

序 文

1959（昭和34）年に葛西らにより胆道閉鎖症（以下、本症）non-correctable type に対する初の手術成功例が報告されて以来、術式や術後管理の改善が積み重ねられ、わが国の本症における治療成績は世界を大きくリードしてきた。しかし、日本胆道閉鎖症研究会による全国集計結果を見ると、黄疸消失率・自己肝生存率は近年、横ばい状態となっている。これは、希少疾患であるため医療関係者の本症に対する経験が十分でなく、診断や手術の遅れ、あるいは統一した治療などがなされていないことなども治療成績が頭打ちとなっている要因と考えられる。また、持続する肝障害のために満足に働けずに成人期を迎える患者にとって、高額な医療費は大きな負担となっており、小児慢性特定疾病という年齢制限のある制度のみではなく、成人に達しても医療費の補助を受けられるようにすることが要望される。

これらのことを鑑み、本症の早期診断・早期手術を促して治療成績の向上および良好な QOL 獲得を目指すとともに、指定難病に認められるために必要な「診断基準」「重症度分類」「重症度判定」および「診療ガイドライン」を作成する必要があるとの提案が、2013（平成25）年、日本胆道閉鎖症研究会幹事会においてなされた。早速、小児外科医はもとより小児科医、病理医らを加えた統括委員会、事務局、ガイドライン作成委員会、システマティックレビューチーム、文献評価選定委員会および外部評価委員から構成されるガイドライン作成委員会が結成された。Minds（公益財団法人日本医療機能評価機構）による『診療ガイドライン作成の手引き2014』に基づき会議を重ね、患者アウトカムに結びついたクリニカルクエスチョン（CQ）を作成するとともに、ランダム化比較試験、非ランダム化比較試験、観察研究などの個別研究論文およびシステマティックレビュー論文などのなかから、論文の優先順位を明確にすると同時に、エビデンスの示す強さを記載し、その結果をもとにしたCQに対する回答を作成してその推奨度を決定した。このような過程を経て世界初の「胆道閉鎖症診療ガイドライン」が完成したのである。

本症の診断・治療に携わるにあたり「胆道閉鎖症診療ガイドライン」が活用され、その結果、早期診断・早期手術の実現、手術成績の向上、良好な QOL が得られるならば、ガイドライン作成の目的は達成されるのであり、できるかぎり早い時期にこの目的が達成されることを望むものである。なお、鏡視下手術や肝移植などの発展をはじめとし、本症の病態解明や診断・治療は日進月歩で変化しているので、それに遅れずに「胆道閉鎖症診療ガイドライン」を改訂していくことも、われわれに課せられた今後の課題である。

最後に、「胆道閉鎖症診療ガイドライン」が作成されたことも影響して、成人期の本症患者およびその家族にとって、医療費の負担の軽減に役立つと思われる告示番号296の指定難病に認められたことを報告し、序文とする。

安藤久實

胆道閉鎖症診療ガイドライン統括委員会委員長

ガイドライン作成にあたって

1950年代に肝門部腸吻合術（葛西手術）が開発され、胆道閉鎖症（以下、本症）の治療成績は大幅に改善した。1989（平成元）年には、日本胆道閉鎖症研究会による胆道閉鎖症全国登録制度が開始され、2017（平成29）年の時点で登録症例数は3,200例を超え、この疾患単独のものとしては世界最大のデータベースにまで成長を遂げ、さまざまな臨床データが集積・保存され活用されている。一方、1963（昭和38）年にThomas E. Starzlらにより開発された肝移植は、免疫抑制療法の進歩などによって、その後本症の治療上欠かせないものとなり、とくにわが国における生体肝移植の発展は本症の治療成績向上に大きく貢献した。葛西手術と肝移植の連携により多くの症例が救命可能となったが、本症の診断・治療には未解決な問題が山積している。

このような状況にあって、2013（平成25）年、日本胆道閉鎖症研究会内に、安藤久實名古屋大学名誉教授を座長とする「胆道閉鎖症診療ガイドライン検討作業部会」が立ち上がり、Minds（公益財団法人日本医療機能評価機構）の手引きに沿った形での診療ガイドライン作成が決定された。2014（平成26）年、厚生労働省難治性疾患等政策研究事業の一環として「胆道閉鎖症診療ガイドライン」の作成作業が開始された。2016（平成28）年には本症が指定難病に取り上げられるに及び、小児外科医と成人診療科の医療者の連携、さらに医療者・非医療者を含む多職種との連携がきわめて重要であることが確認されるとともに、広い年齢層にわたる診断・治療の標準化がまさに喫緊の課題となっている。

本ガイドラインは、Mindsの吉田雅博先生の指導を受けて、日本胆道閉鎖症研究会が作成主体となり、日本小児外科学会、日本小児栄養消化器肝臓学会、日本肝移植研究会、日本小児放射線学会、日本小児肝臓研究会が協力学会・研究会として加わり、ガイドライン総括委員会が結成された。さらにガイドライン作成グループ、システマティックレビューチーム、および外部評価委員と作成事務局から成る委員会が組織されて一連の作業が行われた。ガイドラインの内容として、①疫学、②病態、③診断、④治療、⑤合併症、⑥予後の項目立てとし、これらのなかで疫学と病態は総説形式で記載され、他の4項目についてCQが設定され、システマティックレビューが行われ、その結果に基づいてdelphi法による合意形成がなされた。

このような手順に沿って本症の診療ガイドラインがつけられるのは世界でも例がないものと思われ、その完成は喜ばしいかぎりである。このガイドラインを現場の医療者、患者・家族に大いに役立てていただくことを切望するとともに、安藤先生、吉田先生をはじめ、本ガイドライン作成にかかわった多くの方々に改めて感謝の意を表する。

仁尾正記

厚生労働科学研究費補助金難治性疾患等政策研究事業
「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の向上に関する研究」研究代表者
日本胆道閉鎖症研究会事務局代表