

本邦におけるデュシェンヌ型筋ジストロフィーの診療実態 ～診療ガイドラインによって何が変わったか～

松村 剛^{1)*} 小牧 宏文²⁾

要旨：デュシェンヌ型筋ジストロフィーの診療実態について、ガイドライン発刊前と発刊4年後に神経内科及び小児神経科専門医を対象としたアンケート調査を行った。ガイドラインは利用頻度の高い情報源として支持され、ガイドライン後ではステロイド治療やリハビリテーション、脊椎変形の定期評価などでより積極的な傾向が見られ、呼吸ケア、栄養管理においては有意差を認めた。希少疾病では高いエビデンスが乏しく有用なガイドラインが作成困難との懸念もあったが、エキスパートの推奨を含むガイドラインは、診療経験の得にくい希少疾病における重要な標準化医療普及のツールであることが確認された。今回の解析結果も参考に改定を行っていく予定である。
(臨床神経 2019;59:723-729)

Key words：デュシェンヌ型筋ジストロフィー、診療実態、アンケート調査、診療ガイドライン

前 文

デュシェンヌ型筋ジストロフィー (Duchenne muscular dystrophy; DMD) は、男子 5,000～6,000 人に 1 名程度¹⁾と小児期発症の中で最も高頻度な筋ジストロフィーを代表する疾患である。本邦では専門病棟を核とした集学的医療により、大幅な生命予後の改善をもたらした。さらに、社会的変化により生活の場も施設 (病院) から地域 (在宅) へと変わり、患者の受診先が多様化している²⁾。近年、この領域では新規治療開発が盛んで、多数の治験が行われており、海外では早期承認を受けたものも出ている。これらの背景から、標準的医療均霑化の必要性が認識されるようになり、欧米では 2010 年に care recommendation^{3,4)}が発表されている (2018 年改訂版⁵⁻⁷⁾発表)。

われわれは、本邦の事情に即した標準的医療均霑化のための基本ツールを作成する目的で、「デュシェンヌ型筋ジストロフィー診療ガイドライン 2014」⁸⁾ (guideline; GL) を刊行した。この際、GL 発刊前の診療実態を明らかにする目的で、2014 年に全国の神経内科専門医と小児神経専門医に対しアンケート調査 (pre-GL 調査) を行った⁹⁾。今回、GL 発刊か

ら 4 年以上が経過したため、再度同様のアンケート (post-GL 調査) を実施し比較検討したので報告する。

対象・方法

Pre-GL 調査は、日本神経学会と日本小児神経学会にご協力いただき、2014 年 1 月時点の神経内科専門医 (Neurologist; N) 4,738 名と、小児神経専門医 (Child Neurologist; CN) 1,073 名に調査を行い、その結果は 2015 年に報告した⁹⁾。

Post-GL 調査も、両学会の協力を得て 2018 年 10 月時点の N 5,916 名と CN 1,147 名にアンケート (Supplement: Original Questionnaire (Japanese)) を送付し、Web または郵送で回答を回収した。アンケートは無記名で、同意取得は同意確認設問へのチェックで行った。アンケート項目は、Pre-GL 調査⁹⁾を踏襲し、「利用頻度の高い情報源」の回答選択肢に「診療ガイドライン」を追加、「診療ガイドラインの改定に関して、新たに取り上げる項目などの意見」(自由記載) の設問を追加した以外は変更しなかった。

統計解析は SSPS ver.25® を用い、群間比較は χ^2 検定で行い、 $P < 0.05$ を有意とした。両方の学会に所属する医師はど

*Corresponding author: 国立病院機構大阪刀根山医療センター脳神経内科 [〒 560-0852 大阪府豊中市刀根山 5-1-1]

¹⁾ 国立病院機構大阪刀根山医療センター脳神経内科

²⁾ 独立行政法人国立精神・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

(Received July 10, 2019; Accepted August 10, 2019; Published online in J-STAGE on October 26, 2019)

doi: 10.5692/clinicalneurol.cn-001343

こちらの学会にもカウントした。Pre-GL 調査と post-GL 調査の比較は、全員を対象とした設問(勤務先, 医師経験年数, DMD 患者受診時の対応, DMD 患者の診療経験)については対象者全員を, それ以外の設問については現在診療中の医師 (present) のみを解析対象とした。

