NCCN GUIDELINES FOR PATIENTS®

2024

骨髓增殖性肿瘤



报告由以下单位提供支持：

NATIONAL COMPREHENSIVE CANCER NETWORK® FOUNDATION
Guiding Treatment. Changing Lives.

可于 NCCN.org/patientguidelines 在线查阅



关于 NCCN Guidelines for Patients®

National Comprehensive Cancer Network®



您知道全美的顶级癌症中心正在共同努力改善癌症护理吗？这个由领先癌症中心组成的联盟称为 National Comprehensive Cancer Network® (NCCN®)。

癌症护理一直在变化。NCCN 制定了循证癌症护理建议，供全球医护人员使用。这些经常更新的建议就是 NCCN Clinical Practice Guidelines in Oncology (NCCN Guidelines®)。NCCN Guidelines for Patients 清楚地解释了这些针对癌症患者和护理人员的专家建议。

这些 NCCN Guidelines for Patients 是根据骨髓增殖性肿瘤 NCCN Clinical Practice Guidelines in Oncology (NCCN Guidelines®) 2024 年第 1 版 — 2023 年 12 月 21 日制定的。

在线免费阅读 NCCN Guidelines for Patients
NCCN.org/patientguidelines

发现您附近的 NCCN 癌症中心
NCCN.org/cancercenters

联系我们

资助单位

NCCN Guidelines for Patients 由 NCCN Foundation® 资助

NCCN Foundation 衷心感谢以下企业支持者为成功制定 NCCN Guidelines for Patients 而提供的帮助：AbbVie、GSK、Incyte Corporation 和 Sobi。

NCCN 独立改编、更新和管理 NCCN Guidelines for Patients。企业支持者不参与 NCCN Guidelines for Patients 的制定，也不对其中包含的内容和建议负责。

更多支持由以下单位提供

MPN 研究基金会致力于资助和推进原创研究，以寻求新的治疗方法并最终治愈原发性血小板增多症 (ET)、红血球增多症 (PV) 和骨髓纤维化 (MF)等血癌（统称为骨髓增殖性肿瘤 (MPN)）。 MPNRF 成立于 1999 年，是 MPN 领域的第一个组织，也是唯一一个专注于推进研究的组织。

要捐赠或了解更多信息，请在线访问或发送电子邮件

NCCNFoundation.org/donate

PatientGuidelines@NCCN.org

目录

4 MPN 基本信息

10 MPN 检测

20 症状和调查

25 PV 和 ET 凝血

36 骨髓纤维化

49 支持治疗

57 做出治疗决定

68 词汇表

72 NCCN 编著者

73 NCCN 癌症中心

76 索引

© 2024 National Comprehensive Cancer Network, Inc. 保留所有权利。未经 NCCN 的明确书面许可，不得出于任何目的以任何形式复制 NCCN Guidelines for Patients 及文中插图。任何人（包括医生和患者）不得将 NCCN Guidelines for Patients 用于任何商业用途，并且不得声称、表示或暗示 NCCN Guidelines for Patients 已经以任何源自、基于、相关或产生于 NCCN Guidelines for Patients 的方式得到修改。NCCN Guidelines 是一项正在进行的工作，可能会随着新重要数据的出现而重新定义。NCCN 对于指南内容、使用或应用不做任何担保，也不对其任何方式的应用或使用承担任何责任。

NCCN Foundation 旨在通过资助和分发 NCCN Guidelines for Patients 来支持数百万受癌症诊断影响的患者及其家人。NCCN Foundation 还致力于通过资助在全国癌症研究创新中心工作的、有前途的医生来推进癌症治疗。如需更多详细信息以及完整的患者和护理者资源库，请访问 NCCN.org/patients。

National Comprehensive Cancer Network (NCCN) 和 NCCN Foundation
3025 Chemical Road, Suite 100, Plymouth Meeting, PA 19462 USA

1
MPN 基本信息

5 什么是 MPN?

7 有哪些经典的 MPN?

8 最佳治疗方法是什么?

9 关键点

骨髓增殖性肿瘤是一种血癌。 也称 MPN，这些癌细胞生长缓慢，因此许多 MPN 患者寿命较长。 MPN 对生活质量的影响因人而异。 对一些人而言，MPN 的症状会改变其生活。

什么是 MPN?

骨髓增殖性肿瘤 (MPN) 是一组罕见的血癌，其名称比较特殊。 该名称到底有何含义?

- 第一个词的第一部分 — **髓** — 是指骨髓。 几乎所有骨骼都有一个柔软的中心，被称为骨髓，大多数血细胞都在这里形成。
- 第一个词的第二部分 — **增生** — 是指细胞的快速生长。
- **肿瘤**则是指细胞的异常生长。

放在一起，骨髓增殖性肿瘤这一名称就是指骨髓中血细胞的癌症。 血细胞种类很多，所以血癌的种类也很多。我们将在下一节回顾血细胞是如何形成的，以便进一步了解什么是 MPN。

MPN 不是...

骨髓增生异常综合征 (MDS)
类似于 MPN，MDS 也是髓系细胞系中血液干细胞的癌症。 MDS 会导致血细胞数量减少。

骨髓增生异常综合征/骨髓增殖性肿瘤 (MDS/MPN)
MDS/MPN 是一组不同于 MPN 和 MDS 的癌症。其成熟血细胞是异常，且血细胞数量较高。

系统性肥大细胞增多症
系统性肥大细胞增多症是指一种名为肥大细胞的白细胞在身体（皮肤除外）内积聚。一种被称为伴有血液肿瘤的系统性肥大细胞增多症 (SM-AHN) 的亚型可能与 MPN 同时发生。

急性髓细胞白血病 (AML)
AML 是一种骨髓髓系细胞癌。 它会导致许多髓系原始细胞异常，这些细胞无法成为成熟的血细胞。 尽管很少发生，但 MPN 仍有可能转化为 AML。



