

## 骨髄線維症に関する情報はコチラ



- 骨髄線維症のいろいろなことがわかるサイト「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  
<https://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もつ患者さん・現在悩んでいる患者さんとお会いします。  
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の活動内容や医学顧問などの紹介ページ  
<https://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

JAK00018GG0007  
2024年12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 ハンドブック

病気の基礎から検査、治療の話まで



監修 小松 則夫 先生 順天堂大学医学部 血液内科

# はじめに

こつずいせんいししょう

骨髄線維症とは、胸や腰などの骨の中にある柔らかい骨髄が固くなり、骨髄本来の働きである正常な血液をつくることができなくなる病気です。骨髄線維症の患者さんは男性にやや多く、60～70歳代の高齢の方々に多く発症する傾向にあります。

骨髄線維症は、一般的に徐々に進行し、さまざまな症状が現れて日常生活に支障を来すようになりますが、なかには急速に悪化して命にかかわるような重篤な合併症が起こる場合もあります。そのため、骨髄線維症の治療では、病気の進行を抑えたり、症状を緩和したりすることが大事な目標となります。これを達成するには、病気を正しく理解して、適切な治療を受けることが重要です。しかし、わが国では推定約480人しかいないとされるまれな病気であることから、同じ病気の人が少なく、知識を得る機会も少ないのが現実です。

そこで、病気の基礎から検査、治療に関する基本的知識をまとめた「骨髄線維症ハンドブック」を作成しました。ご自身の病気への理解を深めるために、本冊子をご活用いただければ幸いです。

## 目次

### I 骨髄線維症とは

|                     |    |
|---------------------|----|
| 骨髄の構造と働き            | 4  |
| 骨髄線維症が起こるしくみ        | 6  |
| 骨髄線維症の造血部位（髄外造血）    | 7  |
| 骨髄線維症によくみられる症状      | 8  |
| 骨髄線維症によって起こる病気（合併症） | 10 |
| 見逃せない進行・悪化の兆候       | 11 |

### II 骨髄線維症の検査

|          |    |
|----------|----|
| 検査の種類と目的 | 12 |
|----------|----|

### III 骨髄線維症の予後

|       |    |
|-------|----|
| 予後の予測 | 16 |
|-------|----|

### IV 骨髄線維症の治療

|        |    |
|--------|----|
| 治療の目標  | 20 |
| 治療の決め方 | 20 |

|                              |    |
|------------------------------|----|
| コラム 患者さん自身でも症状を評価して伝えることの重要性 | 21 |
|------------------------------|----|

|                        |    |
|------------------------|----|
| 参考 骨髄線維症による特徴的な10症状とは？ | 22 |
|------------------------|----|

|                           |    |
|---------------------------|----|
| 骨髄線維症患者さん用 症状チェックシート（簡易版） | 24 |
|---------------------------|----|

|                       |    |
|-----------------------|----|
| 骨髄増殖性腫瘍 症状評価フォーム（詳細版） | 26 |
|-----------------------|----|

|       |    |
|-------|----|
| 治療の方法 | 28 |
|-------|----|

|            |    |
|------------|----|
| 参考 高額療養費制度 | 30 |
|------------|----|

|               |    |
|---------------|----|
| その他の医療費サポート制度 | 31 |
|---------------|----|

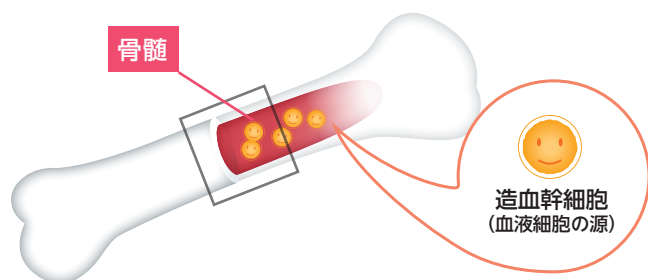
# I 骨髄線維症とは

## 骨髄の構造と働き

骨の中にある骨髄の主な働きは、血液細胞（赤血球、白血球、血小板）をつくり出すことで、これを「造血」といいます。

血液は、「血漿」と呼ばれる液体成分と「血球」または「血液細胞」と呼ばれる細胞成分から成ります。骨髄は、骨の中にあるゼリー状の柔らかい組織で、血液細胞の源となる細胞（造血幹細胞）を含んでいます。血液細胞には、赤血球、白血球、血小板の3種類があり、それぞれ体にとって重要な役割を果たしています。