本調査は独立行政法人国立病院機構刀根山病院の臨床研究審査委員会の承認 (TNH-2018034; 2018 年 9 月 21 日) を得て実施した。

結 果

アンケートの回収は 1,787 通 (N : 1,294 名, CN : 455 名, 両方 : 31 名, 学会名未記入 : 7 名) で回収率は 25.3% (N : 22.4%, CN : 42.4%) だったが, 同意確認設問にチェックがない回答が 410 件あったため, 解析対象は 1,377 通 (N : 987 名, CN : 365 名, 両方 : 22 名, 学会名未記入 : 3 名) とした (Fig. 1)。

解析対象者の勤務先は大学病院 28.9% (pre-GL : 29.1%, 以下同様), 総合病院 27.3% (26.5%), 国立病院機構 (National Hospital Organization; NHO) 10.6% (10.7%), 診療所 15.9% (15.3%), その他 17.3% (18.4%) ($P = 0.937$), 医師経験年数は 6~20 年が 44.7% (42.8%), 21 年以上が 55.3% (57.2%) ($P = 0.321$) と pre-GL と post-GL で差を認めなかった。DMD 患者受診時の対応については, 有意差はないものの「自身で診療する」37.2% (33.4%) が増加しており ($P = 0.149$), N (30.8% → 34.7%, $P = 0.160$) でより顕著だった。実際の診療

経験は present 18.9% (16.4%), 過去に診療 36.2% (41.4%), 未経験 45.0% (42.1%) と過去に診療が低下し present と未経験が増加していた ($P = 0.015$)。

Present の勤務先も pre-GL と post-GL で有意差なく (N : $P = 0.891$, CN : $P = 0.858$), N では NHO が 42.9% (42.9%), CN では大学病院が 37.8% (38.1%) を占めたが, N では大学病院が 27.7% (23.1%) と軽度増加していた (Fig. 2A)。診療患者数は N で 2 名以下が 60.2% (46.0%), 3~5 名が 18.6% (19.4%), 6 名以上が 21.2% (34.9%) ($P = 0.107$) と多数例を診療する医師が減少していた (Fig. 2B)。

利用頻度の高い情報源は, 「診療ガイドライン」が 85.8% と高く, 「論文」, 「教科書」, 「専門家の意見, 講演, 総説」は低下していた (Fig. 3)。

遺伝学的検索について, 「自施設で遺伝子診断を実施していない」のは 20.4% (21.9%, $P = 0.676$) で変化なく, これを除くと「自身で遺伝子診断の有益性, 問題点について検査前に説明している」は 91.3% (87.4%, $P = 0.023$) と pre を上回り, 「説明も同意取得も行っていない」とする回答は 0% (0.6%, $P = 0.280$) だった。

ステロイド治療の保険適応を知っているのは, CN では 93.9% (92.8%, $P = 0.705$) と pre-GL から高かったが, N でも 79.2% (74.4%, $P = 0.420$) まで増加した。また, CN では, 「自身でステロイド治療を行いたい」が 68.2% (57.6%) と増加し, 「専門家の指示や助言のもとであれば行ってもよい」が 24.3% (32.4%), 「行いたくない」が 1.4% (2.9%) と減少していた ($P = 0.269$) (Fig. 4A)。

