

平成 28 年度 委託研究開発成果報告書

I. 基本情報

- 事業名 : (日本語) 臨床研究・治験推進研究事業
(英語) Project Promoting Clinical Trials for Development of New Drugs
- 研究開発課題名 : (日本語) 難病、希少疾患の医薬品開発におけるクリニカルイノベーションネットワーク構想の推進を目指した疾患登録システム (患者レジストリ) の構築
(英語) Establishment of Disease Registry (Patient Registry) for Promotion of Concept of Clinical Innovation Network in Drug Development for Intractable and Rare Diseases
- 研究開発担当者
所属 役職 氏名 : (日本語) 国立研究開発法人国立精神・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 臨床研究支援室 室長
中村 治雅
(英語) Harumasa Nakamura MD
Chief of Clinical Research/Trial Promotion, Translational Medical Center, National Center of Neurology and Psychiatry
- 実施期間 : 平成 28 年 10 月 1 日 ～ 平成 29 年 3 月 31 日
- 分担研究
開発課題名 : (日本語) 研究総括
(英語) Research summary
- 研究開発分担者
所属 役職 氏名 : (日本語) 国立研究開発法人国立精神・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 臨床研究支援室 室長
中村 治雅
(英語) Harumasa Nakamura MD
Chief of Clinical Research/Trial Promotion, Translational Medical Center, National Center of Neurology and Psychiatry

- 分担研究 (日本語) クリニカルイノベーションの推進方策の提言
開発課題名 : (英 語) Suggestion of measures for promotion of Clinical Innovation
- 研究開発分担者 (日本語) 国立研究開発法人国立精神・神経医療研究センター 神経研究所 所長
所属 役職 氏名 : 武田 伸一
(英 語) Shin'ichi TAKEDA, M.D., Ph.D
Director-General, National Institute of Neuroscience, National Center of Neurology and Psychiatry
- 分担研究 (日本語) 疾患登録システムの中央支援部門の構築
開発課題名 : (英 語) Establishment of the central support unit for a disease registry
- 研究開発分担者 (日本語) 国立研究開発法人国立精神・神経医療研究センター トランスレーショナル
所属 役職 氏名 : ル・メディカルセンター センター長 和田 圭司
(英 語) Keiji Wada, MD, PhD
Director General, Translational Medical Center, National Center of Neurology and Psychiatry
- 分担研究 (日本語) 登録項目及び臨床研究ネットワークとの連携の検討
開発課題名 : (英 語) Investigation on registration items in a disease registry and
a collaboration between a disease registry and a clinical research
network
- 研究開発分担者 (日本語) 国立研究開発法人国立精神・神経医療研究センター病院 臨床研究推進部
所属 役職 氏名 : 部長 小牧 宏文
(英 語) Hirofumi Komaki, MD, PhD
Director, Department of Clinical Research Promotion, National Hospital, National Center of Neurology and Psychiatry
- 分担研究 (日本語) 新たな疾患登録システム構築における情報システムの検討及びデータマネ
開発課題名 : ジメント
(英 語) Investigation on an information system for establishing a new disease
registry and data management
- 研究開発分担者 (日本語) 国立研究開発法人国立精神・神経医療研究センター トランスレーショナル
所属 役職 氏名 : ル・メディカルセンター 情報管理・解析部 データマネジメント室
室長 波多野 賢二

(英 語) Kenji Hatano
Chief of Data Management Section, Department of Clinical
Epidemiology, Translational Medical Center, National Center of
Neurology and Psychiatry

分担研究 (日本語) Remudy の発展的活用の検討
開発課題名 : (英 語) Investigation on constructive utilization of Registry of muscular
dystrophy (Remudy)

研究開発分担者 (日本語) 国立研究開発法人国立精神・神経医療研究センター トランスレーショナ
所属 役職 氏名 : ル・メディカルセンター 臨床研究支援部 早期・探索的臨床試験室
室長 木村 円
(英 語) En Kimura
Chief of Extra Early Exploratory Clinical Trail Unit, Department of
Promoting Clinical Trial and Translational Medicine, Translational
Medical Center, National Center of Neurology and Psychiatry

分担研究 (日本語) 疾患登録システムの構築・運用時の統計学的課題の検討
開発課題名 : (英 語) Investigation on statistical issues in the establishment and operation of
a disease registry

研究開発分担者 (日本語) 国立研究開発法人国立精神・神経医療研究センター トランスレーショナ
所属 役職 氏名 : ル・メディカルセンター 情報管理・解析部 生物統計解析室 室長
丸尾 和司
(英 語) Kazushi Maruo
Section Chief, Section of Biostatistics, Department of Clinical
Epidemiology, Translational Medical Center, National Center of
Neurology and Psychiatry

