

## 難病対策と川崎病

『難病対策要綱』（昭和47年10月、厚生省〔当時〕）に示された難病とは、「(1)原因不明、治療方法未確立であり、かつ後遺症を残すおそれが少なくない疾病」、(2)経過が慢性にわたり、単に経済的な問題のみならず介護等に著しく人手を要するために家族の負担が重く、また精神的にも負担の大きい疾病」と定義されている。わが国ではこの難病に対し①調査研究の推進、②医療施設等の整備、③医療費の自己負担の解消などを推し進めてきた。営利を目的とする企業では実現困難な希少疾患に対する病因病態研究、新規治療法の開発などに国が注力した意義深い事業である。

平成27年1月1日『難病の患者に対する医療等に関する法律』（以降、本法律）が施行された。本法律における難病とは①「発病の機構が明らかでなく」、②「治療方法が確立していない」、③「希少な疾患であって」、④「長期にわたり療養を必要とする」ものという4条件を満たす疾病と定義されている。さらに、難病の中で患者数が一定数（おおむね人口の0.1%程度）を超えず、しかも客観的な診断基準が確立している場合に「指定難病」と認定され、その疾病患者は医療費助成の対象となる。本法律が施行されたことにより対象となる疾病は平成25年2月1日時点の56疾病から一気に306疾病（平成27年5月13日時点）へと拡大され、約150万人もの患者に対して医療費助成が行われることになった。

私は現在、厚生労働科学研究費補助金・難治性疾患克服研究事業「難治性血管炎に関する調査研究」班の分担研究者に加えて戴いている。この研究班は昭和47年から現在まで継続する厚生労働省の研究班の中でも草分け的な存在である。血管炎疾患の中で指定難病として取り上げられているのは、大型血管炎としての高安静脈炎、巨細胞性動脈炎、中型血管炎の結節性多発動脈炎、そして小型動脈炎としての顕微鏡的多発血管炎、多発血管炎性肉芽腫症、好酸球性多発血管炎性肉芽腫症の6疾病である。

また、私は日本川崎病学会会長を拝命している。川崎病は、昭和42（1967）年、川崎富作博士により報告された乳幼児に好発する急性熱性発疹性疾患であるが、その本態は系統的血管炎で、冠状動脈に生じた炎症のために動脈瘤が生じ、同部の血栓性閉塞で小児が急性虚血性心疾患のために突然死することで注目された。川崎病はアジア北東部に多発するが、欧米はじめ全世界から報告がなされ、一疾患について討論が交わされるユニークな国際会議も開催されている。このように全世界の川崎病研究者が懸命に原因究明の努力をしているにもかかわらず、川崎富作博士の報告から半世紀を経た現在も、なお原因を明らかにできていない。それどころかわが国の疫学調査は川崎病の新規発症患者数は年々増加していることを示しており、2014年の患者発生数は15979人、罹患率は308人（0～4歳人口10万対）とともに過去最高であった。そして現在でも急性期患者の8%に心血管合併症がもたらされ、3%の患者に心血管後遺症を残す（第23回川崎病全国調査成績より）。

原因が不明で根本的治療法が確立しておらず、後遺症を残した場合には生涯観察が必要となる川崎病は、診断・治療の進歩した現在もなお厄介な疾患であることに変わりはない。しかしながら、川崎病は「難治性血管炎に関する調査研究班」の調査対象疾患から除外されている。「川崎病は希少疾患ではない」というのが最大の理由であろうが、希少疾患でないが故に川崎病の方がより事態は深刻であるということもできる。既往患者が30万人を超え、今なお増加を続ける川崎病の一日も早い病因究明、合併症ゼロを目指した新規治療開発、そして長期予後解明を推し進めるためには難病対策事業との連携が不可欠である。

（病院病理学講座（大橋）教授：高橋 啓）

DOI: 10.14994/tohoigaku.2016.r043