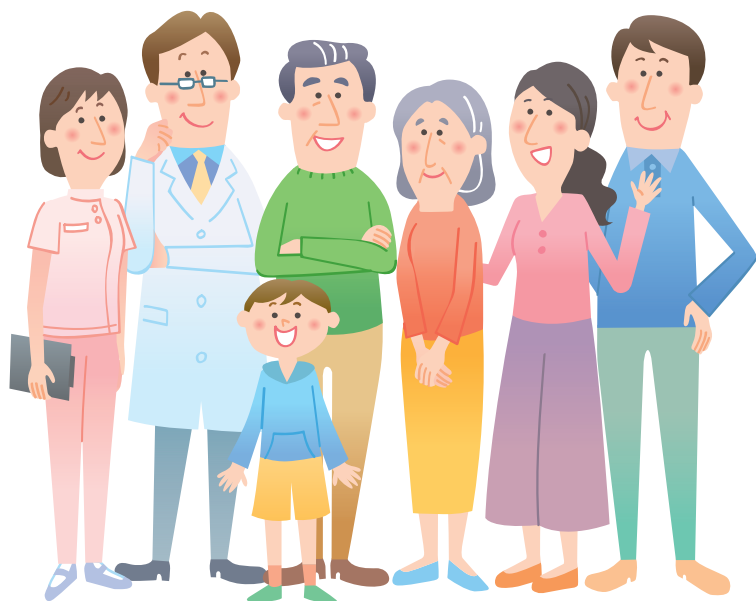


再生不良性貧血

の治療を受ける患者さんと
そのご家族の方へ



監修／埼玉医科大学総合医療センター血液内科
教授 木崎 昌弘 先生

協和キリン株式会社

はじめに

さいせい ふりょうせいひんけつ
再生不良性貧血は血液中の白血球、赤血球、血小板が減少する病気で、国が指定する難病の対象になっています。

再生不良性貧血の治療は、薬物療法や造血幹細胞移植などの治療の進歩によって治療成績が向上し、治療の選択肢も広がっています。

本冊子では病気のこと、治療方法や日常生活で注意することなどをまとめました。
ご一読いただき、治療を受けられる患者さんとご家族のお役にたてれば幸いです。

治療を受けるうえで、わからないことや不安なことがありましたら、医師、看護師や薬剤師にご相談ください。



再生不良性貧血の治療を受ける患者さんと
そのご家族の方へ

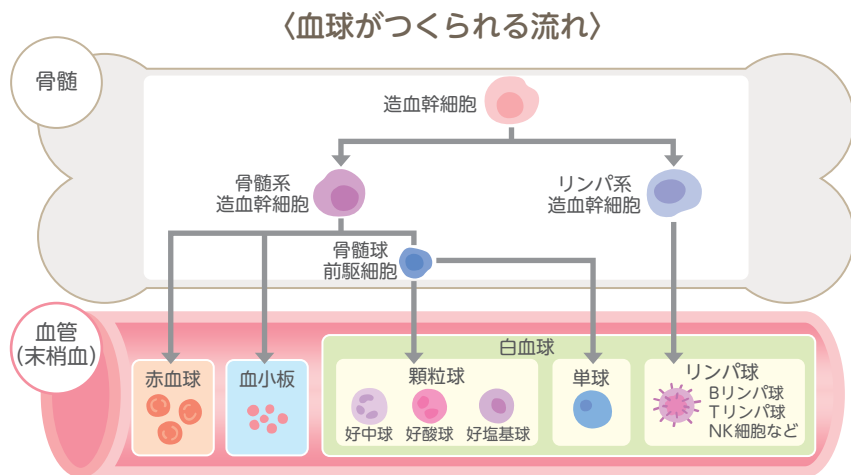
CONTENTS

目次	3
再生不良性貧血ってどんな病気？	4
この病気ではどのような症状がでるの？	5
この病気の原因は？	6
診断基準は？	7
どのような検査をするの？	8
重症度とは？	9
どのような治療法があるの？	10
造血の回復を目指す治療	10
症状の改善を目指す治療	12
日常生活で注意することは？	14
再生不良性貧血の治療を行う上でのサポート	16
再生不良性貧血は 難病法で指定された「指定難病」です	18
指定難病の医療費助成を受けるためには？	18