分担研究 (日本語) 疾患登録システムにおける倫理的課題の検討
開発課題名 : (英 語) Investigation on ethical issues in a disease registry

研究開発分担者 (日本語) 国立研究開発法人国立精神・神経医療研究センター トランスレーショナ
所属 役職 氏名 : ル・メディカルセンター 臨床研究支援部 倫理相談・教育研修室 室長
一家 綱邦
(英 語) Tsunakuni IKKA
Section chief, Section of Bioethics, Department of Clinical Research

Support, Translational Medical Center, National center of Neurology
and Psychiatry

- 分担研究 (日本語) 疾患登録システムへの登録にかかる問題点の検討
開発課題名 : (英語) Investigation on issues to be addressed in the registration in a disease
registry
- 研究開発分担者 (日本語) 独立行政法人国立病院機構東埼玉病院 臨床研究部 部長 尾方 克久
所属 役職 氏名 : (英語) Katsuhisa Ogata
Director, Institute of Clinical Research, National Hospital Organization
Higashisaitama Hospital
- 研究開発分担者 (日本語) 学校法人東京女子医科大学 小児科 講師 石垣 景子
所属 役職 氏名 : (英語) Keiko Ishigaki
Senior Lecturer, Department of Pediatrics, Tokyo Women's Medical
University, School of Medicine
- 研究開発分担者 (日本語) 独立行政法人国立病院機構刀根山病院 神経内科 部長 松村 剛
所属 役職 氏名 : (英語) Tsuyoshi Matsumura
Director, Department of Neurology, National Hospital Organization
Toneyama National Hospital
- 研究開発分担者 (日本語) 学校法人兵庫医科大学 小児科学 教授 竹島 泰弘
所属 役職 氏名 : (英語) Yasuhiro Takeshima
Professor, Hyogo College of Medicine

II. 成果の概要（総括研究報告）

1. 新たな疾患登録システムの構築：

治験対照群や製造販売後調査に利用可能となるための信頼性保証、規制要件への適合性の要件を満たすこと、さらに電子カルテ等の電子化医療情報を収集することへの対応が可能な新たな仕組みを実現する疾患登録システムについての調達仕様書、開発ベンダー選定基準案を作成した。なお作成の過程で、登録システムの設計に関しては、PMDAにおけるMID-NET実施についての知識を持つ外部シンクタンクの業務支援を受け進めた。信頼性基準について、PMDA(CINワーキンググループ、信頼性保証部、医療情報活用推進室)との面談を12月、3月に実施し、今後も継続的に実施予定である。またAMED医薬品等規制調和・評価研究事業「患者レジストリーデータを用い、臨床開発の効率化を目指すレギュラトリーサイエンス研究」班に、研究開発代表者が分担研究者として参加しており、現在検討中の基準案との整合性を図りつつ進めることができた。並行して、現在のRemudy構築ベンダーと、Remudy自体を新たなシステムへと統合させるための検討(Remudyのデータ入出力方式の検討、統合への必要要件の洗い出し等)を実施した。その上で、現在CINで想定されているシステム構築に向けては、①登録項目のマスタ化、②ER/ES指針への対応、③システム間連携、標準化(CDISC、SS-MIX2)、④セキュリティー、匿名化等について、⑤管理する鍵の運用が課題と考えられた。

2. 疾患登録システムの運用体制の構築：

CIN推進のための登録システム、患者レジストリの運用体制を検討するために、ワンストップ、中央支援部門の構築を見据えて、事務局の運用体制を検討した。個別レジストリ事務局および共通化できる中央支援部門について、業務をレジストリ管理、データ分析・加工、外部対応業務（データ受発注業務）、レジストリ保守運用業務、レジストリ構築業務とし、将来のワンストップ機能に向け整理した。疾患登録システムの維持、運用について、利活用者による実施可能性調査や患者リクルート利用料への負担、製薬企業とのコンソーシアムの形成による出費、自然歴研究の製薬企業等との共同研究、製造販売後調査への利用による製薬企業よりの資金提供の可能性について、製薬協との意見交換を行い、利用に対する対価、共同研究としての費用拠出については可能であるが、コンソーシアムについては、レジストリ事務局、中央支援部門の将来的な方向性を踏まえて議論継続したいとの見解を得ている。レジストリ事務局の構築に向けては、研究開発代表者の元にCRC、データマネジャー(CDISC Authorized Instructorを含む)、モニター、SE、事務員を含めた体制を整備し、国立精神・神経センターデータマネジメント室とも連携した体制を構築した。また、事務局において、GCPを踏まえた標準業務手順書の作成に着手した。