完整的 NCCN Guidelines for Patients 资源库可从 NCCN.org/patientguidelines 获得。

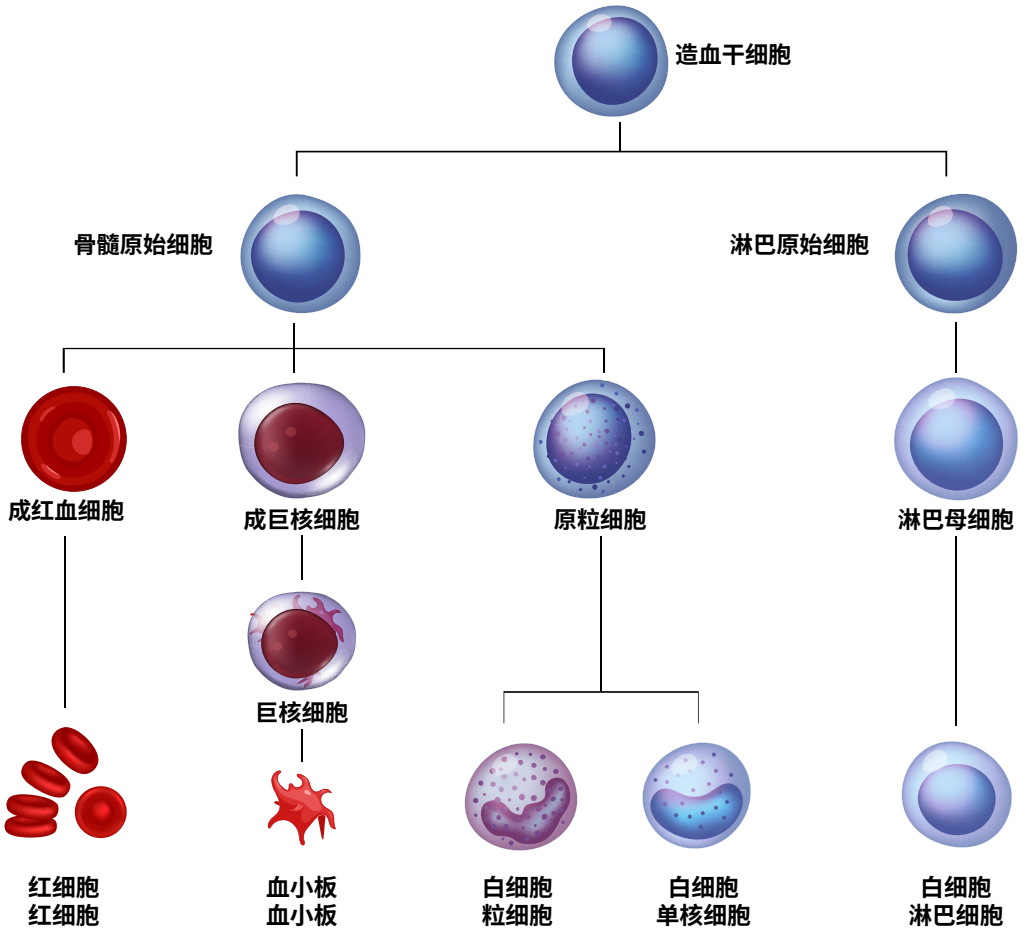
MPN 会影响非常年轻的血细胞

血细胞寿命不长，因此需要经常更换。 它们是由一系列细胞的变化而产生。 该过程可以简化为 3 个步骤：

1. 造血干细胞发育成各种血细胞，包括红细胞、白细胞和血小板。 它们会对自身进行精确复制，生成更接近血细胞的各种不同细胞。 这些不同的细胞被称为祖细胞。
2. 祖细胞属于两种血细胞家族之一 — 髓样或淋巴样细胞系。 祖细胞变成原始细胞。 简而言之，原始细胞是年轻（或不成熟的）血细胞。

血细胞

血液干细胞是所有血细胞的来源。 它们在经过一系列的变化后才变成成熟的血细胞。 血细胞的三种主要类型是红细胞（红血球）、白细胞（粒细胞、单核细胞和淋巴细胞）和血小板（凝血细胞）。



3. 每种类型的原始细胞都会发育成某种类型的成熟血细胞。 成熟的血细胞是完全发育的细胞，具有特定功能。 血细胞的主要类型包括红细胞、白细胞和血小板。

MPN 会在血细胞形成的第一步中影响细胞。 它们是血液干细胞癌症，但只影响髓系细胞家族。 髓系原始细胞会发育成血细胞，但其产生的血细胞数量过多。 过剩的成熟血细胞的类型取决于 MPN 类型。

“

MPN 被归类为血癌，但它是一种威胁很小的癌症！ 首次确诊时，很容易感到恐惧和困扰（我知道自己当时就是这样！），但对大多数人而言，MPN 是高度可治疗的。 就诊 MPN 专家，加入著名的 MPN 在线患者论坛，一切都会变得不同。”

有哪些经典的 MPN?

MPN 有多种类型，但本书讲述的是其最常见（或经典）的类型：

- **红血球增多症 (PV)** 会导致红细胞过多。
- **原发性血小板增多症 (ET)** 会导致血小板过多。
- **原发性骨髓纤维化**会导致巨核细胞过多，从而引发骨髓中瘢痕的形成（纤维化）。

有关 MPN 经典类型的更多信息，请参见*第 2 章： MPN 检测。*

慢性粒细胞白血病 (CML) 是一种导致粒细胞过多的 MPN，粒细胞是一种白细胞。 有人称其为经典 MPN，但其经常用于单独讨论。 其治疗基于一种其他经典 MPN 所不具备的癌症标志物。

有关 CML 的更多信息，请访问 NCCN.org/patientguidelines 和 NCCN Patient Guides for Cancer 应用程序。



最佳治疗方法是什么?

没有一种治疗 MPN 的方法适合所有人。适合您的治疗方法就是最好的方法。治疗计划应遵循最佳实践 — 基于科学和专家共识的癌症护理。以下章节解释了典型 MPN 检测和治疗的最佳实践。

可能并不需要治疗

MPN 是慢性癌症。 慢性癌症可以稳定数年，通常进展缓慢。 它可能不需要立即治疗，甚至永远都不需要治疗，但这些血癌通常无法治愈。

如果治疗得当，MPN 患者通常能存活很多年。许多人可以拥有接近正常的寿命。 但对一些人而言，癌症会更快恶化。 癌症病程取决于 MPN 类型、癌症特征以及患者的年龄和健康状况。

症状缓解

MPN 会引起一系列症状，如疲劳、头痛和腹痛等，未一一列举。 近年来，研究者已经开发出能够评估症状的有效调查方法。 有关更多信息，请阅读*第 3 章： 症状和调查*。

MPN 症状负担因人而异。 然而，这种负担对许多人而言十分沉重，并且降低了他们的生活质量。 症状可能会限制患者的日常活动和工作时间。 症状缓解措施将在*第 6 章*中加以讨论：*支持治疗*。

预防并发症

您的治疗护理团队将关注 MPN 的 3 种主要并发症：

- 异常出血
- 血栓
- 疾病进展

异常失血（出血）和血栓（血栓）在 PV 和 ET 中最为常见。 但这两种疾病也伴发髓骨髓纤维化。 异常失血通常症状轻微，但有时也可能很严重。 血栓会堵塞血管。 尽管十分少见，但其仍可致命。

MPN 可以进展为更严重的疾病，但大多数情况下不会。 ET 和 PV 可进展为骨髓纤维化。 虽然罕见，但 MPN 可以进展为急性髓细胞白血病 (AML)。 当 MPN 进展为 AML 时，通常会使用术语 MPN 急变期 (MPN-BP)。

