

骨髄線維症に関する情報はコチラ



- 骨髄線維症の色々なことが分かるサイト「骨髄増殖性腫瘍.net」
<https://www.gan-kisho.novartis.co.jp/mpn-info>

骨髄線維症を含む骨髄増殖性腫瘍の患者さんに、病気について理解を深めていただくことを目的として、情報を提供しています。骨髄線維症患者さんに起こりやすい症状をチェックできるシートがありますので、一度ご自身の症状を確認してみてください。

骨髄増殖性腫瘍患者・家族会からのお知らせ



- 骨髄増殖性腫瘍患者・家族会(MPN-JAPAN)サイト
<http://mpn-japan.org>

骨髄線維症を含む骨髄増殖性腫瘍は普段なかなか同じ病気を抱える患者さんに出会う機会の少ない希少疾患ですが、患者会では同じ病気で悩んだ経験を持つ患者さん・現在悩んでいる患者さんと出会えます。

一人で悩まずに、まずは同じ病気を抱える先輩患者さんに話を聞いてみてください。

患者・家族会の活動内容や、この病気に詳しい先生の情報はこちら



- MPN-JAPAN活動内容や医学顧問など紹介ページ
<http://mpn-japan.org/aboutus.html>

連絡先(医療機関・薬局)

ノバルティス ファーマ株式会社

JAK00192GG0003
2022年4月作成

骨髄線維症と診断された方・ご家族の方へ

骨髄線維症の 治療ガイド

どのように考え、
治療を決めるかを中心に



監修 小松 則夫先生 順天堂大学医学部 血液内科

NOVARTIS

治療の目標

骨髄線維症の治療では、QOL(生活の質)を保つこと、予後(病気の経過)を改善することが大切な目標となります。

- 症状を緩和しQOLを保つ
- 病気の進行を抑え予後を改善する



治療の決め方

予後予測、移植適応、症状などを総合的に考えて治療法を決めていきます。

移植適応

予後予測

症状



予後予測で「**低リスク・中間-リスク**」とされ、**症状がない**場合は、すぐに治療を行わず経過観察で様子を診ていきます。

予後予測の評価

「予後因子」と呼ばれる検査結果などを評価・分類して、「予後(病気の経過)」を予測します。

予後(病気の経過)を予測する方法には、いくつか種類がありますが、日本人に最も適しているものはDIPSS-plusとされています。

●DIPSS-plusの予後因子

予後因子A	該当項目に○をしてください
年齢が65歳超である	<input type="checkbox"/>
症状(体重減少、発熱、寝汗)が持続している	<input type="checkbox"/>
末梢血芽球(Blast)が1%以上である	<input type="checkbox"/>
白血球数(WBC)が25,000/ μ L超である	<input type="checkbox"/>
ヘモグロビン値(Hb)が10g/dL未満である	<input type="checkbox"/>

予後因子Aでは該当する項目の▲を数え、以下の表より点数をだします。

予後因子Aの▲の個数	0個	1~2個	3~4個	5~6個
点数A	0点	1点	2点	3点

予後因子B	該当項目に○をしてください
血小板数(PLT)が $10 \times 10^4 / \mu$ L未満である	<input type="checkbox"/>
定期的な赤血球輸血を実施している	<input type="checkbox"/>
予後不良染色体が存在する*	<input type="checkbox"/>

*予後不良染色体について分からない場合は、○をしないままとしてください。

予後因子Bでは該当する項目の■を数え、以下の表より点数をだします。

予後因子Bの■の個数	0個	1個	2個	3個
点数B	0点	1点	2点	3点

点数Aと点数Bを計算して合計Cをだし、次頁の表より予後を予測します。

点数A	点	+	点数B	点	=	合計C	点
-----	---	---	-----	---	---	-----	---

DIPSS-plusで予後(病気の経過)を予測するには、まず前頁のように該当する予後因子の数から**点数A**と**点数B**を計算して**合計C**をだします。そして、**合計C**をもとに、下の表より予後を予測します。

