

国立研究開発法人国立精神・神経医療研究センター
平成 29 年度精神・神経疾患研究開発費

筋ジストロフィー合同班会議

平成 30 年1月 12 日(金)

JA 共済ビル カンファレンス・ホール(A-D)

〒102-0093 東京都千代田区平河町 2-7-9

TEL 03-3265-8716

共催: 厚生労働科学研究費補助金 難治性疾患等政策研究事業
AMED 難治性疾患実用化研究事業
AMED 臨床研究・治験推進研究事業

◇午前の部◇

■9:50 開会挨拶

西野 一三 (国立精神・神経医療研究センター 神経研究所 疾病研究第一部)

■10:00 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

班長 西野 一三

(国立精神・神経医療研究センター 神経研究所 疾病研究第一部)

- 1) α -ジストログリカノパチーの病態解明と糖鎖治療研究
遠藤 玉夫 (東京都健康長寿医療センター研究所)
- 2) 生体関連化合物の分子認識を基盤とする筋ジストロフィー治療薬の創製研究
(マイオスタチン阻害ペプチドの開発)
林 良雄 (東京薬科大学 薬学部 薬品化学教室)
- 3) 筋強直性ジストロフィーの病態解明と治療研究
(先天性筋強直性ジストロフィーにおけるマイオカインシグナル異常)
中森 雅之 (大阪大学大学院医学系研究科 神経内科学)
- 4) 筋ジストロフィーの鑑別診断における自己抗体測定の意義
鈴木 重明 (慶應義塾大学医学部神経内科)

■11:00 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

班長 武田 伸一

(国立精神・神経医療研究センター 神経研究所 遺伝子疾患治療研究部)

- 1) Duchenne 型筋ジストロフィーに対するエクソン・スキップ治療法開発の現状と展望
青木 吉嗣 (国立精神・神経医療研究センター 神経研究所 遺伝子疾患治療研究部)
- 2) *DMD* mRNA の解析から見てきたこと
松尾 雅文 (神戸学院大学 総合リハビリテーション学部)
- 3) 遺伝子医療とピアカウンセラーの役割 — 遺伝子医療における患者・家族の意識調査 —
井原 千琴 (一般社団法人日本筋ジストロフィー協会)

■12:00 合同幹事会 (JA 共済ビル カンファレンス・ホール (E))

◇午後の部◇

■13:00 筋ジストロフィーの臨床開発促進を目指した臨床研究

班長 小牧 宏文

(国立精神・神経医療研究センター 病院 臨床研究推進部)

- 1) 遅発型ポンペ病患者ハイリスクスクリーニング調査研究(PHRS-J): 中間解析と研究運営体制構築に関する報告

尾方 克久 (国立病院機構東埼玉病院 臨床研究部)

- 2) Duchenne 型筋ジストロフィーにおける尿中タイチン測定の診断的意義

栗野 宏之 (神戸大学大学院医学研究科 小児科学)

- 3) Becker 型筋ジストロフィーと精神疾患

森 まどか (国立精神・神経医療研究センター 病院 神経内科)

■14:00 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

(AMED 臨床研究・治験推進研究事業)

研究代表者 中村 治雅 (国立精神・神経医療研究センター TMC 臨床研究支援部)

- 1) 患者レジストリの薬事規制下での利活用に向けて

ークリニカルイノベーションネットワークの進展も踏まえてー

中村 治雅 (国立精神・神経医療研究センター TMC 臨床研究支援部)

■14:15 休憩 コーヒーブレイク

■14:35 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

(AMED 難治性疾患実用化研究事業)

研究代表者 高橋 正紀 (大阪大学大学院 医学系研究科保健学専攻 機能診断科学)

- 1) 筋強直性ジストロフィーの特徴的血糖変動に関する検討

高田 博仁 (国立病院機構青森病院 神経内科)

- 2) 筋強直性ジストロフィー患者の認知機能障害と QoL の評価

藤野 陽生 (大分大学 教育学部)

※筋ジストロフィーの CNS 障害研究会

■15:15 筋ジストロフィーの標準的医療普及のための調査研究

(厚生労働科学研究費補助金 難治性疾患等政策研究事業)

研究代表者 松村 剛 (国立病院機構刀根山病院 臨床研究部)

- 1) ジストロフィンパチー患者介護者、女性ジストロフィン変異保有者の健康管理、介護上の問題に関する調査
石崎 雅俊 (熊本再春荘病院 神経内科)
- 2) 筋ジストロフィー診断手順ガイドの作成に向けて:肢帯型、先天性、筋強直性2型を対象として
尾方 克久 (国立病院機構東埼玉病院 臨床研究部)

■15:55 日本神経学会筋強直性ジストロフィー診療ガイドライン作成委員会

- 1) 筋強直性ジストロフィー診療ガイドライン作業について

松村 剛 (国立病院機構刀根山病院 臨床研究部)

■16:05 閉会挨拶

小牧 宏文 (国立精神・神経医療研究センター 病院 臨床研究推進部)

◇市民公開講座◇

■16:10 開会挨拶と概要説明

西野 一三（国立精神・神経医療研究センター 神経研究所 疾病研究第一部）

■16:15 福山型筋ジストロフィー及び類縁疾患の研究開発

戸田 達史（東京大学大学院 医学系研究科 神経内科学）

■17:05 閉会挨拶

武田 伸一（国立精神・神経医療研究センター 神経研究所 遺伝子疾患治療研究部）