

## 2025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

海外の患者と家族は、みずからのケアについて、そして新しい治療薬について積極的に学んでいる。しかし日本ではそうした活動が乏しいことが、5月に参加した海外患者団体の活動を目にして実感された。

治験について正しい理解がされておらず、ケアの知識にも格差があり、ただ漠然と「待っている」だけの日本の患者は世界から選ばれない。これはドラッグ・ロスの根底にある問題のひとつであり、患者と家族は努力する必要がある。

当会は日本の患者団体として、患者と家族が海外の患者と同等またはそれ以上の知識を正しく学ぶ機会を提供する。

7月、ハイブリッドセミナー「治験について正しく知ろう」を開催し、筋強直性ジストロフィーだけでなく、さまざまな神経・筋疾患の患者と家族に、誤解されがちな事柄や、倫理についてまとまった知識提供を行う。

9月、「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。

10月、九州地方の患者・家族に向けたセミナーを行う。成人だけでなく、小児の患者に向けた医療者からのレクチャー、社会サービス、ストレッチ、患者登録と遺伝子および治療薬についてレクチャーとワークショップを行う。

11月、この病気の死因となる心臓について、そして現在研究されている骨格筋と心臓を標的とした治療薬のウェビナーを行う。

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して行う。これはNPOの精神に反することであり、誰もが未承認薬の情報を受けられるようにしていくために薬機法68条のガイドライン改定を他の患者団体とともに進めていく。

本年度初の取り組みとして、8月に未入会者に向けた懇談会を実施する。  
年度末には患者と家族を支える父親や配偶者の交流を継続する。

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【6,790】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)
	日本神経学会 患者会ブース出展	5月21日～24日	大阪	13	筋強直性ジストロフィーおよび関連医療の医療従事者、製薬企業、研究機関等	患者(推計約1万人)及び家族、医療従事者、研究者、製薬企業、研究機関等	2,009
	日本小児神経学会 患者会ブース出展	6月4日～7日	米子	5			
	研究班「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」のアンケート配布	6月～7月	全国	5			
	第16回日本製薬医学会年次大会	7月25日	東京	5			
	第11回日本筋学会参加	8月22日～23日	宮城	3			
	第44回東京都理学療法学会学術大会参加、講演	9月7日	東京	3			
	DIA 日本年会 講演	10月19日～21日	東京	1			
	第12回筋ジストロフィー医療研究会 講演、協賛	10月24日～25日	長野	5			
	第70回日本人類遺伝学会出展	12月17日～20日	横浜	5			
	国際筋強直性ジストロフィー会議 航空券手配	12月	カナダ サグネ	2	全世界約15万人と家族、研究者、製薬企業、医療従事者など		
患者と家族に向けた知識提供・患者交流事業	仙台交流会	8月25日	宮城	4	筋強直性ジストロフィー患者	当会会員約15人	1,053

	着床前診断「意見書 C」への対応	通年	書面	3	者・家族	依頼者等約3名 医師対象	
	「国際筋強直性ジストロフィー啓発の日」イベント開催	9月15日	大阪	5		当会会員と患者80名 未加入家族	
	心臓と治療薬に関するウェビナー	11月		5		患者(推計1万人)、家族、不特定多数	
	海外製薬企業講演	12月		3		当会内会員のうち要者約250名	
	先天型の子どもを持つ親の交流会	2月	オンライン	3		当会内会員のうち希望者約250名	
	メールマガジンによる情報提供	通年		3		当会内会員の約250名	
	研究協力者募集時の説明	通年		3		当会内(約250名)の内希望者	
患者と家族及び一般社会に向けた筋強直性ジストロフィー啓発事業	英文サイト制作	4月	オンライン	2		全世界約15万人の患者と家族、研究者、医療従事者など	
	米国筋強直性ジストロフィー財団 年次総会参加	5月1日～4日	米国インディアナポリス	3		患者(国内推計1万人)及び家族、医療従事者、研究者、製薬企業、研究機関等、先端医療の知見を得たい方	
	ハイブリッドセミナー「治験について正しく知ろう」開催	7月27日	東京/オンライン	10		患者(国内推計1万人)及び家族、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	
	九州セミナー「筋強直性ジストロフィー、まるっと知ろう！」(午前中ハイブリッド)	10月5日	福岡/オンライン	10		患者(国内推計1万人)及び家族、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	
	「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)及び家族、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	
	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		全国	2		患者(国内推計1万人)及び家族、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

	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	通年		4			
	会報 17 号・18 号発行	10 月 3 月		6		医療者、患者、製薬企業など 600 冊	
	一般社団法人 日本難病・疾病団体協議会 加盟	通年		2		加盟 99 団体	
	「薬機法 68 条ガイドラインプロジェクト」勉強会	通年		2	未承認薬の 情報提供に 関心を持つ方	患者、製薬企業など 100 名	