再生不良性貧血ってどんな病気？

血球（赤血球、白血球、血小板）は骨髄で完成すると血液中に放出されます。健康な人では造血幹細胞*からこれら3種類の血球が絶えずつくり続けられて、壊れた血球分を毎日補っています。再生不良性貧血ではその造血幹細胞が何らかの原因で傷害されるため、これらの血球が減少してしまいます。

*骨髄中にある赤血球、白血球、血小板の元となる細胞



〈血球の種類と働き〉

血球の種類	主な働き
赤血球	肺で取り込んだ酸素を体のすみずみまで運びます。
白血球 (好中球*)	体内に侵入してきた異物（細菌やウイルスなど）を除去し、感染症から守ります。
血小板	出血に際し、血液を固め止血する働きがあります。

*好中球…白血球の一種。末梢血中の白血球の中で最も数が多く、白血球の4～6割を占めます。

日本では、年間約1,000人が発症し、有病率は8.2（/100万人・年）と報告されています[†]。国の定める「指定難病」の一つです。

難病情報センターホームページ（2019年4月現在）から引用

[†]：厚生労働科学研究費補助金 難治性疾患克服研究事業 特異性造血障害に関する調査研究 平成25年度総括・分担研究報告書。臨床調査個人票の解析。2014：249-262

この病気では どのような症状がでるの？

赤血球、好中球、血小板の減少により、さまざまな症状が起こります。

〔赤血球が減少することによる症状〕

貧血によるめまい、頭痛、だるさ、疲れやすい、狭心症のような胸痛、動悸、息切れ、顔面蒼白 など

〔白血球が減少することによる症状〕

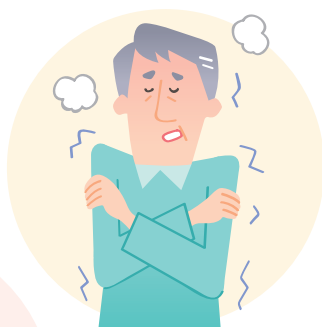
感染症（重症の場合：肺炎、敗血症）による発熱、悪寒 など

〔血小板が減少することによる症状〕

出血しやすくなることで起こる、皮膚の点状出血・紫斑*、歯肉出血、鼻出血 など（血小板減少の程度が強いつきは、眼底出血、脳出血、血尿、下血などがみられる場合があります。）



貧血症状



発熱・悪寒



皮下出血

*紫斑とは、皮膚にできる紫色の皮下出血のことです。紫斑と他の発疹との見分け方は「手で押してあざの色が消えるか」により判断できます。ほとんどの発疹は圧迫によって消失しますが、紫斑は圧迫しても消えません。