有关预防并发症的讨论，请参见*第 4 章：PV 和 ET 中的凝血*和第 *5 章：骨髓纤维化*。

为自己努力

您将成为癌症治疗护理团队的一员。 请与您的团队一起讨论本书中的建议。 你们可以一起制定最适合自己的护理计划。

在第 7 章中有一份建议的问题清单，可以向您的团队提问。 通过提出问题并与团队一起做决策，您更有可能获得自己想要的护理。

关键点

- 骨髓增殖性肿瘤，也称为 MPN，是一种血癌。 MPN 会导致血细胞数量增多。
- 三种经典的 MPN 包括红血球增多症 (PV)、原发性血小板增多症 (ET) 和原发性骨髓纤维化 (PMF)。
- MPN 是慢性癌症，这意味着它们恶化速度缓慢。
- 经过治疗，大多数人都能存活很长一段时间，尽管有不少人需要与严重的症状作斗争。 而其他人的癌症可能会迅速恶化，甚至会引发致命的并发症。

“

您需要自己给自己打气，特别是因为这是一种罕见的癌症，而且绝大多数医疗专家并不了解这种疾病。如果不观察自己的验血结果，不争取与血液科医生预约，不停止问“为什么”，我就没法知道自己的诊断结果，也可能知道时已经为已晚。”

2
MPN 检测

11 要进行的检测

12 健康史

12 体检

13 血液检查

14 骨髓检查

15 生物标志物检测

16 如何诊断 MPN

18 诊断面临的挑战

19 关键点

如果医护人员怀疑您患有骨髓增殖性肿瘤 (MPN)，您需要接受几项检测。本章中介绍了这些检测。

要进行的检测

不同类型的骨髓增殖性肿瘤 (MPN) 之间的检测差别不大。 每种类型 — 红血球增多症 (PV)、原发性血小板增多症 (ET) 和原发性骨髓纤维化 (PMF) — 都需要验血。 骨髓检查也很常见。 有关用于诊断和规划 MPN 治疗的检测列表，**请参见指南 1**。

当医护人员解释报告时，要求他们向您提供检测结果的副本并做好笔记。 不要因为紧张而不敢提问。 MPN 可能很难理解。

找人陪您去就诊，可能会有帮助。 将您的报告和其他文书放在手边，并整理成一份文件（如活页夹），以备再次需要时使用。

指南 1
骨髓增殖性肿瘤检测

健康史和检查	• 病史，包括输血和用药史 • 体检 • 症状量表
血液检查	• 全血细胞计数 (CBC) 和白细胞分型计数 • 血涂片 • 综合性代谢全套、肝功能测试、乳酸脱氢酶 (LDH)、尿酸 • 促红细胞生成素 (EPO) 和铁 • 有时需要进行人类白细胞抗原检测和凝血试验
骨髓检查	• 骨髓活检和穿刺 • 使用特殊染料和显微镜检查骨髓
生物标志物检测	• 使用荧光原位杂交 (FISH) 或多重 RT-PCR 检测 *BCR-ABL1* • 使用分子检测或多基因二代测序 (NGS) 检测 *JAK2*、*CALR* 和 *MPL* 突变 • 使用有/无 FISH 的染色体组型进行细胞遗传学检测

健康史

预计医护人员会详细检查您的健康状况。 这称为病史。医护人员希望了解有关您过去和当前健康状况的很多信息。 您可能会被问到以下内容：

- 疾病和病症
- 处方药和非处方药及补充剂、手术和输血情况
- 生活方式的选择，包括您的饮食，您的运动情况，您是否吸烟或饮酒等
- MPN 的症状和并发症，例如头痛、骨痛、腹痛、瘙痒或刺痛、极度疲劳等

MPN 很少在家族中遗传。 很少有人在出生时就带有导致 MPN 的异常基因。 对于大多数人而言，可能导致 MPN 的基因变化都是在出生后获得。

其他一些类型的癌症和健康状况确实存在家族遗传。 准备好讨论您近亲的健康问题。 包括您的兄弟姐妹、父母和祖父母。

体检

医护人员还会对您的身体进行全面的体检。 该检查可能包括：

- 检查您的生命体征 — 血压、心率、呼吸频率和体温 — 并评估您的整体外貌
- 对器官进行触诊和听诊，包括您的脾和肝
- 评估您被触摸时的疼痛（如有）程度

“许多诊断和治疗都是基于验血数据，并可通过虚拟方式完成。 征求第二或第三方意见。 “如果我没有找到一位出色的 MPN 专家，而是继续信任我的第一位肿瘤医生，我确信自己不会像现在一样身体健康、体检数据良好，并对我的 MPN 治疗进程和医疗团队充满信心。”

血液检查

血液检查可以测量血液中的血细胞、蛋白质和化学物质含量。 它们通常用于筛查疾病和规划血癌的治疗。

一些血液检查是通过机器完成，而另一些则需要病理学家来完成。 病理学家是研究组织和细胞方面的医学专家。

对于 MPN 而言，这类被称为血液病理学家的医生可能会成为您治疗护理团队的成员。 血液病理学家是诊断血液和免疫细胞癌症的专家。

全血细胞计数和白细胞分型计数

全血细胞计数 (CBC) 和白细胞分型计数是一种常见的实验室检查。 血液检查结果包括：

- 白细胞、红细胞和血小板计数
- 血液中红细胞的百分比（称为红细胞压积）
- 红细胞内一种称为血红蛋白的蛋白质的含量
- 血液中最常见类型白细胞的计数 — 嗜碱性粒细胞、中性粒细胞、嗜酸性粒细胞、单核细胞和淋巴细胞

血涂片

病理学家会用显微镜检查您的血液。 这称为血涂片。 借助显微镜，病理学家可以看到血细胞的大小和形状。 血细胞的异常特征可能是您所患疾病的线索。

血涂片也可以显示血液中是否有未成熟的血细胞，这类细胞称为原始细胞。 正常情况下，原始细胞只存在于骨髓中，但有时骨髓纤维化会将它们逼出骨髓。

代谢全套检查和肝脏检查

使用一种综合性代谢全套检查测量来自您器官的多达14种化学物质。这也是许多疾病的筛查检测。 它还可以显示 MPN 是否影响了您的器官，如骨骼和肝脏等。

同样，肝功能测试可用于评估 MPN 是否影响了您的肝脏。这些测试会测量一种叫做胆汁的黄色液体，以及肝脏蛋白质和酶类。

乳酸脱氢酶和尿酸

大多数细胞都有一种叫做乳酸脱氢酶 (LDH) 的蛋白质和一种叫做尿酸的化学物质。 LDH 和尿酸含量高可能是骨髓纤维化的体征。 在某些阶段，骨髓纤维化会导致许多血细胞死亡。 死亡的血细胞会释放出 LDH 和尿酸。

