

厚生労働科学研究費補助金（難治性疾患等政策研究事業）  
分担研究報告書

課題名

特発性好酸球増加症候群の診療ガイドライン作成に向けた疫学研究

研究分担者：真部 淳（北海道大学・教授）

研究要旨

全身性肥満細胞症（SM）は稀な疾患であり、本邦における診療実態の解明には多施設における患者情報の集積が必要である。今研究班では全国的な疫学調査を行い、診療ガイドライン作成に向けた臨床情報の収集を行っている。

A. 研究目的

全身性肥満細胞症と診断される症例を全国的に収集し、その臨床像の解析・分類を行うことで本邦における診療実態を明らかにすることを目的とする。

B. 研究方法

全国の主要な医療施設の血液内科、皮膚科、小児科を対象とした質問票形式による調査(一次調査)を行う。該当症例が存在する施設に対してはさらに詳細な臨床情報収集のための調査(二次調査)および検体の提供を依頼する。当施設において全身性肥満細胞症の患者の臨床情報が得られた場合には、疫学調査に協力する。

(倫理面への配慮)

現在のところ、特発性好酸球増加症候群疑い患者の来院実績がないため、倫理面の問題は存在しない。

C. 研究結果

研究代表者と協力し、一時調査を進めている。

現在のところ、当施設には特発性好酸球増加症候群疑い患者の来院実績はない。

D. 考察

全身性肥満細胞症は極めて稀な疾患であり、診断基準や分類についても未だ発展途上である点が診療を難しくしている。今後、本研究班で臨床情報の集積を行うことで、明確で簡便な診断基準を含んだ診療ガイドラインの作成が望まれる。

E. 結論

研究代表者と協力し、一次調査による情報収集を進めている。当施設への全身性肥満細胞症患者の来院実績はない状態である。引き続き一次調査を進めるとともに、当施設からの症例登録を目指す。

F. 研究発表

1. 論文発表

英文原著

- 1 Honda Y, Muramatsu H, Nanjo Y, Hirabayashi S, Meguro T, Yoshida N, Kakuda H, Ozono S, Wakamatsu M, Moritake H, Yasui M, Sano H, Manabe A, Sakashita K: A retrospective analysis of azacitidine treatment for juvenile myelomonocytic leukemia. Int J Hematol 115:263-268,2022
- 2 Hama A, Hasegawa D, Manabe A, Nozawa K, Narita A, Muramatsu H, Kosaka Y, Kobayashi M, Koh K, Takahashi Y, Watanabe K, Ohara A, Ito M, Kojima S: Prospective validation of the provisional entity of refractory cytopenia of childhood, proposed by the World Health Organization. Br J Haematol 196:1031-1039,2022