この病気の原因は？

● 後天性再生不良性貧血

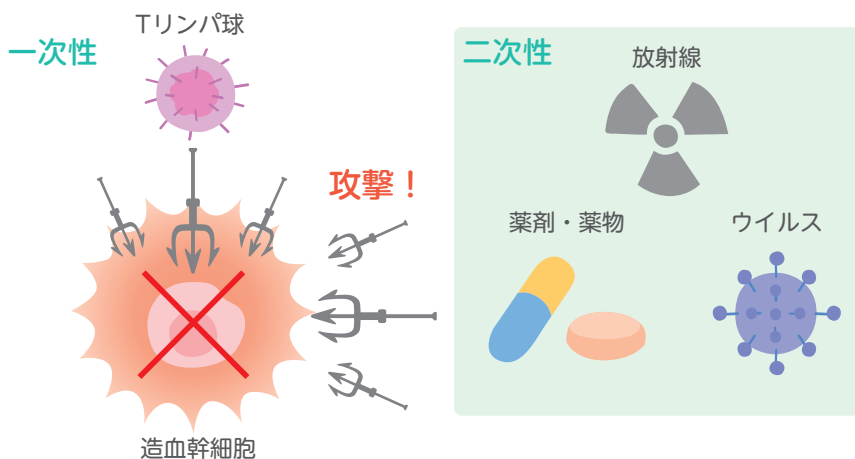
一次性（特発性）：原因不明（大部分の人がこのタイプです）

健康な場合には、白血球（Tリンパ球）は外からの細菌やウイルスなどを攻撃し異物から体を守っています。

再生不良性貧血では、白血球（Tリンパ球）の働きが何らかの原因で異常をきたし、自分自身の造血幹細胞を攻撃して壊してしまうことが原因と考えられています。これを自己免疫反応といいます。この場合、造血幹細胞から血球をつくることができないため、血球が減少すると考えられています。

ただし、すべてが自己免疫反応によるものではなく、一部では、造血幹細胞自体に異常があり、血球が産生されなくなると考えられていますが、明らかな原因はわかりません。

二次性：薬剤、放射線被曝による影響、肝炎に伴う（特殊例）



● 先天性再生不良性貧血

ファンコニ貧血、先天性角化異常症など

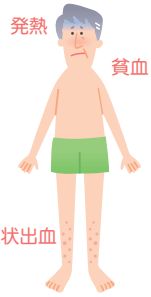
診断基準は？

〈再生不良性貧血の診断基準〉

再生不良性貧血を疑う



①臨床所見
貧血、出血傾向、ときに発熱の症状を認めること



②赤血球、好中球、血小板のうち2種類以上の血球が減少していること

[再生不良性貧血が疑われる血液検査の基準値]

血球の種類	基準値
赤血球（ヘモグロビン濃度）	10.0g/dL 未満
好中球	1,500/ μ L 未満
血小板	100,000/ μ L 未満

他の疾患を除外



③血球減少の原因となる病気が他にないことを確認

診断を確実にするための検査を行う



④臨床的な症状や血液検査、骨髄検査、MRI検査などを行った後、これらの検査結果を総合的に判断し、最終的な診断を行います。

再生不良性貧血と診断



● どのような検査をするの？

再生不良性貧血の検査法には、次のようなものがあります。

〔血液検査〕

赤血球、白血球、血小板の数を調べます。2種類以上の血球が減少しているときに再生不良性貧血を疑い、骨髄検査やMRI検査に進みます。

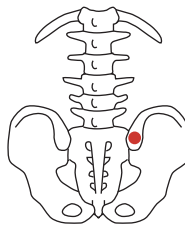


〔骨髄検査〕

骨髄の状態を調べ、他の血球減少を起こす病気でないことを確認します。

骨髄液を採取する「こつずいせんし骨髄穿刺」と骨髄組織を採取する「こつずいせいけん骨髄生検」があります。

採取した骨髄液や骨髄組織を用いて、細胞の数や形態、細胞密度、遺伝子などを調べます。



主な穿刺部位は、
上後腸骨稜、上前腸骨稜
などです。

〔MRI検査〕

MRIにより画像を撮影し、より広範囲での骨髄状態を調べます。



〔その他の検査〕

血液生化学検査、免疫学的検査などの検査を行います。

重症度とは？

再生不良性貧血の重症度は赤血球、白血球、血小板の数と輸血を必要とするかどうかによって分けられます。

ステージ	重症度	基準
1	軽症	下記以外で輸血を必要としない
2	中等症	以下の2項目以上を満たし、 網赤血球[*] 60,000/μL未滿 好中球 1,000/μL未滿 血小板 50,000/μL未滿 a: 赤血球輸血を必要としない b: 赤血球輸血を必要とするが、その頻度は毎月2単位未滿
3	やや重症	以下の2項目以上を満たし、毎月2単位以上の赤血球輸血を必要とする 網赤血球[*] 60,000/μL未滿 好中球 1,000/μL未滿 血小板 50,000/μL未滿
4	重症	以下の2項目以上を満たす 網赤血球[*] 40,000/μL未滿 好中球 500/μL未滿 血小板 20,000/μL未滿
5	最重症	好中球200/μL未滿に加えて、以下の1項目以上を満たす 網赤血球[*] 20,000/μL未滿 血小板 20,000/μL未滿

