

国内外の患者活動

2017/6/18

発表内容

- FSH Society (アメリカ)
 - 目的
 - 活動
 - 情報発信
 - 研究支援

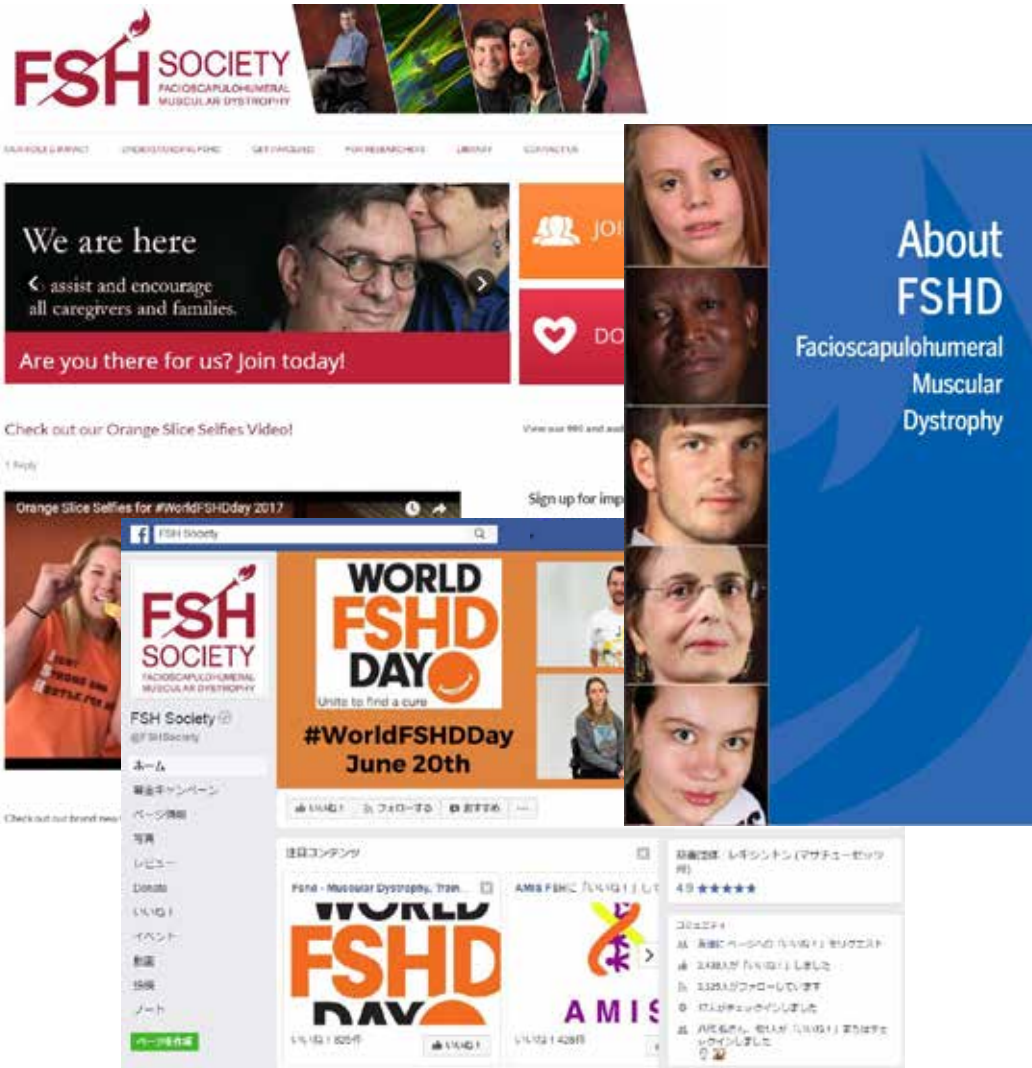
- 筋ジストロフィー協会FSHD分科会 (日本)
 - 目的
 - 活動
 - 情報発信

(多くの内容・画像はFSH Societyホームページからの転載です)

FSH Societyの目的

- 様々な立場の人々の連携をスムーズにする
- 治療法開発に向けて研究を促進する

患者への情報発信



- ホームページ、Facebook、YouTube、会報誌
- 最新・専門的な情報
 - 症状、経過
 - 遺伝
 - ケアの仕方
 - 病気のメカニズム
 - 世界中の診断施設(国によっては遺伝子検査ができない)

