

# 令和元年度事業報告

## 1. 陳情・要望

厚生労働省、文部科学省へ要望書を提出した(6/25)

### (1)研究開発の促進

- ① 研究費の予算増額、支援強化
- ② 研究機関の充実、強化
- ③ 遺伝子検査の保険適応

### (2)患者・家族のQOL向上

- ① 障害者総合支援法等の適正な実施
- ② 介護保険制度の充実強化
- ③ 教育環境の充実強化
- ④ 就労環境の充実強化

### (3)入所者（入所希望者）のQOL向上

療養介護病棟入所者および待機者（在宅・一般病棟入院）の実態把握と適正施策の推進  
（支部長メーリングリストを使いアンケートを実施＝元年10月）

## 2. 研究協力

### (1)研究機関、研究者への協力

#### ① 研究班への協力

西野一三先生「筋ジストロフィー関連疾患の分子病態解明とそれに基づく診断法・治療法開発」

武田伸一先生「ジストロフィン欠損モデル動物を基盤とした筋ジストロフィーの新しい治療法開発」

小牧宏文先生「筋ジストロフィーの臨床開発促進を目指した臨床研究」

中村治雅先生「難病、希少疾患の医薬品開発におけるクリニカルイノベーションネットワーク構想の推進を目指した患者登録システム（患者レジストリ）の構築」

高橋正紀先生「エビデンス創出を目指した筋強直性ジストロフィー臨床研究」

松村剛先生「筋ジストロフィーの標準的医療普及のための調査研究」

筋ジストロフィー6研究班のうち、貝谷理事長は武田班、中村班に分担研究者として、矢澤副理事長は小牧班に分担研究者として参加した。

ア.武田班＝マインドフルネス講演会開催(2/2)、他

イ.小牧班＝長野で勉強会開催(8/2)、全国病弱虚弱教育連盟研究協議会出席(8/1)、神経筋文献集作成、他

ウ.中村班＝F S H D分科会若手会員 2 人をフランスでの国際会議へ派遣(6/18)、国際会議

参加報告並びにレジストリについて学ぶ会開催(11/17)、他

② 筋ジストロフィー医療研究会他、研究機関・研究者への協力

松村班市民公開講座で患者会活動について講演（7/28 東京支部、鈴木嵩征氏）

小牧班市民公開講座@新潟に協力（10/27 新潟支部）

(2)患者登録の推進

① 神経・筋疾患医学情報登録・管理機構

福山型の登録患者数は、現在、254件。年度初めの4月時点で247件だったので、1年間で7件の新規登録を数えた。

② 神経・筋疾患患者登録 Remudy

F S H Dの患者登録に向けて、神経筋疾患先端医療推進協議会運営委員会へ要望書提出するが第1回臨時理事会(9/18)で承認され、メールで要望文を提出した（10/8）。

(3)臨床治験研究促進機構の設立

①ウェアラブル端末（身に着ける計測機器）を使い被験者に負担が少ないデータ収集を行う方法を推進するため、5月の総会で臨床治験研究促進機構設置を承認。基本規程を第2回臨時理事会(9/20)で承認した。

②研究を促進する「協会賞」制定を第2回理事会(12/11)で承認、1月より募集を開始した。

③要望文の提出が第3回臨時理事会(10/25)で承認され、独立行政法人医薬品医療機器総合機構(12/16)、神経筋疾患先端医療推進協議会(1/24)、日本製薬工業協会（2/10）へそれぞれ提出した。

### 3. 組織の充実と強化

(1)協会内の現状調査・要望集約

富士経済からのアンケートに協力して現状調査、要望集約を実施した。

(2)意見集約・情報交換しやすい

体制検討

① 会議手法の見直し

WEB 会議システム導入を検討

② 会員間の意見・情報交換の場の設定

会合の開催、HP および SNS の利活用を検討

③ 外部からの意見収集体制の検討

未入会の方々、医療機関や研究機関等

### 4. 事業・活動の実施

(1) 地域別組織（支部・病棟患者会・地方本部）

① 相談・問い合わせ対応

② 交流・勉強を目的とした会合の開催

③ 療育相談指導事業（JKA 助成）（療育相談 2,160 回、本部電話相談計 24 回）

④ 訪問調査事業・訓練指導事業・療育研修会（日本財団助成）（訪問調査 21 回、訓練指導

109 回、療育研修会 7 回)、全国財団助成事業 (福祉相談 200 日、親子ふれあいキャンプ 2 回)

(2) 病型別組織 (分科会)

- ① 相談・問い合わせ対応
- ② 交流・勉強を目的とした会合の開催
- ③ インターネットを活用した  
情報交換の場の運営
- ④ 病型に特化した研究への協力

(3) 本部 (理事会・事務局)

① 協会全体の運営

・各種会議を通じた運営方針決定＝理事会 (3 回)、臨時理事会 (3 回)、監査会 (2 回)、  
神経・筋疾患医学情報登録・管理機構運営委員会 (1 回)、倫理委員会 (1 回)。倫理審査 (2  
回、富士経済、筑波大学)

・全国大会(5/18)、総会(5/19)の開催

② 実務

・陳情・要望、研究開発促進、助成事業等

③ 広報、情報発信

・クラウドファンディングを利用した

映画上映会の実施

病棟入所者、外出困難者への支援

7 月 1 日から 8 月 31 日 (募集日数 61 日)、寄付金総額約 170 万円

上映会 計 9 回、鑑賞者総数 275 人

④ 相談・問い合わせ対応

電話相談 (JKA 助成)

患者・家族・関係機関等

⑤ 富士経済アンケート協力 (回収 インターネット 59 件、郵送 340 件)

⑥ 将来の協会幹部養成 (海外患者会派遣の検討)

⑦ 収益事業

筋ジス自販機設置事業等 (台数が 1 台増えて 5 台へ)

⑧ 東筋協との合流

東筋協より合流の提案があり、令和 3 年春をめどとする。