●表：DIPSS-plusによる予後予測

合計C (点数A + 点数B)	0点	1点	2~3点	4~6点
予後 (病気の経過)	良い ←————→ 悪い			
	低リスク	中間-I リスク	中間-II リスク	高リスク
生存期間(中央値)	18.6年	10.7年	3.7年	2.2年

Takenaka K et al. Int J Hematol 2017; 105: 59-69.より作成

予後予測より治療を考えるときは、「**低リスク・中間-Iリスク**」と「**中間-IIリスク・高リスク**」と大きく2つに分けて考えます。



予後予測で「**中間-IIリスク・高リスク**」に該当する場合は、まず骨髄移植を検討します。

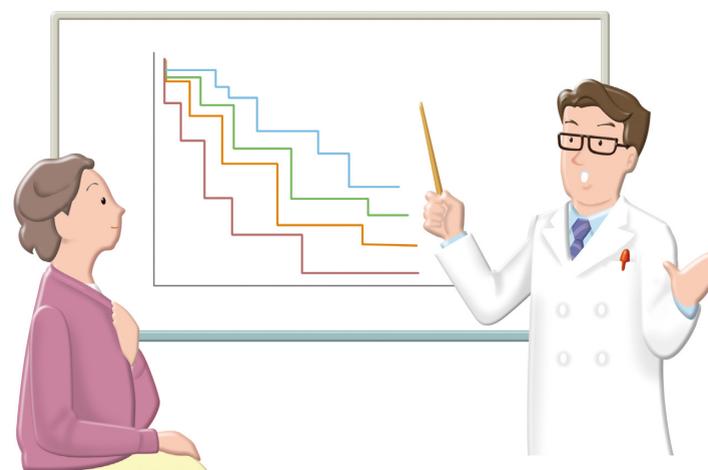
骨髄移植が行えない場合は、JAK阻害剤による薬物療法で脾腫や症状、骨髄線維化を改善し、生存期間の延長(予後の改善)を目指します。また、貧血がある場合には輸血療法も併せて実施します。