### ●骨髄の構造

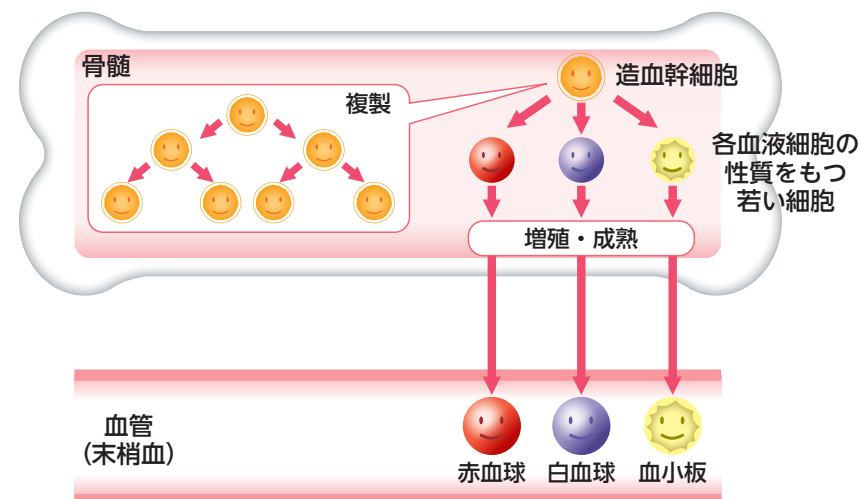


### ●血液細胞の役割

| 血液細胞の種類 | 赤血球           | 白血球                | 血小板               |
|---------|---------------|--------------------|-------------------|
| 主な働き    | 全身の臓器に酸素を運搬する | 体内に侵入した病原体などから体を守る | 傷ついた組織を修復して出血を止める |

## 造血のしくみ

造血幹細胞が骨髄で増殖・成熟し、血液細胞になります。



骨髄で、造血幹細胞から血液細胞がつくられることを「造血」といいます。造血幹細胞は、自分自身を複製して数を増やし、各血液細胞の性質をもつ若い細胞にそれぞれ変化した後に血液細胞へと成熟し、血液中に放出されます。

通常、血液中の血液細胞の数は一定範囲になるように調節されています。

**メモ** 大人になると一部の骨髄で造血が行われるようになります。

出生後から10歳代までは全身の骨の骨髄で造血が行われていますが、20歳前後からは、体の中心部にある胸や腰の骨などの限定された骨髄でのみ、造血が行われるようになります。

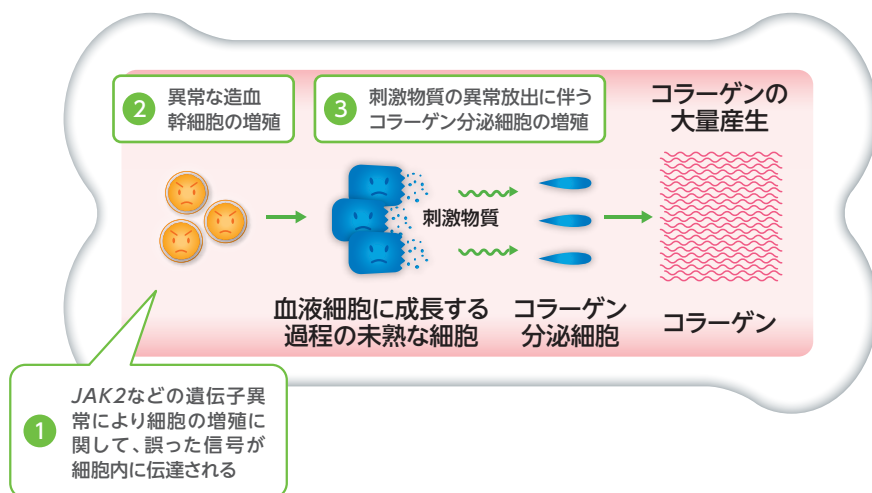
## 骨髄線維症が起こるしくみ

こつずいせんいしょう ぞうけつかんさいぼう  
骨髄線維症は、造血幹細胞がもつ遺伝子に異常が生じ、線維質が増えて骨髄が固くなることで起こります。

骨髄線維症では、造血幹細胞がもつ遺伝子に異常が起きます。そのため、骨髄内に線維質のコラーゲンを分泌する細胞が増え、コラーゲンが大量につくられることで柔らかかった骨髄が固く変化します。この現象を「線維化」と呼び、線維化が起こると骨髄で造血ができなくなり、血液細胞が正常につくられなくなります。そのため、さまざまな症状が現れ、線維化が進むと予後(病気の経過)にも影響を及ぼすようになります。