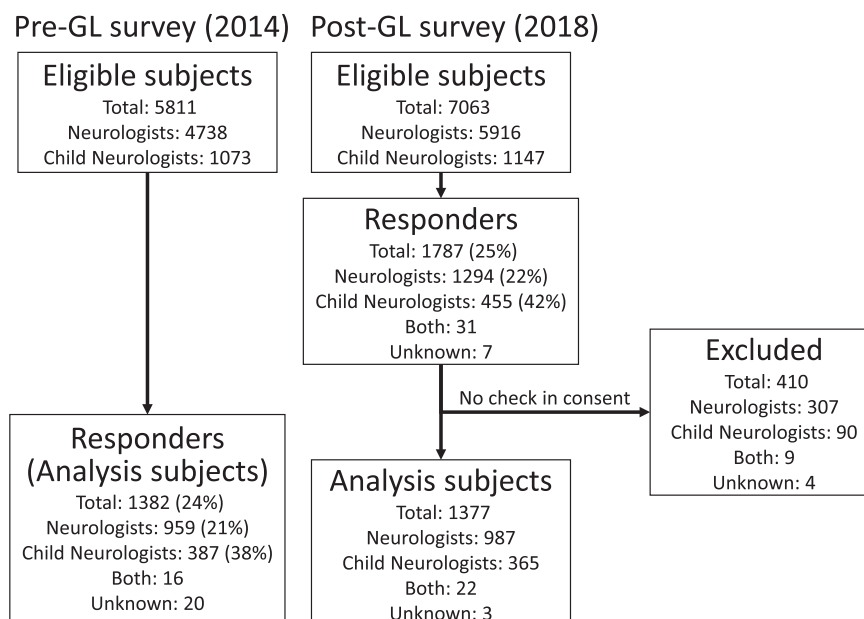


Fig. 1 Subjects.

In the pre-guideline survey, 5,811 questionnaires were sent, and the number of responders was 1,382 (24%). They were all included in the statistical analysis. In the post-guideline survey, although 1,787 responders (25%) answered the questionnaires, 410 of them did not answer the item on agreement. Thus, these answers were excluded from the statistical analysis. Abbreviation: GL: guideline.

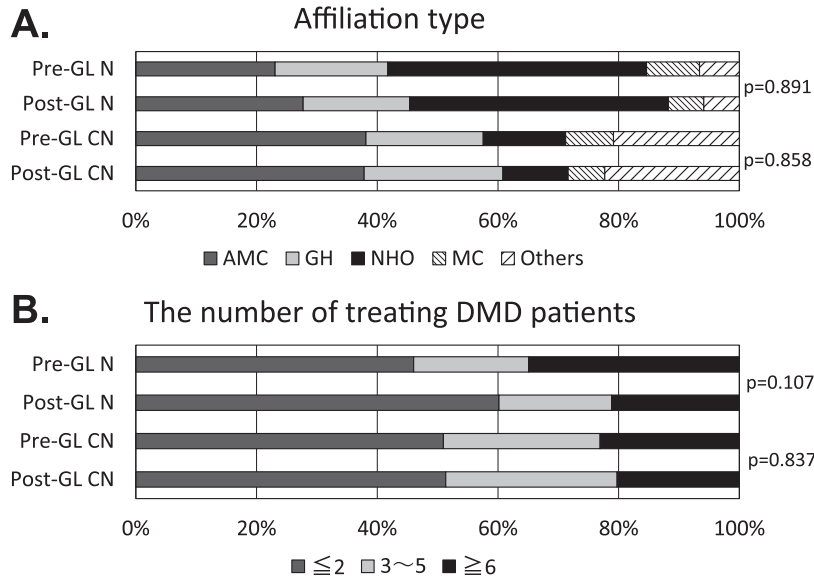


Fig. 2 Profiles of specialists treating Duchenne muscular dystrophy.

A. Affiliation type. While 42.9% of neurologists treating DMD belong to a national hospital organization, 37.8% of child neurologists belong to an academic medical center. Although there is no significant change from before to after publication of the guideline, the proportion of neurologists in academic medical centers is slightly increased from 23.1% to 27.7%. B. Number of DMD patients treated. The ratio of neurologists treating 2 or less patients has increased, and the ratio treating 6 or more patients has decreased after publication of the guideline. No obvious changes are observed in child neurologists.

Abbreviations: GL: guideline, N: Neurologist, CN: child neurologist, AMC: academic medical center, GH: general hospital, NHO: hospital belonging to the national hospital organization, MC: medical clinic, DMD: Duchenne muscular dystrophy.

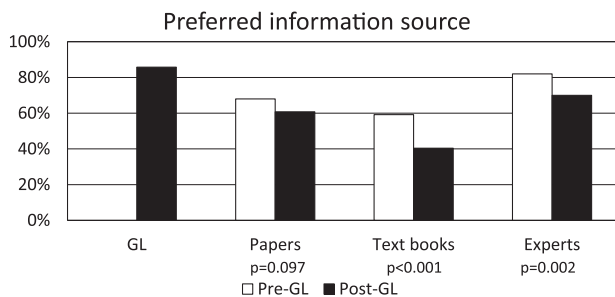


Fig. 3 Preferred information source (multiple choice).