生存期間について

生存期間(中央値)とは、そのリスクに該当する全員のうち半分の人が生存している期間であり、全ての人に該当するわけではありません。

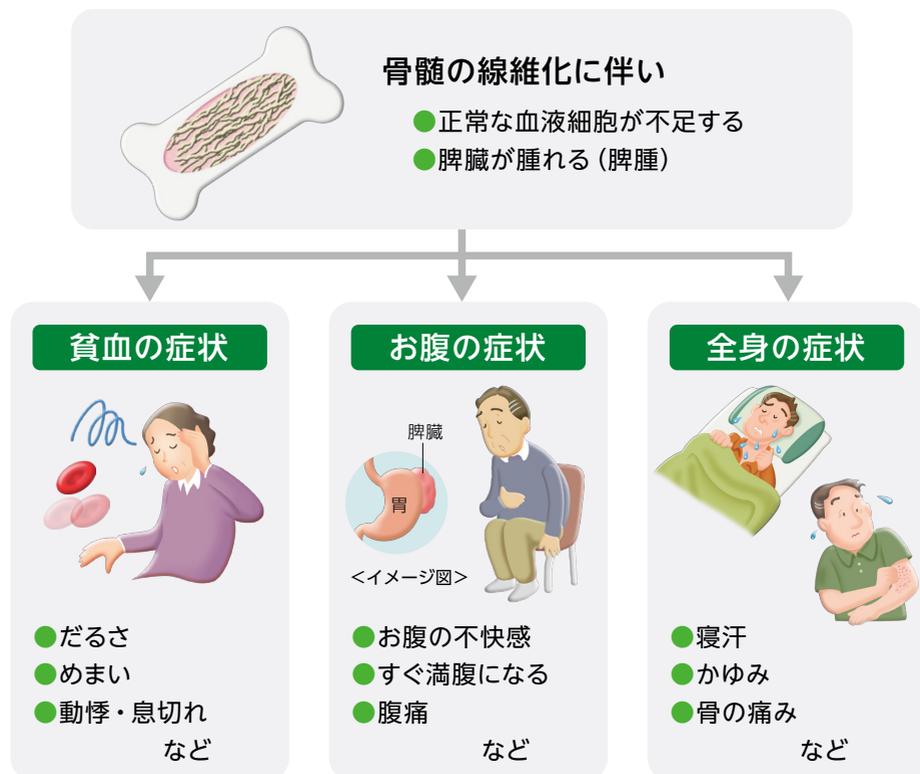


また、治療が日々進歩しているため、現在の治療を実施する場合に、生存期間が報告されているとおりになるかは分かりません。そのため、あくまでも治療を決める目安と考えます。



症状の評価

「病気の進行」や「治療の効果」を確認するために、定期的に症状の有無を評価します。



「皮膚に紫斑(あざ)ができる」「歯肉出血」などの「出血傾向」もみられる

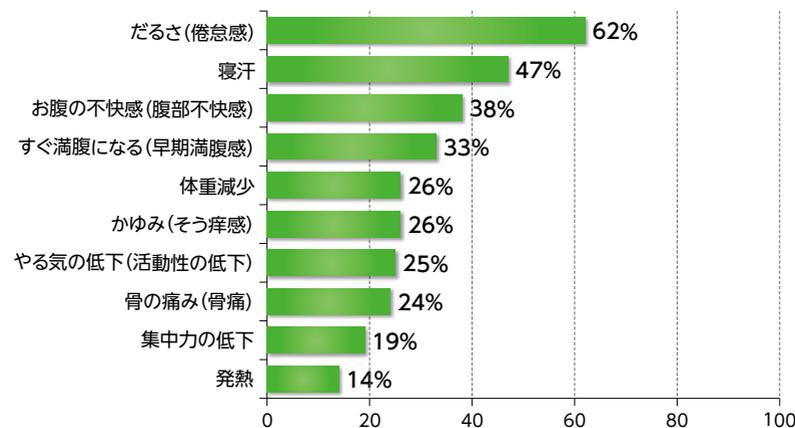
骨髄線維症による症状の現れ方は、患者さんにより異なります。そのため、「病気の進行」や「治療の効果」を確認するために、定期的に症状の有無を評価します。

症状の評価には、骨髄線維症を含む骨髄増殖性腫瘍に特徴的な10症状の評価(MPN-SAF TSS)が推奨されています。

「患者さん自身でも症状を評価して伝えることの重要性」

患者さんの症状に対する理解は十分といえず、約半数の患者さんが自分のだるさ(倦怠感)・寝汗などの症状と骨髄線維症は関係ないと考えていました。

特徴的な10症状が骨髄線維症により起きていると理解している患者さんの割合



グローバルMPN LANDMARKサーベイより作成
COI:本調査はノバルティスの資金により行われた。

グローバルMPN LANDMARKサーベイは2016年4～10月に英国・ドイツ・イタリア・日本・カナダ・オーストラリアで実施された調査です。調査の目的は「骨髄線維症が患者さんの日常生活などに、どのような影響を与えるかについて理解を深める」とされ、骨髄線維症患者さん174例などにオンラインでアンケート調査が実施されました。評価項目は「症状が骨髄線維症により起きていると認識しているか」などとされました。

一方、患者さんの症状をMPN-SAF TSSなどの評価表を用いて1つ1つ確認している医師は全体の9%であり、残りの医師の診察では患者さんの症状が見過ごされてしまう可能性があります。

そのため、より良い治療を選択するためには、患者さん自身で症状を評価し、主治医に伝えることが重要となります。

これらの症状を、年齢や体調のせいだと思っていないか？

だるさ (倦怠感)

- 少し動くと、すぐに休みたくなる
- 疲れやすく階段を上るのが大変
- 朝、起きるのがつらい



すぐ満腹になる (早期満腹感)

- 食事の量が、前より減少している
- 食欲はあるけど、一度の食事
で量が食べられない



お腹の不快感 (腹部不快感)

- お腹がはった感じ
- お腹が押さえられるような感じ



やる気の低下 (活動性の低下)