3. 疾患登録システムへの登録に関する問題点の検討：

分担研究施設における新たに構築する疾患登録システムの実施可能性について、アンケート及び一部施設への実地調査を行った。分担研究施設5施設のうち、3施設においてSS-MIX2標準化ストレージが設置されていた。また、EDC入力を想定した、各施設における専用端末については全施設利用可能であった。現時点で、①医師がEDCへ直接入力した情報のみをデータセンター側システムに登録(一般的なEDCシステムと同様)、②①に加えSS-MIX2標準化ストレージの情報をデータセンター側システムに登録(入力端末とSS-MIX2は独立)、③①に加え、SS-MIX2標準化ストレージの情報をデータセンター側システムに登録(入力端末とSS-MIX2は連携)を想定し、①から③へ対応できるシステム構築を検討する。なお、来年度予定していたSS-MIX2標準化ストレージのデータ項目を整理し、匿名化、臨床検査項目等の標準コード対応等利活用可能とするうえで処理が必要な項目を洗い出し作業を、国立精神・神経医療研究センターで、今年度前倒して行った。また、登録項目について、登録を行う臨床現場における負担について、治験対照群、自然歴としての利用を考慮して、デュシェンヌ型筋ジストロフィーで一般的に収集される項目を整理、医師、CRC、PTの実施時間や負担を検討した。有効性評価指標である理学的所見については臨床現場への負担が大きいことが明らかとなった。今後、PMDAとも連携しつつ最終的な登録項目については決定する。

1. Development of a new patient registry:

We developed a procurement specification as well as vendor selection criteria for a new patient registry that should provide a new infrastructure available for assuring the quality of patient data for the control group in clinical trials or use for post-marketing surveillance, ensuring the compliance with regulatory requirements, and for collecting electronic medical information such as electronic medical records. These were developed with the aid from an external think tank knowledgeable about the development of the Medical Information Database Network (MID-NET) at the Pharmaceuticals and Medical Devices Agency (PMDA) for the design of a registry.

We held meetings with the relevant sections in the PMDA (Clinical Innovation Network [CIN] working group, Office of Compliance and Standards, and Information Technology Promotion Group) regarding the criteria for the assurance of data quality in the last December and March, and the meeting with the PMDA will be held on an ongoing basis. In addition, our principal investigator is participating as a collaborative investigator in the working group of Regulatory Harmonization and Evaluation of Pharmaceuticals, etc., Research Project on "Regulatory Science for Efficient Clinical Development using Data from Patient Registry" by the Japan Agency for Medical Research and Development (AMED), which enabled us to promote the development while keeping a consistency with the draft criteria currently under considerations.

At the same time, we conducted an investigation with the vendor of the current Registry of muscular dystrophy (Remudy) for the integration of Remudy into a new system. The results of the investigation indicated that the following issues are important for the development of a system expected to be available for CIN: 1. making a database of registration items, 2. responding to the guidance of electronic records/signatures, 3. system coordination/standardization (eg, Clinical Data Interchange Standards Consortium [CDISC], Standardized Structured Medical Information Exchange2 [SS-MIX2]), 4. security/de-identification, and 5. operation by the administration site. 2. Construction of an operational structure of a disease registry:

We defined and organized the business operations of a coordinating offices of individual registries and a central support unit that can be used in common into registry management, data analysis/processing, responding to external parties (reception and placement of data orders), and creation/maintenance/operation of a registry, for one-stop-service function in the future. For setting up a coordinating office for a registry, we developed a structure that includes clinical research coordinators (CRCs), the data manager (including the CDISC Authorized Instructor), monitors, system engineers (SEs), and clerical workers under the principal investigator and cooperates with the Data Management Department, National Center of Neurology and Psychiatry (NCNP.) The coordinating office started the creation of a standard operating procedure (SOP) taking into account of the Good Clinical Practice (GCP.) We exchanged opinions with the Japan Pharmaceutical Manufacturers Association (JPMA) regarding the maintenance/operation of disease registries. Specifically, a feasibility study by persons who use or utilize registries, burden of a charge for use in patient recruitment, expenditure on the construction of a consortium with pharmaceutical companies, collaborative research on natural history with pharmaceutical companies, the possibility of funding by pharmaceutical companies for use of registries for post-marketing surveillance were discussed. The JPMA expressed the opinion that the JPMA considers it

is possible to pay a charge for use and to bear the cost of the collaborative research and that the JPMA wants to continue the discussion taking into account of the future direction of a coordinating office and the central support unit of registries.

