

第1回難病・慢性疾患全国フォーラム「団体紹介」

団体名：遠位型ミオパチー患者会 Patients Association for Distal Myopathies (PADM)
対象疾患（支援団体の場合は、対象地域や参加団体数など）： 遠位型ミオパチー
病気または団体の説明：（全角120字以内） 遠位型ミオパチーは、体の中心部から遠い手先・足先から徐々に筋力が低下していく進行性の筋疾患です。多くは20代で発症し、歩行困難となり、腕も動かなくなり、日常生活全般に介助を要し、やがて寝たきりとなります。治療法は、現在はありません。
活動目的・内容：（全角500字以内） 遠位型ミオパチー治療薬開発を早期に実現するために、私達は、（1）「遠位型ミオパチー」の研究費増額による更なる研究推進、（2）稀少疾病の新薬開発を促進・支援する新たな制度の確立、（3）「遠位型ミオパチー」の特定疾患への認定を目指して活動しています。  治療法はなく、また特定疾患にも指定されていません。 国内に300人から400人の患者がいると推測される希少疾患です。この病気をよく知り、診断できる医師も限られる現状から、実態は把握できておらず、マウス実験で有効な物質が見つかったにも関わらず、患者数が少ないため、主に採算面の理由で人での実用化が進まない現実があります。 私達は患者から声を上げることで、少しでも治療への道を開く事ができるのではないかと、2008年4月、患者会を設立し、全国各地での署名活動やシンポジウムの開催などを行ってきました。本当に多くの皆様のご支援を頂き、2009年4月に新設された研究奨励分野による実態調査が始まったほか、第Ⅰ相試験も開始されます！ 続く第Ⅱ相試験の実現が当面の大きな課題です。
メッセージ（フォーラムに向けて、私たちの願い……）：（全角500字以内）
連絡先：