

2023 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

新型コロナウイルス感染には予断を許さないが、対策を立てながら対面での活動を増やしていく。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、日本には「ドラッグ・ロス」という固有の問題がある。海外企業が日本でも治療薬を販売できるよう、患者と家族の存在を世界的に発信していくことが欠かせない。さらには患者と家族に向けて、治験はベネフィットだけではなく、リスクを伴うと理解し、同じ病気を持つ患者同士が互いに貢献しようとするマインドを育てていくことも必要である。本年度 7 月には病気に関する正しい知識とともに、治療薬開発情報、社会サービス、専門家による個別相談などを行うハイブリッドセミナーを行う。

9 月には、「国際筋強直性ジストロフィー啓発の日」にちなんで、東京・大阪の 2 カ所で講演付きの交流会を当会以外にも門戸を開いて行う。専門医に通うメリット、「ドラッグ・ロス」とは何かを知り、写真を SNS などに掲載して世界に向けて日本にも患者がいることを発信する。

10 月には、病気の根本的な原因である「遺伝子」についての理解と、「ゲノム編集とは何か」を学ぶウェビナーを開催する。治療法が多岐にわたる可能性があり、臨床研究の幅も広がることを予見し、病気の原因である「遺伝子」と、治療法の基礎研究を患者と家族が学ぶ機会とする。

11 月には、着床前診断の制度変更に伴う客観的な知識を提供していく。顕性遺伝で 50 パーセントという高確率で親から子に伝わる疾患であり、親もまた患者であるため、困っている患者と家族は多いとみられ、ウェビナーで広く情報発信をする。なお、制度変更にとまなう「意見書 C」が当会に求められる場合は積極的に対応する。

先天性筋強直性ジストロフィーの親に向け、本年度は成長した子どもを持つ母親自身が自らのこと、子育てについて話し、後に続く母親たちとともに談話を楽しむ会をオンラインで行う。

多くの患者に見られる構音障害に関するリハビリテーション方法、嚥下障害になりやすい患者に向けた食事のヒントなどをオンラインで提供する。

医療者・研究者・企業に協力する PPI 活動、英会話サークルは継続する。

2023 年度から、2 年間かけて患者・家族から同じ患者・家族への支援として「対話支援」の可能性について探索研究を行う。他国では患者・家族向けの相談支援は行われているが、日本では遺伝に関する価値観の違い、遺伝への差別など固有の課題があり、相談支援は受ける側にも心理的ダメージが大きいことがわかっている。さらに症状の多様性があり、ひとりの患者の体験が他の患者の正解とは限らないが、ともすれば我流の押しつけとなり、救いにはならない。悩みを聞き続け、いつか相談者自身が回答を見つけられないか、それにはどのようなことを学ぶべきか、探索を行い、真に患者と家族に寄り添える会を目指していく。

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【 】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	日本小児神経学会 患者会ブース出展	5月25日 ～5月27日	岡山	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	患者(国内推計1万家族療養者)及び医療従事者、研究機関等、多数	604
	日本神経学会 患者会ブース出展	5月31日 ～6月3日	千葉	10			
	日本筋学会・筋ジストロフィー医療研究会合同学術集会に向けた協賛金提供(バナー掲載)	8月18日 ～19日	大阪	2			
	日本筋学会・筋ジストロフィー医療研究会合同学術集会におけるシンポジウム登壇、患者会テーブル出典	8月18日 ～19日		3			
	製薬企業からのプレゼンテーション	9月	オンライン	1			
	日本医療研究開発機構(A MED)「日本医療開発機構「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研究班」に協力員として参加	通年		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		オンライン、大阪			
患者と家族に向けた知識提供・患者交流事業	会員同士が病院で交流するためのバッチ・ポスター配布	7月～8月	全国	3	筋強直性ジストロフィー患者・家族	240	2,178
	患者・家族のための講演と交流会	9月10日	東京、大阪	10		国内推計患者数約1万人	

	患者・家族に向けた「対話支援」に関する探索研究		大阪、東京、オンライン	16			
	着床前診断「意見書C」への対応	通年	書面	3			
	英会話サークル			2			
	構音障害リハビリテーションと食事のレクチャー	12月	オンライン	3		240	
	先天性親の会ミーティング「わたしのこれまでとこれから」	2月	オンライン	5			
	メールマガジンによる情報提供	通年		3			
患者と家族及び広く一般社会に向けた筋強直性ジストロフィー啓発事業	ハイブリッドセミナー「これから変わる、筋強直性ジストロフィー」開催	7月29日	盛岡／オンライン	10			
	ウェビナー「わかる遺伝子とゲノム編集」	10月初旬	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、先端医療の知見を得たい方	患者（国内推計1万家族療及び医療従事者、研究に関わる企業、研究機関等、不特定多数）	1,325
	ウェビナー「着床前診断の今」	11月中旬	オンライン	5			
	「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	5月、9月、11月	オンライン	2			
	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			
	クレジットカードシステム改修	通年	オンライン	4			
	会報13号・14号発行	10月3月	全国	6			