3. Investigation of issues to be addressed for data registration in a disease registry

For the feasibility of participating a newly developed registry at collaborative research institutions, 5 institutions were investigated by questionnaire survey and the site investigation was undertaken. Three of the 5 institutions were found to have installed SS-MIX2 Standardized Storage. In addition, dedicated terminals were already available for the data entry through the electronic data capture (EDC) system at all institutions. The following 3 scenarios are assumed: 1. only information directly entered by physicians in the EDC system are registered in a system in the data center (as with the case of a commonly used EDC system), 2. in addition to scenario 1, information stored in SS-MIX2 Standardized Storage is registered in a system in the data center (input terminals are independent from SS-MIX2), 3. in addition to scenario 1, information stored in SS-MIX2 Standardized Storage is registered in a system in the data center (input terminals are linked to SS-MIX2.). In this fiscal year, the National Center of Neurology and Psychiatry organized data items for SS-MIX2 Standardized Storage and identified items that must be processed before a registry can be used or utilized, such as de-identification and standardization of codes such as laboratory test codes, earlier than scheduled.

Furthermore, we investigated the burden of individuals in a clinical setting, more specifically, time required for the registration and associated burden for physicians, CRCs, and patients, assuming the use/utilization of a registry to describe the natural history. The investigation revealed that there is a significant burden in individuals in a clinical setting with regard to physical examination finding, an efficacy outcome measure, in particular.

III. 成果の外部への発表

(1) 学会誌・雑誌等における論文一覧（国内誌 7件、国際誌 12件）

【国内誌】

1. 松村剛. 筋ジストロフィーにおける中枢神経障害の重要性. *Brain and Nerve*. 2016, 68 (2), 109-118.
2. 中村治雅. 臨床研究ネットワーク-希少疾患、筋ジストロフィーの医薬品開発に向けての基盤整備-. *CLINICAL NEUROSCIENCE*. 2016, 34, 363-364.
3. 小林道雄, 石崎雅俊, 足立克仁, 米本直裕, 松村剛, 豊島至, 木村円. ジストロフィン異常症保因者の遺伝相談・健康管理の実態に関する調査. *臨床神経学*. 2016, 56 (6), 407-412.
4. 中村治雅. ウルトラオーファンドラッグの開発戦略. *PHARMSTAGE*. 2016, 9, 11-13.
5. 石垣景子. 福山型筋ジストロフィー. *小児内科*. 2016, 48(10), 1549-1552.
6. 高橋正紀, 松村剛, 木村円. 患者レジストリーと治験 筋強直性ジストロフィー –患者レジストリーと治験・臨床研究. *神経内科*. 2016, 85(6), 646-651.
7. 石垣景子. 筋疾患. *小児科診療*. 2017, 80(4), 481-486.

