



特定非営利活動法人  
筋強直性ジストロフィー患者会  
Myotonic Dystrophy Patient's Group of Japan

国際筋強直性ジストロフィー学会 (IDMC-13) 開催記念

IDMC-13 PPIセッション ウェビナー

# もう、治験は始まっている

## 筋強直性ジストロフィー 治療薬開発とこれから

### 2022年6月25日(土) 9時開始



## IDMC-13

The 13th International  
Myotonic Dystrophy  
Consortium Meeting



#### ○日本語・英語 逐次通訳つきオンラインセミナー

オンライン (Zoom) を使用したウェビナーです。どこからでも参加でき、日本語と英語の通訳を交えて講演を聞くことができます。

#### ○すでに治験中、または治験直前の治療薬について講演

患者と家族に希望をもたらす、最先端の製薬開発です。患者と家族、お友達はもちろん、医師、研究者、製薬企業の方など、どなたでも一般市民としてご参加ください。

#### ○装着型サイボーグ HAL について

筋強直性ジストロフィーにも効果があると言われている装着型サイボーグ HAL のお話があります。

#### ○質疑応答してみよう

Zoom の Q&A 機能を使います。逐次通訳があるので、言葉が違ってても質問できます。  
※時間の都合ですべての質問にお答えできない場合があります。

#### ○参加者限定、ビデオ録画閲覧

参加者は、終了後 2 か月の間、当日のビデオを見ることができます。

### ご寄付をお願いします

今後の活動のために、ご寄付をお願いいたします。お気持ちの金額で差し支えありません。詳しくはウェブサイトをご覧ください。

- ・ご参加には、Zoom にアクセスできる環境が必要です。
- ・質疑応答は、Zoom の Q&A 機能を使った文字入力です。
- ・スマートフォンで着信拒否設定をかけている方は、申し込みの前に「@dm-family.net」と「@zoom.us」の着信ができるようにしてください。

### 詳しい情報とお申し込み

<https://idmc13.dm-family.net/jp>  
開催日数日前に、Zoom のアクセス URL をお送りします。

お問い合わせ : [contact@dm-family.net](mailto:contact@dm-family.net)

メール以外でのお問い合わせは受けかねます。また、Zoom の操作についてのご質問は対応しておりませんので、ご了承ください。

The 13th International Myotonic Dystrophy Consortium Meeting (IDMC-13)  
特定非営利活動法人筋強直性ジストロフィー患者会 (DM-family)

<https://dm-family.net>



# 希望の持てる話を聞こう！ ウェビナー「もう、治験は始まっている」

ウェビナー「もう、治験は始まっている」って、どんな話を聞くの？

世界中で神経・筋疾患を治療しよう！という講師のみなさんから、今のお話を聴く会です。筋強直性ジストロフィーだけではなく、いろんな患者と家族にも楽しんでいただけます。

## AMO ファーマ

先天性筋強直性ジストロフィーの治療薬 AMO-02（タイドグルーシブ）を開発しており、筋強直性ジストロフィーの治療薬としては、もっとも早く治験が進んでいます。治験には、患児が参加して安全性が確認されているほか、米国・英国の臨床医が開発した先天性筋強直性ジストロフィーの評価尺度を使って有効性の評価をしています。



## アビディティ・バイオサイエンス

今まで治療できなかった組織や細胞にアクセスする「AOCプラットフォーム」によって、必要なところにオリゴヌクレオチドが届く治療薬です。筋強直性ジストロフィーに向けた AOC1001 の治験が始まっているほか、顔面肩甲上腕型・デュシェンヌ型筋ジストロフィーの治療薬も開発中です。



## ダイン・セラピューティクス

骨格筋（自分の意思で動かせる筋肉）や心臓筋、平滑筋（内臓や血管など）にオリゴヌクレオチドを届けるために、抗体とリンカー、治療用ペイロードから成る「FORCEプラットフォーム」を開発。筋強直性ジストロフィーに向けた DYNE-101 のほか、顔面肩甲上腕型・デュシェンヌ型筋ジストロフィーに向けた治療薬を開発しています。DYNE-101 は、2022 年度上半期に米国での治験を申請する予定です。



## 大阪大学

筋強直性ジストロフィーを対象とした MYD-0124 は、筋強直性ジストロフィーの伸びた RNA に MBNL が付かないようにする低分子薬（飲み薬）です。世界に先駆けて日本で治験第 2 相が行われました。現在、治験第 2 相に参加した患者たちから得られたデータを解析しています。



## 国立病院機構 新潟病院・仙台西多賀病院

治療開始から長期間・繰り返しによる蓄積効果で、運動機能の改善・維持が認められた、装着型サイボーグ HAL。HAL を装着したリハビリテーションをしても、筋肉の破壊が増加することはなく、神経・筋疾患の安全な治療法であることがわかりました。筋強直性ジストロフィー患者会の副理事長、佐藤美奈子のデータを使い、日本で開発した治療法を全世界に発信します。



## まとめのお話し：筋強直性ジストロフィー 1 型の臨床治験とその先に見えるもの

筋強直性ジストロフィーの専門家が 2 年に一度集まり、最先端の知見を共有する IDMC。その創始者である、ヒューストン・メソジスト病院の芦澤哲夫先生から、臨床試験とその先に見えるものというお話を聴きます。

参考サイト：事前に見ておくと、さらにわかりやすい！ DM-family ウェブサイト

治療法開発

<https://dm-family.net/research/>



ウェビナー「わかる遺伝子と治療薬」レポート

<https://dm-family.net/seminar/2021100401/>



特定非営利活動法人筋強直性ジストロフィー患者会（DM-family） <https://dm-family.net>

2022年 4月