患者への情報発信：研究者や医師による講演



- FSHD Connect Conference
- 隔年
- FSHD研究者、医師による講演
- YouTubeで視聴可能

Disease Mechanism FSHD1: Turning DUX4 ON

The DUX4 gene localizes within the D424 repeat unit

FSH Society 2016 11/11/16

研究活動支援：研究費集め



OUR ROLE & IMPACT

UNDERSTANDING FSHD

GET INVOLVED

FOR RESEARCHERS

LIBRARY

CONTACT US

Donation Amount: *

Please use my donation

\$25.00

Where most needed

\$50.00

For research and education only

\$100.00

\$250.00

\$500.00



• 1億円以上(2016年)

• ホームページでの募金

• 多くの患者、製薬企業、研究施設からの寄付
(名前が公表される)

• 使い道を指定できる
(研究費以外の使い道もあり)

研究活動支援：研究費集め



- チャリティーディナー
- 400名程
- オークション
- 患者のショートフィルム
- 患者ピアニストによる演奏
- 優秀な研究の表彰
- YouTubeでも視聴可

研究活動支援：優れた研究へ寄付

Awards for the February 2012 Cycle

1. A Transgenic Model of DUX4-Mediated FSHD. Peter Jones, PhD, Boston Biomedical Research Institute, Watertown, Massachusetts. \$105,000 over two years; \$60,000 year 1, \$45,000 year 2.



2. Expression of Human DUX4 in Zebrafish Development. **Hiroaki Mitsuhashi**, PhD, and Louis Kunkel, PhD, Children's Hospital Boston, Boston, Massachusetts. \$60,000 over one year.



3. FAT1 Roles in Muscular Physiology and FSHD Onset. Virginie Mariot, PhD; Julie Dumonceaux, PhD; and Gillian Butler-Browne, PhD, Thérapie maladies du muscle strié, Institut de myologie, Paris, France. \$68,000 over one year.



4. A Humanized Mouse Model for Investigations of FSHD Pathology and Therapeutic Development. James Windleborn, PhD, and Charles Emerson, PhD, Boston Biomedical Research Institute, Watertown, Massachusetts. \$60,000 over one year.

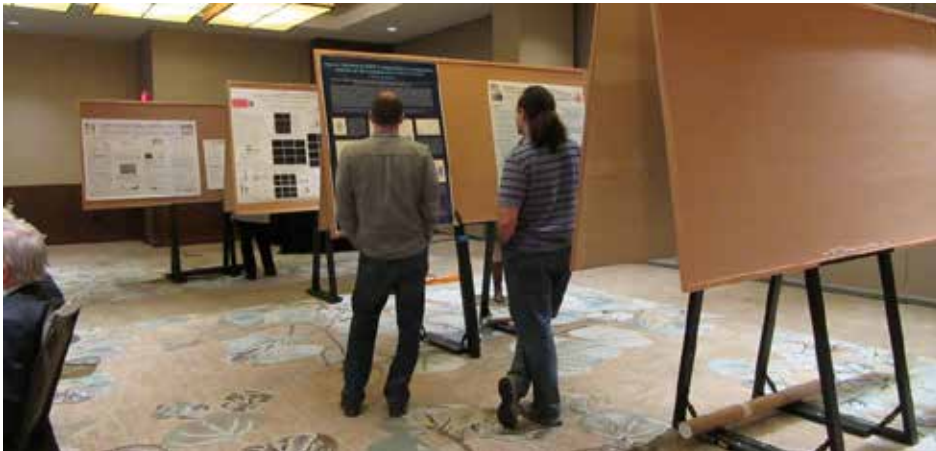


5. Tri-dimensional Organization of the FSHD Locus During Proliferation and Differentiation of Muscle Cells in FSHD Patients and Controls. Marie Gaillard, MS, and Frederique Magdinier, PhD, INSERM UMR_S 910, Epigenetics, chromatin & diseases team, Faculté de Médecine de Marseille, France. \$30,000 over one year.



