実施した。

加えて、昨年度から実施している「対話支援の探索研究」を継続し、患者と家族の心理サポートについて、パイロットテストにより実施可能性を検証した。

さらに、「国際筋強直性ジストロフィー啓発の日」に交流イベントを開催し、専門医の話やストレッチのワークショップを行い、世界各国の患者団体や研究所と同様に、このイベントの開催状況をソーシャルメディアで公開した。

この病気を持つ子どもが歩けるようになるまでの実例を会員内で共有し、親が積極的に子どもの療養にかかわることが大切であると、あらためて会員同士が共有できた。他にも、医療者・研究者からの研究協力、講演、取材、原稿提供などへの対応や、重篤な遺伝性疾患を対象とした着床前遺伝学的検査に関する意見書Cの提供も行った。

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【4,675】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	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	2,470
	日本神経学会学術大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	企業、研究 機関等	機関等、不 特定多数	
	日本筋学会参加	9月12日 ～14日	奈良	2			
	長野県難病ケアシンポジウムでの講演	10月6日	長野	2			
	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			
	国立病院総合医学会での講演	10月18日 ～19日	大阪	2			
	筋ジストロフィー医療研究会参加	11月1日 ～2日	東京	3			
	アステラス製薬リーダーズサミットでの講演	11月11日	筑波	2			
	製薬企業からのプレゼンテーション	8月、12月、1月	オンライン	3		アステラス製薬 約100名 当会会員の 内、希望する者（約60人）	
患者と家族 に向けた 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	24	筋強直性 ジストロフィー患 者・家族	約270名	973
	父親と配偶者ミーティング	2月	東京	3		20名	
	着床前診断「意見書C」への対応	通年	書面	3		2名	
	メールマガジンによる情報提供	通年	オンライン	3		当会内会員 約270名	
	研究協力者募集時の説明			3		国内推定患 者数約1万人	
患者と家族 及び一般社 会筋ス トロー フィー 事業	患者・家族のための講演と交流会（啓発の日イベント）	9月15日	埼玉	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 知見を得 たい方	144名	1,232
	ハイブリッドセミナー「これから変わる、筋強直ジストロフィー」	7月28日	広島／オンライン	10		183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		200名	

ウェビナー「PMDAを知ってみよう」	11月17月	全国	5		70名
「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	6月、8月、 11月、3月	東京	5		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
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	東京	4		
会報15号・16号発行	10月、3月	全国	6	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
ファーマストラテジサミットでの講演	3月	東京	2	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、先端医療を知りたい方	国内製薬企業約200名
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	通年	東京	2		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
一般社団法人 日本難病・疾病団体協議会 準加盟	通年	全国	2		