

令和2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(7/2)

(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

(4) 厚生労働省の障害者福祉サービス報酬改定ヒアリングに参加(7/30)

(5) 内閣府の障害者差別解消法の見直し検討におけるヒアリングに参加(10/26)

(6) 厚生労働省へ、インフルエンザ、新型コロナウイルスワクチンの無償接種を要望(10/16)

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「筋レポジトリーの拡充とそれを活用した筋ジストロフィー関連疾患の病態解明と診断・治療法開発」（開発費）

青木吉嗣先生「疾患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」（開発費）

小牧宏文先生「筋ジストロフィーの臨床開発促進、ならびにエビデンス構築を目指した研究」（開発費）

高橋正紀先生「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」（AMED）

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」（厚労科研費）

筋ジストロフィー研究班のうち、貝谷理事長は青木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. 青木班＝遺伝子医療遺伝子治療アンケートを実施（サレプタ・セラビューティクス社と共同）、筋ジストロフィーと遺伝子（DNA）教育講座（石浦章一先生、全5回）をオンラインで開催、他

イ. 小牧班＝DMDの治療薬についてのオンライン講演会(8/1)、F SHDオンライン患者交流会(2/28)を開催。神経筋文献集作成、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

松村班のアンケート「新型コロナ肺炎(COVID-19)が筋ジストロフィー患者に及ぼす影響の実態調査」に協力

筑波大学のインターネットアンケート「神経筋疾患児母親の心理的 Well being に関する研究」に協力

(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、272件。年度初めの4月時点で259件だったので、1年間で13件の新規登録を数えた。

②神経・筋疾患患者登録 Remudy

F SHDの患者登録に向けて、令和元年度に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したところ、9月から患者登録がスタートした。これに合わせて、顔面肩甲上腕型筋ジストロフィー(F SHD)登録説明会(8/29)を開催した

(3) 臨床治験研究促進機構の推進

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臨床治験研究促進機構に関し、神経筋疾患先端医療推進協議会(CCNMD)の中で、ウェアラブル器機活用臨床試験基礎研究部会(WACT)を設置

②研究を促進する「協会賞」の応募者の国籍を問わないように規定を改訂第2回理事会(12/5)

③要望文を海外の患者団体へ呼びかけ(1/15)

3. 組織の充実と強化

(1) 協会内の現状調査・要望集約

厚生労働省が実施するアンケート「国立病院機構が運営する病院の療養介護利用者の地域移行に関する実態調査」の検討会(座長・小牧先生)へ、矢澤副理事長が委員として参加

(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会議システムを導入(理事会、総会、他)

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)

⑤大和証券等指定寄付事業(新規)(東京パラ支援、キャンプ、車いす購入助成)

⑥Readyfor 事業（新規）（療養介護病棟へのタブレット端末寄付並びに面会支援）

(2)病型別組織（分科会、エンムドパワー）

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、日本筋ジストロフィー協会会員様に対する遺伝子治療関連アンケート調査、長時間測定可能なウェアラブル機器を用いた筋疾患患者の身体活動量・心機能・自律神経機能の評価に関するパイロット研究）

・全国大会(中止)、総会のオンライン開催(6/21)、北海道大会の1年延期

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

会報6回、ホームページ

メディア掲載（読売新聞、薬事ニュース、MDフロンティア）

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アンケート（回収 遺伝子医療遺伝子治療 670 件、筑波大学 53 件）

⑥収益事業

筋ジス自販機設置事業等（5 台、69,390 円）

⑦東筋協との合流