

## 特発性造血障害疾患の「診療の参照ガイド」(令和4年度改訂版)

### 序文

難治性疾患政策研究事業「特発性造血障害に関する調査研究」班は40年以上の歴史を有する研究班であるが、当該分野の第一人者を分担研究者・研究協力者に迎えて、現在では、再生不良性貧血、赤芽球癆、溶血性貧血(自己免疫性溶血性貧血、発作性夜間ヘモグロビン尿症)、骨髄異形成症候群、骨髄線維症、小児造血不全性疾患、及び、ランゲルハンス細胞組織球症を中心とした研究活動を行なっている。平成23年度以降は各領域で、患者の実態調査、客観的指標に基づく診断基準、重症度分類の確立・改定、医療水準の向上を目指した研究活動に焦点を当てている。その成果の集大成として、3年に1回各領域の「診療の参照ガイド」の改定を行なっている。

今回の令和4年度改訂は、三谷班(平成29年度～令和4年度)における2回目の改定に当たる。従来の診療の参照ガイドは、テキスト形式の記載になっており、本研究班の膨大な歴史的成果と内外の学術的進歩を基礎として、教科書を凌駕する内容となっていた。今回の改定の新しい試みとして、指定難病に該当する各疾患(再生不良性貧血(告示番号60)、自己免疫性溶血性貧血(告示番号61)、発作性夜間ヘモグロビン尿症(告示番号62)、赤芽球癆(告示番号283))に関しては、従来の教科書的記載に加えてCQとその回答を記載した。CQは、各領域の専門家を中心にCQ評価委員会を設けて、議論の上で決定した。その結果、Mindsにかなり準拠した診療の参照ガイドになっている。本改訂版も日本血液学会 診療委員会にご協力を頂き、査読を受けている。日本血液学会のご協力に深謝したい。また、各領域の責任者とワーキンググループの先生方の多大なるご尽力に心より感謝している。

「診療の参照ガイド」は、時代毎に最新の知見を提供することにより、臨床の現場で治療選択の参考にして頂くことを意図している。しかしながら、疾患によっては、科学的エビデンスを基礎にした治療のフローチャートが必ずしも示されているものではなく、最終的な選択は現場の医師に委ねられている。学問は弛まず進歩し続けるものであり、新薬の開発・承認状況もまた然りである。従って、「診療の参照ガイド」はその時点での個々の最善の治療法を提示出来ないこともありうるが、造血不全疾患診療の現時点での最高の到達点であるとお考え頂ければ幸いである。

また、本年度は、「骨髄異形成症候群の形態学的異形成に基づく診断確度区分の改定(第2版)」と「AA/MDS境界例と低リスクMDS症例における自己免疫病態・免疫抑制療法の位置づけの提言」の作成も行われた。前者は10年ぶりの改定であり、埼玉医大の松田 晃教授にご担当を頂いた。骨髄異形成症候群の分類の変遷に鑑み、今回はWHO分類改定第4版に合わせた改定を行って頂いた。遺伝子診断が進んだ今日においても骨髄異形成症候群の診断の基本は形態異常の判定にある。本アトラスには前版を担当された朝長万左男先生のご好意により、形態写真の一部を引き継がせて頂いた。その結果、本改訂版アトラスをご参照頂ければ、骨髄異形成症候群の形態診断の基礎が網羅できる形式になっている。一方、後者は北里大学の鈴木隆浩先生のご

尽力の結果である。確かに、骨髄異形成症候群は形態異常によって確定診断がなされる疾患ではあるが、低リスクの一部の症例は、再生不良性貧血と同様の免疫病態を伴っており、免疫抑制療法が有効である。低リスク骨髄異形成症候群を診断した際には、この点にも留意することが必須であり、貴重な提言となっている。

令和4年度は三谷班の総括として、「R4 診療の参照ガイド改訂版」、「骨髄異形成症候群の形態学的異形成に基づく診断確度区分(第2版)」、「AA/MDS 境界例と低リスク MDS 症例における自己免疫病態・免疫抑制療法の位置づけ」を公表できることになった。これらが診療の現場で広く活用され、特発性造血障害疾患の診療が次のステージに向かうことを期待している。

令和5年5月12日

特発性造血障害に関する調査研究班(平成29～令和4年度)

研究代表者 三谷 絹子