

Haemophilia 日本語版

Vol. 4 No. 1 の編集に当たって



担当編集委員

嶋 緑倫

奈良県立医科大学小児科

昨年 11 月 16 日、第 25 回日本血栓止血学会（神戸国際会議場）において同学会学術専門委員会血友病標準化検討部会主催のコンセンサスシンポジウムが開催されました。シンポジウムのテーマは「血友病家庭療法の再評価と保険適応外治療の方向性」で、医師のみならず患者さん、厚生労働省や製薬メーカーも参加して熱心な議論が交わされました。我が国の血友病医療では治療の選択肢が増加してきており、患者さんの QOL は確実に高まっています。しかしながら、一方で定期的（予防的）補充療法、インヒビター症例の治療など、保険適応外診療の問題についてもクローズアップされてきております。今後、より適正な治療のもとに最善の治療効果を得るために努力する必要性もありますが、保険診療上の限界もあり、この問題についてもこれから継続して各方面にアピールしていくことも重要と思われました。

さて、本号は昨年 5 月にスペインのセビリアで開催されました第 25 回 WFH 国際会議の State of the Art Book である第 8 巻 3 号（2002 年）の日本語版です。本号ではまず 3 つの総説の完訳を取り上げました。第 1 編は現在の血友病治療において留意すべき新たなリスクの問題です。まず、変異型クロイツフェルト-ヤコブ病などの新たな病原体の問題とその検査や除去法についての最近の知見がまとめられています。次に、治療の進歩に伴う新たなリスクとして、カテーテルの留置に起因する合併症の問題、HIV のプロテアーゼ阻害薬の出血性合併症の問題などが、多数の報告に基づいたエビデンスをもとに詳細に述べられています。我が国でも特に小児科領域で定期的補充療法や免疫寛容療法の実施のために中心静脈カテーテルの設置が考慮される機会が増加していると思われまます。注射に伴う患児や両親の身体的、精神的苦痛を軽減するためにもこのカテーテルの設置は有用ですが、合併症について十分認識しておく必要があります。第 2 編は遺伝子治療に関する総説です。米国ではすでに 5 つの血友病遺伝子治療に関する臨床試験が行われています。すべての臨床試験が順調に進んでいるわけではありませんが、凝固因子レベルも最高 4% まで上昇している研究成果も出ており、遺伝子治療の研究も実用レベルに近づいてきました。ただし、最近、X-SCID の遺伝子治療例が白血病を発症したことが報告され、遺伝

子治療の安全性についてさらに検討する必要性が高まっています。本総説で印象的なのは遺伝子治療が血友病の治療として有効であることは誰もが認めることですが、実用段階になったときにどれだけの患者さんがその恩恵に浴することができるか、一部の先進国の限られた患者さんしか治療を受けることができないのではないかという危惧を強調していることです。遺伝子組み換え型製剤の普及で血友病 A の治療がさらに進みましたが、同時に血友病医療の地域格差をもたらしたのも事実です。これと同様の現象がさらに遺伝子治療の時代に出現することが十分予想されます。現在、多くの患者さんが血液製剤すら使用できないのが現状であり、今後、地球規模での展望が必要なことが述べられています。第3の総説は血友病の遺伝診断などにおける倫理の問題です。これは血友病に限らず現代の医学における重大なテーマです。本総説では英国の現状を中心に述べられています。難解な表現も多く、訳しにくい箇所も多かったので、原文も参考にしながら読んでいただければ幸いです。着床前遺伝子診断の現状や考え方についても述べられており、今後我々の倫理に関する方向性について参考になるかと思えます。

抄録のみの訳として、小児科的ケア、C型肝炎、稀な凝固因子欠乏症、von Willebrand 病の治療、持続輸注、整形外科領域では関節鏡下滑膜切除術、全膝関節置換術に関する論文を取り上げました。日常診療のお役に立てれば幸いです。