促红细胞生成素和铁

促红细胞生成素 (EPO) 是一种由肾脏产生的激素。 它有助于制造红细胞，而铁则是制造血红蛋白所需的元素。 有关 EPO 和铁的血液检查有助于诊断 PV。 在 PV 中，红细胞计数高会抑制 EPO 水平。 此外，即使在血红蛋白水平很高时，也可能出现铁元素水平很低的情况。

其他血液检查

有时还需要其他血液检查。 接受异基因造血细胞移植 (HCT) 治疗的人需要接受人类白细胞抗原检测。 更多关于同种异体 HCT 的信息，请阅读*第 5 章：骨髓纤维化*。

可能会进行凝血试验来评估您的血液凝结功能。 基于这些测试，一些人被诊断患有获得性血管性血友病综合征 (aVWS) 或其他凝血障碍。

骨髓检查

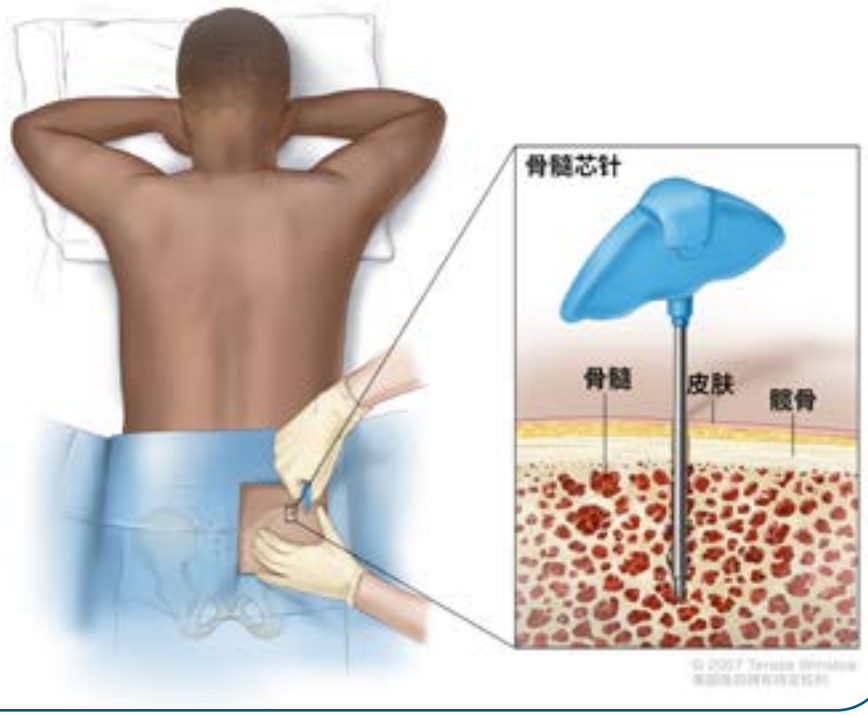
骨髓是大多数骨骼中间的中心软组织。 它就像一块海绵，里面装着液体和细胞。

骨髓活检可取出骨髓的核心样本。 骨髓抽吸可取出液体和细胞。这些程序通常同时进行。该操作将在髋骨背面进行。 您可能会事先接受止痛药或轻度镇静剂注射来自我放松。

病理学家会用显微镜检查您的骨髓。 这称为骨髓组织学检测。 组织学检测可以检测异常骨髓细胞数量。 它还可以显示骨髓有多少瘢痕（纤维化）。

抽取骨髓样本

您的骨髓样本可能会被取出并接受检测，以用于诊断或治疗规划。骨髓穿刺是从骨骼内部取出少量液体骨髓。骨髓活检是从骨骼内部取出少量骨髓。 这些程序通常会依次在髋骨后部进行。



生物标志物检测

生物标志物检测可以寻找癌症的生物学线索或标志物。 分子检测是一种生物标志物检测，旨在寻找被称为突变的异常基因。 有些人称之为基因检测。 细胞遗传学检测则可显示是否有异常染色体。

CML 突变的生物标志物检测

BCR-ABL1 融合基因是慢性粒细胞白血病 (CML) 的标志。荧光原位杂交 (FISH) 和多重 RT-PCR 是检测血液或骨髓样本中 *BCR-ABL1* 的分子检测方法。如果 *BCR-ABL1* 缺失，则排除 CML。

MPN 突变的生物标志物检测

如已排除 CML，则通过分子检测寻找经典 MPN 的标志物。

用于诊断的检测

JAK2 V617F 突变就是其中的一个标志物。 如果找不到该标志物，则下一个要检测的标志物是：

- *JAK2* 外显子 12 突变，如怀疑患有 PV
- *CALR* 和 *MPL* 突变，如怀疑患有 ET 或 PMF

一种名为二代测序 (NGS) 的新技术可以同时检测多种遗传标志物。它可以用来代替单分子检测方法。

用于分析预后的检测

如果检测证实您患有 MPN，如果以前没做过的话，建议通过 NGS 检测来评估预后。 该预后指标可预测癌症将来的表现和对治疗的反应。

异常染色体的生物标志物检测

细胞遗传学检测对诊断和治疗计划是有用的。 其结果可以帮助识别 MPN 亚型，确定骨髓纤维化分级，并评估癌症的预后。

一张称为染色体组型的染色体照片将被用于细胞遗传学检测。 也可以做一项 FISH 检测。 这些检测的对象是骨髓抽吸物或血液样本。

> “我很高兴在 2 次尝试后就找到了适合自己的血液病专家。 确保您的医生是 MPN 研究者，并针对突变进行正确的基因检测。”

如何诊断 MPN

国际共识分类 (ICC) 和世界卫生组织 (WHO) 已经制定了 MPN 的诊断标准。 这些标准包括主要标准和相关的次要标准。 病理学家将使用本章所述的检测来决定是否符合 MPN 的标准。

原发性骨髓纤维化

如果骨髓纤维化是您患有的唯一 MPN，则称其为原发性骨髓纤维化或 PMF。根据骨髓中瘢痕（纤维化）的数量，PMF 可分为 2 个阶段：

- 前纤维化 PMF (前期 PMF 或早期 PMF)
- 显性 PMF

骨髓纤维化的第一个标准是骨髓中有大量的异常巨核细胞。 前期 PMF 中的骨髓有轻微瘢痕，或者没有瘢痕，而显性 PMF 中的骨髓则有严重的瘢痕。在前期 MF 中，骨髓细胞数量高于正常水平，尽管有时红细胞的产量可能较低。

骨髓纤维化只有在排除其他血癌后才可确诊。第二个标准要求排除其他类型的 MPN，例如骨髓增生异常综合征 (MDS) 和其他骨髓肿瘤。

第三个标准是有 *JAK2*、*CALR* 或 *MPL* 突变。*JAK2* 突变最为常见，其次是 *CALR* 突变。约十分之一的 PMF 患者均没有这三种突变。在这些病例中，MPN 被称为三阴性。