- 年間2億円弱を投資 (2016)
- 毎年10プロジェクト以上
- 科学技術顧問により審査あり
- 三橋弘明先生の研究もFSH Societyの補助を受けた

研究活動支援：学会主催



- 毎年
- 2日間
- 世界中のFSHD研究者が一堂に会する
- 100名以上の研究者、医師
- 研究の優先領域、方向性の議論

研究活動支援：患者や生体サンプルのリクルート

Studies recruiting research subjects:

Bioresources core: Resources for FSHD Research and Clinical Trial	▼
A Phase 2 Randomized, Double-Blind, Placebo-Controlled Study of ACE-083 in Patients With Facioscapulohumeral Muscular Dystrophy. Acceleron Pharma. Multiple sites in U.S.	▼
FSHD Blood Draw Study at Johns Hopkins Hospital, Baltimore, MD (Non-local patients encouraged to apply)	▼
Facioscapulohumeral Muscular Dystrophy (FSHD) Imaging Study at Kennedy Krieger Institute, Baltimore, MD.	▼
FSHD biomarker study by Dr. Leo Wong, University of Washington, Seattle	▼
University of Minnesota Wellstone Muscular Dystrophy Center study of FSHD muscle stem cells	▼
Rasch-analysis of Clinical Severity in FSHD (ROC-FSHD). Principal Investigator: Jeffrey Statland, MD, University of Kansas Medical Center.	▼
The Wellstone Muscular Dystrophy Cooperative Research Center for FSHD is recruiting families to discover factors that impact disease severity.	▼
UC Davis Kinect Upper Extremity Study is seeking volunteers	▼

- 患者、サンプルを必要としている9つ(現在)の研究
- 薬の臨床研究や病態メカニズム解明のための基礎研究
- 血液、皮膚、筋などのサンプル
- サンプル提供意思のある患者、家族のレジストリ

発表内容

- FSH Society (アメリカ)
 - 目的
 - 活動
 - 情報発信
 - 研究支援

- 筋ジストロフィー協会FSHD分科会 (日本)
 - 目的
 - 活動
 - 情報発信

(多くの内容・画像はFSH Societyホームページからの転載です)

筋ジストロフィー協会FSHD分科会

目的:

日本語でのFSHDの情報が少ない→
日本語での情報発信

情報発信：ホームページ(未完成)



日本筋ジストロフィー協会分科会
顔面肩甲上腕型筋ジストロフィー患者会

Menu

> Topページ

> FSHDJapanについて

> 筋ジストロフィー協会について

> FSHD-infoについて

> 活躍している患者さん

> 報告書・記事

> お問い合わせ

> FSHDってなに？

↳ FSHDの原因

↳ なんくらい？

> いつから悪くなる？

【講座の重要なお知らせ】

[知っておきたい顔面肩甲上腕型筋ジストロフィー講座.pdf](#)

日時：2017年6月18日13:00-

顔面肩甲上腕型の講座は珍しく、この度、FSHD Japan所属の本田氏も講演されます。
ぜひ、参加をして、勉強とともに同じ病気の仲間との交流をしませんか？

FSHD Japanへようこそ



情報発信: Facebook

顔面肩甲上腕型筋ジストロフィー情報集 (FSHD-info) | 酒中 耕平

いいね! フォローする シェア ...

投稿

顔面肩甲上腕型筋ジストロフィー情報集 (FSHD-info) さんが写真2件を追加しました。
3月4日

【お知らせ】
6月20日のWorld FSHD Dayに合わせ、その前の休日にあたる6月18日(日)に、顔面肩甲上腕型筋ジストロフィー (FSHD) の市民公開講座が大阪にて開催されることになりました。患者さんや家族の方々などの一般の方々に向けて、FSHDに関する臨床や研究を含めた様々なお話があります。遠方からの参加が難しい方に向けて、Web中継も予定されているようです。詳細は画像のポスターをご覧ください。

市民公開講座
知っておきたい
顔面肩甲上腕型筋ジストロフィー
日時: 2017年6月18日(日) 13:00
会場: メルパルク大阪 4階大会場
Web中継
http://www.fshd.jp/

いいね! コメントする シェアする

21人

- イベント情報
- TV情報
- 研究情報

患者に求められる役割とは？