After publication of the guideline, over 80% of specialists answer that the guideline is their preferred information source.

Abbreviations: GL: guideline.

リハビリテーションについては、「リハビリテーションは行っていない・勧めていない」が1.9% (4.8%, $P = 0.072$)と減少 ($P = 0.072$)。実施・推奨する項目では、「関節可動域訓練」90.8% (88.6%, $P = 0.430$)、「起立訓練」33.8% (28.9%, $P = 0.245$) (CN: 28.8% → 38.3% : $P = 0.089$)、「咳介助などの呼吸リハビリテーション」81.2% (75.0%, $P = 0.100$) (CN: 74.1% → 83.9% : $P = 0.045$)、「短下肢装具の使用」31.5% (26.8%, $P = 0.247$)が増加していた。一方、「筋力増強訓練」24.6% (25.4%, $P = 0.834$)は変化なかった。

非侵襲的人工呼吸管理 (non-invasive positive pressure

ventilation; NPPV) は導入経験が59.6% (47.6%, $P = 0.005$)と有意に増加した (Fig. 4B)。施設別ではNHOが81.3% (70.9%, $P = 0.415$)と高いものの、大学病院58.6% (42.5%, $P = 0.096$)、総合病院41.8% (36.4%, $P = 0.026$)、その他施設62.2% (42.4%, $P = 0.256$)でも増加していた。排痰補助装置 (mechanical assisted cough; MAC) の導入経験も54.4% (34.5%, $P < 0.001$)と大幅に増加した (Fig. 4B)。診療科別でも導入経験がN 64.7% (41.8%, $P = 0.003$)、CN 47.7% (30.9%, $P < 0.001$)とどちらでも増加していた。一方、災害対策指導についてはNIV 導入経験のある医師で「(災害に備えた) 準備を必要とする患者の診療を行っていない」と回答した者を除いた対象者のうち、「指導している」と回答したのは62.5% (66.0%, $P = 0.591$)で、改善は見られなかった。施設別では診療所がpre, post共に100%で、次いでNHOの69.6% (68.4%, $P = 0.910$)、総合病院60.0% (57.1%, $P = 0.868$)、その他59.1% (66.7%, $P = 0.664$)、大学病院54.5% (60.0%, $P = 0.660$)の順であった。

側弯症手術の認知度は79.5% (74.8%, $P = 0.254$)と増加し、未成年の患者を診療している医師では、側弯症の評価を「定期的に行っている」が43.7% (35.8%)と増加し、「行っていない」が22.8% (27.6%)と減少した ($P = 0.325$)。

心筋保護治療で「処方頻度の高い薬剤」は、ACEIが73.6% (68.4%, $P = 0.208$)と増加したが、β遮断薬は60.1% (60.0%, $P = 0.986$)と変化なく、利尿剤は26.4% (31.6%, $P = 0.208$)、

