

第六章

血友病预防

Manuel Carcao, H. Marijke van den Berg, Emna Gouider, Kate Khair, Manuel A. Baarslag, Lisa Bagley, Francisco de Paula Careta, Rolf C. R. Ljung, Margaret V. Ragni, Elena Santagostino, Glenn F. Pierce, Alok Srivastava

预防治疗：您需要知道的内容



预防治疗是世界各地所有严重血友病患者的**护理标准**

什么是预防治疗？

预防治疗是定期和持续使用止血剂的预防性治疗。

这与**情景性替代疗法**（也称为按需疗法）相反，后者仅在出血时通过输注凝血因子进行治疗。

在所有国家，推荐预防性疗法胜于情景性疗法，但认识到在资源有限的国家，可使用**较低剂量的预防治疗**。

预防治疗的目标是什么？

血友病患者应该在年轻时开始预防治疗，最理想的年龄是 3 岁，但在任何年龄开始预防治疗。

预防治疗的目标是防止血友病患者出血，同时使他们能够积极生活，并达到与非血友病患者相当的生活质量。

与情景性替代疗法相比，预防治疗有哪些益处

预防治疗的益处

- ✓ 接受定期预防治疗的血友病患者，出血明显减少，关节疾病减少
- ✓ 预防治疗可预防或降低颅内出血的风险
- ✓ 长期的益处包括慢性疼痛减少，整形手术、住院和急诊室就诊的需要减少
- ✓ 所有这些都导致**生活质量提高**，参与（即定期参加）教育、娱乐和专业活动的次数更多

第六章 血友病的预防治疗

有哪些不同类型的预防治疗？

预防治疗可以使用凝血因子浓缩物替代治疗（标准半衰期（SHL）或延长半衰期（EHL））或非因子替代疗法（如 emicizumab）。

SHL 替代疗法

- SHL CFC 可用作 A 型和 B 型血友病的预防疗法
- SHL CFC 需要经常输注：
 - A 型血友病（FVIII）每周 3-4 次
 - B 型血友病（FIX）每周 2-3 次
- 如果按照医生提供的时间表进行预防治疗，随着时间的推移，您的出血和关节问题会减少
- 频繁输注可能导致静脉插管困难（特别是幼儿）

EHL 替代疗法

- EHL CFC 可用作 A 型和 B 型血友病的预防疗法
- SHL CFC 相比，EHL CFC 需要的输注频率更低：
 - 可能低至每 1-2 周一次（对于某些 EHL FIX 产品）
- 使用 EHL 预防治疗可能导致：
 - 输注频率更少
 - 前往诊所或医院输注的次数更少
 - 血管问题更少

非因子替代疗法

- 现在已经存在使用非因子替代疗法的预防治疗
- Emicizumab 是目前唯一批准的非因子替代疗法
- Emicizumab 仅用于 A 型血友病的预防治疗
- 它通过皮下注射（在皮肤下，而不是像凝血因子那样在静脉内）给药，每周一次或更少
- 使用非因子产品的预防治疗可能导致：
 - 预防治疗方案的负担更少
 - 依从性更高
 - 社会和体育活动参与度更高