确诊 PMF 的次要标准，也就是骨髓纤维化的另一哥体征，必须通过血液检查来检测。这种体征可能是低红细胞计数或血红蛋白（贫血）、高的白细胞计数或 LDH 水平，或脾肿大。显性 PMF 的另一体征是血涂片中的原始细胞。

红细胞增多症

PV 的第一个主要标准是高血红蛋白、红细胞压积或红细胞质量。 医护人员可能会重新安排验血以检查这些高水平结果是否持续。

- 血红蛋白是红细胞中的一种蛋白质。 如果出生时为男性者的血红蛋白高于 16.5 g/dL，或为女性者的血红蛋白高于 16.0g/dL，则认为血红蛋白水平较高。
- 红细胞压积是指血液中红细胞的百分比。如果出生时为男性的红细胞压积大于 49%，出生为女性的红细胞压积大于 48%，则认为红细胞压积水平较高。
- 红细胞质量是血液中的红细胞体积。 这是一种核医学测试，通常不用于诊断 MPN。当红细胞质量比正常值高 25% 时，认为红细胞质量较高。

PV 的第二个标准是骨髓中髓系血细胞相较于脂肪细胞数量较多。 这被称为细胞过多。 髓系血细胞包括红细胞、血小板和粒细胞。 有关血细胞的更多信息，请阅读*第 1 章： MPN 基本信息*。

PV 的第三个标准是 *JAK2* 突变，但这并不是诊断所必需的。几乎每名 PV 患者都有 *JAK2* V617F 突变。少数没有这种突变的人通常都有 *JAK2* 外显子 12 突变。

如果没有发现 *JAK2* 突变，且符合前两个主要标准，并且您的 EPO 水平较低（次要标准），则诊断为 PV。

原发性血小板增多症

ET 的第一个主要标准是高血小板计数。 高血小板计数是指计数为 450×10^9/L 或更高。

第二个标准是骨髓中有大量的异常巨核细胞。 与正常情况相比，ET 中的巨核细胞更大。 与正常情况相比，它们的细胞核（细胞的大脑）有更多的分裂（叶）。

ET 只有在排除其他血癌后才可确诊。 第三个标准要求排除其他类型的 MPN，例如 MDS 和其他骨髓肿瘤。

第四个标准是有 *JAK2*、*CALR* 或 *MPL* 突变，但这并不是诊断的必要条件。JAK2 突变最为常见，其次是 *CALR* 突变。约十分之一的 ET 患者均没有这三种突变。在这些病例中，MPN 被称为三阴性。

当不满足第四个标准时，ET 可根据次要标准来诊断。 这些标准包括发现另一遗传标志物或未发现高血小板计数的潜在原因。 血小板计数高的其他原因包括低铁元素水平、慢性炎症和药物作用。

了解您的 MPN 情况

- ✓ 亚型是什么?
- ✓ 有哪些突变（如有）?
- ✓ 您在接受什么治疗?

应当将有关 MPN 和治疗的信息告知为您治疗的任何临床医生，这一点非常重要。否则，您接受的护理可能会对您造成伤害。

“

我的朋友是一名护士，他建议我为自己的 ET 诊断寻求第二方意见。 他和我一起去看医生，最后他问，“预后如何？” 医生说，“我知道您会骑公路自行车，并且身材保持得很好。 如果遵循血液病专家的建议，您很可能还可以活 20 年，除非您被公交车撞了。” 这是 12 年前的事了，当时我还在骑车。我今年差不多 79 岁。”

诊断面临的挑战

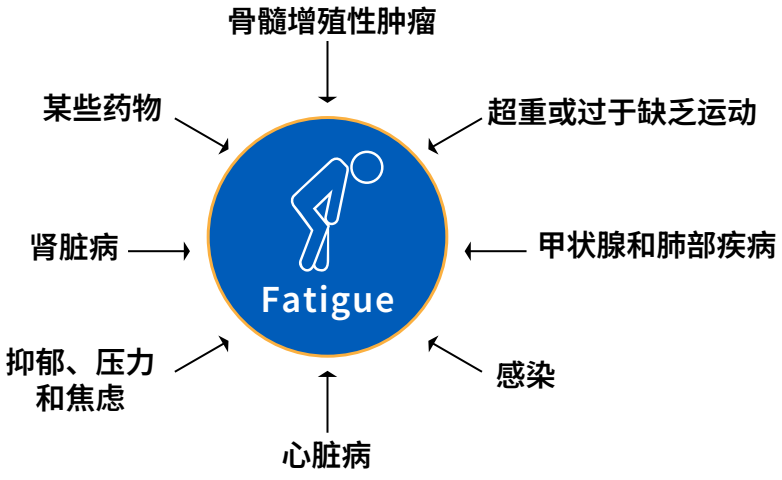
诊断 MPN 可能十分棘手。 诊断面临的一些挑战如下：

- MPN 的症状和体征也可能有其他原因。 因此需要排除其他原因。
- 经典 MPN 可能会有非常相似的检测结果。 由于可能只有少量骨髓瘢痕，早期 PMF 看起来可能像 ET。
- 最近的出血会改变检测结果并掩盖正确的诊断。
- 早期、中期和晚期阶段 MPN 的症状和检测结果会有所不同。 医护人员需要了解每例 MPN 在进展过程中的情况。

病理学家将尽可能确定 MPN 亚型。 虽然罕见，但有时 MPN 亚型并不明确。 这些癌症被称为 MPN，未另作说明 (NOS)。

为什么我这么累？

MPN 引起的症状也能由其他疾病引起。 这种重叠可能会给 MPN 的诊断带来挑战。 以疲劳为例。 疲劳是 MPN 最常见的症状。 而一些药物、许多疾病以及不良的心理健康和身体状况也可能引起疲劳。



关键点

- 如果怀疑是骨髓增殖性肿瘤 (MPN)，则需要通过一组检查来确诊。 不同类别的 MPN 之间的检查差别不大。
- 准备好，将您一生中遇到的任何健康问题和所接受的治疗告知您的治疗护理团队。
- 医护人员将检查您的身体是否有疾病体征。 检查将包括触摸您身体的某些部位，看是否有任何异常感觉。
- 您还需要提供血液和/或骨髓样本。 您的血液和骨髓将送至实验室进行关于 MPN 和其他疾病的检测。
- 尽管有诊断各类 MPN 的标准，但诊断可能仍具有挑战性。 大多数 MPN 都有一种遗传标志物。 这些标志物包括 *JAK2*、*CALR* 和 *MPL* 突变。

“感谢科学，感谢不断进步的研究将某些癌症变成了慢性病，而不是死刑。 我很感激遇到一位好医生，感激有一种对我有效的治疗方法。 从某些方面来讲，我得癌症反而是一种幸运，因为它激励我以更健康、更专注的方式生活。”

