

# 令和2年度 事業計画（案）

© The Japan Muscular Dystrophy Association.

日本筋ジストロフィー協会

## 協会活動の目的

- 根本治療法の開発促進
- 患者のQ O L 向上

© The Japan Muscular Dystrophy Association.

協会の活動の目的

最近では患者と家族のQOL向上という言い方もしている。



## 事業計画の構成

1. 陳情・要望
2. 研究協力
3. 組織の充実と強化
4. 事業・活動の実施

© The Japan Muscular Dystrophy Association.

・事業計画は、4本の柱。

陳情・  
要望

研究協力

組織の  
充実強化

事業・  
活動

# 1. 陳情・要望

担当省庁・地方自治体・関係機関へ  
陳情・要望を行います

(1)研究開発の促進

(2)患者・家族のQOL向上

(3)入所者 (入所希望者) のQOL向上

© The Japan Muscular Dystrophy Association.

- ・ 1つ目の柱、「陳情・要望」
- ・ 陳情は3つに分け、「(1)研究開発促進」、「(2)患者・家族のQOL向上」、「(3)入所者 (入所希望者) のQOL向上」とした。
- ・ (3)入所者も患者・家族だが、内容が異なるので、敢えて(2)項目を分けている。

## 1. 陳情・要望

### (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

・様々な疾患、難病の研究開発が進んでいる時代。

①筋ジストロフィーの研究に予算が確保できるよう、研究者の先生方が研究しやすいよう、当事者として訴えていく。

②NCNP（国立精神・神経医療研究センター）の患者登録を充実させるように要望する。

③FSHD（顔面肩甲上腕型）は海外で治験が始まったものがある。日本でも確定診断のための検査が保険適応されるよう要望する。

## 1. 陳情・要望

# (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

© The Japan Muscular Dystrophy Association.

①②様々な法律が制定されているが、自治体の運用によって適応が変わるといふ事例も少なくない。

③車椅子を使いながら高等教育を受ける方も増えてきた。勉強したい人が勉強を続けられるように整えていく必要がある。

④就労中のトイレ介助がネックとなって就労を諦めるケースがある。厚労省の制度見直しで、在宅勤務中は訪問介護が利用できなかったが、一部改善の見通し。引き続き、改善を訴える。

陳情を行う前に、皆様に意見を募る予定。

## 1. 陳情・要望

### (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

入所者のQOLが良い・悪い、ということではない。  
筋ジス病棟として始まった病棟が、他の疾患の方々の入所が増え、入所まで  
何十人も待っている、誰かが亡くならないと入所できないという状況がある。  
実態把握が必要。

## 2. 研究協力

研究機関、研究者への協力を行い、  
患者登録を推進します

- (1) 研究機関、研究者への協力
- (2) 患者登録の推進
- (3) 臨床治験研究促進機構の推進

第二の柱、研究協力

陳情・  
要望

研究協力

組織の  
充実強化

事業・  
活動

## 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
- 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

© The Japan Muscular Dystrophy Association.

調査をしたい、分担研究してほしい、というご要望をいただければ、全面的に協力していく。

## 2. 研究協力

### ※研究班

**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」

新年度、小牧班の編成と矢澤副理事長の分担研究者としての協力はほぼ確定。  
他の研究班は体制が未定のため、令和元年度の研究班を掲載。

## 2. 研究協力

### (2) 患者登録の推進

- ① 神経・筋疾患医学情報登録・管理機構
- ② 神経・筋疾患患者登録 Remudy

「研究促進のために何か私たち患者にできることはありませんか」とお聞きすると、どの先生も「まずは登録を増やして」といわれる。患者登録は、研究開発を進めるために患者自身ができる唯一のこと。これだけの患者が薬を待っていると伝えることが開発のモチベーションになる。登録更新は「薬がなければこのように症状が変化する」という自然歴にもなる。

## 2. 研究協力

### (3) 臨床治験研究 促進機構の推進

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く、安価に正確な  
データ収集を行う方法を検討するため、  
関係者・機関を繋ぐ

© The Japan Muscular Dystrophy Association.

・当事者として、臨床試験を行う複数の製薬企業、研究者の先生方の力を合わせるための機能を担う。

### 3. 組織の 充実と強化

患者・家族の声を集め、  
組織の充実と強化を図ります

- (1) 協会内の現状調査・要望集約
- (2) 意見集約・情報交換しやすい  
体制検討

© The Japan Muscular Dystrophy Association.

三本目の柱、組織の充実と強化。  
今回の事業計画策定にあたり、ここが一番大切にしたところ。

陳情・  
要望

研究協力

組織の  
充実強化

事業・  
活動

### 3. 組織の充実と強化

## (1) 協会内の 現状調査・要望集約

### ① 地域別組織

- 支部
- 病棟患者会
- 地方本部

協力  
依頼

© The Japan Muscular Dystrophy Association.

地域別の組織＝支部・病棟患者会・地方本部は、まさに協会そのもの。  
お子さんを見送られた後何十年も支部・地方本部の役割を担ってくださっているかたが多い。  
支部長ひとりで奮闘されている支部も多い。  
何があれば支部を存続できるのか、発展させていけるのか、現状調査と要望集約を行う。

陳情・  
要望

研究協力

組織の  
充実強化

事業・  
活動

### 3. 組織の充実と強化

## (1) 協会内の 現状調査・要望集約

### ② 病型別組織（分科会）

- ふくやまっこ家族の会（福山型分科会）
- 顔面肩甲上腕型分科会
- 筋強直性ジストロフィー分科会
- DMD当事者と支援者によるQOL向上委員会
- ベッカー型分科会

© The Japan Muscular Dystrophy Association.