- 3 Buchmann S, Schrappe M, Baruchel A, Biondi A, Borowitz M, Campbell M, Cario G, Cazzaniga G, Escherich G, Harrison C, Heyman M, Hunger S, Kiss C, Liu HC, Locatelli F, Loh M, Manabe A, Mann G, Pieters R, Pui CH, Rives S, Schmiegelow K, Silverman L, Stary J, Vora A, Brown P: Remission, treatment failure, and relapse in pediatric ALL: An international consensus of the Ponte-di-Legno Consortium. *Blood* 139:1785-1793,2022
- 4 Attarbaschi A, Moricke A, Harrison CJ, Mann G, Baruchel A, Benoit Y, Conter V, Devidas M, Elitzur S, Escherich G, Hunger S, Horibe K, Manabe A, Loh M, Pieters R, Schmiegelow K, Silverman LB, Stary J, Vora A, Pui CH, Schrappe M, Zimmermann M, on behalf of the Ponte di Legno Childhood Acute Lymphoblastic Leukemia Working Group: Outcome of childhood non-infant acute lymphoblastic leukemia with 11q23/*KMT2A* rearrangements in a modern therapy era – a retrospective international study of 629 patients. *J Clin Oncol* 41:1404-1422, 2023
- 5 Elitzur S, Vora A, Burkhardt B, Inaba H, Attarbaschi A, Baruchel A, Escherich G, Gibson B, Liu HC, Loh M, Moorman A, Moericke A, Pieters R, Uyttebroeck A, Baird S, Bartram J, Barzilai-Birenboim S, Batra S, Ben-Harosh M, Bertrand Y, Buitenkamp T, Caldwell K, Drut R, Geerlinks A, Gilad G, Grainger J, Haouy S, Heaney N, Huang M, Ingham D, Krenova Z, Kuhlen M, Lehrnbecher T, Manabe A, Niggli F, Paris C, Revel-Vilk S, Rohrllich P, Sinno M, Szczepanski T, Tamesberger M, Warriar R, Wolf M, Nirel R, Izrael S, Borkhardt A, Schmiegelow K: EBV-driven lymphoid neoplasms associated with ALL maintenance therapy. *Blood* 141:743-755, 2023
- 6 Ohki K, Butler E, Kiyokawa N, Hirabayashi S, Bergmann A, Moericke A, Boer J, Cave H, Cazzaniga G, Yeoh A, Sanada M, Imamura T, Inaba H, Mullighan C, Loh M, Norén-Nyström U, Shih LY, Zaliouva M, Pui CH, Haas O, Harrison C, Moorman A, Manabe A: Clinical characteristics and outcomes of B-cell precursor ALL with MEF2D rearrangements: A retrospective study by the Ponte di Legno Childhood ALL Working Group. *Leukemia* 37:212-216, 2023
- 7 Sato A, Hatta Y, Imai C, Oshima K, Okamoto Y, Deguchi T, Hashii Y, Fukushima T, Hori T, Kiyokawa N, Kato M, Saito S, Anami K, Sakamoto T, Kosaka Y, Suenobu S, Imamura T, Kada A, Saito AM, Manabe A, Kiyoi H, Matsumura I, Koh K, Watanabe A, Miyazaki Y, Horibe K: Nelarabine, intensive L-asparaginase, and protracted intrathecal therapy on newly diagnosed T-cell acute lymphoblastic leukemia in children and young adults: a nationwide, multicenter, phase II trial including randomization in the very high-risk group. *Lancet Haematol*, in press

#### 英文総説

なし

#### 英文症例報告

- 1 Ueki M, Sakamoto K, Nishioka N, Ohata H, Nobuta T, Takezaki S, Manabe A, Yamada M: Rheumatologic manifestations with elevated levels of IL-6, IL-17, and IL-23 in a patient with scurvy. *Mod Rheumatol Case*

Rep, in press

殖医療（柴原浩章編集、鈴木直企画）、中外  
医学社（東京）、p178-180, 2023

### 和文原著

なし

### 和文症例報告

- 1 長谷河昌孝、長祐子、大久保淳、寺下友佳  
代、杉山未奈子、井口晶裕、河北一誠、荒桃  
子、本多昌平、若林健人、高桑恵美、外木秀  
文、真部淳：ウィリアムズ症候群の男児に発  
症したバーキットリンパ腫。日本小児血液が  
ん学会雑誌 59:292-295, 2022

### 和文総説

- 1 真部淳。非腫瘍性疾患の疫学。日本医師会雑  
誌 151 特別号(1)「血液疾患のすべて」, p28-  
29, 2022

### 和文書籍

- 1 寺下友佳代、真部淳。移行期医療。がん・生

### 国内学会

なし

G. 知的財産権の出願・登録状況（予定を含む。）

1. 特許取得

該当なし

2. 実用新案登録

該当なし

該当なし

2. 学会発表

### 国際学会

- 1 Hatta Y, Sato A, Kada A, Saito A,  
Hayakawa F, Watanabe A, Sakamoto T,  
Miura K, Shimizu Y, Kanda J, Onishi Y,  
Asada N, Okamoto Y, Imai C, Oshima K,  
Koh K, Manabe A, Horibe K, Kiyoi H,  
Matsumura I, Miyazaki Y: Nelarabine and  
Intensified Administration of L-  
asparaginase for Newly Diagnosed T-Cell  
Acute Lymphoblastic Leukemia in  
Adolescents and Young Adults (JPLSG T-  
11/JALSG T-ALL-211-U): An Intergroup  
Phase 2 Study. Blood, American Society of  
Hematology (ASH)(2022.12.10-13, New  
Orleans)

3. その他