3
症状和调查

21 MPN 症状

21 微血管症状

21 脾大症状

22 全身症状

23 通过调查评估症状

23 MPN-10

24 关键点

骨髓增殖性肿瘤 (MPN) 的症状会对生活产生重大影响。 通常会使用一项简短的调查来检查症状。 本章解释了您可能在 MPN 中遇到的症状。

MPN 症状

症状是指可能与疾病有关的身体或精神变化。 大多数骨髓增殖性肿瘤 (MPN) 患者都有与癌症相关的症状。 即使是对于红血球增多症 (PV) 或原发性血小板增多症 (ET) 患者，症状负担往往也很严重。

MPN 会引起多种症状。 一般来说，您的治疗护理团队将规划治疗 3 种类型的症状：

- 微血管症状
- 脾大症状
- 全身症状

下文将介绍这些症状。 有关症状治疗的信息，请阅读*第 6 章：支持治疗*。

微血管症状

微血管症状是名为毛细血管的小血管中血液流动缓慢所引起的。

PV 症状

由于红细胞数量过多，PV 会减少血流量。 这会导致头痛和视力模糊。 它还会导致一种名为红斑性肢痛症的疾病。 红斑性肢痛症包括皮肤灼痛、皮肤变红和皮肤发热。

ET 症状

在 ET 中，大量血小板会导致头痛、视力问题、头晕、耳朵中出现尖锐的响铃声（耳鸣）以及四肢麻木和刺痛（感觉异常）。 其他微血管症状包括注意力不集中、睡眠问题和性功能问题。

脾大症状

在 MPN 患者中，骨髓可能无法产生足够的健康血细胞。 当骨髓生成的血细胞过少时，身体的其他部位可能会开始生成血细胞。

脾脏是骨髓生成血细胞的一个非常常见的备用器官。 它是胃左边的一个小器官。

为身体提供血细胞时，脾脏会变大。 脾脏肿大又称脾大。 在检查中，医护人员可以感觉到脾脏肿大。

脾脏肿大会引起症状，因为它会压迫身体的其他部位。 它可能会部分填充胃部所在的空间。 因此，进食时很快就有饱腹感（早饱）。

脾脏可能会压迫膈肌，阻止肺部完全扩张。 因此，您可能会感到呼吸急促或咳嗽。

肿大的脾脏在压迫神经时也会引起不适或疼痛。 由于这些症状，许多人变得不爱运动。

全身症状

全身症状是一种影响全身的疾病所致。 它们非常笼统，可能是由多个因素引起。

在 MPN 患者中，专家认为，全身症状与高水平的小蛋白（名为细胞因子）有关。 细胞因子在体内引发炎症 — 这是一种防御反应。

疲劳是 MPN 最常见的全身症状之一。 癌症相关疲劳是一种令人痛苦的持续性疲劳，它限制了人们完成日常任务的能力。 这是 MPN 患者生活质量差的主要原因。

您可能会经历体重减轻和发热，因为 MPN 会导致脂肪和肌肉快速分解。 体温升高可能会引发大量出汗，称为盗汗。

四肢骨痛可能是血细胞快速生成，导致骨骼表层发炎所致。 另一种常见的细胞因子相关症状是皮肤瘙痒（瘙痒症）。 皮肤瘙痒是缺乏水分所引起，因此它可能有碍个人卫生。

“

MPN 的影响可能相当广泛。 这些病情与血栓形成风险更相关。 次要或全身症状可能更成问题，值得同等重视。”

通过调查评估症状

在研究中，通常会使用调查来评估症状。 研究所用的调查也可用于临床实践。 对于 MPN 而言，评估症状有以下几个原因：

- 症状通常会降低生活质量
- 症状可能与 MPN 的结局有关
- 跟踪症状将表明治疗是否能缓解症状

MPN-10

MPN 症状评估表总症状评分 (MPN-SAF TSS) 是其中一项常用的调查。 由于有 10 个问题，它也被简称为 MPN-10。 有关调查所研究的 10 种症状的列表，**请参见指南 2**。

MPN-10 中的 10 种症状都是最重要且最常见的症状。 根据 0 至 10 分制量表，对每种症状进行评级。 分数越高，表明症状越严重。 该调查的在线版本请见 thehematologist.org/mpn-total-symptom-score。

指南 2
骨髓增殖性肿瘤的 10 大症状

症状	医学术语
持续、极度疲劳	疲劳
进食时很快就有饱腹感	过早饱腹
腹部疼痛	腹痛
缺乏运动	久坐
无法长时间集中注意力	注意力无法集中
盗汗	睡眠多汗症
皮肤瘙痒	瘙痒症
骨痛	骨痛
发热	发热
体重下降	恶病质

关键点

- 大多数骨髓增殖性肿瘤 (MPN) 患者都有与癌症相关的症状。
- 微血管症状是毛细血管中血液流动缓慢所引起的。 这些症状示例包括头痛、头晕和四肢刺痛。
- 开始制造血细胞时，脾脏会变大。 脾脏肿大可能会让您在进食时很快感觉吃饱了。 它还可能导致腹部疼痛或不适、咳嗽和呼吸急促。
- 全身症状与高水平的细胞因子有关。 这些症状示例包括疲劳、体重减轻和发烧。
- MPN-10 是一项针对 MPN 症状的简短调查，用于在临床实践中识别和跟踪各种症状。

“

我每天都在坚持。 有时候疲劳会比其他时候更严重。 您必须坚持不懈。”

4
PV 和 ET 凝血

26 什么是血栓?

27 计算血栓风险

27 血栓的预防

31 孕期血栓的预防

32 血栓和手术

32 PV 和 ET 检查

33 改变预防性护理

35 PV 和 ET 进展

35 关键点

在红血球增多症 (PV) 和原发性血小板增多症 (ET) 中，预防血栓非常重要。 如不加以控制，血栓是造成死亡的主要原因。 本章解释了如何预防血栓。

什么是血栓?