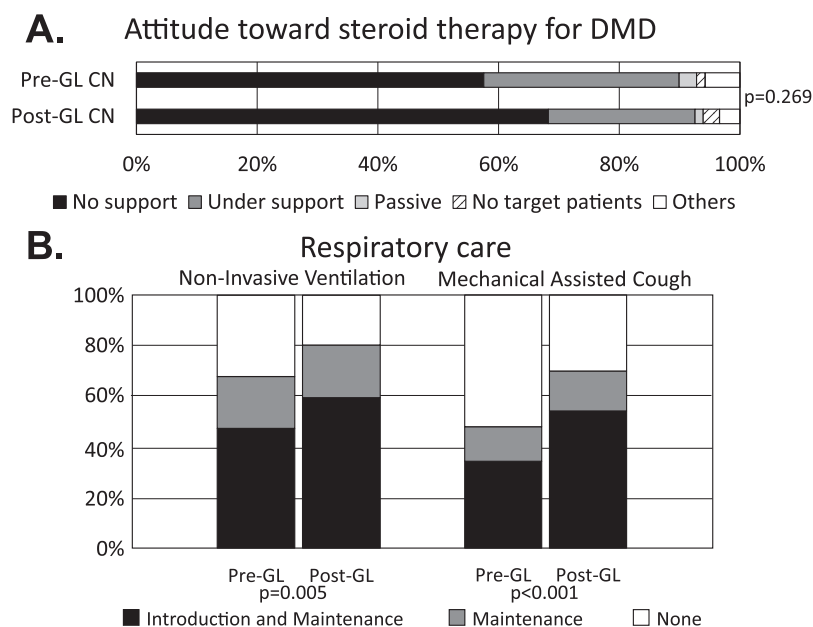


Fig. 4 Steroid therapy and respiratory care.

A. Attitude of child neurologists toward steroid therapy for DMD

Choices:

No support: I use steroid for DMD without any assistance from experts

Under support: I can use steroid for DMD with support from experts

Passive: I do not want to use steroids for DMD

No target patients: I do not see patients suitable for steroid therapy

After publication of the guideline, the percentage of child neurologists who use steroid without expert support has increased.

B. Respiratory care

Choices:

Introduction and Maintenance: I have experience with the introduction and maintenance of non-invasive ventilation (mechanically assisted cough).

Maintenance: I only have experience with the maintenance of non-invasive ventilation (mechanically assisted cough).

None: I do not have experience with the introduction or management of non-invasive ventilation (mechanically assisted cough).

After publication of the guideline, the percentage of doctors having experience starting patients on non-invasive ventilation and mechanically assisted cough has increased significantly.

Abbreviations: DMD: Duchenne muscular dystrophy, GL: guideline, CN: child neurologist

ジギタリスも 7.0% (11.1%, $P = 0.111$) と減少していた (Fig. 5A).

胃瘻造設については、「栄養障害が現れたら早い時期に胃瘻造設を勧める」が 65.7% (51.6%) と増加し「栄養障害が高度になったら胃瘻造設を勧める」が 24.4% (34.5%) と減少した ($P = 0.021$) (Fig. 5B). また、「胃瘻造設は勧めていない、経鼻経管栄養を考慮する」は NHO では 9.5% (9.1%) と変化なかったが、大学病院では 1.2% (5.6%) へ減少した.

キャリアの診療では、「検査が必要なキャリアの診療は行っていない」が N で 41.7% (44.0%, $P = 0.739$), CN で 38.3% (44.2%, $P = 0.332$) と若干減ったものの 40% 近くを占めた. これを除くと、検査を「特に行っていない」は N で 21.9%

(26.1%), CN で 43.0% (45.2%) で N が低かった ($P = 0.005$). 個別の検査は「血液検査」は N で 74.3% (74.5%), CN で 47.8% (47.4%), 心機能検査は N が 71.4% (70.6%), CN が 48.9% (38.4%, $P = 0.171$), 呼吸機能検査は N が 60.0% (52.9%, $P = 0.439$), CN が 31.5% (24.4%, $P = 0.301$) で、いずれも N の実施率が CN より高く、有意差は認めないものの CN で心機能・呼吸機能検査、N で呼吸機能検査の実施が増えていた.

