

令和3年1月18日

一般社団法人日本神経治療学会
理事長 桑原 聡 殿

一般社団法人 日本筋ジストロフィー協会
代表理事 貝谷 久宣

日頃、難病、筋ジストロフィー医療にご理解、ご支援を賜り厚くお礼申し上げます。
さて、筋ジストロフィーの治療薬開発に関連して、患者本位の治験を実現していただくため、日本筋ジストロフィー協会では「協会賞」を設定いたしました。この賞の周知に関して、格別のお取り計らいをよろしくお願い申し上げます。

要請書

日本筋ジストロフィー協会は、1968年の創立以来「一日も早く」をスローガンとして筋ジストロフィーの原因究明と治療開発の促進、並びに患者 QOL の向上のための活動をしてまいりました。昨年5月、官学産界の絶大なる尽力のおかげで日本初の筋ジストロフィーの遺伝子治療薬ビルトラルセンが、日本新薬株式会社から発売されました。この新薬の治療対象となるのはデュシェンヌ型筋ジストロフィー遺伝子のエクソン53に変異がある患者だけで、デュシェンヌ型筋ジストロフィー患者の7.7%に過ぎません。さらに、デュシェンヌ型筋ジストロフィーは筋ジストロフィー全体の中の1割前後に過ぎず、筋ジストロフィーという病気の遺伝子治療には変異遺伝子ごとの治療薬の開発が必要となってきます。今後も、筋ジストロフィー治療には数多くの臨床治験研究が行われることとなります。

さて、現在行われている筋ジストロフィーの臨床治験では、治験前後の筋生検、経過中の運動機能をはじめとする種々なる生体検査が繰り返し行われています。このような検査は身体機能に障害があり、種々な内科的疾患も併発していることの多い患者にとっては大変な負担です。また、ただでさえ萎縮している筋肉を治験前後2回も採取するということは患者にとっておおきな心身の外傷となっています。また、これらの検査はすべて病院で行われることとなりますから、身体機能の低下した患者には年余にまたがる通院という大きな難儀も常につきまといます。

IT技術の進歩した現代、軽便な生体機能測定機器が数多く出現しています。生体の生理機能測定にウェアラブル機器を使用して行う臨床治験が既にヨーロッパでは始まったと聞きます。また、医療工学の発達した現在、過酷な筋生検に代わる新しい検査方法が必ずあると考えられます。

以上のことを鑑み、私共日本筋ジストロフィー協会会員は、患者の負担の少ない、さらにより客観的に効果の判定ができる最新技術を使用した新しい方法を開発した研究を顕彰することといたしました。「協会賞」の周知を貴学会の会員の皆様へ周知していただけないでしょうか。筋生検に代わる侵襲性の少ない検査法が「一日も早く」実現するよう謹んで要請いたします。

以上

一般社団法人日本筋ジストロフィー協会賞募集要項（改訂 令和3年1月15日）

（趣旨）

第1条 筋ジストロフィーの治療薬開発に関し、一般社団法人日本筋ジストロフィー協会は、臨床治験研究促進機構を令和元年5月の総会において設立し、患者本位の治験研究の推進に取り組んでいる。

さらに今回、患者に心身の苦痛を与える現在行われている筋生検に代わる方法を開発した研究者に対し「一般社団法人日本筋ジストロフィー協会賞」を定める。

（応募資格）

第2条 応募資格は国籍、専門分野を問わず、募集主旨に純粋に適う個人または団体とする。

（応募課題）

第3条 現行の筋生検に代わり、(1)侵襲性が少なく、(2)筋ジストロフィーの臨床治験の効果を確定(欠損タンパクの証明又は定量)できる新しい方法を開発した研究。

（賞金）

第4条 研究に関与した個人または団体に100万円。

（募集期間）

第5条 令和2年1月から令和4年12月末まで。但し、締め切りまでに応募がなかった場合は改めて募集する。

（応募方法）

第6条 応募方法は次のとおり。

(1) 申請者は、添付の申請書を使用し、日本筋ジストロフィー協会事務局宛てに電子メール(jmda_info@ml.jmda.or.jp)で応募する。

(2) 締め切りは令和4年12月31日。

(3) 申請書及び添付書類は返却しない。

なお、新しい方法を開発した研究内容は、必ずしも論文として刊行されていなくても、投稿前の段階でも論文形式が整っておれば可。

（選考及び決定通知）

第7条 選考委員会において審査・選考し、遅くとも令和5年3月末日までに申請者に結果を通知する。

（選考委員）

第8条 選考委員会委員は次のとおり(五十音順)。

石原 傳幸 国立病院機構箱根病院名誉院長

大澤 真木子 東京女子医科大学名誉教授 日本筋ジストロフィー協会理事

武田 伸一 国立精神・神経医療研究センター 理事

戸田 達史 東京大学医学部 神経内科 教授

樋口 輝彦(委員長) 国立精神・神経医療研究センター 名誉総長

（賞金の交付）

第9条 賞金は令和5年度全国大会で贈呈する。

附則

この要項は、令和2年1月1日から実施する。

一般社団法人日本筋ジストロフィー協会賞

申請書

※応募する際には本申請書とともに、業績を示す資料の添付もお願いいたします。

応募は、事務局宛てに電子メール(jmda_info@ml.jmda.or.jp) で、件名を「協会賞 申請書」として下さい。

申請年月日 年 月 日

1. 申請者情報

1) 申請者氏名 (ふりがな)	()	生 年 月 日	年 月 日生
2) 所属機関		職 名	
3) 所属機関 (所在地)	〒	TEL : FAX : E-mail:	
4) 申請者 (自宅住所)	〒	TEL : FAX : E-mail:	
5) 申請者略歴			
6) 課題名・研 究のテーマ			