【国際誌】

1. Fujino H, Iwata Y, Saito T, Matsumura T, Fujimura H, Imura O. The experiences of patients with Duchenne muscular dystrophy in facing and learning about their clinical conditions. *International Journal of Qualitative Studies on Health and Well-being*. 2016, 11, 32045.
2. Nishikawa A, Mori-Yoshimura M, Segawa K, Hayashi YK, Takahashi T, Saito Y, Nonaka I, Krahn M, Levy N, Shimizu J, Kimura E, Goto J, Yonemoto N, Aoki M, Nishino I, Oya Y, Murata M. Respiratory and cardiac function in Japanese patients with dysferlinopathy. *Muscle Nerve*. 2016, 53(3), 394-401.
3. Fernande Freyermuth, Frédérique Rau, Yosuke Kokunai, Thomas Linke, Chantal Sellier, Masayuki Nakamori, Yoshihiro Kino, Ludovic Arandel, Arnaud Jollet, Christelle Thibault, Muriel Philipps, Serge Vicaire, Bernard Jost, Bjarne Udd, John Day, Denis Duboc, Karim Wahbi, Tsuyoshi Matsumura, Harutoshi Fujimura, Hideki Mochizuki, François Deryckere, Takashi Kimura, Nobuyuki Nukina, Shoichi Ishiura, Vincent Lacroix, Amandine Campan-Fournier, Vincent Navratil, Emilie Chautard, Didier Auboeuf, Minoru Horie, Keiji Imoto, Kuang-Yung Lee, Maurice Swanson, Adolfo Lopez de Munain, Shin Inada, Hideki Itoh, Kazuo Nakazawa, Takashi Ashihara, Eric Wang, Thomas Zimmer, Denis Furling, Masanori Takahashi, and Nicolas Charlet. Splicing misregulation of SCN5A contributes to cardiac conduction delay and heart arrhythmia in myotonic dystrophy. *Nature Communications*. 2016, 7, 11067.
4. Kuraoka M, Kimura E, Nagata T, Okada T, Aoki Y, Tachimori H, Yonemoto N, Imamura M, Takeda S. Serum osteopontin as a novel biomarker for muscle regeneration in Duchenne muscular dystrophy. *Am J Pathol*. 2016, 186(5), 1302-12.
5. Shimizu R, Ogata K, Tamaura A, Kimura E, Ohata M, Takeshita E, Nakamura H, Takeda S, Komaki H. Clinical trial network for the promotion of clinical research for rare diseases in Japan: muscular dystrophy clinical trial network. *BMC Health Serv Res*. 2016, 16, 241.
6. Tsuyoshi Matsumura, Toshio Saito, Naohiro Yonenobu, Masayuki Nakamori, Toshihiro Sugiura, Aya Nakamori, Harutoshi Fujimura, Saburo Sakoda. Renal dysfunction can be a common complication in patients with myotonic dystrophy 1. *Journal of the Neurological Sciences*. 2016, 368, 266-271.
7. Takeuchi F, Komaki H, Nakamura H, Yonemoto N, Kashiwabara K, Kimura E, Takeda S. Trends in steroid therapy for Duchenne muscular dystrophy in Japan. *Muscle Nerve*. 2016, 54(4), 673-680.
8. Suzuki N, Mori-Yoshimura M, Yamashita S, Nakano S, Murata KY, Inamori Y, Matsui N, Kimura E, Kusaka H, Kondo T, Higuchi I, Kaji R, Tateyama M, Izumi R, Ono H, Kato M, Warita H, Takahashi T, Nishino I, Aoki M. Multicenter questionnaire survey for sporadic inclusion body myositis in Japan. *Orphanet J Rare Dis*. 2016, 11(1), 146.
9. Miyatake S, Mitsushashi S, Hayashi YK, Purevjav E, Nishikawa A, Koshimizu E, Suzuki M, Yatabe K, Tanaka Y, Ogata K, Kuru S, Shiina M, Tsurusaki Y, Nakashima M, Mizuguchi T, Miyake N, Saitsu H, Ogata K, Kawai M, Towbin J, Nonaka I, Nishino I, Matsumoto M. Biallelic mutations in *MYPN*, encoding myopalladin, are associated with childhood-onset,

slowly progressive nemaline myopathy. Am J Hum Genet. 2017, 100(1), 169-178.

10. Sato T, Adachi M, Nakamura K, Zushi M, Goto K, Murakami T, Ishiguro K, Shichiji M, Saito K, Ikai T, Osawa M, Kondo I, Nagata S, Ishigaki K. The gross motor function measure is valid for Fukuyama congenital muscular dystrophy. Neuromuscul Disord. 2017, 27(1), 45-49.
11. Saito T, Kawai M, Kimura E, Ogata K, Takahashi T, Kobayashi M, Takada H, Kuru S, Mikata T, Matsumura T, Yonemoto N, Fujimura H, Sakoda S. Study of Duchenne muscular dystrophy long-term survivors aged 40 years and older living in specialized institutions in Japan. Neuromuscul Disord. 2017, 27(2), 107-114.
12. Kadoya M, Ogata K, Suzuki M, Honma Y, Momma K, Yatabe K, Tamura T, Kaida K, Miyata N, Nishino I, Nonaka I, Kawai M. A Japanese male with a novel ANO5 mutation with minimal muscle weakness and muscle pain till his late fifties. Neuromuscul Disord. 2017, 27(5), 477-480.