骨髄の線維化には、複数の遺伝子の異常が関与しており、骨髄線維症の患者さんの約半数では、ジャックツーJAK2\*という遺伝子に異常が生じています。

### ●骨髄線維症が起こるしくみ



\*JAK2とは、造血をコントロールしているヤヌスキナーゼ(通称JAK)という酵素の一種です。

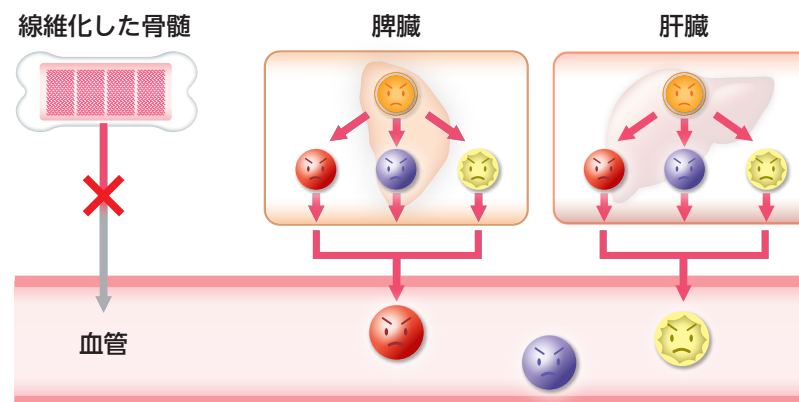
## 骨髄線維症の造血部位(髄外造血)

骨髄線維症では、脾臓と肝臓を中心とする骨髄以外の臓器や組織で造血(髄外造血)が起こります。

骨髄線維症を発症して骨髄で造血ができなくなると、代わりに脾臓や肝臓で造血が行われるようになり、これを「髄外造血」と呼んでいます。

髄外造血が起こると、脾臓や肝臓が腫れてきます。また、血液細胞に成長しきれない未熟な細胞や、変形または巨大化した血液細胞が血液中に放出されます。

### ●脾臓・肝臓における髄外造血



**メモ** 骨髄線維症は、2つのタイプに分かれます。

骨髄線維症には、造血幹細胞の遺伝子に異常が生じて発症するタイプ(原発性骨髄線維症、P6参照)と、血液の病気やがんなど他の病気が原因で骨髄の線維化が続発するタイプ(二次性骨髄線維症)があります。

## 骨髄線維症によくみられる症状

こつぜいせんいしょう

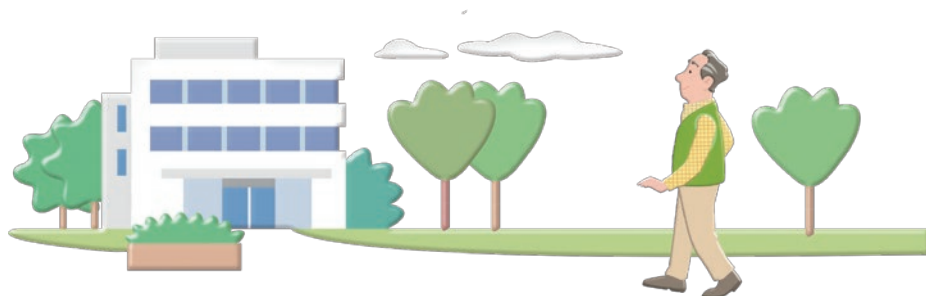
骨髄線維症では、貧血の症状（ふらつきなど）やお腹の症状（お腹の張り・不快感など）がよくみられます。

骨髄線維症を発症してから数年間は症状が現れにくく、健康診断などをきっかけに偶然発見される方も少なくありません。しかし、骨髄の線維化が進むにつれて、さまざまな症状が現れ始めます。

多くの患者さんは、血液中の赤血球の減少に伴い、体がだるい（けんたいかん倦怠感や疲労感）、動悸、息切れなどの貧血症状が現れます。とくに、体がだるいという症状は、大半の患者さんが感じています。

骨髄の代わりに造血を行う脾臓や肝臓に負担が蓄積され、これらの臓器が徐々に腫れてくるのに伴い、お腹の張りや不快感、食事などをとってもしばらく満腹感を覚える早期満腹感、腹痛などお腹の症状が現れることもあります。また、血小板の減少に伴い、皮膚に紫斑（あざ）しはんができたり、歯茎から出血しやすくなったりします。その他にもいろいろな症状がみられます（P9参照）。

