

## 2022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感染症を考慮し、安全を期すために本年度もビデオ会議システムを使用した活動を中心に行った。

6月に開催された国際筋強直性ジストロフィー会議（IDMC-13）最終日に、患者と家族だけでなく、広く一般に向け、治験実施中もしくは治験直前の治療薬に関するウェビナーを実施した。ウェビナーの利点を生かし、国内だけでなく海外からも参加可能にすべく、逐次通訳を導入し、日本発の開発状況を含め全世界で最新の治療薬開発状況を共有した。

また、IDMC-13における各国の患者団体プレゼンテーション、バーチャル展示、本会議のウェブサイトへの寄稿、会場での英語による年次報告冊子配布や撮影などのサポートを行った。

IDMC-13への医療者参加を呼びかけるため、日本神経学会、日本小児神経学会の患者団体ブース出展を行ったほか、神経筋疾患患者登録システム事務局の協力を得て、患者・家族へ広く参加を呼びかけた。

病気の子どもを育てている母親の多くが、自身のケアを後回しにしていること、昨年の研究報告で社会サービスへの知識を希望する声が大きかったため、先天性筋強直性ジストロフィーの親や家族に向けたウェビナーを行ったほか、9月15日の「国際筋強直性ジストロフィー啓発の日」を記念し、製薬企業から「遺伝子治療について」、最新の状況を解説するウェビナーを開催した。

さらに、9月から海外製薬企業と調整を行い、11月には患者会会員に向けた製薬企業からプレゼンテーションの機会を設けた。また、昨年度行った構音障害リハビリテーションの取組には高いニーズがあったため、本年度も実施した。

クレジットカードシステム改修、講演後のアンケート回収などに向けたシステム改修、PPI（患者・市民が参画する医薬品開発）に関するスタディを継続して行った。

患者と家族の交流会については、先天性筋強直性ジストロフィー親子に向けた交流会を2回実施し、うちひとつは理学療法士からケアのコツについて説明を行った。

「国際筋強直性ジストロフィー啓発の日」制定以来、継続して国際会議（ラウンドテーブル）にも出席し、世界で協調して啓発活動を展開するための情報共有を継続している。

## 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【1,917】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	海外向け患者会紹介パンフレット制作・印刷(英語)	4～6月	東京	3	筋強直性ジストロフィー患者・家族及び医療従事者	患者(国内患者数推計1万人)、家族及び医療従事者、研	236

国際筋強直性ジストロフィー会議サポート	5月～6月	オンライン	6	事者、研究 に関わる 企業、研究 機関等	究に関わる 企業、研究 機関等、不 特定多数
日本神経学会学術大会 患者会ブース出展	5月18日 ～21日	東京	10		
日本小児神経学会患者 会ブース出展	6月2日～ 5日	高崎	11		
国内製薬企業向け講演	6月16日	オンライン	1		
国際筋強直性ジストロ フィー会議プレゼンテ ーション	6月22日	大阪	3		
第9回筋ジストロフィー 医療研究会ブース出展	10月21日	北海道	5		
国内製薬企業へのプレ ゼンテーション	11月17日	オンライン	1		
国内製薬企業へのプレ ゼンテーション	2月	オンライン	2		
大阪大学大学院「ヘルス ケアにおける AI の利益 をすべての人々にもた らすための市民と専門 家の関与による持続可 能なプラットフォーム の設計」のシンポジウム でプレゼンテーション	3月22日	大阪	2		

	日本医療研究開発機構 (AMED)「レジストリと連携した筋強直性ジストロフィーの自然歴およびバイオマーカー研究班」に協力員として参加	通年	オンライン	1			
	大阪大学大学院「ヘルスケアにおける AI の利益をすべての人々にもたらすための市民と専門家の関与による持続可能なプラットフォームの設計」のアドバイザリーボード、患者・市民参画 (PPI) パネルに参加	通年	大阪	2			
患者と家族に向けた 識提供・患者 交流事業	先天性筋強直性ジストロフィー (cDM) の親向けウェビナー開催	7月24日	オンライン	6	cDM の患者を持つ会員	55名	43
	交流会に関する意向調査	8月29日		5	筋強直性ジストロフィー患者・家族	約230名	
	クレジットカードシステム改修 (会費部分)	10月～12月		4			
	cDM の親に向けた交流会	10月23日		3	cDM の患者を持つ会員	55名	
	構音障害リハについてオンライン講義	12月17日		10	筋強直性ジストロフィー患者・家族	約230名	
	個別支援・交流会の開催	10月15, 22日、11月5, 19日、12月10日		2			
	英会話サークルの開催	12月3日		2			
	cDM の親に向けた理学療法士のレクチャーと交流会	2月		3	cDM の患者を持つ会員	55名	

	メールマガジンによる 情報提供	通年		3	筋強直性 ジストロ フィー患 者・家族	約 230 名		
患者と家族 及び広く 一般社会 に啓蒙 する事業	「PPI セッション」告知 用ウェブサイト制作（日 本語・英語）	4 月	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、 研究に 関わる 企業、 研究機 関等、 不特定 多数	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	1,638	
	「PPI セッション」告知 用チラシ制作・配布	5 月		2				
	「PPI セッション」参加 費用クレジットカード システム開発（日本語・ 英語）	4 月		6				
	「PPI セッション」出演 者交渉、調整	6 月		1				
	「PPI セッション」開催 （セッティング、逐次通 訳、録画）	6 月 22 日 ～25 日	大阪 東京	8		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、 不特定 多数		
	遺伝子治療についての ウェビナー告知ウェブ ページ制作	9 月	オンライン	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		
	遺伝子治療についての ウェビナー開催	9 月 11 日		6				
	会報 11 号・12 号発行	10 月、2 月	全国	6				
	海外製薬企業からの開 発状況説明	11 月 5 日		4		筋強直性 ジストロ フィー患 者・家族		約 40 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	通年		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
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	オンライン	2	cDM の患 児を 持つ 医療 従事 者、 研究 に 関 わ る 企 業、 研 究 機 関 等、 不 特 定 多 数	cDM の患 児を 持つ 医療 従事 者、 研究 に 関 わ る 企 業、 研 究 機 関 等、 不 特 定 多 数			