(2) 学会・シンポジウム等における口頭・ポスター発表

【国内】

1. 患者登録による本邦筋強直性ジストロフィー患者の遺伝学的ならびに医療の現況の解析, ポスター発表, 高橋正紀, 高田博仁, 尾方克久, 久留聡, 中森雅之, 川井充, 武田伸一, 松村剛, 木村円, 第 57 回日本神経学会学術大会, 神戸市, 2016/5/18, 国内.
2. 筋強直性ジストロフィーにおける標準的治療確立への試み, 口頭, 松村剛, 日本神経学会総会生涯教育プログラム「希少疾病での患者登録と臨床研究ネットワークの果たす役割～筋ジストロフィーを中心に～」神戸国際会議場 神戸市, 2016/5/19, 国内.
3. 患者登録と臨床研究ネットワークを用いた治験・臨床研究推進, 口頭, 尾方克久, 第 57 回日本神経学会学術大会, 神戸市, 2016/5/19, 国内.
4. 遅発型ポンペ病のハイリスクスクリーニング: 諸外国の報告と日本における取り組み, 口頭, 尾方克久, 第 57 回日本神経学会学術大会, 神戸市, 2016/5/19, 国内.
5. 神経筋難病患者の通信端末利用に関する調査, ポスター発表, 尾方克久, 鈴木幹也, 谷田部可奈, 門間一成, 田中裕三, 埜中征哉, 田村拓久, 川井充, 高橋俊明, 第 57 回日本神経学会学術大会, 神戸市, 2016/5/20, 国内.
6. 早期診断のための取組み: ハイリスクスクリーニング, 口頭, 尾方克久, 第 11 回日本ポンペ病研究会, 東京都港区, 2016/6/25, 国内.
7. 多施設共同研究における品質管理: PHiRS-J における経験から, 口頭, 尾方克久, 石田マユミ, 筋ジストロフィー臨床試験ネットワーク第 5 回ワークショップ, 東京都千代田区, 2016/7/30, 国内.
8. 神経筋疾患患者情報登録 Remudy, 口頭, 木村円, 第 2 回筋学会 国立精神・神経医療研究センター ユニバーサルホール 小平, 2016/8/5-6(6), 国内.
9. 筋ジストロフィー患者レジストリー Remedy の経験・課題と今後, 口頭, 木村円, 森まどか, 高橋正紀, 石山昭彦, 中村治雅, 小牧宏文, 西野一三, 川井 充, 武田伸一, 第 23 回 日本遺伝子診療学会大会 バンクに関するシンポジウム イイノホール 東京, 2016/10/6-8(7), 国内.

10. 筋ジストロフィーのあたらしい治療、わかりやすく説明します，口頭，木村円，第3回筋ジストロフィー医療研究会 名古屋国際会議場 名古屋，2016/10/14-15 (14)，国内。
11. 筋ジストロフィーの医療と福祉：これまでの発展とこれからの課題，口頭，尾方克久，第3回筋ジストロフィー医療研究会，名古屋市，2016/10/15，国内。
12. 当院の Duchenne 型筋ジストロフィー患者の緊急入院の特徴，口頭，鈴木幹也，尾方克久，中山可奈，門間一成，大友学，田村拓久，川井充，第3回筋ジストロフィー医療研究会，名古屋市，2016/10/15，国内。
13. 患者登録データを用いた福山型先天性筋ジストロフィーの合併症に関する後方視的解析，口頭，石垣景子，井原千琴，佐藤孝俊，七字美延，石黒久美子，村上てるみ，貝谷久宣，大澤真木子，永田 智，第3回筋ジストロフィー医療研究会，名古屋市，2016/10/15，国内。
14. 臨床研究に関する法制化及び個人情報保護法案改正について，口頭，中村治雅，第34回日本神経治療学会総会特別企画1，2016/11/2，国内。
15. 筋炎と筋ジストロフィー，口頭，川井充，尾方克久，第34回日本神経治療学会総会，米子市，2016/11/4，国内。
16. 当院の Duchenne 型筋ジストロフィー患者の緊急入院の特徴，ポスター発表，鈴木幹也，尾方克久，谷田部可奈，川井充，第34回日本神経治療学会総会，米子市，2016/11/5，国内。
17. 筋強直性ジストロフィー患者登録ー登録データから見る診療実態の特徴ー，ポスター発表，松村剛，高田博仁，久留聡，木村隆，小林道雄，高橋正紀，木村円，日本難病医療ネットワーク学会 ウィンク愛知 名古屋市，2016/11/18，国内。
18. 神経難病治療薬の創薬への取り組みーレジストリの発展、ネットワークとの連携，口頭，中村治雅，第37回日本臨床薬理学会学術総会 シンポジウム28，2016/12/6，国内。
19. クリニカルイノベーションネットワークの取り組み，口頭，中村治雅，第8回日本臨床試験学会 シンポジウム1，2017/1/27，国内。
20. 多施設共同研究における中央モニタリングの取り組みと課題，ポスター発表，石田マユミ，清水源生，太幡真紀，重盛美貴子，小牧宏文，波多野賢二，尾方克久，日本臨床試験学会第8回学術集会総会，大阪市，2017/1/27，国内。
21. 精神・神経疾患：予防と治療の新視点，口頭，和田圭司，関東メディカルオープンイノベーションミーティングアップ 東京，2017/2/22，国内。

【国外】

22. Current status of national neuromuscular patient registries in Japan: Remudy, poster, Kimura E, Nakamura H, Mitsuhashi S, Mori-Yoshimura M, Takahashi PM, Takeuchi F, Wu S, Matsumura T, Komaki H, Nishino I, Kawai M, Takeda S, The 15th Annual Asian and Oceanian Myology Center (AOMC) Scientific Meeting, Microelectronic and Information Systems & Research Building (MIRC Building), National Chiao Tung University, Hsinchu, Taiwan, 2016/5/25-27, 国外。
23. Survey regarding genetic counseling, health management, and registration of female dystrophinopathy patients, poster, Kobayashi M, Hatakeyama T, Takeda F, Obara K, Abe E, Wada C, Ishihara T, Toyoshima I, Ishizaki M, Adachi K, Morita M, Yonemoto N, Matsumura T, Kimura E, The 15th Annual Asian and Oceanian Myology Center (AOMC) Scientific