さらに、病気が進行すると、体重減少、発熱、寝汗などの全身の症状が現れるようになります。



## ● 骨髄線維症の主な症状

病気の進行に伴う全身の症状

体重減少、発熱、寝汗 など



赤血球の減少に伴う症状（貧血の症状）

ふらつき、体がだるい、疲れやすい、動悸、息切れ、めまい など



脾臓や肝臓の腫れに伴う症状（お腹の症状）

お腹の張り・不快感、早期満腹感、腹痛 など



血小板の減少に伴う症状（出血傾向）

皮膚に紫斑（あざ）ができる、歯茎から出血する など



その他の症状

活動性の低下（無気力）、熟睡できない、集中力の低下、気分の落ち込み、性機能障害、咳、骨の痛み、皮膚のかゆみ、頭痛 など



メモ ● 全身の症状発現には、ジャックワンJAK1という酵素の関与がうかがえます。

骨髄線維症では、ジャックツーJAK2と同じ造血をコントロールしている酵素JAKの仲間であるJAK1が活性化しています。JAK1の活性化は、全身の症状発現の原因の1つとされる炎症性サイトカイン\*の産生にかかわる細胞内の信号伝達を促進します。このことから、JAK1の活性化による炎症性サイトカインの産生が、全身の症状発現に影響を与えていると考えられます。

\*体内で炎症反応を促進する働きをもつ特殊なタンパク質。

## 骨髄線維症によって起こる病気(合併症)

こつぜいせんいしょう

骨髄線維症の進行に伴い、重篤な感染症、出血・血栓、白血病などの合併症が起こることがあります。

骨髄線維症では、血液細胞のうち赤血球が最初に不足して貧血が起こりますが、さらに進行すると、白血球と血小板も不足した状態になります。白血球が不足することで、体内に侵入した病原体などから体を守る免疫力が低下するため、肺炎などの感染症にかかりやすくなります。また、出血を止める役割をもつ血小板が不足することで、重篤な出血を招くおそれがあります。さらに、白血球に成長するはずだった若い細胞が、がん細胞に変化して白血病を発症することもあります。

その他、骨髄線維症が進行した患者さんでは、血管内に血栓(血の塊が細い血管につまったもの)が形成されたり、特定の静脈の血圧が異常に高くなったり、心臓の病気が発症したりすることが報告されています。

これらの合併症は、命の危険が伴う重大な病気であることから、病気の進行・悪化を示すサイン(P11参照)がみられた場合は、なるべく早く主治医に連絡してください。



## 見逃せない進行・悪化の兆候

症状(P9参照)の程度が強まったり、頻繁に起こるようになったりすることに加えて、次のような症状にも注意が必要です。

### ⚠ 骨髄線維症の進行・悪化を示すサイン

#### ● 重い貧血状態

〈関連する主な症状〉

- ・むくみ
- ・顔色が青白くなる
- ・胸の痛み
- ・呼吸困難



#### ● 脾臓の腫れの増大

〈関連する主な症状〉

- ・左上腹部の腫れ
- ・左上腹部や背中 of 激しい痛み



#### ● 肝臓の腫れの増大

〈関連する主な症状〉

- ・右上腹部の激しい痛み

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」などを確認するために、定期的に症状の有無や程度を確認します。

ご自身の症状を定期的にチェックし、主治医に相談することをおすすめします。

→P24-25[参考] 骨髄線維症患者さん用 症状チェックシート]参照

## II 骨髄線維症の検査

### 検査の種類と目的

骨髄線維症の検査には、血液検査の他、血液形態検査、骨髄検査、画像検査、遺伝子検査などがあります。

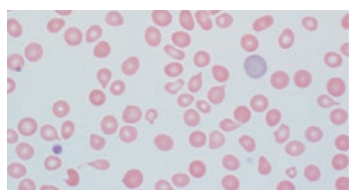
#### 血液検査

骨髄線維症の診断や進行度を評価するための検査で、血液を採取して、貧血の状態（赤血球数など）、白血球数、血小板数、骨髄線維症に特徴的な細胞の出現状況などを調べます。また、骨髄線維症では、血液中のLDHという組織の障害の程度を表す酵素の値が異常に高くなります。

#### 血液形態検査

診断時に行われる検査で、採取した血液をスライドガラスに薄く塗り、色素で染色した後に顕微鏡で血液細胞の形態を観察します。骨髄線維症では、涙型に変形した赤血球（涙滴赤血球）や巨大化した血小板などの異常な血液細胞がみられます。