- 仕事、趣味、人付き合いなど
が、思うようにできない



寝汗

- 睡眠中、下着やパジャマ、
シーツを交換するほどの
汗をかく



集中力の低下

- 集中して、本や新聞を読む
ことができない



かゆみ (そう痒感)

- お風呂に入ると、かゆくなったり、
かゆみが強くなる



体重減少

- 体重が減った
- 洋服のサイズが合わなくな
った



骨の痛み (骨痛)

- 骨痛のため、就寝中に目が
覚める
- 安静にしても、骨が痛い



発熱

- 体が熱っぽい
- 熱がある感じがする



骨髄線維症患者さん用 症状チェックシート

実際に特徴的な10症状があるかどうか、「症状チェックシート」で確認してみま
 ここ1週間のことを思い出して「すごく ある」「ある」「ない」のいずれかに○をして
 「体重減少」については、ここ半年のことを思い出して「すごく 減った」「減った」

しょう。
 ください。

「減っていない」のいずれかに○をしてください。

特徴的な10症状		○をしてください
発現率 80% 	だるさ (倦怠感) 例えば ● 少し動くと、すぐに休みたくなる ● 疲れやすく感じる	すごく ある ある ない
発現率 53% 	お腹の不快感 (腹部不快感) 例えば ● お腹がはった感じ ● お腹が押えられるような感じ	すごく ある ある ない
発現率 51% 	寝汗 例えば ● 睡眠中、下着やパジャマ、 シーツを交換するほどの汗をかく	すごく ある ある ない
発現率 40% 	かゆみ (そう痒感) 例えば ● お風呂に入ると、 かゆくなったり、かゆみが強くなる	すごく ある ある ない
発現率 40% 	骨の痛み (骨痛) 例えば ● 骨痛のため、就寝中に目が覚める ● 安静にしている、骨が痛い	すごく ある ある ない

特徴的な10症状		○をしてください
発現率 37% 	すぐ満腹になる (早期満腹感) 例えば ● 食事の量が、前より減少している ● 食欲はあるけど、一度の食事で量が食べられない	すごく ある ある ない
発現率 31% 	やる気の低下 (活動性の低下) 例えば ● 仕事、趣味、人付き合いなどが、 思うようにできない	すごく ある ある ない
発現率 29% 	集中力の低下 例えば ● 集中して、本や新聞を 読むことができない	すごく ある ある ない
発現率 28% 	体重減少 例えば ● 体重が減った ● 洋服のサイズが合わなくなった	すごく 減った 減った 減っていない
発現率 14% 	発熱 例えば ● 体が熱っぽい ● 熱がある感じがする	すごく ある ある ない

Mesa R et al. BMC Cancer 2016; 16: 167.より作成

いずれかの症状がある場合は「**症状がある**」、いずれもない場合は「**症状が ない**」と考えます。



予後予測で「**低リスク・中間-リスク**」とされても、**症状がある**場合は、薬物療法
 や輸血療法などにより症状を緩和し、生活の質(QOL)を高めることを目指します。

参考

「骨髄線維症患者さん用 症状チェックシート」で気になる症状がある場合は、病気の進行や治療の効果をより正確に評価するためにも「骨髄増殖性腫瘍 症状評価フォーム総症状スコアMPN-SAF TSS」を付けて、受診する際に持っていきましょう。



1 記入日と次回受診日を記入してください。
可能な限り、次回受診日の直前から約1週間前までの間に感じた症状の程度を評価してください。

2 症状の程度を最もよく表す数字1つに を付けてください。
例) ・だるさ(倦怠感、疲労感):これ以上考えられないだるさを「10」としてください。数字で表せない場合は、下記の自由記入欄に記載しておいてください。
・発熱の場合は37.8℃以上の発熱が毎日あった場合を「10」としてください。

