

骨髄線維症における治療の最適化： 貧血と血小板減少への対応

免責事項

- 未承認製品または承認済み製品の未承認適応の使用に関しては、当該専門医によって検討される可能性があります。これらの使用状況に関しては、1ヵ所または複数の管轄区域での承認ステータスを反映するものと考えられます
- 発表する専門医は、適応外または未承認適応の使用に言及する場合、それを開示するようtouchIMEから指示を受けています
- touchIMEの活動において、未承認製品または未承認適応の使用に言及することは、それらを推奨するものではなく、そのような意図も含まれていません
- touchIMEは、誤字脱字について一切の責任を負いません

専門家パネル



Haifa Kathrin Al-Ali博士

University Hospital of Halle
ドイツ、ハレ



Jean-Jacques Kiladjian博士

Université Paris Citéおよび
Saint-Louis Hospital、
フランス、パリ



Alessandro Vannucchi博士

University of Florence
イタリア、フィレンツェ

議題

骨髄線維症および貧血・血小板減少症の負担

骨髄線維症および貧血・血小板減少症に対する標的治療戦略

骨髄線維症患者に最大限の利益をもたらす

骨髓線維症および貧血・血小板減少症の負担

MFの臨床症状は患者ごとに異なる

全身性または体質性、例えば、
疲労、寝汗、体重減少^{1,2}

貧血 (Hb < 10 g/dL) ^{1,3}

- 診断時の割合：35–38%
- 多因子性の病因で、主に赤血球造血の不全が原因である
- 進行期疾患の指標および、骨髄線維症の特徴
- 疲労、QoLおよび日常生活機能の低下を伴う
- **貧血は生存の予後不良因子である**

脾腫・肝腫^{4,5}

髄外造血⁴

血小板減少症 (PC < 100 x 10⁹/L) ^{6,7}

- 診断時の割合：16–26%
- 非効率的造血、脾臓隔離、治療に関連した影響など複数の原因がある
- 治療方針の決定に大きな影響を与える
- **予後不良との関連 (OSおよびLFS)**

出血性¹

骨髄減少症はMF患者の生存率に悪影響を及ぼす^{3,6}

Hb：ヘモグロビン；LFS：無白血病生存期間；MF：骨髄線維症；OS：全生存期間；PC：血小板数；QoL：生活の質

1. Passamonti F, et al. *Crit Rev Oncol Hematol*. 2022;180:103862; 2. Yoon J, Pettit K. *Expert Rev Hematol*. 2021;14:607–19; 3. Al-Ali HK, et al. *Cancers (Basel)*. 2024;16:4064;

4. Koschmieder S, et al. *Leukemia*. 2024;38:1831–8; 5. Barraco D, et al. *Blood Cancer J*. 2017;7:e557; 6. Sastow D, et al. *Clin Lymphoma Myeloma Leuk*. 2022;22:e507–20;

7. Kuykendall A, et al. *Cancer*. 2022;128:3495–501.

骨髓線維症および貧血・血小板減少症に対する 標的治療戦略

治療によりMFにおける輸血依存を緩和することができる¹



ESA

骨髄線維症に関連する貧血の治療として、赤血球系シグナルを活性化し、赤血球造血を促進する¹



アンドロゲン

貧血を緩和し、血小板数を改善するエビデンスを示す赤血球増加促進作用^{1,2}



ステロイド

骨髄線維症の病因に関連する炎症刺激を抑制し、骨髄線維症に伴う貧血を治療する¹



免疫調節薬

貧血や血小板減少症を改善する赤血球造血促進作用など、多面的作用^{1,2}



脾臓摘出

脾腫およびそれに伴う赤血球・血小板破壊に対処するための脾臓摘出^{1,2}



JAK阻害剤*

JAK-STATシグナルを抑制することで、症状負担と脾臓の大きさが減少し、生存率が改善する^{3,4}

AHSTはMF患者に対する唯一の根治的治療法である³

*JAK阻害剤は骨髄線維症に対して唯一承認されている薬理的治療法である。⁵

AHST：同種造血幹細胞移植；ESA：赤血球造血刺激因子；JAK：ヤヌスキナーゼ；MF：骨髄線維症；RBC：赤血球；STAT：シグナル伝達因子および転写活性化因子 1. Passamonti F, et al. *Crit Rev Oncol Hematol*. 2022;180:103862; 2. Sastow D, et al. *Clin Lymphoma Myeloma Leuk*. 2022;22:e507-20; 3. Thaw K, et al. *Curr Hematol Malig Rep*. 2024 ;19:264-75; 4. Bose P, Verstovsek S. *Hemasphere*. 2020;4:e424; 5. Tremblay D, Mascarenhas J. *Cells*. 2021;10:1034.

MF患者の治療は依然として難しい³



ESA

奏効率は16～85%と幅があり予測不可能であり、最終的に患者は治療抵抗性となる¹



アンドロゲン

治療の忍容性は高いが、奏効率には限界があり、一部の患者では治療が禁忌である¹



ステロイド

全身治療には、高血糖、クッシング様変化、感染性合併症などの副作用が伴う¹



免疫調節薬

好中球減少症、血小板減少症、神経障害、骨髄抑制など複数の副作用を伴う¹



脾臓摘出

重大な合併症リスクを伴い、一般的に最後の手段と考えられる^{1,2}



JAK阻害剤*

細胞減少症患者における効果は限られているものもある。奏効の持続性と治療抵抗性は依然として問題である³

AHSCTに伴う罹患率と死亡率のリスクは高い³

*JAK阻害剤は骨髄線維症に対して唯一承認されている薬理学的治療法である。⁴

AHSCT：同種造血幹細胞移植；ESA：赤血球造血刺激因子；JAK：ヤヌスキナーゼ；MF：骨髄線維症

1. Passamonti F, et al. *Crit Rev Oncol Hematol.* 2022;180:103862; 2. Sastow D, et al. *Clin Lymphoma Myeloma Leuk.* 2022;22:e507-20;

3. Thaw K, et al. *Curr Hematol Malig Rep.* 2024 ;19:264-75; 4. Tremblay D, Mascarenhas J. *Cells.* 2021;10:1034.

骨髄線維症患者に最大限の利益をもたらす

MFの標的治療法を検討する際には、複数の要因を評価する必要がある

貧血・血小板減少症を含む
併存疾患^{1,2}



治療を開始する時期³



考えられる治療の副作用¹



治療変更が必要となる可能性
のある臨床的特徴³



患者の洞察と積極的な治療への
関与³



臨床試験への登録を検討すべき
タイミング^{1,2}



予後の評価⁴



MF：骨髄線維症

1. Knight EA, et al. *J Adv Pract Oncol.* 2015;6:532–50; 2. Asher S, et al. *Blood Rev.* 2020;42:100715; 3. Koschmieder S, et al. *Leukemia.* 2024;38:1831–8; 4. Mora B, et al. *Curr Hematol Malig Rep.* 2024;19:223–35.