

厚生労働科学研究費補助金（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」  
分担研究報告書

低リスク群 MDS の治療法に関する全国調査

分担研究者 黒川 峰夫 東京大学医学部附属病院・教授

## 研究要旨

- 1) 低リスク群 MDS の治療方法は様々あり、治療方法の選択や予後について現状把握の為、アンケートによる全国調査を実施する。
- 2) 前班から継続し解析していた家族性 MDS・AML の全国調査について 41 家系を同定、20 家系 31 症例を解析し論文発表を行なった。

### A. 研究目的

2012 年に MDS の予後予測指標として、改訂国際予後予測指標(IPSS-R)が提唱された。IPSS-R は、それ以前に使用された IPSS に更に染色体異常を細分化した指標で、治療選択に重要な指標として用いられ始めているが、現在も IPSS に基づく治療選択も行われている。MDS の低リスク群はサイトカイン製剤、メチル化阻害剤、輸血、鉄キレート療法、5q-症候群に対するレナリドミドなど様々な治療選択がある群である。本研究では低リスク群と IPSS-R 中間型リスク群の MDS において、臨床像・現在の治療選択の実情・予後を把握することによって、より適正化された治療選択を目指すことを目的とする。

### B. 研究方法

低リスク群 MDS の治療方法の選択や予後について現状把握のために、アンケートによる全国調査実施を計画する。一次調査では日本血液学会研修施設を対象に各施設の症例数についてアンケート調査を施行する。倫理委員会承認後に行う二次調査では後方視的に各 MDS 症例に対し、IPSS, IPSS-R によるリスク分類を行ない、輸血依存の有無、血清 LDH、PNH 型血球の有無や治療選択、予後（全生存、AML への進展率）との関係を調べる。

#### （倫理面への配慮）

介入を伴わない疫学的な研究に該当する。予備調査として施行した単施設における後方視解析については東京大学医学部附属病院倫理委員会の承

認を得ている。

一次調査については症例数のみの調査であり、今後行う二次調査について倫理委員会申請中である。

### C. 研究結果

平成 29 年度は単施設における予備調査として、2012 年 1 月～2017 年 3 月までに MDS と診断された 79 症例に対して、治療選択・全生存率、AML への進展率を解析した。予備調査結果に基づき、全国アンケート調査を計画した。平成 30 年度・令和元年度は日本血液学会研修施設（497 施設）に一次調査（全国調査）を施行し、72 施設から回答を得た。66 施設で合計 4453 症例が MDS と診断されており、そのうち IPSS-R が判明している 2793 症例のリスク別の症例数分布は very low 222 例 (7.9%) / low 882 例 (31.6%) / intermediate 626 例 (22.4%) / high 457 例 (16.4%) / very high 568 例 (20.3%) / 判定不能 38 例 (1.4%) であった。

### D. 考察

予備調査では少数例の解析であり、低リスク MDS における最適化された治療選択を行う為、多施設の現状を把握することが望ましい。一次調査では 72 施設と多施設から回答が得られており、今後二次調査により、多数の低リスク MDS 症例を対象とした調査解析をすることにより、現在の日本の低リスク MDS の治療選択・予後が判明することが期待される。これにより低リスク MDS に対する治療の標準化・均てん化が期待される。

## E. 結論

全国調査により MDS のリスク別の症例数分布が明らかとなった。上記結果に基づき二次調査を実施中である。

## F. 健康危険情報

なし

## G. 研究発表

### 1. 論文発表

Takaoka K, Koya J, Yoshimi A, Toya T, Kobayashi T, Nannya Y, Nakazaki K, Arai S, Ueno H, Usuki K, Yamashita T, Imanishi D, Sato S, Suzuki K, Harada H, Manabe A, Hayashi Y, Miyazaki Y, Kurokawa M: Nationwide epidemiological survey of familial myelodysplastic syndromes/acute myeloid leukemia in Japan: a multicenter retrospective study. *Leukemia Lymphoma*. 2020. [Epub ahead of print]

### 2. 学会発表

なし

## H. 知的財産権の出願・登録状況(予定を含む)

### 1. 特許取得

なし

### 2. 実用新案登録

なし

### 3. その他