3 全ての記載を確認したら点数を合計してください。

4 10項目の症状以外に頻繁に感じた症状や、その他気づいたことなどは、自由記入欄に記載しておいてください。

「骨髄増殖性腫瘍 症状評価フォーム総症状スコアMPN-SAF TSS」は骨髄線維症患者さん向け疾患情報サイト「骨髄増殖性腫瘍.net」にも掲載されています(リンク・二次元コードは裏面をご参照ください)。

日本版 骨髄増殖性腫瘍 症状評価フォーム総症状スコアMPN-SAF TSS*

*Myeloproliferative Neoplasm-Symptom Assessment Form Total Symptom Score

患者さん記入用

お名前 記入日 月 日 次回受診日 月 日

この症状評価フォームでは、患者さんの症状を記録できるようになっています。それぞれの症状について、症状の程度を最もよく表す数字1つに を付けてください。該当の症状が「なし」の場合を「0」とし、考えられる「最悪の状態」を「10」とします。全ての症状の程度を記入し、受診時に主治医に見せてください。

この24時間に感じた最も強いだるさ(倦怠感、疲労感)について一番よく表す数字1つに を付けてください。

	なし	0	1	2	3	4	5	6	7	8	9	10	これ以上考えられないほどのだるさ
24時間内に感じた最も強いだるさ(倦怠感、疲労感)		<input type="checkbox"/>											

この1週間に経験した症状の程度を最もよく表す数字1つに を付けてください。

	なし	0	1	2	3	4	5	6	7	8	9	10	最悪の状態
食事の際、すぐに満腹感を感じる(早期満腹感)		<input type="checkbox"/>											
腹部不快感		<input type="checkbox"/>											
無気力		<input type="checkbox"/>											
集中力に関する悩み(発病前と比較して)		<input type="checkbox"/>											
寝汗		<input type="checkbox"/>											
かゆみ(激しいかゆみ)		<input type="checkbox"/>											
骨の痛み(関節痛や関節炎以外の広範な痛み)		<input type="checkbox"/>											
過去6ヵ月にわたる意図しない体重減少		<input type="checkbox"/>											
37.8℃以上の発熱	なし	<input type="checkbox"/>	毎日										

上記10項目について数字を合計してください 自由記入欄(その他の症状、気づいたこと)

監修:宮崎大学内科学講座 消化器血液学分野 下田 和哉 先生 ノバルティス ファーマ株式会社

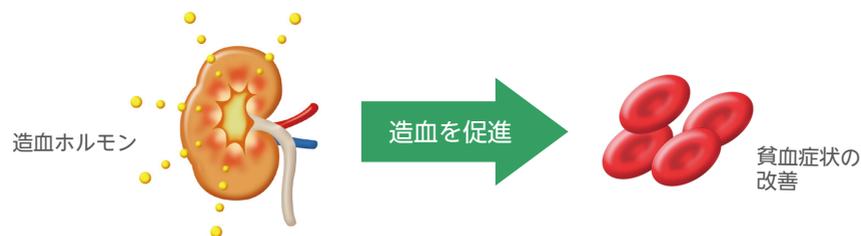
治療法

それぞれの治療法の特徴を知り、主治医との相談の上で治療法を検討することが大切です。

薬物療法

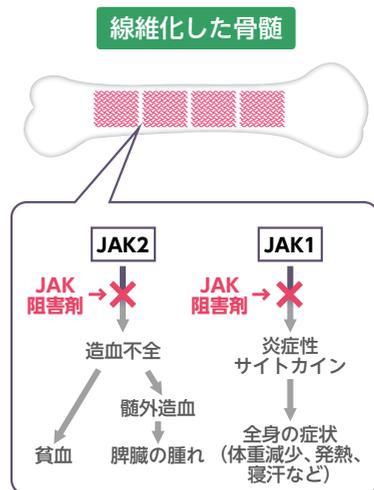
●ホルモン剤

腎臓に作用して、赤血球をつくるホルモン(造血ホルモン)を分泌させることで貧血症状を改善します。また、造血幹細胞に直接作用して造血能を高める効果もあります。



●JAK阻害剤(内服薬)