#### ●骨髄線維症の血液標本



涙型に変形した赤血球や巨大化した血小板がみられます

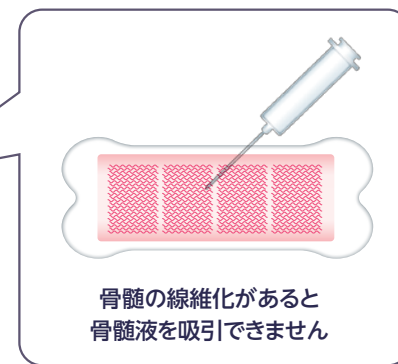
提供：小松則夫 先生

#### 骨髄検査

骨髄線維症の診断には大変重要な検査で、骨髄に注射針を刺して造血幹細胞を含む骨髄液を吸引し、顕微鏡で血液細胞に成長する過程にある若い細胞の成熟度や異常の有無を確認します。

骨髄線維症では、骨髄が線維化して固くなり、骨髄液が吸引できないことがほとんどです（ドライタップ）。その場合には、骨髄の組織を採取して、顕微鏡で線維化の状態、特定の細胞の増殖や変形の有無を確認します。

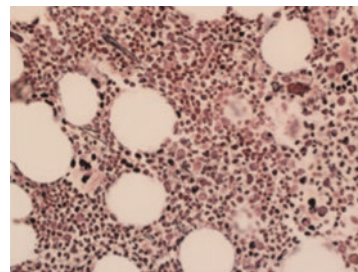
#### ●骨髄液の吸引方法



骨髄の線維化があると骨髄液を吸引できません

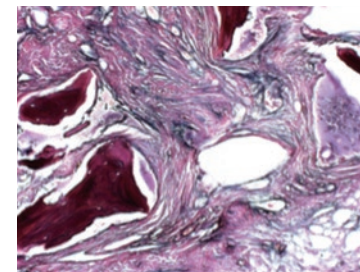
#### ●骨髄組織像（<sup>とぎん</sup>鍍銀染色）

正常



提供：小松則夫 先生

骨髄線維症



提供：小松則夫 先生

線維が黒く染まっているのがみられます

## 画像検査

こつずいせんいししょう

骨髄線維症の診断や進行度の評価を目的に行われます。

骨髄の線維化が進むと、骨髄の代わりに造血を行う脾臓や肝臓が腫れて大きくなるため、腹部の画像検査（エコー、CT、MRI）で確認します。

また、全身のどの部位の骨髄で造血されているか、骨髄以外で造血されているかを確認する検査（骨髄シンチグラム、PET）が行われる場合もあります。

### ●腹部CT画像

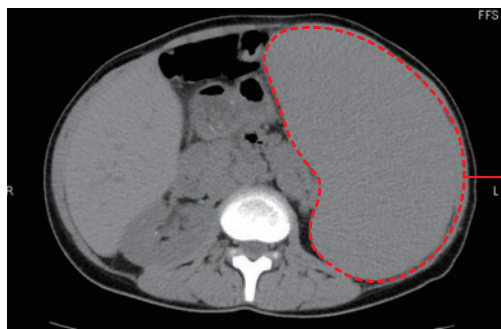
正 常



脾臓

提供：小松則夫 先生

骨髄線維症



脾臓

提供：小松則夫 先生

脾臓が腫れて大きくなっている（腫大）のがみられます

## 遺伝子検査

骨髄線維症の診断では、採取した血液を用いて遺伝子検査が行われる場合があります。骨髄線維症の患者さんの約50%で、<sup>ジャックツウ</sup>JAK2という遺伝子に異常が認められていますので、JAK2遺伝子に異常があるかを調べます。

また、患者さんの20～30%にカルレティキュリン(CALR)遺伝子変異、数%にMPN遺伝子変異を認めます。約10%の患者さんでは、いずれの異常も認めません。





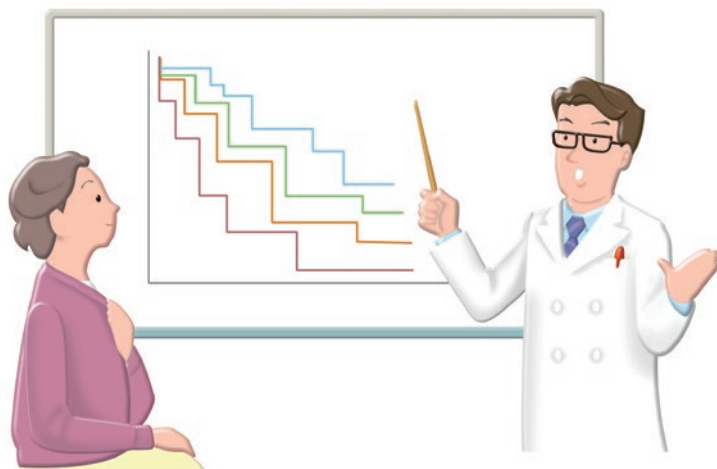
# Ⅲ 骨髄線維症の予後

## 予後の予測

こつぜいせんいしょう  
骨髄線維症の治療を考える際は、検査結果などから「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で予後を予測するには、まず次のページのように、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、P18の表より予後を予測します。



