

# 平成26年度 事業報告書

平成26年4月1日から 平成27年3月31日まで

特定非営利活動法人 PADM

## 1 事業の成果

特定非営利活動法人PADM第2期として、皆様のご支援・ご協力により大変有意義な事業を行う事が出来ました。以下の通り平成26年度実施の事業内容をご報告させていただきます。

- ・要望・提言事業として、平成26年6月には田村厚生労働大臣への204万筆の署名と「遠位型ミオパチーの指定難病への早期選定」に関する要望、並びにDMRV治験薬に対して現在導入が検討されているコンパッショネートユース制度の適用を求めた要望を提出する事が出来ました。同年8月には厚生労働省の指定難病検討委員会では遠位型ミオパチーなど110疾患を、医療費助成の対象となる「指定難病」に定めることを了承、平成27年1月1日に施行された「難病の患者に対する医療等に関する法律」で指定難病に選定されました。しかし、遠位型ミオパチーは指定難病という大きな目標を達成はしましたが、治療薬開発という本来の目標が未達であり、これを励み・武器として行政・製薬企業への働きかけを続けて参ります。
- ・研究支援・開発推進事業として、「遠位型ミオパチーのQOL維持・向上を目指したガイドライン」に向けた取り組みを平成26年度厚生労働科学研究費補助金（難治性疾患克服研究事業）「希少難治性筋疾患に関する調査研究」班（研究代表者：青木正志 東北大学大学院医学系研究科 神経内科教授）への研究協力を行いました。また、学会ブース出展や国際会議への参加を通して専門医との情報交換を行いました。
- ・理解啓発事業として、DMRVランチミーティング～カキス社長を迎えて～を開催し、日米製薬企業との交流を深め、国際共同治験の問題点と方向性を探りました。そして、日々の活動状況のブログ掲載やメルマガ発信、講演活動によって、社会への問題提起、認知度向上を行えました。
- ・患者交流・自立支援事業として、各地区主催の交流会を行う事が出来ました。そして、2度の福祉用品フェア&ストレッチ講習会を開催し、福祉用品の選び方や日頃の悩みなど、患者同士・専門PT・福祉業者との知識交換が出来ました。引き続き研究推進や創薬に関する活動と並行して、「患者交流・自立支援事業等の活動」の柱となるべく、色々な用品を展開する事により、会員のニーズに応え、遠位型ミオパチーの進行抑制・QOL維持向上に繋げていきます。

## 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

事業名	事業内容	実施日時	実施場所	従事者の人数	受益対象者の範囲及び人数	事業費の金額 (千円)
要望・提言事業	厚生労働大臣への署名・要望提出 204万筆の最終署名と指定難病等に関する要望提出	6月26日	厚生労働省	議員2名 学術顧問1名 相談役1名 理事3名 正会員1名	希少疾病（難病）患者・団体 不特定多数	56
	超党派国会・地方議員・厚労省への署名最終提出に向けた要請活動・調整・表敬訪問・会合出席など	4月 5月 10月 11月 3月	議員会館 国会議事堂 厚生労働省 滋賀県庁	理事3人	希少疾病（難病）患者・団体 不特定多数	186

	患者団体・製薬団体主催セミナーへの参加	5月25日 6月27日	東京	理事3名	希少疾病（難病）患者・団体 不特定多数	32
	署名活動	4月12日	愛知	理事1名 会員等約20名	希少疾病（難病）患者・団体 不特定多数	17
研究支援・ 開発推進 事業	ベルリン・パリ訪問 DMRV/HIBM研究者会議参加 筋疾患研究所訪問	10月	ドイツ・フランス	理事1名	希少疾病（難病）患者・団体 不特定多数	543
	第55回日本神経学会学術大会	5月	福岡	理事2名 会員等6名	神経内科医・希少疾病（難病）患者 不特定多数	245
	日本人類遺伝学会第59回大会へのブース出展	11月	東京	理事1名 会員等3名	神経内科医・小児科医・産婦人科医・遺伝カウンセラーなど 不特定多数	17
	DMRVランチミーティング～カキス社長を迎えて～開催	7月26日	東京	約30名 (会員・家族等)	希少疾病（難病）患者・団体 不特定多数	253
	遠位型ミオパチー病態報告会 遠位型ミオパチー市民公開講座 青木班（希少難治性筋疾患に関する調査研究班）班会議 その他学会、会議、研究班報告会及びセミナー参加	4月 6月 10月 11月 12月 1月 2月 3月	東京	理事3名 会員等30名	神経内科医・希少疾病（難病）患者・団体 不特定多数	225
	東北大学で実施される治験への交通費補助	7月 9月 10月 11月 12月	仙台	治験参加者5名	治験参加者 GNEミオパチー患者 神経内科医/ 希少疾病〔難病〕患者/団体 不特定多数	184

	研究者・製薬企業などとの意見交換	6月 7月 8月 9月 12月 1月 2月 3月	東京	理事3名	神経内科医/ 希少疾病〔難病〕患者/団体 不特定多数	154
理解啓発事業	「Letter～遠位型ミオパチーという病を抱えた青年とその飼い猫の物語～」の公演協力と次回要望	11/1～2 11/22～23	兵庫 東京	理事3名 会員等5名	希少疾病（難病）患者・団体 不特定多数	209
	テレビ・ラジオ・新聞・雑誌等の取材	6月 8月 3月	東京 千葉	理事1名	希少疾病（難病）患者・団体 不特定多数	11
	2つ折りリーフレット チャリティーTシャツ ノベルティ 街頭活動	5月 8月 11月 12月 3月	東京 兵庫	理事3名 会員等20名	希少疾病（難病）患者・団体 不特定多数	225
	企業訪問・希少疾病関連のイベント参加	4月 10月 2月	東京	理事3名	希少疾病（難病）患者・団体 不特定多数	65
	患者及び患者団体との交流	4月 7月 10月 2月	大阪 東京	理事3名	PADM正会員（140名） 患者・団体 不特定多数	106
患者交流・自立支援事業	地区別交流会	4月 6月 9月 1月	大阪・東京・福島・東京・福岡	約80名	PADM正会員（140名） 賛助会員	88
	Googleインパクトチャレンジ	2月 3月	東京	理事2名	希少疾病（難病）患者・障害者・団体 不特定多数	118
	福祉用品フェア&ストレッチ講習会	9月13日 10月18日	大阪 東京	理事3名 正会員他 約30名 P T・企業6名	PADM正会員（140名） 類似疾患・研究者 不特定多数	436