- Meeting, Microelectronic and Information Systems & Research Building (MIRC Building), National Chiao Tung University, Hsinchu, Taiwan, 2016/5/25-27, 国外.
24. Muscular Dystrophy Clinical Trial Network: Promotion of clinical research for neuromuscular diseases in Japan, poster, Ogata K, Takeshita E, Kimura E, Shigemori M, Ohata M, Komaki H, 15th Asian and Oceanian Myology Center Annual Scientific Meeting, Hsinchu, Taiwan, 2016/5/27, 国外.
 25. A case of anti-HMGCR-antibody-associated necrotizing myopathy showed progressive muscle weakness for 25 years, poster, Okayama K, Momma K, Yatabe K, Suzuki M, Tamura T, Ogata K, Suzuki S, Uruha A, Nishino I, Nonaka I, Maeda M, Kawai M, 15th Asian and Oceanian Myology Center Annual Scientific Meeting, Hsinchu, Taiwan, 2016/5/28, 国外.
 26. A 60-year-old male with occasional muscle cramp and minimal weakness, Oral, Kadoya M, Ogata K, Suzuki M, Honma Y, Momma K, Yatabe K, Tamura T, Kaida K, Nishino I, Nonaka I, Kawai M, 15th Asian and Oceanian Myology Center Annual Scientific Meeting, Hsinchu, Taiwan, 2016/5/28, 国外.
 27. Remudy, Japanese national registry for neuromuscular diseases, poster, Kimura E, Nakamura H, Mitsuhashi S, Mori-Yoshimura M, Takahashi PM, Takeuchi F, Wu S, Matsumura T, Komaki H, Nishino I, Kawai M, Takeda S, 2nd Congress of The European Academy of Neurology, Bella Center, Copenhagen, Denmark, 2016/5/28-30, 国外.
 28. Current status of dystrophinopathy national registry in Japan, poster, Kimura E, Mori-Yoshimura M, Mitsuhashi S, Takeuchi F, Nakamura H, Komaki H, Nishino I, Kawai M, Takeda S, and Remudy Muscular Dystrophy Clinical Research Groups, 14th International Congress on Neuromuscular Diseases, Toronto, Canada, 2016/7/5-9, 国外.
 29. Survey on usage of telecommunication terminals in Japanese patients with neuromuscular diseases, poster, Ogata K, Suzuki M, Yatabe K, Momma K, Tanaka Y, Nonaka I, Tamura T, Kawai M, Takahashi T, 14th International Congress on Neuromuscular Diseases, Toronto, Canada, 2016/7/6, 国外.
 30. Muscular Dystrophy Clinical Trial Nnetwork: Promoting clinical research for neuromuscular diseases in Japan, poster, Ogata K, Takeshita E, Kimura E, Shigemori M, Ohata M, Komaki H, 15th Asian and Oceanian Congress of Neurology, Kuala Lumpur, Malaysia, 2016/8/20, 国外.
 31. Current status of dystrophinopathy national registry in Japan, poster, Kimura E, Mori-Yoshimura M, Mitsuhashi S, Takeuchi F, Nakamura H, Komaki H, Ogata K, Nishino I, Mitsuru K, Takeda S, 15th Asian and Oceanian Congress of Neurology, Kuala Lumpur, Malaysia, 2016/8/20, 国外.
 32. Current status of dystrophinopathy national registry in Japan, poster, Kimura E, Nakamura H, Mitsuhashi S, Mori-Yoshimura M, Takahashi PM, Takeuchi F, Wu S, Zheng Y, Matsumura T, Komaki H, Nishino I, Kawai M, Dawkins H, Bérout C, Lochmüller H, Takeda S, 21st International Congress of World Muscle Society (WMS2016) , Granada, Spain, 2016/10/4-8, 国外.