### ●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/ $\mu$ 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      |
|------------|-----------|-----------|-----------|-----------|
| <b>点数A</b> | <b>0点</b> | <b>1点</b> | <b>2点</b> | <b>3点</b> |

| 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        |
|------------|-----------|-----------|-----------|-----------|
| <b>点数B</b> | <b>0点</b> | <b>1点</b> | <b>2点</b> | <b>3点</b> |

**点数A**と**点数B**を計算して**合計C**をだし、次のページの表より予後を予測します。

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

Gangat N et al. J Clin Oncol 2011; 29: 392-397. より作成

●表：DIPSS-plusによる予後予測

| 合計C<br>(点数A + 点数B) | 0点           | 1点          | 2~3点         | 4~6点 |
|--------------------|--------------|-------------|--------------|------|
| 予後<br>(病気の経過)      | 良い ←————→ 悪い |             |              |      |
|                    | 低リスク         | 中間-I<br>リスク | 中間-II<br>リスク | 高リスク |
| 生存期間<br>(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

※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、治療法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。

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「**低リスク・中間-I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。貧血やだるさ、お腹の不快感などがある場合は、それぞれの症状を緩和する治療を行います。

「**中間-IIリスク・高リスク**」に該当する場合は、まず<sup>ぞうけつかんさいぼう</sup>造血幹細胞移植を検討します。造血幹細胞移植が行えない場合は、<sup>ジャック</sup>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。

他の病気が原因で骨髄の線維化が誘発される二次性骨髄線維症<sup>こつずいせんいしやう</sup>(P7参照)では、年齢や症状、血液細胞の量などを予後因子としたMYSEC-PM予後モデルも使われています。

●MYSEC-PMの予後因子

| 予後因子  | 点数        |
|---|-----------|
| 年齢*1  | 0.15/year |
| 症状(体重減少、発熱、寝汗)                                | 1点        |
| 血小板数(PLT)が $15 \times 10^4/\mu\text{L}$ 未満である | 1点        |
| ヘモグロビン値(Hb)が11g/dL未満である                       | 2点        |
| 末梢赤芽球(Blast)が3%以上である                          | 2点        |
| CALR遺伝子変異*2がない                                | 2点        |

※1 年齢のスコアは、年齢に0.15を掛けた数字になります。

例：60歳の場合  $60 \times 0.15 = 9$ 点

※2 カルレティキュリン(CALR)遺伝子変異は、原発性骨髄線維症でみられる遺伝子変異のひとつです。

予後因子の該当する項目の点数を合計し、下の表より予後を予測します。

合計  点

●表：MYSEC-PMによる予後予測

| スコア合計         | 11点未満        | 11点以上<br>14点未満 | 14点以上<br>16点未満 | 16点以上 |
|---------------|--------------|----------------|----------------|-------|
| 予後<br>(病気の経過) | 良い ←————→ 悪い |                |                |       |
|               | 低リスク         | 中間-I<br>リスク    | 中間-II<br>リスク   | 高リスク  |

Passamonti F, et al. Leukemia. 2017; 31: 2726-2731. より作成

## Ⅳ 骨髄線維症の治療

### 治療の目標

こつぜいせんいしょう  
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

症状

予後予測

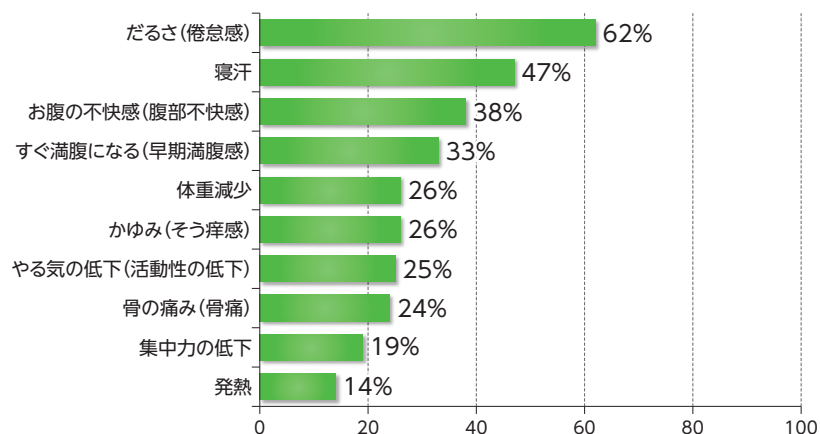


## コラム

### 患者さん自身でも症状を評価して伝えることの重要性

約半数の患者さんが自分のだるさ(倦怠感<sup>けんたいかん</sup>)・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。食欲の低下など日々の変化は、病状を確認する上でとても重要です。

