

2025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

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。そのため、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した。

今年度は、7月に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、倫理についてまとめた知識提供を行った。

当会にとって初の取り組みとして、8月に未入会者に向けた懇談会を仙台市で実施した

また、9月には「国際筋強直性ジストロフィー啓発の日」に茶菓付きのイベントを実施し、専門医の講演などを行った。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した。

次に、10月には九州地方の患者・家族に向けたセミナーを行った。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った。

11月には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った。

12月には会員内希望者に向けて海外製薬企業からのオンラインでプレゼンテーションを実施した。

昨年度末、3月6日に内閣府規制改革会議に出席し、患者団体からの未承認薬情報提供を可能にするよう訴えたことが内閣府の答申に盛り込まれ、閣議決定された。この件のために、他患者団体を含めた有志が製薬企業団体と会議を持ち、厚生労働省との会議を経て、本年度3月30日に「治験等に係る情報提供の取扱いについて」通知が発出され、併せて「患者団体等による治験等に係る情報提供に関するQ&Aについて」が公開された。厚生労働省は患者団体を「中立な立場」として、一定条件のもとに未承認薬の情報提供を行うことができるようになった。

他にも、医療者・研究者への研究協力、講演、原稿提供などに対応した。

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【4,328】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	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	患者（推計約1万人）、家族及び医療従事者、	812

する事業	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	医療の医療従事者、製薬企業、研究機関等	研究に関わる企業、研究機関等、特定多数
	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	8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		全世界の難病患者、医療従事者など、特定多数
	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		筋ジストロフィーの専門医療従事者約300名
	第70回日本人類遺伝学会出展	12月17日～20日	横浜	5		遺伝カウンセラー、臨床遺伝医など約2,000人
	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15万人の患者と家族、研究者、製薬企業、医療従事者など
患者と家族に向けた 識提供・患者 交流事業	仙台交流会	8月24日	宮城	4	筋強直性ジストロフィー患者・家族	21名
	「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		58名
	ウェビナー「筋強直性ジストロフィーの心臓について知るべきこと」開催	11月9日		5		101名
	海外製薬企業講演	12月	オンライン	3		当会内会員約250名のうち要求者
	「先天型親の会－“移行”について知ってみよう」開催	2月		3		23名

	メールマガジンによる 情報提供	通年		3		当会内会員 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		
患者及び一般性 筋強直性ジストロフィー と家族への啓蒙活動	英文サイト制作	4 月	オンライン	2	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	全 世 界 約 15 万 人 の 患 者 と 家 族、研究 者、製薬 企業、医 療従事者 など	3,439	
	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		約 300 名		
	一般社団法人 医療開 発基盤研究所の「JI4PE ファンドレイジング Working Group オンライン セミナー」登壇	6 月 30 日	オンライン	1		350 名		
	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		112 名		
	筋強直性ジストロフィー 患者セミナーin 福岡	10 月 5 日	福岡／オ ンライン	10		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		
	「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	全国	5				
	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				
	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		未承認薬 の情報提 供に関心 を持つ方		会員、医療 者、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 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				患者団体、 製薬企業な ど約 100 名