考 察

本 GL は、一般医が DMD 患者の抱える多様な医療ニーズに適切な対応するための基本ツールとなることを目的に作成

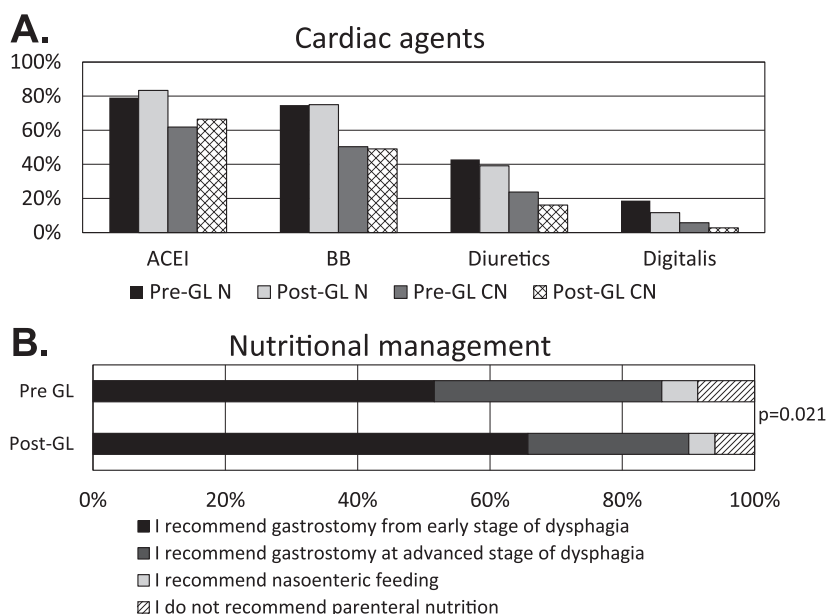


Fig. 5 Cardiac and nutritional management.

A. Commonly used cardiac agents (multiple choice)

Although there are tendencies for an increase in the percentage given angiotensin converting enzyme inhibitors ($P = 0.208$) and decreases in the percentages of diuretics ($P = 0.208$) and digitalis ($P = 0.111$), no changes are seen in beta blockers ($P = 0.986$).

B. Nutritional management

The timing of recommending gastrostomy is earlier after publication of the guideline.

Abbreviations: GL: guideline, N: neurologist, CN: child neurologist, ACEI: angiotensin converting enzyme inhibitor, BB: beta blocker.

した⁸⁾。GL作成時点では、高いエビデンスが乏しい希少疾病では実用的なGLの作成は困難と懸念されたが、presentの85.8%が利用頻度の高い情報源として挙げた。また、エキスパートのサポートなしに自身でDMD患者を「診療する」との回答もpost-GLで増加した。十分な診療経験を得にくい希少疾病においては、エビデンスとエキスパートの推奨を示すGLが、標準的医療均質化に有用であることを確認できた。

本GLでは、海外のcare recommendationなど^{3)~7)10)}も踏まえつつ、遺伝学的検査ではインフォームドコンセントの徹底¹¹⁾¹²⁾、欧米に比べて普及が遅れているステロイド治療¹³⁾については保険適応の周知と適切な段階での説明と選択機会の保証、変形・拘縮対策では早期からのリハビリテーション導入¹⁴⁾と脊椎変形の定期評価、適切な段階での整形外科との連携¹⁵⁾、呼吸ケアでは呼吸リハビリテーションの普及と適切な段階でのNPPV導入、MACの普及¹⁰⁾、在宅人工呼吸患者への災害対策指導、心筋障害治療においては心筋保護治療の普及¹⁶⁾¹⁷⁾、食に関わるケアでは定期的な嚥下機能評価と適切な栄養管理、キャリアについては加齢と共に発症リスクが上昇すること¹⁸⁾¹⁹⁾を踏まえた医療管理の必要性などについて推奨を行った。

遺伝学的検索については、pre-GL調査で自身または遺伝専門家による説明が合わせて100%以上であり、指針¹²⁾上必須とはされていない文書同意取得も60%以上で実施されてい

た。さらに、post-GL調査では説明・同意取得のいずれも行っていないとの回答はなかった。遺伝学的検索についての説明は、GL前から概ね適切に実施されていたと考える。

ステロイドの認知度はCNではpre-GL時点で既に高かったが、post-GLではステロイド治療に対する積極的な回答が増加し、Nでも認知度が向上したことから、本邦での普及が進んでいることが裏付けられた。

リハビリテーションでは関節可動域訓練や呼吸リハビリテーションはpre-GLから実施率が高かったが、post-GLではCNでの呼吸リハビリテーションや、起立訓練・短下肢装具も増加し、リハビリテーションに消極的な回答が低下した。

呼吸ケアではNPPVの導入経験に加え、MACの導入経験が大幅に増加した。一方で、災害対策指導は有意な変化はなかった。災害対策は診療所（地域）での指導率が高く、病院での指導率が低かったことは、病院では退院後（在宅）の安全管理に目が向きにくいことが推測された。