### 特徴的な10項目の症状が骨髄線維症によって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。

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確認し、主治医に伝えることが大切です。

# 骨髄線維症による特徴的な10症状とは？

これらの症状を、年齢や体調のせいだと思っていませんか？

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)

- お腹が張った感じ
- 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(簡易版)

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  
 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  
 「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

ましよう。  
 してください。  
 た」「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 <b>80%</b><br><br><b>だるさ(倦怠感)</b><br>例えば<br>●少し動くと、すぐに休みたくなる<br>●疲れやすいと感じる     | すごくある<br>ある<br>ない |          |
| 発現率 <b>53%</b><br><br><b>お腹の不快感(腹部不快感)</b><br>例えば<br>●お腹が張った感じ<br>●お腹が押さえられるような感じ  | すごくある<br>ある<br>ない |          |
| 発現率 <b>51%</b><br><br><b>寝汗</b><br>例えば<br>●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<br>ある<br>ない |          |
| 発現率 <b>40%</b><br><br><b>かゆみ(そう痒感)</b><br>例えば<br>●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<br>ある<br>ない |          |
| 発現率 <b>40%</b><br><br><b>骨の痛み(骨痛)</b><br>例えば<br>●骨痛のため就寝中に目が覚める<br>●安静にしていても骨が痛い | すごくある<br>ある<br>ない |          |

| 特徴的な10症状  |                         | ○をしてください |
|---|-------------------------|----------|
| 発現率 <b>37%</b><br><br><b>すぐ満腹になる(早期満腹感)</b><br>例えば<br>●食事の量が前より減少している<br>●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<br>ある<br>ない       |          |
| 発現率 <b>31%</b><br><br><b>やる気の低下(活動性の低下)</b><br>例えば<br>●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<br>ある<br>ない       |          |
| 発現率 <b>29%</b><br><br><b>集中力の低下</b><br>例えば<br>●集中して本や新聞を読むことができない                                | すごくある<br>ある<br>ない       |          |
| 発現率 <b>28%</b><br><br><b>体重減少</b><br>例えば<br>●体重が減った<br>●洋服のサイズが合わなくなった                         | すごく減った<br>減った<br>減っていない |          |
| 発現率 <b>14%</b><br><br><b>発熱</b><br>例えば<br>●体が熱っぽい<br>●熱がある感じがする                                | すごくある<br>ある<br>ない       |          |

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

この「症状チェックシート」で、気になる症状や困っている症状がある場合は、TSS]を付けてみましょう。

次のページの「骨髄増殖性腫瘍 症状評価フォーム総症状スコアMPN-SAF

# 骨髄増殖性腫瘍 症状評価フォーム（詳細版）

こつずいせんいしやう  
「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。



治療の前後でスコアがどう変わったかを記録し、主治医に伝えるようにしましょう。  
症状の変化について主治医と情報共有することは、より良い治療を受ける  
上で重要です。