造血をコントロールしている酵素「JAK」を標的とする分子標的治療薬です。JAK2などの遺伝子異常により生じた造血幹細胞内の誤った信号伝達に作用し、脾臓の腫れを小さくしたり、全身の症状を改善します。また、最近では生存期間の延長(予後の改善)も報告されています。



骨髄移植(同種造血幹細胞移植)

骨髄内の異常な造血幹細胞を抗がん剤や放射線療法で死滅させた後、健康な提供者から採取した正常な造血幹細胞を含む骨髄液を静脈内に注入して骨髄移植を行います。この治療法は、骨髄線維症の完治につながる可能性があるとは報告されていますが、移植に伴う死亡や重篤な合併症のリスクも高いため、実施については主治医と十分相談の上、慎重に決断する必要があります。

輸血療法

赤血球数の著しい減少に伴う貧血症状が強く現れて、薬物療法を行っても改善しない場合には、不足した赤血球を補うための輸血を行います。また、血小板数の著しい減少に伴う出血症状が強く現れた場合には、血小板の輸血を行うこともあります。

放射線療法

薬物療法の効果が乏しく、特にお腹の症状が強く現れる場合には、腫れている脾臓や肝臓に放射線を照射して小さくします。

脾臓の摘出手術

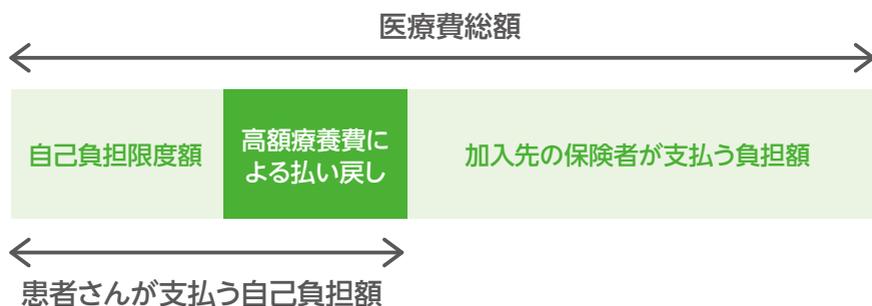
貧血が著しく、お腹の症状が強く現れていて早急な対処が必要な場合には、手術で腫れて大きくなった脾臓を摘出することもあります(摘脾)。

参考 医療費サポート

高額療養費制度

医療機関へ高額な医療費を支払ったときは、「高額療養費制度」で払い戻しが受けられます。

高額療養費制度とは、同一月(1日から月末まで)にかかった医療費の自己負担額が一定の金額(自己負担限度額)を超えた場合、超えた分が後ほど払い戻される医療保険制度です。



高額療養費制度について、詳しく解説した小冊子もご用意していますので、主治医もしくは医療機関のスタッフにご相談ください。



*本制度は、加入されている医療保険、市区町村によって内容が異なる場合があります。詳しくは、保険加入先(健康保険証をご確認ください)にお問い合わせください。

主な内容

- ・高額療養費とは
- ・支給を受けるには
- ・自己負担限度額
- ・算定方法
- ・活用事例

など

その他の医療費サポート制度

高額療養費制度以外にもさまざまな医療費負担を軽減できる制度があります。それぞれの窓口を確認してみましょう。

1 民間の医療保険(がん保険など)

骨髄線維症は、民間の医療保険(がん保険など)の対象となる可能性があります。

加入している
保険会社の窓口
問い合わせましょう



2 自治体による医療費助成制度

一部の自治体では、骨髄線維症を自治体独自に指定難病とし、それらの自治体では医療費助成制度を設けています。

※東京都、埼玉県、富山県では、「原発性骨髄線維症」を指定難病とし、医療費助成制度を設けています(令和2年10月現在)。

お住まいの
都道府県の窓口
問い合わせましょう



3 付加給付制度

一部の健康保険組合や共済組合が独自に定める医療費助成制度です。高額療養費制度と同様に、一定の金額を超えた場合、医療費の払い戻しを受けることができます。また、治療と就労をサポートするための制度が設けられている場合もあります。

加入している保険組合の窓口
問い合わせましょう



