

小児期発症の希少難治性肝胆膵疾患の移行期を包含し
診療の質向上に関する研究
総合研究報告書

小児期に発症する希少難治性肝・胆道疾患の移行期医療に関する実態調査

研究分担者 田中 篤 帝京大学医学部内科学講座 教授

研究要旨：小児期に希少難治性肝・胆道疾患を発症した患児が成人期に達した際は小児科医から成人診療科へ移行、ないし連携するのが本来あるべき姿である。しかし実際には、患児が成人した後も小児科医・小児外科医が診療を継続しているケースが多いと推測され、その実態も明らかになっていない。そこで本研究では、小児期に希少難治性肝・胆道疾患を発症し、移行期・成人に達した患児・患者の現時点における診療実態を明らかにするための実態調査を行う。まず日本肝臓学会役員・評議員、日本小児栄養消化器肝臓学会役員・運営委員、日本小児外科学会認定施設・教育関連施設、日本肝胆膵外科学会高度技能専門医修練施設を対象として症例が存在するかどうかについて尋ねる一次調査を行い、その結果に基づいて疾患毎に症例数と実態を尋ねる二次調査を行った。二次調査の結果は本研究班の研究分担者へ送付し、詳細な解析を依頼した。

A．研究目的

小児期に発症する希少難治性肝・胆道疾患には、胆道閉鎖症、アラジール症候群、進行性家族性肝内胆汁うっ滞症など、多種の疾患が知られている。近年の治療の進歩により、多くの患児が治療を続けながら成人期に達するようになった。小児期・成人期にはそれぞれ特有の身体的・社会的問題があり、小児期に肝・胆道疾患を発症した患児が成人期に達した際は、小児科医から通常成人を診ている消化器・肝臓専門医へシームレスにバトンタッチする、あるいは両者が連携して診療を行うのが本来あるべき姿である。しかし実際には、患児が成人した後も小児科医・小児外科医が診療を継続しているケースが多いと推測され、その実態も明らかになっていない。

そこで本研究では、小児期に希少難治性肝・胆道疾患を発症し移行期・成人に達した患児・患者が、現在どの診療科で、どのように診療されているかを明らかにするための実態調査を行うことを目的とする。

B．研究方法

本調査における対象疾患は、胆道閉鎖症、アラジール症候群、進行性家族性肝内胆汁うっ滞症、カロリ病、肝内胆管減少症、原因不明肝硬変症、先天性門脈欠損症、先天性高インスリン血症の8疾患であり、調査

対象者・施設は、日本肝臓学会役員・評議員、日本小児栄養消化器肝臓学会運営委員、日本小児外科学会役員・評議員、および日本肝胆膵外科学会高度技能専門医修練施設である。

平成29年度には、過去1年の間にこれらの疾患に罹患した18歳以上の患者を診療したかどうかについて葉書による一次調査を行った。これに続き、平成30年度はこの一次調査の結果を集計し、症例が存在するとの回答のあった施設を対象として二次調査を依頼した。各疾患の二次調査票は本研究班の研究分担者に作成いただいた。

(倫理面への配慮)

本研究計画は2017年2月16日付で帝京大学倫理委員会の承認を得ている。

C．研究結果

2017年2月～6月にかけて本研究計画につき各学会理事会で承認を得、送付先リストをいただいた。2017年7月一次調査票を送付、8月～9月にかけて調査票未着施設に対して催促状を発送し、10月に一次調査結果を固定した。重複を除いた640施設に対して調査票を送付し、548施設(85.6%)から回答を得た。胆道閉鎖症は147施設から症例が存在するとの回答があり、うち48施設(33%)は成人診療施設であった。その他の疾患については症例が存在するとの回答

が得られた施設数は比較的少なかったが、カロリー病や両性反復性肝内胆汁うっ滞症では成人施設数が80%を超えていた。

一次調査の結果に基づき、二次調査票を178施設に対して送付し、うち100施設から回答を得た(回収率56.1%)。小児施設は95施設中45施設(回収率47.4%)、成人施設は83施設中55施設(同66.3%)であった。

二次調査によって臨床情報が得られた各疾患の症例数を表に示す。もっとも症例数が多かったのは胆道閉鎖症で計472例、うち小児施設でフォローされていたのは302例(64%)、次いで先天性門脈欠損・低形成25例(小児施設6例・24%)、アラジール症候群24例(小児施設13例・54%)であった。カロリー病は16例集計されたが、すべて成人施設でフォローされていた。

D. 考察

調査対象施設から二次調査においても各施設における倫理審査が必要であるとのことで協力が得られなかったこと、また二次調査票の記入が若干煩雑であったことなどのため、二次調査の回収率は必ずしも良好ではなかった。しかし今回得られた結果か

ら、18歳以上の症例が成人施設・小児施設によってフォローされている割合は疾患によって異なることが明らかになった。

E. 結論

各疾患の二次調査票については、今後本研究班の研究分担者によって詳細な解析が行われる見込みである。

F. 研究発表

1. 論文発表
なし
2. 学会発表
なし

G. 知的財産権の出願・登録状況

(予定を含む。)

1. 特許取得
なし
2. 実用新案登録
なし
3. その他
なし

表 疾患ごとにみた調査結果

	胆道閉鎖症	先天性門脈欠損症・低形成 (先天性門脈体循環短絡症)	アラジール症候群	カロリー病	小児期発症原因不明肝硬変症	肝内胆管減少症	進行性家族性肝内胆汁うっ滞症	良性反復性肝内胆汁うっ滞症	先天性高インスリン血症
一次調査 総施設数	147	40	32	23	9	6	6	6	2
二次調査 総症例数	472	25	24	16	5	0	4	3	0
成人	170	19	11	16	3	NA	2	1	NA
小児	302 (64%)	6 (24%)	13 (54%)	0 (0%)	2	NA	1	1	NA