- 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。

これらの内容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・二次元コードは裏表紙をご参照  
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\***
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                       |                          |                          |                          |                          |                          |                          |                          |                          |                          | これ以上考えられないほどのだるさ         |                          |                          |                          |                          |                          |                          |                          |                          |                          |                          |                          |
|-------------------------------|--------------------------|--------------------------|--------------------------|--------------------------|--------------------------|--------------------------|--------------------------|--------------------------|--------------------------|--------------------------|--------------------------|--------------------------|--------------------------|--------------------------|--------------------------|--------------------------|--------------------------|--------------------------|--------------------------|--------------------------|--------------------------|--------------------------|
|                               | 0                        | 1                        | 2                        | 3                        | 4                        | 5                        | 6                        | 7                        | 8                        | 9                        | 10                       | 0                        | 1                        | 2                        | 3                        | 4                        | 5                        | 6                        | 7                        | 8                        | 9                        | 10                       |
| 24時間内に感じた最も強いだるさ<br>(倦怠感、疲労感) | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <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                       |                          |                          |                          |                          |                          |                          |                          |                          |                          | 最悪の状態                    |                          |                          |                          |                          |                          |                          |                          |                          |                          |                          |                          |
|----------------------------|--------------------------|--------------------------|--------------------------|--------------------------|--------------------------|--------------------------|--------------------------|--------------------------|--------------------------|--------------------------|--------------------------|--------------------------|--------------------------|--------------------------|--------------------------|--------------------------|--------------------------|--------------------------|--------------------------|--------------------------|--------------------------|--------------------------|
|                            | 0                        | 1                        | 2                        | 3                        | 4                        | 5                        | 6                        | 7                        | 8                        | 9                        | 10                       | 0                        | 1                        | 2                        | 3                        | 4                        | 5                        | 6                        | 7                        | 8                        | 9                        | 10                       |
| 食事の際、すぐに満腹感を感じる<br>(早期満腹感) | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> |
| 腹部不快感                      | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> |
| 無気力                        | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> |
| 集中力に関する悩み<br>(発病前と比較して)    | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> |
| 寝汗                         | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> |
| かゆみ<br>(激しいかゆみ)            | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> |
| 骨の痛み<br>(関節痛や関節炎以外の広範な痛み)  | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> |
| 過去6か月にわたる<br>意図しない体重減少     | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> |
|                            | なし                       |                          |                          |                          |                          |                          |                          |                          |                          |                          | 毎日                       |                          |                          |                          |                          |                          |                          |                          |                          |                          |                          |                          |
| 37.8℃以上の発熱                 | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> |

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: 宮崎大学医学部 内科学講座 血液・糖尿病・内分泌内科学分野 下田 和哉 先生

26

27

## 治療の方法

こつずいせんいしょう

骨髄線維症の治療では「症状を緩和しQOL(生活の質)を保つこと」「病気の進行を抑え予後(病気の経過)を改善すること」が大事な目標となります。

治療法には、薬物療法、造血幹細胞移植、輸血療法などがあります。

### 薬物療法

ジャック

#### ● JAK阻害剤(内服薬)

ぞうけつ

造血をコントロールしている酵素「JAK」

ぶんしひょうてき

を標的とする分子標的治療薬です。

ジャックツ

JAK2などの遺伝子異常により生じた

ぞうけつかんさいぼう

造血幹細胞内の誤った信号伝達(シグナル伝達\*)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、生存期間の延長(予後の改善)も報告されています。

※細胞の外からの刺激(シグナル)を細胞内に伝えること。

#### ● JAK/ACVR1阻害剤(内服薬)

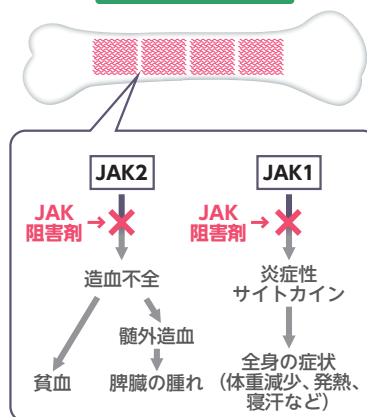
JAKのシグナル伝達と、骨髄線維症に伴う貧血にかかわるタンパク質であるアクチビンA受容体1型(ACVR1)のシグナル伝達を抑えます。

脾臓の腫れを小さくしたり、血液中の鉄分を増やし、造血を促します。

#### ● 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(血液をつくる能力)を高める効果もあります。

線維化した骨髄



### 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いう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することもあります。

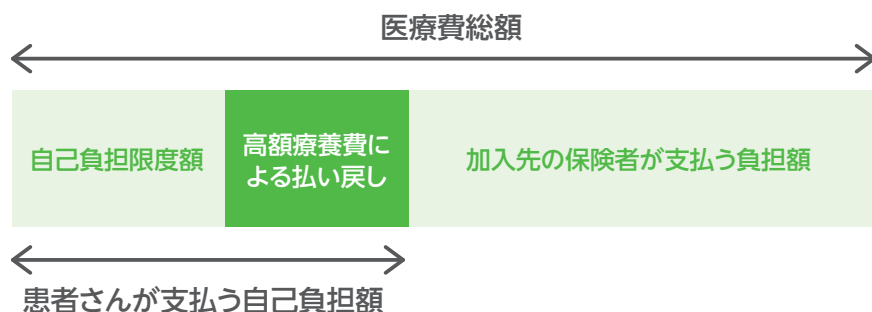
### 脾臓の摘出手術

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、腫れて大きくなった脾臓を手術で摘出することもあります(摘脾)。

## 参考 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、こうがくりょうようひ「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

## 参考 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にお問い合わせみましょう



### 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(2024年12月現在)。

お住まいの都道府県の窓口にお問い合わせみましょう



### 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にお問い合わせみましょう