※:成熟した赤血球になる直前の状態の赤血球

● どのような治療法があるの？

再生不良性貧血の治療には、症状や重症度に応じて以下の治療があります。

- 造血の回復を目指す治療
- 症状の改善を目指す治療（支持療法）

造血の回復を目指す治療

◆免疫抑制療法

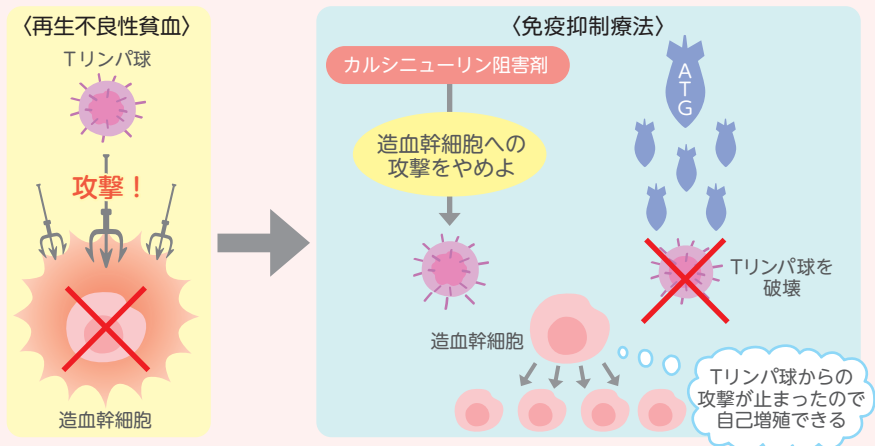
造血幹細胞を攻撃している白血球（Tリンパ球）の働きを抑えて、造血を回復させる治療です。

（免疫抑制療法は、ファンコニ貧血には使用しません）

● カルシニューリン阻害薬

● 抗胸腺細胞免疫グロブリン（ATG）*

※：Tリンパ球を攻撃して破壊する薬です。英語（antithymocyte globulin）の頭文字をとってATGとも呼ばれます。



◆たんぱく同化ステロイド

赤血球を増やす働きと造血幹細胞に直接作用して造血を促す働きがあります。

【参考】荒井 俊也 他 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班 再生不良性貧血診療の参照ガイド 2018年改訂
【参考】臼杵 憲祐.ドクターサロン59巻4月号.2015年「再生不良性貧血の治療方法」

(手術をするわけではなく、
輸血と同じように点滴をするだけです)

◆造血幹細胞移植 (骨髄移植)

病気を引き起こしている造血幹細胞を、移植によって正常な造血幹細胞に置き換える治療です。これにより、血球の回復が期待できます。



造血幹細胞移植は、有用な治療の1つですが、移植前に強力な治療(抗がん剤や放射線による治療)を行うため、患者さんに負担がある治療でもあります。

造血幹細胞移植が第1選択となる患者さん(以下すべてを満たす場合)

- ・重症度ステージ2b以上(輸血が必要な状態)
- ・40歳未満
- ・HLAが一致する同胞ドナー(兄弟姉妹)がいる

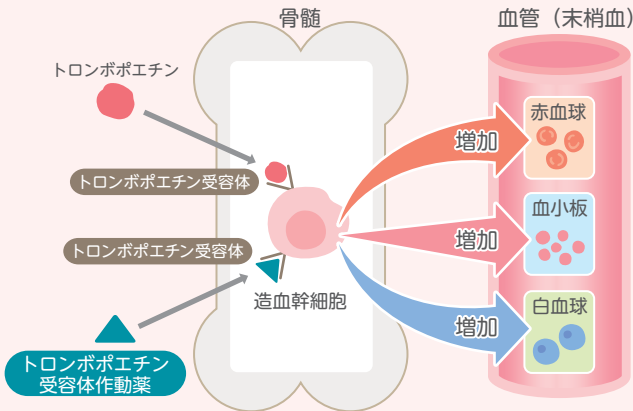
造血幹細胞移植のドナー選択

- ・原則、HLAが一致する同胞ドナー(兄弟姉妹)
- ・免疫抑制療法が無効で、HLAが一致するドナー(兄弟姉妹)がいない場合には、骨髄バンクを介した非血縁ドナーからの移植も検討