33. Current status of dystrophinopathy national registry in Japan, poster, Kimura E, Mori-Yoshimura M, Mitsunashi S, Takeuchi F, Nakamura H, Komaki H, Nishino I, Kawai M, Takeda S, 21st International Congress of the World Muscle Society, Granada, Spain, 2016/10/5, 国外.
34. A comparative study of care and support for young boys with Duchenne muscular dystrophy between Japan and European countries: implications of early diagnosis, poster, Takeuchi F, Komaki H, Rodger S, Kirschner J, Kimura E, Takeda S, Gramsch K, Vry J, Bushby K, Lochmuller H, Wada K, Nakamura H, 21st International Congress of the World Muscle Society, Granada, Spain, 2016/10/5, 国外.
35. Life prognostic factor of patients with Duchenne muscular dystrophy, poster, Saito T, Ogata K, Kobayashi M, Takahashi T, Kuru S, Matsumura T, Takada H, Mikata T, Funato M, Arahata H, Fukudome T, Yonemoto N, Kimura E, 21st International Congress of the World Muscle Society, Granada, Spain, 2016/10/5, 国外.
36. Clinical Innovation Network, New strategy to improve the environment of the clinical development, poster, H Nakamura, S Takeda, ASENT 19th Annual Meeting, 2017/3/3, 国外.

(3) 「国民との科学・技術対話社会」に対する取り組み

1. 知っておきたい筋強直性ジストロフィー@大阪, 松村剛, 市民公開講座 千里ライフサイエンスセンター 豊中市, 2016/5/22, 国内.
2. 知っておきたい筋強直性ジストロフィー@宮崎, 松村剛, 市民公開講座 ホテル MARIX 宮崎市, 2016/6/11, 国内.
3. 医薬品開発からみたクリニカル・イノベーション・ネットワークの必要性について, 武田伸一, 内閣官房 健康・医療戦略室勉強会 内閣官房 健康・医療戦略室, 2016/6/16, 国内.
4. デンマークの筋ジストロフィー医療・生活事情, 尾方克久, 埼玉県筋ジストロフィー協会 療育キャンプ 集団指導 茨城県大洗町, 2016/6/18, 国内.
5. 筋ジストロフィーの基礎知識と学校での配慮事項, 尾方克久, 埼玉県立蓮田特別支援学校 医学講座 蓮田市, 2016/6/21, 国内.
6. 知っておきたい筋強直性ジストロフィー@仙台, 松村剛, 市民公開講座 仙台西多賀病院 仙台市, 2016/7/17, 国内.
7. 希少疾患の取り組みが臨床開発にイノベーションを引き起こす, 武田伸一, 中村治雅, 第3回 NCNP メディア塾 脳とこころの問題と社会のあり方を考える, 東京, 2016/8/26, 国内.
8. 知っておきたい筋強直性ジストロフィー@山口, 松村剛, 市民公開講座 山口県セミナーパーク 山口市, 2016/9/4, 国内.
9. 知っておきたい筋強直性ジストロフィー@名古屋, 松村剛, 市民公開講座 名古屋国際センター 名古屋市, 2016/10/16, 国内.
10. デンマークの筋ジストロフィー医療・生活事情, 尾方克久, 第29回 筋ジストロフィー対策埼玉研修会 蓮田市, 2016/12/10, 国内.

11. 患者／疾患レジストリとは クリニカルイノベーションネットワーク推進に向けた検討, 武田伸一, 日本医療研究開発機構 革新的医療技術創出拠点プロジェクト 平成 28 年度プロジェクト連携シンポジウム 第4回テーマ:患者レジストリ・データベース, 2017/1/6, 国内.
12. 妊娠・周産期における問題点～産婦人科医, 新生児科医, 小児科医に対する全国調査を通して～, 石垣景子, 市民公開講座 「知っておきたい筋強直性ジストロフィー@東京」国立病院機構本部 東京都, 2017/01/14, 国内.
13. 知っておきたい筋強直性ジストロフィー@東京, 松村剛, 市民公開講座 国立病院機構本部 東京都, 2017/1/14, 国内.
14. わが国での疾患レジストリ構築の全体像, 武田伸一, 2016年度 第1回「産学連携全国がんゲノムスクリーニング (SCRUM-Japan) を利用したがん新薬開発に資する疾患登録システムの構築」研究班 班会議 (主任研究者: 大津敦), 2017/1/27, 国内.
15. 現場の最前線から 研究の”基盤を作る”の現場から, 中村治雅, Rare Disease Day 2017(RDD2017) 「世界希少・難治性疾患の日」イベント, 2017/2/28, 国内.
16. 疾患登録システムの有効活用によるクリニカルイノベーションネットワーク構想の推進方策に関する研究, 武田伸一, 第3回臨床開発環境整備推進会議, 2017/3/22, 国内.
17. 難病、希少疾患の医薬品開発におけるクリニカルイノベーションネットワーク構想の推進を指した疾患登録システム (患者レジストリ) の構築, 中村治雅, 第3回臨床開発環境整備推進会議, 2017/3/22, 国内.

(4) 特許出願

該当ありません。