

【Remudyニュースレター第1号】ニュースレター配信開始にあたって

配信日：2011年9月21日

Remudyニュースレターの配信がはじまりました。どうぞよろしくお願ひします。  
このニュースレターでは、筋ジストロフィーの治療開発や医療に関する情報を皆様にお届けいたします。

まずご挨拶申し上げます。

Remudy患者情報登録部門の担当をいたしております木村 円と申します。この7月から国立精神・神経医療研究センターに赴任し、中村治雅先生からRemudyのお仕事を引き継ぎました。まだ2ヶ月とちょっと、不慣れなことも多く、ご迷惑をおかけすることがあるかと存じますが、何卒よろしくお願ひいたします。

Remudyは筋ジストロフィーの新しい治療を開発するに当たって、患者のみなさまと研究者・製薬企業の間での橋渡しをするためのサイトです。

筋ジストロフィーの病気の原因がようやく徐々に解明され、一方では様々な手段を使って寿命や生活の質（QOL）が改善されてきました。さらに最近の研究では、原因により近いところでの治療開発（エクソンスキッピング治療など）が進んでいます。筋ジストロフィーは患者数が少ない「稀少疾患」ですので、治療開発の最終段階での治験で、相当の困難が予想されました。この困難を乗り越えるためヨーロッパを中心にTREAT-MNDのネットワークが設立され、これをうけて日本でも厚生労働省 精神・神経疾患研究開発費「筋ジストロフィーの臨床試験実施体制構築に関する研究（川井班）」によって、国立精神・神経医療研究センター内に筋ジストロフィー患者登録制度・Remudyが設立されました。これは川井充先生、中村治雅先生はじめ多くの先生方のご尽力、患者・家族のみなさま、筋ジス協会はじめ関係の皆様のご協力のたまものです。

Remudyは、2011年7月現在で、750人を越える患者のみなさまから登録のご依頼をいただき、日本でも国際共同治験（エクソン51スキップ）がはじまる原動力になり、さらにこれからの治療研究に大きく貢献することが期待されます。国際共同治験によって、新薬承認へのドラッグラグがなくなっていくと考えられます。これを皮切りに、研究者・製薬企業の方に「新しい治療を待ち望んでいる患者さんがいらっしゃること」を伝え、新しい治療法の開発がもっともっと進んでいくように尽力して参ります。今後も、患者・ご家族のみなさまのお役に立てるように、厚生労働省 精神・神経疾患研究開発費により維持・継続して参ります（遺伝性神経・筋疾患における患者登録システムの構築と遺伝子診断システムの確立に関する研究）。

Remudyは、おひとりおひとりの患者さまご自身が遺伝情報と臨床情報を含む情報を登録すること大きな特徴があります。情報は、個人情報特定されないように配慮したうえで、臨床試験・治験を計画している研究者や製薬企業に開示されます。これによって治験を円滑に進めるお手伝いをします。またウェブサイト、紙媒体のRemudy通信、そしてこのRemudyニュースレターなどを通じて、患者・ご家族のみなさまに新しい治療開発や医療の情報を広くお伝えすることに、力を入れてまいります。

現在はデュシャンヌ型・ベッカー型筋ジストロフィーを対象にしていますが、将来は治療開発の進展にあわせて、対象の範囲を広げていく予定です。皆さまのご協力とご支援をよろしくお願いいたします。

Remudy患者情報登録部門 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

「遺伝性神経・筋疾患における患者登録システムの構築と遺伝子診断システムの確立に関する研究」主任研究者