

療育研修会実施状況

関東甲信越ブロック総合相談会 参加数 21 名

実施場所 戸山サンライズ



実施を終えて（感想等）

参加者の感想等、必ず記入して下さい。

・DMDの遺伝子治療とはどのようなものか、どのようなタイプに適用できるか

・日本での遺伝子治療の今後について

・海外での遺伝子治療の現状

・日本での研究、薬事審査の現況

以上のようなテーマで講演をお願いしました。公園内予9右派わかりやすくお話しただけ
ましたので、産k者も喜んでおりました。

療育研修会

関東甲信越地方本部の各支部

◆テーマ

電話相談と最近のDMD治療について

講師：石原傳幸

【内容】

2025年11月2日に戸山サンライズにおいて日本筋ジストロフィー専属担当医の石原傳幸先生

に月に1回第三土曜日に行われている電話相談と最近のDMD治療についての講演が行われた。

2016年と2025年の電話相談の内容を説明された。2016年はジストロフィン関連

(デュシェンヌ、ベッカー型)が多く5件(約40%)だった。次いで筋強直性が20%弱

2024年度は筋強直性関連が多かった。相談は本人と母親で大部分だが本人からの相談が

増加した。その後、遺伝子治療の現状についての説明があった。つ今回はDMDに関する治療

アンチセンス拡散による治療には数種類開発が進み(exon51エクソンスキップ薬エテプリルセン

exon53スキップ薬ゴルディルセン、exon45スキップ薬カシミルセン)であるが、日本では

ビルトラルセンのみである。ビルトラルセンはFDAにより米国で2020年に許可された。

ビルトラルセンが4年間実施した長良医療センターで行われた研究を紹介された。起立時間と

歩行速度についての比較データが紹介された。参加者からの質問や意見交換が行われた。

療育研修会実施状況

関東地方本部 支部

参加数 17 名

実施場所 戸山サンライズ



実施を終えて（感想等）

参加者の感想等、必ず記入して下さい。

石原先生に毎週第3金曜日に行っている電話相談の報告とDMDの遺伝子治療についての講演をお願いしました。講演の後、参加者から質問や意見交換が行われました。

石原先生のお話の中で、筋ジスの遺伝子の影響は、単に筋肉だけでなく、全身に影響する、とのお話がありました。脳や心臓も、その影響を受け、いろいろな症状が現れています。

今後、筋肉だけでなく、脳や心臓にも届く治療薬が出来れば、その影響の改善につながる話がありました。今後の研究の成果に期待したいと思いました。

相談会 実施状況

関東地方本部 支部

参加数 17 名



実施を終えて（相談内容、相談者の感想等）

相談内容

関東甲信越地方本部の会員に福祉制度に関するアンケートを実施し、その結果を報告しました。関東甲信越地方本部の各支部に430の会員さんにはがきによるQRコードで「グーグル・ホーム」を使って実施しました。インターネットを使って回答してくれたのが117回答があった。回答の多かった病型はDMD（32%）、福山型（21%）、BMD（15%）、FSHD（10%）、そのほか、肢帯型、筋強直型他、11の病型の方が回答をしてくれました。アンケートの中で問題点をあり、もらい、中で一番多かったのは福祉サービスの中で居宅介護、重度訪問介護、デイサービス（放デイを含む）、生活介護、リハビリに関するものが多かった。具体亭にはヘルパーが足りない、家族がいると利用できない、ヘルパーのレベルが低い等の問題が挙げられた。

感想等

この結果を協会のホームページなどに載せて改善を図っていきたいとの意見がありました。