◆トロンボポエチン受容体作動薬

造血幹細胞に発現しているトロンボポエチン受容体を刺激して、血液細胞を増やす薬です。

トロンボポエチン(Thrombopoietin; TPO)とは、主に肝臓でつくられ、血球をつくる元である骨髄中の造血幹細胞や巨核球を増やすホルモンの一種です。



● どのような治療法があるの？

症状の改善を目指す治療（支持療法）

支持療法とは、病気を根本的に治療するのではなく、その症状を改善させ、患者さんの生活の質（QOL）を保つために行う治療のことをいいます。

◆ 輸血療法

不足した赤血球や血小板を輸血で補充する治療法です。

● 赤血球の輸血

貧血症状を改善するために、白血球が除去された赤血球製剤を輸血します。ヘモグロビン値を7g/dl以上に保つことが一つの目安になります。

〈鉄キレート療法〉

赤血球輸血に含まれる鉄分が心臓や肝臓に蓄積するために起こる臓器障害（鉄過剰症）を改善するために、経口の除鉄薬を服用することがあります。

● 血小板の輸血

出血症状を改善するために、血小板を輸血します。



◆造血因子:顆粒球コロニー刺激因子 (G-CSF)

白血球が少なくなり、そのために重症の感染症を起こした場合は、顆粒球コロニー刺激因子 (G-CSF) という薬剤を投与し、白血球 (特に好中球) を増やします。



【参考】荒井 俊也 他 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班 再生不良性貧血診療の参照ガイド 2018年改訂
【参考】臼杵 憲祐.ドクターサロン59巻4月号.2015年「再生不良性貧血の治療方法」

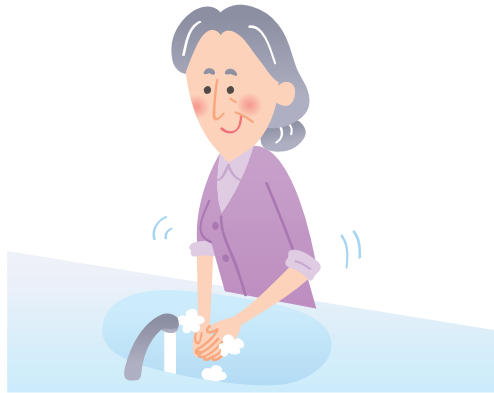
日常生活で注意することは？

規則正しい生活を心がけましょう。

普段からバランスのよい食事と十分な休息をとって体調管理に気をつけましょう。

白血球が減っている場合は、
感染症にかかりやすい状態にあります。

- うがい、手洗いをこまめに行う。
- 口のなかを清潔に保つために、食後、寝る前に歯磨きをする。
- 外出する際は、なるべく人混みを避け、マスクを着用し、特に風邪が流行している時期は注意する。
- 毎日決まった時間に体温をはかるなど、体調の変化に気をつける。



この病気を診察してもらっている医師以外（他科の医師）の診察を受

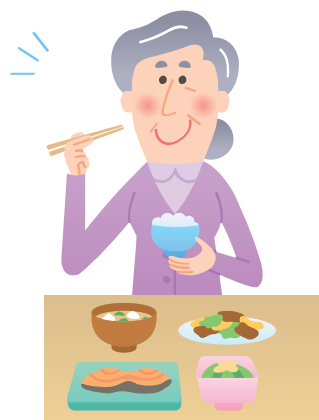
**血小板が減っている場合は、出血しやすい、
または出血が止まりにくくなります。**

- 激しい運動は控えて、転倒、打撲やけがに注意する。
- 歯磨きは柔らかいブラシを使用し、歯ぐきを傷つけないようにする。
- 身に覚えのないあざや鼻出血などがみられた場合には、すぐに医師に連絡してください。



**赤血球が減っている場合は、
貧血症状を感じることがあります。**

- 疲れやすい場合は、十分な栄養と休養をとる。
- たんぱく質を多く含む食事をとる。
- 急に立ったり、起き上がるとめまいを起こす場合があるので、動く時はゆっくりと動き始める。