血栓是一团凝胶状的血块。正常情况下，血栓是为了止血而形成，然后会在不出血时溶解。

有时在没有出血的情况下，血管内也会形成血栓。如果有一个（或多个）这种类型的血栓，则称为栓塞。从血管壁脱离并在血液中流动的血栓称为栓子。

出于方便目的，我们将在本章的剩余部分将血栓（或血栓形成）称为血栓。

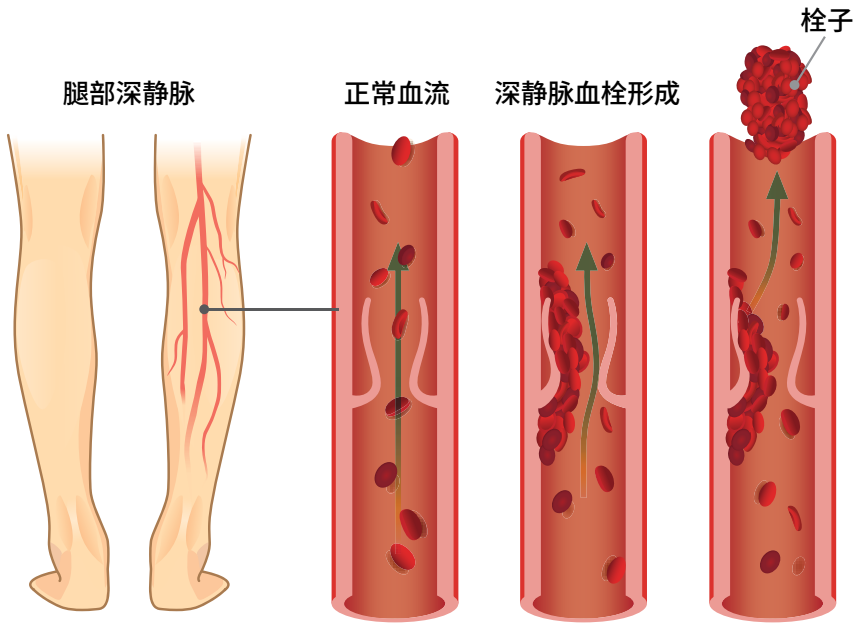
红血球增多症 (PV) 和原发性血小板增多症 (ET) 患者很容易形成血栓。 血细胞增加，多余的血细胞会粘在一起，两者都会减慢血流速度。 移动缓慢、粘稠的血细胞很可能形成血栓。

血栓是 PV 和 ET 最常见的并发症，有时会危及生命。 随着血栓恶化，它们会阻塞足够的血液流动（血栓形成），从而引起症状。血流受阻会导致器官损伤或衰竭，包括心脏病发作或中风。

预防性护理降低了形成血栓的几率。 通过预防，许多 PV 或 ET 患者可以存活很多年。

腿部血栓

MPN 患者有血栓风险。 这张图片展示了在腿部静脉中形成的血栓。 深静脉血栓形成是最常见的血栓类型。如果不进行治疗，血凝块可能会脱离并卡在肺内动脉中。这称为肺栓塞。肺栓塞可能是致命的。



计算血栓风险

每名骨髓增殖性肿瘤 (MPN) 患者的血栓风险并不相同。 医护人员将评估您的这一风险，并根据您的风险级别制定治疗计划。 这个过程称为风险分层。

PV 患者分为低危和高危两组。 风险是根据年龄和血栓史来确定。

对于 ET，使用了一种名为国际血栓预后评分 (IPSET-thrombosis) 的工具来进行风险分层。根据年龄、既往凝血块和 *JAK2* V617F 突变，将患者分入极低危、低危、中危或高危组。

血栓的预防

预防血栓的计划因人而异。 您的计划将基于您的 MPN 类型、血栓风险以及是否有 MPN 症状而定。 PV **指南 3** 和 ET **指南 4** 列出了基于风险级别的初步预防性护理方案，下文将对此进行说明。

管理心血管风险因素

您的心血管系统是由心脏、血管和血液组成。心血管风险因素可能会损害这一系统。 有心血管疾病风险因素可能会增加出现血栓的几率。

指南 3
红血球增多症相关血栓的初步预防性护理

风险级别	预防治疗方案
发生血栓的风险低 未满 60 岁，且从未有过血栓。	• 控制心血管风险因素 • 阿司匹林 • 静脉切开术

发生血栓的风险高
年满 60 岁或以上，或曾经发生过血栓。
	• 控制心血管风险因素
	• 阿司匹林
	• 静脉切开术
	• 旨在减少血细胞计数的细胞减灭治疗：
	  • 羟基脲（首选）
	  • 聚乙二醇干扰素 α-2b-njft（首选）
	  • 聚乙二醇干扰素 α-2a
	  • 鲁索替尼有时有用

医护人员将评估并帮助您管理可以改变的心血管风险因素：

- 抽烟
- 超重和肥胖
- 运动量过少
- 血压高（高血压）
- 血糖高（糖尿病）

阿司匹林

每天服用一粒婴儿阿司匹林可降低血栓风险。它通过降低血小板的粘性来预防血栓。 还可以减轻 ET 的微血管症状。

NCCN 专家建议大多数 PV 或 ET 患者每天服用 80 至 100 mg 阿司匹林。 如果您仍有症状，您可以每天服用两次阿司匹林。

阿司匹林可以预防低危或高危 PV 患者的血栓。它对 ET 患者也很有效，但并非每名 ET 患者都需要服用。

指南 4
原发性血小板增多症相关血栓的初步预防性护理

风险级别	预防治疗方案
发生血栓的风险极低 您未满60岁，且从未有过血栓，并且没有 *JAK2* 突变。	• 控制心血管风险因素 • 阿司匹林，如果有微血管症状
发生血栓的风险低 未满 60 岁，并且曾经发生过血栓。有 *JAK2* 突变。	• 控制心血管风险因素 • 阿司匹林
发生血栓的风险中等 年龄至少为 61 岁。从未有过血栓，并且没有 *JAK2* 突变。	• 控制心血管风险因素 • 阿司匹林

发生血栓的风险高
年龄至少为 61 岁，曾经发生过血栓，并且有 *JAK2* 突变。
	• 控制心血管风险因素
	• 阿司匹林
	• 旨在减少血细胞计数的细胞减灭治疗：
	  • 羟基脲（首选）
	  • 聚乙二醇干扰素 α-2a
	  • 阿那格雷

阿司匹林对极低危 ET 患者，尤其是获得性血管性血友病综合征 (aVWS) 患者弊大于利。

出血是某些患者服用阿司匹林的一种副作用。 aVWS 患者很容易出血，因为他们的血液不会像正常人一样凝结。

对于大多数人而言，应该避免使用更高剂量的阿司匹林。 高剂量会增加肠道出血的几率。 在开始服用阿司匹林之前，可能需要降低您的血细胞计数。 血细胞计数高会增加出血的风险。

静脉切开术

红细胞压积是衡量红细胞与血液总量之比的指标。 虽然阿司匹林对 PV 效果很好，但预防血栓的主要方法是降低红细胞压积。

诊断时，红细胞压积通常高于百分之五十五 (55%)。 对大多数人而言，红细胞压积应低于 45%。 有些人甚至需要达到低于 42% 这一目标值。

静脉切开术是降低红细胞压积的关键策略。 这是一种用针抽取少量血液的手术，就像献血时一样。

静脉切开术的工作原理是清除血液中含铁的红细胞。 随着体内铁元素的减少，骨髓产生的红细胞也减少了。 如果您正在接受静脉切开术疗法，除非您的治疗护理团队开出处方，否则请勿服用铁补充剂。

