

国立研究開発法人 国立精神・神経医療研究センター
令和2年度 精神・神経疾患研究開発費

筋ジストロフィー研究班 合同班会議
Web 開催

2021 (R3) 年 1 月 8 日 (金)

共催

厚生労働科学研究費補助金 難治性疾患政策研究事業
AMED 難治性疾患実用化研究事業

<事前登録のお願い>

- ・事前参加登録は、1月5日（火）18:00 までとさせていただきます。
- ・合同班会議の Zoom 入室用 URL につきましては、
事前にご登録いただきましたメールアドレス宛にお送りさせていただきます。

<事務局>

国立研究開発法人 国立精神・神経医療研究センター
精神・神経疾患研究開発費
主任研究者 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
〒187-8502 東京都小平市小川東町 4-1-1
Tel: 042-346-1712 Email: ichibu-jimu@ncnp.go.jp

この度は初めての Web 開催となりますので、
ご希望に添えない部分もおありかと思えます。
ご理解を賜れますと幸いです。
有意義な 1 日となりますよう、
ご協力の程、何卒よろしくお願い申し上げます。

2020 (R2) 年度 筋ジストロフィー研究班 合同班会議 Timetable

2021 (R3) 年1月8日(金) Web開催

敬称略

	9:00	9:05	開会挨拶	西野一三	国立精神・神経医療研究センター
Session 1			班長	西野 一三	国立精神・神経医療研究センター
1	9:05	9:20		小笠原 真志	国立精神・神経医療研究センター
2	9:20	9:35		林 晋一郎	国立精神・神経医療研究センター
3	9:35	9:50		竹田 哲也	岡山大学
4	9:50	10:05		本橋 紀夫	国立精神・神経医療研究センター
Session 2			班長	青木 吉嗣	国立精神・神経医療研究センター
5	10:05	10:20		上住 聡芳	東京都健康長寿医療センター研究所
6	10:20	10:35		横田 俊文	University of Alberta Faculty of Medicine and Dentistry
7	10:35	10:50		佐藤 充人	国立精神・神経医療研究センター 信州大学
8	10:50	11:05		村松里衣子	国立精神・神経医療研究センター
	11:05	11:15	Break		
Session 3			研究代表者	松村 剛	国立病院機構大阪刀根山医療センター
9	11:15	11:30		中島 孝	国立病院機構新潟病院
10	11:30	11:45		松村 剛	国立病院機構大阪刀根山医療センター
Session 4			班長	小牧 宏文	国立精神・神経医療研究センター
11	11:45	12:00		李 知子	兵庫医科大学
12	12:00	12:15		中村 昭則	国立病院機構 まつもと医療センター
13	12:15	12:30		中村 治雅	国立精神・神経医療研究センター
Session 5			研究代表者	高橋 正紀	大阪大学大学院
14	12:30	12:35	班紹介	高橋 正紀	大阪大学大学院
	12:35	12:45		中村 治雅	国立精神・神経医療研究センター
	12:45	12:50	閉会挨拶	青木吉嗣	国立精神・神経医療研究センター
	12:50	14:00	Lunch Break		
市民公開講座					
	14:00	14:05	開会挨拶・概要	西野 一三	国立精神・神経医療研究センター
	14:05	14:25		齊藤利雄	国立病院機構大阪刀根山医療センター
	14:25	14:45		小牧宏文	国立精神・神経医療研究センター
	14:45	14:50	閉会挨拶	小牧宏文	国立精神・神経医療研究センター

2021 (R3) 年 1 月 8 日 (金)

1 演題：発表 12 分・討論 3 分 敬称略

9:00 開会挨拶

西野 一三 (にしの いちぞう)

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

Session 1

9:05 筋レポジトリーの拡充とそれを活用した筋ジストロフィー関連疾患の病態解明と診断・治療法開発

主任研究者 西野 一三 (にしの いちぞう)

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) 演題 Oculopharyngodistal myopathy の遺伝学的・臨床的・病例学的特徴
演者 小笠原 真志 (おがさわら まさし)
所属 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) 演題 POPDC3 関連筋ジストロフィーは核膜病である
演者 林 晋一郎 (はやし しんいちろう)
所属 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) 演題 再構成アプローチで解明する中心核ミオパチーの
発症機序と診断応用への試み
(再構成アプローチで解明する
中心核ミオパチー型膜リモデリング分子の機能異常)
演者 竹田哲也 (たけだ てつや)
所属 岡山大学大学院医歯薬学総合研究科

