



WFH

WORLD FEDERATION OF HEMOPHILIA
FÉDÉRATION MONDIALE DE L'HÉMOFILIE
FEDERACIÓN MUNDIAL DE HEMOFILIA



什么是预防治疗？

Published by the World Federation of Hemophilia (WFH) © 世界血友病联盟 2021 年出版

WFH 鼓励非盈利性血友病/出血性疾病组织出于教育目的翻译与再发布它的出版物。

为了获得重印、再发布或翻译本出版物的许可，请通过以下地址联系教育部。

本出版物可在 WFH 的网站：
www.wfh.org 上以 PDF 文件的形式获得。

也可以从 WFH 网站或下方地址订购其他印刷版本。

世界血友病联盟不从事医学实践，在任何情况下均不向具体个人推荐特定治疗。WFH 不会以明示或暗示的方式表示本出版物中的药物剂量或其他治疗建议正确无误。鉴于这些原因，强烈建议个人在服用本出版物中提到的任何药物之前，先征询医学顾问的意见和/或查阅制药公司提供的印刷说明。世界血友病联盟不认可特定的治疗产品或制造商；对产品名称的任何引用都不表示 WFH 的认可。

世界血友病联盟

1425 René Lévesque Boulevard
West, Suite 1200 Montréal,
Québec H3G 1T7, CANADA

电话：(514) 875-7944

传真：(514) 875-8916

电子邮件：wfh@wfh.org

www.wfh.org

内容

| | | | |
|--------------------|---|--------------------|---|
| 什么是预防治疗? | 1 | 你什么时候开始和停止? | 6 |
| 为什么建议进行预防治疗? | 2 | 预防治疗的应做和不应做事项..... | 7 |
| 预防治疗的类型有哪些? | 3 | 预防治疗日志..... | 8 |
| 我们提供何种预防治疗? | 4 | 治疗日志 | 9 |

什么是预防治疗？

预防治疗指定期（通过静脉、皮下或其他方式）使用止血剂，目的是预防血友病患者出血（尤其是危及生命或复发性关节出血）。预防治疗的目标是使血友病患者积极生活，并达到与非血友病患者相当的生活质量。

预防治疗应作为世界各地的治疗标准。预防治疗的临床建议来自对患者数据的科学观察，即中度或轻度血友病患者（凝血因子水平为1%或以上）出现的自发性出血要少得多。与患有严重血友病（凝血因子低于1%）的人群相比，这些患者的关节损伤更少，生活质量更高。

你知道吗？

血友病最常见的长期并发症是关节疾病。



为什么建议进行预防治疗？

与按需治疗（对已发生出血后的治疗）不同，预防治疗的目的是在出血开始前就预防出血。按需治疗可以减轻个体出血造成的疼痛和衰弱影响，但不能显著改变出血情况。

因此，按需治疗不会改变血友病性关节炎的自然进展，而该进展会导致肌肉骨骼损伤以及由出血引起的其他并发症。相比按需治疗，始终推荐并优先采用预防治疗，因为理想的情况是血友病患者不出现任何出血（即达到“零”出血），因为每次出血都会造成损伤，尤其是在关节处。

有关预防治疗的研究表明：

- 通过定期输注凝血因子浓缩物 (CFC) 将最低因子水平保持在 1% 以上可降低出血风险并防止关节损伤。
- 接受预防治疗的儿童和成人出血较少，因此关节更健康。

医生建议，有严重出血情况的血友病 A 或 B 患者应接受充分够的预防治疗以防止出血。预防治疗因人而异，并考虑以下方面：

- 出血部位
- 关节状况
- 身体如何使用止血剂
- 个人偏好和预防治疗效果评估

你知道吗？

预防治疗不会帮助修复已经受损的关节。

但能减少出血的频率，可能减缓关节疾病的进展，并可能提高生活质量。



预防治疗的类型有哪些？

预防治疗的类型有若干种，根据其开始的时间进行定义。

持续性预防治疗

通常在几个月甚至几年的时间内进行：

初级

预防治疗在记录到任何关节疾病之前以及三岁及以下儿童的第二次关节出血之前开始。

二级

预防治疗在两次或多次关节出血后（但在关节疾病出现之前）开始，通常适用于三岁及以上儿童。

三级

预防治疗于诊断出关节疾病后开始。

阶段性或定期预防治疗

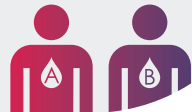
的时间较短，通常是几周或几个月，例如手术后进行或用于物理治疗/康复。

就身患严重甲型或乙型血友病的年轻人而言，在3岁之前就开始预防是预防关节疾病的理想选择。仍建议在有关节损伤的青少年与成人血友病患者中开始预防，这将减少关节出血及自发性出血与突破性出血，并减缓关节疾病的加重。

