

国立研究開発法人国立精神・神経医療研究センター
平成 27 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 28 年1月 8 日(金)

JA 共済ビル カンファレンス・ホール(A-D)

〒102-0093 東京都千代田区平河町 2-7-9

TEL 03-3265-8716

<http://www.jankb.co.jp/conference-access.htm>

◇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 筋ジストロフィーモデル動物を用いた新たな治療法の開発

班長 武田 伸一

(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)

- 1) ストレッチ感受性チャネル(TRPV2)を標的とした筋ジストロフィー・心筋症治療薬の開発
岩田 裕子 (国立循環器病研究センター 分子生理学)
- 2) エクソソーム分泌抑制による筋特異的マイクロRNAsの筋再生効果と脳神経保護効果の検討
松坂 恭成 (国立精神・神経医療研究センター 神経研究所 RI 管理室)
- 3) 患者由来 iPS 細胞を活用した筋ジストロフィーに対する新規治療薬開発
ー細胞移植治療法開発の現状ー
櫻井 英俊 (京都大学 iPS 細胞研究所)
- 4) 間葉系前駆細胞による骨格筋組織維持機構の解明
ーサルコペニアの予防法開発を目指してー
上住 聡芳 (藤田保健衛生大学 総合医科学研究所 難病治療学)

■11:00 筋ジストロフィー関連疾患の基盤的診断・治療開発研究

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) 次世代シーケンサーを用いた肢帯型筋ジストロフィー関連疾患の分子病態解明と診断・治療法開発
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)
- 2) 顔面肩甲上腕型筋ジストロフィーの治療と分子病態
三橋 里美 (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)
- 3) 筋ジストロフィー関連疾患における TGF- β シグナルの解明と標的医薬の開発
大澤 裕 (川崎医科大学 神経内科学)
- 4) ドラッグリポジショニング戦略による筋強直性ジストロフィーモデルマウス治療
大野 欽司 (名古屋大学医学系研究科 神経遺伝情報学)

■12:00 合同幹事会 (JA 共済ビル カンファレンス・ホール (E))

◇午後の部◇

■13:00 国際協調に基づく臨床研究基盤としての神経筋疾患ナショナルレジストリーの活用と希少な難治性疾患への展開を目指した研究

班長 木村 円

(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 (TMC))

- 1) 「国際協調に基づく臨床研究基盤としての神経筋疾患ナショナルレジストリーの活用と希少な難治性疾患への展開を目指した研究」の概要
木村 円 (国立精神・神経医療研究センター TMC 臨床研究支援部)
- 2) 神経筋疾患レジストリーシステムの活用や展開についての臨床医からの支援活動ー女性ジストロフィン異常症患者の健康管理と登録に関するアンケート調査ー
小林 道雄 (国立病院機構 あきた病院 神経内科)
- 3) IonPGM 次世代シーケンサーを用いた DMD 遺伝子解析
三橋 里美 (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)
- 4) Remudy の今後の発展について、クリニカルイノベーションネットワークを見据えて
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)

■13:40 筋ジストロフィーのエビデンス創出を目的とした臨床研究と体制整備

班長 小牧 宏文

(国立精神・神経医療研究センター病院 小児神経科)

- 1) 研究班の概要、アウトカムメジャー研究の重要性
小牧 宏文 (国立精神・神経医療研究センター病院 小児神経科)
- 2) デュシェンヌ型筋ジストロフィーの臨床試験におけるアウトカムメジャー研究
竹下 絵里 (国立精神・神経医療研究センター病院 小児神経科)
- 3) 福山型先天性筋ジストロフィーにおける臨床評価指標の開発
石垣 景子 (東京女子医科大学 小児科)

■14:20 休憩 コーヒーブレイク

■14:50 筋強直性ジストロフィー治験推進のための臨床基盤整備の研究

(厚生労働科学研究委託費 -障害者対策総合事業-)

研究代表者 松村 剛 (国立病院機構刀根山病院 神経内科)

- 1) 2015 年度の活動報告
松村 剛 (国立病院機構刀根山病院 神経内科)
- 2) 筋強直性ジストロフィー患者登録データの解析
高橋 正紀 (大阪大学大学院 医学研究科 神経内科学)
- 3) INQoL、MDHI 日本語版作成について
藤野 陽生 (大阪大学大学院 人間科学研究科)
- 4) 筋強直性ジストロフィー認知機能障害の特徴
諏訪園 秀吾 (国立病院機構沖縄病院 神経内科)

■15:30 閉会挨拶

木村 円 (国立精神・神経医療研究センター TMC 臨床研究支援部)

◇市民公開講座◇

■15:40 開会挨拶

小牧 宏文（国立精神・神経医療研究センター病院 小児神経科）

■15:45 筋ジストロフィーを対象とする臨床試験の動向

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）

■16:25 BMD の遺伝型－表現型の関連性の検討と診療への応用・展開

中村 昭則（信州大学医学部附属病院 難病診療センター）

■16:55 閉会挨拶

武田 伸一（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）