

国立研究開発法人国立精神・神経医療研究センター
平成 30 年度精神・神経疾患研究開発費

筋ジストロフィー合同班会議

平成 31 年 1 月 11 日(金)

JA 共済ビル 1F カンファレンス・ホール

〒102-0093 東京都千代田区平河町 2-7-9

TEL 03-3265-8716

共催: 厚生労働科学研究費補助金 難治性疾患等政策研究事業
AMED 難治性疾患実用化研究事業
AMED 臨床研究・治験推進研究事業

◇午前の部◇

■9:50 開会挨拶

西野 一三（国立精神・神経医療研究センター 神経研究所 疾病研究第一部）

■10:00 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

班長 西野 一三

（国立精神・神経医療研究センター 神経研究所 疾病研究第一部）

- 1) リアノジン受容体関連筋疾患の病態発症機構の解明
村山 尚（順天堂大学医学部薬理学教室）
- 2) 筋分化システムに基づいた難治性筋疾患の病態解明と治療法開発に関する研究
土田 邦博（藤田医科大学 総合医科学研究所）
- 3) 骨格筋における膜リン脂質分布制御の意義解明
原 雄二（京都大学大学院工学研究科）
- 4) α -ジストログリカノパチーの病態解明と糖鎖による治療法の開発研究
遠藤 玉夫（地方独立行政法人 東京都健康長寿医療センター研究所）

■11:00 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

班長 武田 伸一

（国立精神・神経医療研究センター）

- 1) 体表からの周期的局所圧迫は間質流促進を介してその部のマクロファージの機能を修飾し不動化による骨格筋の萎縮を緩和する
澤田 泰宏（国立障害者リハビリテーションセンター 病院・臨床研究開発部）
- 2) 筋ジストロフィーゲノム編集治療実現に向けた送達技術開発
堀田 秋津（京都大学 iPS 細胞研究所）
- 3) Ca^{2+} 透過チャンネル、TRPV2 を標的とした筋ジストロフィー心筋障害新規治療薬の開発
岩田 裕子（国立循環器病研究センター 臨床研究部）

■12:00 合同幹事会（JA 共済ビル カンファレンス・ホール）

◇午後の部◇

■13:00 筋ジストロフィーの臨床開発促進を目指した臨床研究

班長 小牧 宏文

(国立精神・神経医療研究センター トランスレーショナル・メディカルセンター)

- 1) 代替栄養法を導入したデュシェンヌ型筋ジストロフィー患者の検討
山本 敏之 (国立精神・神経医療研究センター 病院 脳神経内科)
- 2) 眼咽頭型筋ジストロフィーの患者登録システム構築と臨床疫学情報収集に関する研究
～当院症例の嚥下機能評価を中心に～
山下 賢 (熊本大学大学院 生命科学研究部 神経内科学)
- 3) レジストリと臨床研究ネットワークの効率的運用に関する検討について
中村 治雅 (国立精神・神経医療研究センター TMC 臨床研究支援部)

■14:00 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

(AMED 臨床研究・治験推進研究事業)

研究代表者 中村 治雅 (国立精神・神経医療研究センター TMC 臨床研究支援部)

- 1) クリニカルイノベーションネットワーク の進展と医薬品開発におけるレジストリについて
-Remudy での検討を踏まえて-
中村 治雅 (国立精神・神経医療研究センター TMC 臨床研究支援部)

■14:15 休憩 コーヒーブレイク

■14:35 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

(AMED 難治性疾患実用化研究事業)

研究代表者 高橋 正紀 (大阪大学大学院 医学系研究科保健学専攻 機能診断科学)

- 1) 筋強直性ジストロフィーにおける認知機能を神経心理と神経生理からみる
—特に100ms未満の出来事—
諏訪園 秀吾 (国立病院機構 沖縄病院 脳・神経・筋疾患研究センター)
- 2) 筋強直性ジストロフィー症における心伝導障害と突然死
伊藤 英樹 (滋賀医科大学 医療安全管理部、循環器内科)

■15:15 筋ジストロフィーの標準的医療普及のための調査研究

(厚生労働科学研究費補助金 難治性疾患等政策研究事業)

研究代表者 松村 剛 (国立病院機構刀根山病院 臨床研究部)

1) 筋強直性ジストロフィー診療実態調査

松村 剛 (国立病院機構刀根山病院 臨床研究部)

2) 筋強直性ジストロフィーの呼吸と栄養管理

齊藤 利雄 (国立病院機構刀根山病院 神経内科・小児神経内科)

■15:55 閉会挨拶

小牧 宏文 (国立精神・神経医療研究センター トランスレーショナル・メディカルセンター)

◇市民公開講座◇

■16:00 開会挨拶

武田 伸一（国立精神・神経医療研究センター）

■16:05 デュシェンヌ型筋ジストロフィーを対象としたエクソン・スキッピング臨床開発の現状

1) 基礎面から

青木 吉嗣（国立精神・神経医療研究センター 神経研究所 遺伝子疾患治療研究部）

2) 臨床面から

小牧 宏文（国立精神・神経医療研究センター トランスレーショナル・メディカルセンター）

■16:55 閉会挨拶

西野 一三（国立精神・神経医療研究センター 神経研究所 疾病研究第一部）