

MDCTN 通信

第1号 2014年9月

第1号発行にあたって

筋ジストロフィー臨床試験ネットワーク(MDCTN)は、希少疾患である筋ジストロフィーなどの神経筋疾患を対象に、疾患に特化した臨床試験の促進を目指す本邦初の試みとして、2012年12月に設立しました。確実かつ迅速に臨床試験や臨床研究を実施するには、多施設が協力し、従来は困難だった患者さんの情報の把握、臨床試験や治療の共有化をはかる体制の構築は不可欠であり、今日までに全国32施設の医療機関が当ネットワークに加盟しています。2013年5月に集計した施設調査では、28施設から約5700人の診療患者の内訳、施設での各職種の割合などの情報を得ることができました。

筋ジストロフィーの治療に関する様々なシーズ(種)が企画されている現在、MDCTN事務局では、多くの加盟施設に効率良く情報発信する場として、MDCTN通信を作成することとしました。今後は、事務局からの連絡事項、実施および計画の臨床試験、臨床研究などの情報を中心に、定期的に更新していきたいと考えていますので、どうぞよろしくお願い致します。

MDCTN加盟施設の皆様へ



MDCTN事務局代表、国立精神・神経医療研究センターの小牧宏文です。

MDCTNは2012年末に設立され、活動2年目を迎えています。MDCTNの事業を理解いただくこと、加盟施設の相互理解などを目的にニュースレターを発行することといたしました。情報交換、情報共有の一助となれば幸いです。

7月26日には第3回となるMDCTNワークショップを開催いたしました。医師、研究者、コーディネーター、理学療法士、製薬企業関係者など様々な分野から130名に参加いただき、治験・臨床研究の最新の知見、アウトカムメジャーに関する検討などを行いました。

また、現在MDCTN初の多施設共同研究となる、遅発性ポンペ病患者ハイリスクスクリーニング調査研究の準備が進んでいます。

臨床研究に役立つ情報発信を行ってまいります。よろしくお願い致します。

事務局からのお知らせ

◆ 遅発型ポンペ病患者ハイリスクスクリーニング調査研究 スタートアップミーティング

日時:2014年9月13日(土) 13~15時
会場:東京国際フォーラムG608会議室
本研究参加施設の方は、ご出席ください。

◆ アウトカムメジャーに関する意見交換のためのメーリングリスト

上記メーリングアドレスを作成いたしました。MDCTN加盟施設の方であれば、職種を問わずご登録いただけます。

登録申し込み: shigemori@ncnp.go.jp
所属施設、職種、メールアドレスを上記まで。

その他のお知らせ

◆ 第11回筋ジストロフィー市民公開講座

日時:2014年11月8日(土) 13時~16時
会場:国立精神・神経医療研究センター
教育研修棟 ユニバーサルホール

要予約 e-mail: shigemori@ncnp.go.jp
詳細

http://www.ncnp.go.jp/general/symposium_20141108.html

Ustreamにて中継いたします。

※お知らせ欄に掲載を希望される場合、shigemori@ncnp.go.jp まで。

現在準備中の臨床試験

- ◆研究名 遅発型ポンペ病患者ハイリスクスクリーニング調査研究
通称:PHIRS-J研究 (ファースジェイ)
- ◆実施期間 2014年9月頃～2016年3月末(患者登録:2015年6月末まで)
- ◆研究目的 遅発型ポンペ病の国内における有病率や臨床的特徴を明らかにし、早期診断・治療の発展に貢献する。
- ◆共同研究施設
国立病院機構東埼玉病院 尾方 克久(主任研究者)
国立成育医療研究センター臨床検査部 奥山 虎之部長
- ◆実施施設(各施設の研究責任者)

NHO大牟田病院(荒畑 創)	NHO刀根山病院(松村 剛)
東京女子医科大学病院(石垣 景子)	NHO青森病院(高田 博仁)
NHOあきた病院(小林 道雄)	大阪大学医学部附属病院(高橋 正紀)
熊本大学附属病院(木村 重美)	NHO鈴鹿病院(久留 聡)
NHO旭川医療センター(木村 隆)	名古屋市立大学病院(服部 文子)
NHO仙台西多賀病院(高橋 俊明)	鳥取大学医学部附属病院(玉崎 章子)
国立精神・神経医療研究センター病院(小牧 宏文)	

アウトカムメジャーワーキンググループ

近年、エクソスキップなどのデュシェンヌ型筋ジストロフィー(DMD)の臨床試験が開始されていますが、主要評価項目として用いられている6分間歩行が治療効果を反映する鋭敏な指標として十分であるかは疑問が残ります。そこで、MDCTNでは、臨床試験の介入の効果を的確に反映し、多施設で実施可能な均一化された運動機能評価項目の作成を目指し、アウトカムメジャーワーキンググループを立ち上げました。



ワーキンググループメンバー

2014年7月27日に、東京国際フォーラムにてMDCTNアウトカムメジャー検討会を行いました。計15施設から医師、理学療法士、作業療法士が参加し、当ワーキンググループで計画しているアウトカムメジャー研究の提案に対し、活発な討論を行いました。また、各施設での運動機能評価に関する取り組みについても呈示いただきました。今回の検討会を踏まえて、今後はアウトカムメジャー研究の研究計画書および手順書の作成を進めていく予定で、このMDCTN通信にて適宜経過をご報告したいと考えております。ご協力よろしくお願ひ致します。