根据《WFH 血友病管理指南》第三版建议 6.1.2 和 6.13 改编

在有医疗保健限制的国家，对于身患严重甲型或乙型血友病的患者，相比偶发因子治疗更推荐预防，即使唯一的选择是使用较低的因子剂量。这仍将减少关节出血及其他自发性出血与突破性出血，并有助于更好地保护关节。

根据《WFH 血友病管理指南》第三版建议 6.10.1 改编



我们提供何种预防治疗？

预防治疗选择现包括标准半衰期 (SHL) 和延长半衰期 (EHL) 替代治疗以及非因子替代治疗。截至本手册出版时，只有一种非因子替代治疗可用于血友病 A 患者，而 SHL 和 EHL CFC 可用于血友病 A 或 B 患者。

标准和延长半衰期替代治疗

SHL 和 EHL CFC 预防治疗被称为**常规替代治疗**。该治疗包括定期输注缺失的凝血因子，以提高凝血因子水平，从而预防出血（血友病 A 患者输注的为 FVIII，血友病 B 患者输注的为 FIX）。

定期输注 CFC 的预防治疗旨在提高凝血因子水平并让其始终保持在 1% 或更高。使用 SHL 或 EHL CFC 的不同给药方案（高、中或低剂量）被用于实现这一目标。作为治疗计划的一部分，血友病患者应咨询当地医生或血友病治疗中心 (HTC)。

使用 CFC 的预防治疗计划和安排应包括以下内容：

- 要使用的因子药物类型
- 因子给药频率（多久一次）
- 每次输注的因子给药剂量（多少）
- 因子给药时间（一天或一周）

延长半衰期替代治疗

EHL CFC 旨在更长时间地维持血液中的因子水平。总体而言，EHL CFC 让血友病患者能：

1. 减少维持与 SHL CFC 相似的保护水平所需的输注次数，从而提高依从性并让更多人开始采用预防治疗。其中包括：
 - 诊所就诊或家庭护理护士就诊的次数更少（尤其是在预防治疗的开始阶段），护理人员 and 受累个体的治疗负担更轻
 - 对中心静脉通路装置的需求下降，从而减少出血率并节省费用
 - 给药计划不再那么繁重，即需要在早上或工作/上学日进行注射的情况更少
2. 与 SHL 相比，EHL 可更长时间地提高患者因子水平，并能通过更少的输液次数达到更高的出血保护水平，从而改善患者生活质量，与治疗感受，如在不增加出血风险的情况下提高运动参与度。

SHL 和 EHL 替代治疗的定制预防治疗

定制预防治疗方案根据每个人的需要进行个性化定制：血友病患者得到根据自己的需要定制的预防治疗方案。预防治疗方案也应足够灵活，能根据个人情况的变化而随时间变化；如果血友病患者持续出血，则应增加其预防治疗方案（剂量、频率、替代治疗或任何组合）以防止出血。

一个有效的定制预防治疗方案应考虑以下因素：

- 年龄
- 体重
- 出血模式和表型
- 关节健康
- 您进行的身体活动的程度和时间
- 凝血因子水平
- 依从预防治疗方案的能力
- 静脉通路
- 个人偏好

非因子替代疗法

非因子替代治疗使用其他机制来制止血友病 A 和 B 患者因身体缺乏凝血因子而出现的出血。在本出版物出版时（2021 年），只有一种产品（emicizumab）可用并被许可用作因子 VIII 的非因子替代治疗，包括治疗有抑制物的血友病 A 患者。其他疗法目前正在进行临床试验，可能会在未来几年上市。

Emicizumab 不能替代血友病 A 患者体内缺失的因子 VIII，而是模拟 FVIII 的功能，使凝血过程得以进行。

Emicizumab 只能用于血友病 A 患者的预防治疗。它不用于治疗急性出血发作。

因此，仍然需要用 CFC 治疗急性出血。

Emicizumab 的其他益处包括：

- 皮下给药途径（即皮下注射）
- 能在体内停留更长时间，可以每周一次或每 2 周或 4 周一次（请参阅完整的处方说明或咨询您的 HTC 以获取有关剂量的详细信息），给药频率更低
- 由于输注频率降低，所以预防治疗方案造成的负担也更轻，这可以让预防治疗被采纳的情况增加，并提高患者依从性

