

【Remudy ニュースレター 第 58 号】

配信日:2014 年 09 月 30 日

今回は、9 月 26 日に発行された TREAT-NMD ニュースレターをご案内いたします。

\* オンライン版はこちら



[http://www.treat-nmd.eu/newsletter/archive/email/26th\\_September\\_2014.html](http://www.treat-nmd.eu/newsletter/archive/email/26th_September_2014.html)

— \* — \* — \* — \* — \* — \* —

◆CTSR(Care and Trial Site Registry)は FSHD、LGMD、DMD の成人患者を診ている施設の参加を求めています。

\* 詳細



<https://ctsr.uniklinik-freiburg.de/>

◆2013 年 10 月にオランダで行われた、第 200 回 ENMC 国際ワークショップにて、ERNs(European Reference Networks)の立ち上げのための神経・筋疾患分野における最善策に関する議論がありました。この報告が『Neuromuscular Disorders』に掲載されています。

\* 詳細



<http://www.sciencedirect.com/science/article/pii/S0960896614000807>

◆SMA ヨーロッパは、SMA 研究計画の募集中です。締め切りは 2014 年 10 月 16 日。

\* 詳細



<http://www.afm-telethon.com/media/files/SMA%20Europe%207th%20Call%20for%20Research%20Projects.pdf>

◆Prosensa 社のデュシェンヌ型筋ジストロフィーの治療薬・Drisapersen(ドリサペルセン)の最新情報に関する Web 会議が UPPMD(United Parent Project Muscular Dystrophy)主催にて、2014 年 10 月 2 日開催されます。

\* 詳細



<http://cureduchenne.com/blog/prosensa-update-about-drisapersen-other-programs-webinar/>

◆GNE ミオパチー観察研究(GNEM- DMP)最新情報

◆先天性筋ジストロフィーの第 1 相試験が 2014 年後半に予定されています。

\* 詳細



<http://www.santhera.com/index.php?docid=212&vid&lang=en&newsdate=201407&newsid=1828191&newslang=en>

◆デュシェンヌ型筋ジストロフィー治療研究最新情報

\* 詳細



<http://www.treat-nmd.eu/dmd/research-overview/drug-therapy/>

- ◆『The Imperatives of DMD (DMD 患者さんに必要不可欠なこと)』の翻訳版に、中国語、クロアチア語、セルビア語が追加されました。

\* 詳細



<http://www.treat-nmd.eu/dmd/care/imperatives-dmd/>

- ◆2014年9月7日の「世界デュシェンヌ型筋ジストロフィーDay」は大盛況のうちに終わりました。

\* Facebook



<https://www.facebook.com/worldduchenneawarenessday>

\* ホームページ



<http://www.worldduchenneawarenessday.org/>

- ◆エクソンスキップに関する COST アクションのミーティング報告が出ました。

\* 詳細



<http://exonskipping.eu/wp-content/uploads/2014/09/COST-Action-BM1207-workshop-on-translational-challenges-for-exon-skipping-therapy-lay-summary-final.pdf>

- ◆GNE ミオパチー観察研究に従事する登録コーディネーター募集。

FOR-DMD (Finding the Optimum Regimen of Corticosteroids for DMD/DMD のコルチコステロイド最適療法研究)のニュースレター最新号がダウンロード出来ます。

\* 詳細



<http://for-dmd.org/en/newsletters/>

- ◆TACT (the TREAT-NMD Advisory Committee for Therapeutics)の第10回審査ミーティングが2014年10月に行われます。審査予定は以下の3つです;

- Seth Porter, FibroGen Inc, San Francisco, USA: Clinical trial of FG-3019 in patients with Duchenne muscular dystrophy.
- Gloria Vigliani: Naproxenod for the treatment of Duchenne muscular dystrophy
- Suyash Prasad, Audentes Therapeutics Inc, San Francisco, USA: Systemically delivered AAV8 gene therapy for X-linked myotubular myopathy (XLMTM)

以上