

# 平成29年度 事業報告書

平成29年4月1日から 平成30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5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ことができました。平成20年に任意団体PADMとして活動を開始してから10年が経ちました。今後も「患者の手元に一日でも早く薬を」をモットーに活動を継続して参ります。

以下の通り、平成29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

平成29年5月にはメスキュード基金からの寄付金贈呈式に参加し、塩崎厚生労働大臣（当時）とも面会し、ウルトラオーファンドラッグに対する国及び厚生労働省の更なる支援を要望しました。

また、国内治験が行われているGNEミオパチーの治験データの発表を受けて、薬の承認及び保険適用に向けた国への要望準備を進めています。

### ・研究支援・開発推進事業

前年度から厚生労働副大臣に要望するなど国内治験に向けて取り組んでいた、三好型に対するリードスルー薬について、平成29年7月にアメリカの製薬会社本社を訪問するなど行ってきましたが、残念ながら、同社の日本法人は日本から撤退することになりました。さらに、同月にアメリカ・ロサンゼルスで行われたアメリカの患者団体であるNDFのシンポジウムにおいて、アメリカの製薬会社がシアル酸徐放剤の治験を中止したと知らされました。日本は同治験とは別枠で治験を実施しているものの、重大な影響を受けることは間違いありません。これらの発表を受けて、研究者及び製薬会社と製薬に向けた意見交換を行うとともに、患者レジストリーに関する研究を行いました。

東北大学病院など国内5つの施設で行われているGNEミオパチー第Ⅱ/Ⅲ相試験では、PADM正会員メンバーに向けて交通費の補助を行いました。

平成29年9月に京都で行われた世界神経学会では、患者として発表の機会を頂き、治療薬開発に向けたこれまでの活動や今後の活動などに加え、今後も患者として研究促進のために活動していく旨をお話させていただきました。

平成29年11月には、神経筋疾患における世界中の研究者及び患者団体等が所属しているTREAT-NMD国際会議がドイツ・フライブルグで行われ、患者レジストリーなど世界とのネットワーク形成のために参加しました。代表の織田は引き続きTREAT-NMDのエグゼクティブ・コミッティー（運営委員）として、世界と連携した研究開発支援を行っていきます。

また、平成28年4月から遠位型ミオパチーも保険適用された「HAL（下肢タイプ）」に続いて、当年度から上肢に取り付ける「HAL（単関節タイプ）」の臨床研究にも患者として協力しています。翌年度は、より多くの患者が研究協力できる場を設けていく予定です。

そして、若手研究者の支援を目的とした創設した学会発表奨励金につきまして、当年度は応募がありませんでしたが、翌年度以降も関連学会からの協力も得ながら継続させていただきます。

### ・理解啓発事業

PADM創設10周年を記念して、「遠位型ミオパチーガイドブック（仮称）」の製作チームを立ち上げ、外部専門家の協力のもと翌年度発刊を目指して取り組んでいます。

その他にも、日々の活動状況のブログ掲載やメルマガ発信、講演活動、新聞・テレビなどのマスメディアを通じて、社会への問題提起、認知度向上に取り組みました。

### ・患者交流・自立支援事業

各地区主催の交流会を実施し、会員同士で日々の生活での工夫などの情報交換を行いました。

Googleインパクトチャレンジにおいてグランプリを受賞した「みんなで作るバリアフリーマップ（Wheelog!）」のアプリを、平成29年5月にリリースすることができました。リリースイベントには小池東京都知事にも参加していただきました。今後アプリに情報が集まることで、外出における不安が軽減されていくことが期待されます。関連する学会での発表、各地で街歩きイベントを開催するなど、アプリの認知度向上、アプリ情報の充実にも努める中で、その様子をメディア等でも取り上げていただくことができました。平成30年2月には国連障害者の権利条約の実施を支援し、障害者の生活を向上させる最も革新的で効果的な政策と実践を認定している「Zero Project」の国際会議がオーストリア・ウィーンで行われ、「Wheelog!」が革新的な取り組みとして表彰されました。

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(円)
要望・提言事業	厚生労働大臣へ要望	5月	厚生労働省	理事4名	希少疾病(難病) 患者・団体 不特定多数	8,010
	患者団体会員継続	7月	東京	理事4名	希少疾病(難病) 患者・団体 不特定多数	20,000
	超党派国会議員の要望・表敬訪問	2月	議員会館	理事4名	希少疾病(難病) 患者・団体 不特定多数	8,040
研究支援開発推進事業	希少疾患研究会・研究班への参加 研究者・製薬企業などとの意見交換	7月 8月 12月 1月 3月	東京 沖縄 京都 神奈川 福岡	理事4名	医師・研究者 希少疾病(難病) 患者・団体 不特定多数	283,800
	世界神経学会で発表	9月	京都	理事4名 会員4名	医師・研究者 希少疾病(難病) 患者・団体 不特定多数	77,819
	治験参加者への交通費補助	4月 6月 2月 3月	東京	理事4名	医師・研究者 希少疾病(難病) 患者・団体 製薬会社 不特定多数	20,920
	学会発表奨励金 大学病院等にチラシ配布	4月	全国	理事4名	医師・研究者 希少疾病(難病) 患者・団体 不特定多数	2,900
	PTC訪問 NDFシンポジウム参加 TREAT-NMD国際会議参加	7月 11月	アメリカ ドイツ	理事4名	医師・研究者 希少疾病(難病) 患者・団体 不特定多数	1,165,553

理解啓発 事業	ガイドブック作成	4月 6月 8月 10月 11月 1月 2月	東京	理事4名 会員1名	医師・研究者 希少疾病（難病） 患者・団体 不特定多数	45,320
	企業等訪問・希少疾病関連 のイベント参加・メディア 出演	7月 9月 1月 2月 3月	東京 大阪	理事4名	希少疾病（難病） 患者・団体 企業等関係者 イベント参加者 不特定多数	41,150
	リーフレット チャリティシャツ	4月	東京 千葉	理事4名	PADM	21,610
患者交流 自立支援 事業	Googleインパクトチャレン ジ・みんなで作るバリア フリーマップ（WheeLog!プ ロジェクト） アプリ開発業者と打合せ 業務委託 企業・団体訪問 国際会議参加 会議 イベント開催 学会発表	4月 5月 6月 7月 8月 9月 10月 11月 12月 1月 2月 3月	東京 神奈川 兵庫 岐阜 島根 長崎 岩手 オースト リア	理事4名 会員・プ ロジェク トメンバ ー等 約60人	希少疾病（難病） 患者・団体 障害者・団体 不特定多数	15,418,581
	ICT講演会 テレワークイベント	4月 7月	東京	理事4名 会員等 約30名 P T・企業 約10名	希少疾病（難病） 患者・団体 障害者・団体 不特定多数	18,788
	地区別交流会	6月 10月 11月	東京 山口 福岡 大阪 長崎	理事4名 会員等 約40名	PADM会員	139,350