

25C1-5

## 慢性骨髄性白血病ガイドライン

多和 昭雄

国立病院機構大阪医療センター小児科

15歳未満の慢性骨髄性白血病（CML）の治癒を目指す標準的治療として確立しているのは造血幹細胞移植（SCT）であるが、近年、イマチニブ（Imatinib mesylate）が臨床に導入されその有効性が成人例で蓄積されており、小児でも今後の使用成績を見守る必要がある。

【慢性期の治療法】（1）慢性期 CML の第一選択の治療薬はイマチニブである（エビデンスレベル：I、勧告グレード：A）。成人例慢性期 CML に対する第一選択の薬剤はイマチニブであることは確立されており、小児 CML でも同様と考えられる。通常成人では 400mg/日の投与量（小児ではそれに相当する 260mg/m<sup>2</sup>）で開始される。投与開始3ヶ月の時点で血液学的寛解が得られない場合はイマチニブを 340 mg/m<sup>2</sup>まで増量し、6ヶ月の時点で血液学的効果を判定する。6ヶ月で血液学的完全寛解（CHR）が得られない場合は早期に SCT を実施する。6ヶ月の時点で Major cytogenetic response（MCR）が得られた場合は投与を継続し、CHR は得られているが MCR が得られない場合はイマチニブを増量し、9ヶ月の時点で再度判定する。9ヶ月で MCR が得られている場合は同量で継続するが、それ以外では速やかに SCT を実施する。イマチニブ継続投与の場合は、3ないし6ヶ月ごとに血液学的効果、細胞遺伝学的効果、分子生物学的効果を調べ、完全寛解から逸脱する徴候が認められた場合は SCT を行う。（2）CML の根治療法として慢性期に SCT を行う（エビデンスレベル：IV、勧告グレード：B）。家族に HLA 完全一致ドナーがいれば診断後1年以内に SCT を行うことが推奨される。家族にドナーがいなかった場合は、骨髄バンクに登録し非血縁ドナー検索を進める。イマチニブ投与開始後3ヶ月で血液学的寛解に達しない、あるいは6ヶ月で MCR が得られない場合は、血縁もしくは非血縁の HLA 一致ドナーがいれば HSCT を1年以内に行うことが推奨される。

【移行期・芽球期（急性期）の治療法】小児例でのまとまった報告はなく、成人例での報告を参考に行う。

分担執筆：本郷輝明

25C1-6

## 骨髄異形成症候群

鶴澤 正仁

愛知医科大学医学部小児科

骨髄異形成症候群（MDS）は1982年に FAB グループにより提案された比較的新しい概念で、1999年には新 WHO 分類が提案され、小児期にのみ存在する JMML が独立疾患として認められた。本ガイドラインでは、不応性貧血（RA）、過剰な芽球を伴う不応性貧血（RAEB）、芽球の割合が20%を超える不応性貧血（RAEBT）、若年性骨髄単球性白血病（JMML）および先天性骨髄不全症候群を伴うものや化学療法後の二次性 MDS に関して述べる。

**RA**：輸血を必要としない症例に対しては早急に治療を開始する必要はない（エビデンスレベル：IV、勧告グレード：B、以下同様）。輸血の必要な症例に対しては HLA 一致血縁者がいれば造血幹細胞移植（SCT）が適応である（IV,B）。ドナーがいなかった場合は免疫抑制療法（IST）を試みる。IST に反応のない症例に対しては HLA 一致血縁者以外のドナーからの移植を考慮する。RA においては AML に対する化学療法（AML 治療）の意義は認められていない。

**RAEB**：まず4週間の観察を行い病型移行の有無を確認する。骨髄における芽球の少ない RAEB は RA に準じた治療を行い、芽球の多い RAEB は RAEBT に対する治療を行う（V,B）。芽球の割合のカットオフは10%である。

**RAEBT**：まず2週間観察を行い病型移行の有無を確認する。FAB 分類における RAEBT は WHO 分類では AML として扱われている。寛解導入治療としては AML 治療を行う（IV,B）。寛解後治療としては SCT が推奨され（IV,B）、前処置レジメンは AML に対するものを用いる。

**JMML**：AML 治療の有効性は証明されていない。白血球数が増加してコントロール困難な症例に対しては 6MP 単剤、あるいは Ara-C との併用療法を試みる。すべての症例で SCT が適応となる（IV,B）。

**先天性の異常を有する MDS**：ダウン症候群にみられる MDS では、巨核芽球が証明されればダウン症候群の AML 治療を行う（IV,B）。Fanconi 貧血に対しては SCT を実施する。fludarabine をベースにした前処置で良好な成績が期待できる。Kostmann 症候群においては SCT の適応であるが、移植成績はきわめて不良である。

**二次性 MDS**：予後は一般に不良であり、SCT の絶対適応である。

分担執筆：真部淳。