- 4) 演題 部位特異的な筋幹細胞に着目した骨格筋維持機構の解明
演者 本橋紀夫 (もとはし のりお)
所属 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

Session 2

10:05 疾患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

主任研究者 青木 吉嗣 (あおき よしつぐ)

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) 演題 間葉系前駆細胞を標的とした新たな筋ジストロフィーの治療法開発
ー間葉系前駆細胞を起点としたレチノイン酸シグナルによる筋再生制御機構ー
演者 上住 聡芳 (うえずみ あきよし)
所属 東京都健康長寿医療センター研究所 筋老化再生医学

- 2) 演題 Duchenne 型筋ジストロフィーに対するエクソン・スキップ治療のこれから
ー治療効果の更なる向上に向けた核酸デリバリー手法の開発とシーケンスの最適化ー
演者 横田 俊文 (よこた としふみ)
所属 Department of Medical Genetics,
University of Alberta Faculty of Medicine and Dentistry

- 3) 演題 尿中細胞を用いた筋ジストロフィーの病態・治療研究
ー筋ジス研究を基盤とした神経筋疾患治療研究の発展的展開ー
演者 佐藤 充人 (さとう みつと)
所属 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
信州大学 医学部医学科 内科学第三教室

- 4) 演題 神経学的アプローチによる神経筋疾患の病態解明研究
演者 村松里衣子 (むらまつ りえこ)
所属 国立精神・神経医療研究センター 神経研究所 神経薬理研究部

11:05 – 11:15 **Break**

Session 3

11:15 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 難治性疾患政策研究事業)

研究代表者 松村 剛 (まつむら つよし)

国立病院機構大阪刀根山医療センター 脳神経内科

- 1) 演題 HAL 医療用下肢タイプの神経筋疾患レジストリー
(筋ジストロフィーを含む) の目的と進捗状況・自施設データの紹介
演者 中島 孝 (なかじま たかし)
所属 国立病院機構新潟病院
- 2) 演題 COVID-19 が筋ジストロフィー患者に及ぼす影響の実態調査
演者 松村 剛 (まつむら つよし)
所属 国立病院機構大阪刀根山医療センター

Session 4

11:45 筋ジストロフィーの臨床開発促進、ならびにエビデンス構築を目指した研究

主任研究者 小牧 宏文 (こまき ひろふみ)

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) 演題 神経筋疾患の早期診断・早期治療に関する研究
～脊髄性筋萎縮症に対する新生児スクリーニングについての意識調査～
演者 李 知子 (り ともこ)
所属 兵庫県医科大学小児科学
- 2) 演題 BMD 自然歴後ろ向き調査研究の成果
演者 中村 昭則 (なかむら あきのり)
所属 国立病院機構まつもと医療センター 臨床研究部
- 3) 演題 リアルワールドデータの希少疾患医薬品開発における利活用に向けて
Remudy-DMD の構築を踏まえて
演者 中村 治雅 (なかむら はるまさ)
所属 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 臨床研究支援部

Session 5

12:30 レジストリと連携した筋強直性ジストロフィーの自然歴およびバイオマーカー研究
(AMED 難治性疾患実用化研究事業)

研究代表者 高橋 正紀 (たかはし まさのり)

大阪大学大学院 医学系研究科 生体病態情報科学講座

演題 筋強直性ジストロフィーにおける歩行可能患者の
多施設共同前向き自然歴研究について

演者 中村 治雅 (なかむら はるまさ)

所属 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 臨床研究支援部

12:45 閉会挨拶

青木 吉嗣 (あおき よしつぐ)

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

12:50 – 14:00 **Lunch Break**

市民公開講座

14:00 開会挨拶・概要説明

西野 一三（にしの いちぞう）

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) 演題 筋ジストロフィーと新型コロナウイルス感染症

演者 齊藤 利雄（さいとう としお）

所属 国立病院機構大阪刀根山医療センター 感染防止対策室長

2) 演題 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治療

演者 小牧 宏文（こまき ひろふみ）

所属 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

14:45 閉会挨拶

小牧 宏文（こまき ひろふみ）

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

ご参加いただきまして、ありがとうございます。

皆様のご多幸とさらなる飛躍をお祈りいたします。