病型別組織＝分科会は、研究開発が進み生まれてきた新しいチーム。  
協会の中のチームとして発展していくための方法を一緒に考えていきたい。

陳情・  
要望

研究協力

組織の  
充実強化

事業・  
活動

### 3. 組織の充実と強化

## (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の利活用検討)

© The Japan Muscular Dystrophy Association.

#### ①会議手法 ②情報交換の場

外出の難しい方が少なくない、一か所に集まって話をするためには交通費等の負担も大きい。

東北地方本部ではスカイプを使った会議が始まっている。

新しい手法も試していく。

陳情・  
要望

研究協力

組織の  
充実強化

事業・  
活動

### 3. 組織の充実と強化

## (2) 意見集約・情報交換 しやすい体制検討

### 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)

© The Japan Muscular Dystrophy Association.

協会に入会されないかた、入ったが退会された方のお声は真摯に受け止めていく。

また、医師や研究者などのご意見も積極的に承っていきたい。

陳情・  
要望

研究協力

組織の  
充実強化

事業・  
活動

## 4. 事業 ・活動の実施

- ✓ 地域別組織（支部・病棟患者会・地方本部）
- ✓ 病型別組織（分科会）
- ✓ 本部（理事会・事務局）

が**連携**して事業・活動を実施し、  
随時見直しを行う

© The Japan Muscular Dystrophy Association.

四本目の柱 事業・活動の実施

地域別組織、病型別組織、本部が「連携する」ことを大切にしたい。

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

© The Japan Muscular Dystrophy Association.

地域別組織、支部・病棟患者会・地方本部。

都道府県単位の支部は協会活動そのもの。

地方自治体ごとの諸制度運用状況の差を把握し、改善していくためにも、地域の繋がりは協会活動の根幹。

①地域の方々の相談にのる、問い合わせに対応する

②地理的に近いので、顔を合わせやすい。お茶会、勉強会、交流会等。

入所されているかたのために病棟発着で福祉バスを手配し、宿泊行事を行っている支部もある。

③④助成を受けながら行う事業も支部が主体となっている。

#### 4. 事業・活動の実施

## (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

© The Japan Muscular Dystrophy Association.

病型別組織、分科会。

①筋ジストロフィーとひとくちにいても病型によって症状は異なり、また個人差も大きい。

大人になってから症状の出るかたと生まれたときから症状のあるかたでは相談できないこともある。

②③筋ジストロフィー全体でも希少疾患だが、さらに病型別とするとさらに人数が減る。インターネットの活用が盛ん。

④病型に特化した研究（研究班からの分担研究）も協会としてお引き受けし、分科会が担う。

陳情・  
要望

研究協力

組織の  
充実強化

事業・  
活動

#### 4. 事業・活動の実施

### (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の決定
- ・ 全国大会、総会、第35回北海道大会の開催

#### ② 実務

- ・ 陳情・要望、研究開発促進、助成事業等

© The Japan Muscular Dystrophy Association.

本部組織について改めてご紹介する。

理事会は、地方本部長を含む理事で構成。事務局は常勤1、非常勤（週2日）という少数で運営している。

①理事会、各種委員会を通じて運営方針を決めている

②陳情や研究、助成事業には膨大な事務作業、実務が発生する。それをこちらの事務局が日々担当。

第35回全国筋ジストロフィー北海道大会は、10月3日、4日に、京王プラザホテル札幌で開催。

陳情・  
要望

研究協力

組織の  
充実強化

事業・  
活動

#### 4. 事業・活動の実施

### (3) 本部（理事会・事務局）

#### ③ 広報、情報発信

- ・会報「一日も早く」発行（No.317～322）
- ・協会ホームページの更新
- ・海外患者会との交流、収集情報の発信

© The Japan Muscular Dystrophy Association.

③広報活動も重要な協会活動。

今年は、海外患者会からの情報収集および発信にも取り組んでいきたい。

陳情・  
要望

研究協力

組織の  
充実強化

事業・  
活動

## 4. 事業・活動の実施

### (3) 本部 (理事会・事務局)

#### 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

© The Japan Muscular Dystrophy Association.

#### ④相談、問い合わせ対応

JKA補助事業で福祉相談・医療相談の電話を受けている。

設定日以外の様々なお問い合わせは、事務局で受けていただいている。

陳情・  
要望

研究協力

組織の  
充実強化

事業・  
活動

#### 4. 事業・活動の実施

### (3) 本部 (理事会・事務局)

#### ⑤収益事業

筋ジス自販機設置事業等

#### ⑥東筋協との合流を検討

© The Japan Muscular Dystrophy Association.

#### ⑤収益事業

助成金も研究費も、収入すべてが支出となる。

会員からの年会費だけでは現在の運営体制を維持できない。

令和元年の筋ジス自販機による寄付金は、60,676円。平成25年からスタートして、7年間の寄付金累計額は、401,650円。

#### ⑥東筋協との合流

東筋協からの申し出を受けて、合流を検討する