ける場合は、必ずその医師に再生不良性貧血であることを伝えましょう。

再生不良性貧血の 治療を行う上でのサポート

◆医療スタッフとのコミュニケーション

再生不良性貧血の治療を行う上で、さまざまな医療スタッフがサポートしています。

主治医、看護師、薬剤師

再生不良性貧血の治療は、血液の病気の専門医師が治療を行います。また、看護師や薬剤師は、医療面で患者さんをサポートします。

副作用に関わる診療科との連携

治療によっては、さまざまな副作用があらわれることがあります。気になる症状があらわれた場合に、最初に相談するのは主治医ですが、主治医から副作用に関わる診療科に紹介してもらうことができます。

臨床心理士

患者さんが抱えている不安なこと、医療関係者とのコミュニケーションの方法など、精神面で患者さんをサポートします。

ソーシャルワーカー

医療費の支払いや、今後の生活費など経済的なこと、社会保険制度など、福祉面で患者さんをサポートします。

◆患者さん同士、そのご家族とのコミュニケーション

同じ病気に向き合っている患者さんとの交流は、これから治療を行っていく上で大きな励みになります。

再生つばさの会ホームページ

<http://www.iplus.jp/~tsubasa/>

事務局 TEL:0467-32-0886

再生つばさの会は、再生不良性貧血の患者さんとその家族が構成する患者団体です。病気の苦しみと不安をなくすために、会員同士が互いに連絡しあい、励まし助け合い、病気に対する認識の向上と、治療方法の情報交換を行っていくことを目的としています。

特定非営利活動法人
血液情報広場・つばさ

<http://tsubasa-npo.org/>

TEL:03-3207-8503

(祝日を除く 月～金 12時～17時)

FAX:03-3203-2570

NPOつばさは、血液疾患の治療と医療、闘病に関する最新情報を、患者さん・ご家族の視点で収集してお届けしています。



再生不良性貧血は難病法で指定された「指定難病」です

指定難病は医療費助成の対象となっています。

一定の要件を満たすことにより対象となる疾病の医療費の自己負担が軽減されます。

再生不良性貧血の重症度基準で、ステージ2以上が対象とされています。

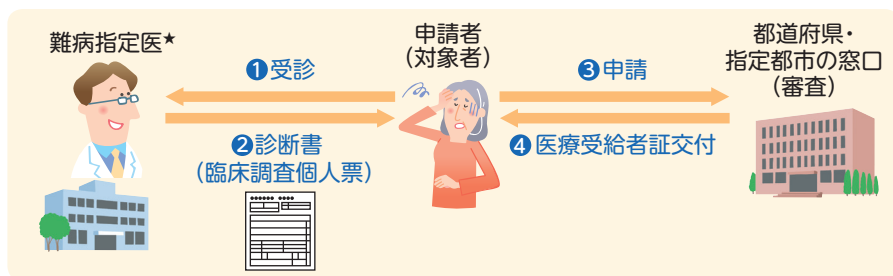
なお、ステージ1であっても、高額な治療を継続することが必要な方については、「軽症者の特例」が適用される場合もあります。

指定難病の医療費助成を受けるためには？

指定難病の医療費助成を受けるためには、「医療受給者証」が必要です。診断書と必要書類を合わせて、都道府県・指定都市窓口にて医療費助成の申請をしましょう。

◆申請から医療費受給者証交付の流れ

申請・更新に必要な診断書（臨床調査個人票）は指定医が作成します。



指定難病の医療費助成対象は「指定医療機関」（病院、診療所、薬局、訪問看護事業者）で行った医療に限られます。

※指定されていない医療機関等で受療した際の医療費については、医療費助成の対象となりません。

★難病指定医については、難病情報センターホームページで検索するか、お住まいの都道府県の窓口にお問い合わせください。

難病情報センターホームページ <http://www.nanbyou.or.jp/>

難病情報センターホームページ（2019年4月現在）から引用

MEMO



医療機関名(連絡先)