側弯症手術の認知度は、pre-GLでも74.8%あったが、post-GLでは80%近くまで増加した。さらに、未成年を診療している医師で側弯の定期評価実施も増加した。

心筋障害治療では、処方頻度の高い薬としてACEIが増加し、利尿剤・ジギタリスが減少したが、β遮断薬には変化がなかった。β遮断薬導入にはACEIに比べ慎重な対応が必要

なことから、使用率の向上には循環器との連携も課題と思われる。

栄養管理については、胃瘻造設の説明・推奨時期を早期に行うとの回答が増加し、大学病院では経鼻経管栄養を考慮する割合が減少するなど、造設リスクの低い早期に胃瘻を勧める傾向がうかがえた。

キャリアについては、医療的ケアの必要な対象者がいないとの割合が40%近く、関心を持ちにくいことが示唆された。一方で、診療している医師ではCNで心機能・呼吸機能検査、Nで呼吸機能検査実施率が増加するなど一定の効果も示した。

2回の調査を検討した結果、多くの課題においてGL作成時の意図に即した変化が見られており、本GLが標準的医療普及に一定の効果をもたらしたことが示唆された。一方、災害対策やキャリア管理など実臨床から若干離れた領域などには関心を得にくいことも示唆された。これらへの関心向上には、GL以外にも患者や関連診療科・職種へのアプローチを含めた対策が重要であろう。

結 語

GLの有効性評価と改定に向けた課題把握を目的として、GL発刊前後で神経内科・小児神経専門医を対象としたアンケート調査を実施した。GLへの関心は高く、標準的医療普及に向けた効果も確認された。災害対策やキャリアの医療管理などについては、患者・家族や関連職種へのアプローチも考慮していく必要がある。

謝辞：本調査にご協力いただいた、神経内科専門医、小児神経専門医の皆様、専門医の名簿を提供いただいた日本神経学会、日本小児神経学会に深謝します。本調査では、アンケート表紙に説明文と同意確認項目を強調して記載しましたが、チェックの無い回答が410件あり、解析対象から除外せざるを得ませんでした。貴重な回答の全てを解析に用いられなかった点について陳謝します。なお、全回答による解析でも内容には本質的な差違は無かったことを申し添えます。本調査の費用は厚労科研「筋ジストロフィーの標準医療普及のための調査研究」(H30-難治等(難)-一般-005)によって実施しています。

利益相反については、下記に示すとおりです。

開示すべきCOI状態がある者

小牧宏文：研究費・助成金：ファイザー製薬株式会社、第一三共株式会社、中外製薬株式会社、PTC therapeutics, Inc., 大鵬薬品工業株式会社、日本新薬株式会社

開示すべきCOI状態がない者

松村 剛：本論文に関連し、開示すべきCOI状態にある企業、組織、団体はいずれもありません

文 献

- 1) Ryder S, Leadley RM, Armstrong N, et al. The burden, epidemiology, costs and treatment for Duchenne muscular dystrophy: an evidence review. *Orphanet J Rare Dis* 2017;12:79.
- 2) 松村 剛. 施設医療から地域医療・国際連携へ Translational