注意：使用 emicizumab 时，有抑制物的血友病患者**不应**使用活化凝血酶原复合物浓缩物 (aPCC) 治疗突破性出血，因为这可能导致凝血血栓事件。（有关更多信息，请咨询 HTC 并参阅风险管理指导。）

何时开始预防治疗？

最好是尽早开始进行预防治疗，以保持关节健康并预防关节疾病。在 CFC 有限的情况下，较低剂量是一种有效的选择。

皮下注射可以解决通过静脉进行输注的挑战。这可以让预防治疗开始的年龄更早，并可能在传统预防治疗开始之前降低幼儿（< 12 个月）发生出血的风险。截至本出版物出版之时（2021 年），确定 emicizumab 在该年龄组中的安全性的研究还在进行中。

何时停止预防治疗？

持续受益于有效的预防治疗（即：出血次数减少、关节健康状况改善、生活质量提高）的血友病患者应该无限期地继续采取预防治疗。

这是世界卫生组织、世界血友病联盟和许多其他有关血友病护理的国际和国家组织共同的建议。

就身患严重甲型或乙型血友病的患者（尤其是儿童）而言，护理标准是定期长期预防。这将有助于防止关节出血及自发性出血和突破性出血，保持肌肉骨骼健康，并提高生活质量。

根据《WFH 血友病管理指南》第三版建议 6.2.1 改编



来源：WFH 血友病管理指南 第 3 版 (2020)。有关预防治疗的更多详细信息，请访问 <https://elearning.wfh.org/resource/treatment-guidelines/> 参阅指南

预防治疗的应做和不应做事项



应做事项

如果您（或您的孩子）尚未接受预防治疗，请与您的医生或医护团队讨论开始进行预防治疗。

尽早开始进行预防治疗。

提倡个性化或定制预防治疗。

遵循您的医生或医护团队为您提供的剂量计划。

如果您在预防治疗期间出现不良事件，请立即就医；其中包括出血。

与您的医护团队讨论家庭治疗的可能性或与当地医疗保健提供者共同照护。

定期与您的 HTC 进行检查，以审查您的预防治疗计划。

在日志中记录您的治疗情况，包括任何不良事件（有关更多详细信息，请参见下一页）。

如果预防治疗对您不起作用，请咨询医生。



不应做事项

认为现在开始进行预防治疗为时已晚——虽然预防治疗不能逆转关节损伤，但可能会减缓进展、提高生活质量并减少出血频率。

跳过或推迟您的治疗计划。

期望预防治疗可以逆转关节损伤。

如果您有不良反应或出血，等待下一次预约——应立即就医。

忽略突破性出血，尤其是在同一关节中反复出现的出血，因为它们可能会导致出现靶关节。

预防治疗日志

接受预防治疗时记录以下信息很重要，这样您的医生就可以跟进您的情况并确保您接受适合您个人情况的治疗。

记录出血事件和治疗的方法有很多：

1. **您自己的日志**：这可以通过硬拷贝日志或电子记录的方式进行；重点在于您的记录应包括：
 - a. 输注/给药日期
 - b. 按需治疗（出血部位）
 - c. 预防治疗（如出现突破性出血，记录出血部位）
 - d. 产品名称
 - e. 输注量（IU [国际单位] 或毫克）
 - f. 批号
 - g. 不良反应
2. **myWBDR** – 如果您的 HTC 加入了世界出血性疾病登记服务，那么您可以使用智能手机上的移动应用程序来跟踪您的预防治疗 and 任何出血事件。

可在此处下载应用程序：

iOS



Android



请咨询 HTC 是否有首选方法。**有关可打印日志，请参阅下一页。**



1425 René Lévesque Boulevard West,
Suite 1200 Montréal,
Québec H3G 1T7
CANADA

电话：(514) 875-7944

传真：(514) 875-8916

电子邮件：wfh@wfh.org

www.wfh.org



WFH

WORLD FEDERATION OF HEMOPHILIA
FÉDÉRATION MONDIALE DE L'HÉMOFILIE
FEDERACIÓN MUNDIAL DE HEMOFILIA