- research時代の筋ジストロフィー医療. *医療* 2017;71:387-390.
- 3) Bushby K, Finkel R, Birnkrant DJ, et al. Diagnosis and management of Duchenne muscular dystrophy, part 1: diagnosis, and pharmacological and psychosocial management. *Lancet Neurol* 2010;9:77-93.
- 4) Bushby K, Finkel R, Birnkrant DJ, et al. Diagnosis and management of Duchenne muscular dystrophy, part 2: implementation of multidisciplinary care. *Lancet Neurol* 2010;9:177-189.
- 5) Birnkrant DJ, Bushby K, Bann CM, et al. Diagnosis and management of Duchenne muscular dystrophy, part 1: diagnosis, and neuromuscular, rehabilitation, endocrine, and gastrointestinal and nutritional management. *Lancet Neurol* 2018;17:251-267.
- 6) Birnkrant DJ, Bushby K, Bann CM, et al. Diagnosis and management of Duchenne muscular dystrophy, part 2: respiratory, cardiac, bone health, and orthopaedic management. *Lancet Neurol* 2018;17:347-361.
- 7) Birnkrant DJ, Bushby K, Bann CM, et al. Diagnosis and management of Duchenne muscular dystrophy, part 3: primary care, emergency management, psychosocial care, and transitions of care across the lifespan. *Lancet Neurol* 2018;17:445-455.
- 8) デュシェンヌ型筋ジストロフィー診療ガイドライン作成委員会. デュシェンヌ型筋ジストロフィー診療ガイドライン 2014. 日本神経学会, 日本小児神経学会, 国立精神・神経医療研究センター編. 東京: 南江堂; 2014.
- 9) 松村 剛, 小牧宏文, 川井 充. 本邦におけるデュシェンヌ型筋ジストロフィーの診療実態. *臨床神経* 2015;55:637-645.
- 10) Finder JD, Birnkrant D, Carl J, et al. Respiratory care of the patient with Duchenne muscular dystrophy: ATS consensus statement. *Am J Respir Crit Care Med* 2004;170:456-465.
- 11) 神経疾患の遺伝子診断ガイドライン作成委員会. 神経疾患の遺伝子診断ガイドライン 2009. 東京: 医学書院; 2009.
- 12) 医療における遺伝学的検査・診断に関するガイドライン [Internet]. 東京: 日本医学会; 2011 Feb [cited 2019 Oct 9]. Available from: <http://jams.med.or.jp/guideline/index.html>.
- 13) Takeuchi F, Yonemoto N, Nakamura H, et al. Prednisolone improves walking in Japanese Duchenne muscular dystrophy patients. *J Neurol* 2013;260:3023-3029.
- 14) 山本洋史, 植田能茂, 藤本康之. 歩行期の Duchenne 型筋ジストロフィー患者への理学療法の効果 5年間の追跡研究. *理学療法学* 2009;36:127-134.
- 15) Takaso M, Nakazawa T, Imura T, et al. Surgical management of severe scoliosis with high risk pulmonary dysfunction in Duchenne muscular dystrophy: patient function, quality of life and satisfaction. *Int Orthop* 2010;34:695-702.
- 16) 田村拓久, 澁谷統壽, 飯田光男ら. Duchenne 型筋ジストロフィー患者の慢性心機能障害に対するカプトプリル治療の臨床評価. *臨床医薬* 1996;12:3635-3646.
- 17) Matsumura T, Tamura T, Kuru S, et al. Carvedilol can prevent cardiac events in Duchenne muscular dystrophy. *Intern Med* 2010;49:1357-1363.
- 18) Adachi K, Hashiguchi S, Saito M, et al. Detection and management of cardiomyopathy in female dystrophinopathy carriers. *J Neurol Sci* 2018;386:74-80.
- 19) Kobayashi M, Hatakeyama T, Ishizaki M, et al. Medical attitudes survey for female dystrophinopathy carriers in Japan. *Intern Med* 2018;57:2325-2332.

Abstract**Study of medical management for patients with Duchenne muscular dystrophy in Japan: what was changed by a practical guideline**Tsuyoshi Matsumura, M.D., Ph.D.¹⁾ and Hirofumi Komaki, M.D., Ph.D.²⁾¹⁾Department of Neurology, National Hospital Organization Osaka Toneyama Medical Center²⁾Translational Medical Center, National Center of Neurology and Psychiatry

In order to clarify the changes in the medical management of patients with Duchenne muscular dystrophy after publication of a practical guideline, questionnaire surveys targeting Japanese certified neurologists and child neurologists before and four years after publication of the guideline were conducted. The practical guideline was evaluated by the majority of specialists as their preferred information source. After the guideline, a more aggressive trend was seen in steroid treatment, rehabilitation, regular assessment of spinal deformity, etc., and significant differences were observed in respiratory care and nutritional management. Although there were concerns that it would be hard to produce useful guidelines due to the lack of high-level evidence for a rare disease, guidelines including expert recommendations have proved to be an important tool for disseminating best practicable care. We are planning to revise the guideline based on the results of the analysis.

(Rinsho Shinkeigaku (Clin Neurol) 2019;59:723-729)

Key words: Duchenne muscular dystrophy, status of medical practice, questionnaire survey, practical guideline