吸烟会阻碍阿司匹林发挥作用。 如果您吸烟，必须戒烟才能使阿司匹林发挥作用。 咨询医护人员，让其提供有关戒烟的辅导和帮助。

如果血液中的红细胞较少，就不容易出现血栓。 静脉切开术后，您的 MPN 症状 — 头痛、瘙痒和视力模糊可能很快就会得到缓解。

医护人员将评估您需要接受的静脉切开术治疗频率。 有些人需要每隔一周进行一次。 如果红细胞压积较高，您甚至可能需要每周一次或两次。 一旦红细胞压积和 MPN 症状得到控制，就可以降低静脉切开术的频率。

细胞减灭治疗

极有可能出现血栓的人可能会服用降低血细胞计数的药物。 这些细胞减灭治疗有时也用于缓解血栓不太可能出现时的症状。

一些细胞减灭治疗受到 NCCN 专家的青睐。 与其他方案相比，首选疗法效果更好、更安全或成本更低，或有更好研究支持其使用的治疗方案。

羟基脲

很久以来，羟基脲 (Hydrea)一直是标准的细胞减灭治疗用药。 它是高危 PV 和 ET 的首选初始疗法。 对许多人而言，它能够降低血细胞计数并在数年内预防血栓。

羟基脲是通过阻止新细胞的生成来起作用的。 它被制成胶囊，因此您可以居家服用。 它的给药剂量很低，因此很多人都可以耐受其副作用。

羟基脲可以导致血细胞计数低于正常水平，以及疲劳、皮肤变化、腹泻、便秘和皮肤癌。

α 干扰素

干扰素 α 天然存在于您的体内，有助于对抗感染。 它也可以作为一种治疗用药在实验室中制造。 干扰素能够抑制骨髓中血细胞的生成。

用于治疗 MPN 的两种干扰素是：

- 聚乙二醇化干扰素，通常称为聚乙二醇干扰素 (PEGASYS)，是高危 PV 和 ET 的一种治疗方案。 有时干扰素会给较年轻、怀孕或推迟服用类似药物（羟基脲）的人使用。
- 聚乙二醇干扰素 α-2b-njft (BESREMi) 是高危 PV 的首选治疗方案。

您可以在家中服用干扰素。 每两周皮下注射一次。 随着时间的推移，您使用它的频率会有所下降。

干扰素会导致流感样疾病、关节痛、疲劳、瘙痒、喉咙肿胀、肌肉骨骼疼痛和抑郁。

阿那格雷

阿那格雷 (Agrylin) 是一种用于治疗高危 ET 的抗血小板药物。 它会降低身体制造的血小板数量。 阿那格雷是一种胶囊，每天服用两次。 它可能会导致头痛、消化问题、贫血和心悸。

鲁索替尼

鲁索替尼有时对高危 PV 有效。 这是一种名为 JAK 抑制剂的药物。 有关鲁索替尼的更多信息，请阅读*第 5 章：骨髓纤维化*。

“

2018 年，我在年度体检中发现自己血小板计数升高，并被诊断为患有伴 JAK 2 基因突变的 ET。 我没有任何症状，我所接受的唯一治疗方法就是每天服用两片低剂量的阿司匹林。 我不相信这种情况需要被称为血癌。我告诉别人我患有血液病，因此这种病并没那么可怕。”

孕期血栓的预防

怀孕前，考虑咨询一位在高危妊娠方面有经验的产科医生。 该医生可以评估和管理孕期的健康风险。

如果您在既往妊娠期间有过血栓、PV 或 ET 导致的出血或相关问题，妊娠风险将会很高。

标准风险的孕期护理包括：

- 婴儿出生前，每天服用一次婴儿阿司匹林。
- 婴儿出生后，许多人都会服用低分子量肝素 (LMWH)，持续 6 周。
- LMWH 给药结束后，就可以重新开始服用阿司匹林。

高危孕期护理包括：

- 妊娠试验呈阳性后，每天服用一次婴儿阿司匹林。
- 许多人会在整个孕期服用 LMWH，并持续至产后 6 周。
- 如果血细胞计数高，可服用干扰素降低该计数。

每个人的孕期护理均包括：

- 在备孕期间、孕期期间或哺乳期间，不应服用羟基脲。 羟基脲可能会伤害您的宝宝。
- 您可以服用聚乙二醇干扰素 α-2a 来降低血细胞计数，但需对其在孕期的使用进行研究。

如果您在哺乳期间需要使用抗凝剂（通常称为血液稀释剂），则可以安全服用的药物是普通肝素、LMWH、华法林和磺达肝癸钠。 应避免直接口服抗凝剂。

如果您患有 PV，红细胞压积目标应基于怀孕三个月时的数据。 妊娠早期的红细胞压积应低于百分之四十一 (41%)，中期应低于 38%，晚期应低于 39%。

“获得关于伴 JAK2+ 突变的 ET 的消息并确诊该疾病，并不是我生命的终结。 事实上，它成了我生命中最为精彩的部分。 尽管极具挑战，但在这最艰难和最美好的时刻，我始终赞美上帝。我与丈夫结婚，通过 IVF 和代孕准备组建家庭，通过这一诊断结识了新的朋友，并为有朝一天找到治愈它的方法而努力奋斗。 我为我自己感到骄傲！”

血栓和手术

手术会增加血栓和出血的几率。 您的外科医生可能会联系您的 MPN 团队，以获取您的健康史。

您的外科医生需要了解任何关于您血栓、出血和用药的信息。

术前，您的血细胞计数应接近正常，以防出现血栓和出血。

- 术前您可能会接受抗凝剂和细胞减灭治疗。
- PV 患者可能需要接受更多次静脉切开术，以便在术前 3 个月将血细胞压积保持在 45% 以下。
- 如果手术有较高的静脉血栓栓塞风险，您可能会服用低分子量肝素。

临近术前，您需要停止服用一些药物。 术前 1 周停用阿司匹林。

您可以继续接受细胞减灭治疗直至手术，除非您的外科医生告诉您停止该治疗。 停用抗凝剂的时间取决于它在您体内停留的时间。

术后，您将接受血栓和出血监测。 如果出血风险较低，您可以重新开始服用抗凝剂。 通常，术后 24 小时即可重新开始服用阿司匹林。

PV 和 ET 检查

开始预防性护理后，您需要经常与您的治疗护理团队会面。您的团队将评估 MPN 是否正在造成健康问题以及该问题是否正在进展之中。 他们还将对治疗结果进行评估。

与您的治疗护理团队一同接受访视

访视期间，您将被问及是否有新的或恶化的症状，以及新的诊断。 可能会要求您完成一项名为 MPN-10 的症状调查。 有关症状治疗的信息，请阅读*第 6 章：支持治疗*。

如果您患有 PV，医护人员希望了解，自上次访视以来，您接受过多少次静脉切开术。

医护人员会对您的身体进行体检。 此外还会检查您脾脏和肝脏大小。 医护人员将检查是否有血栓和出血的迹象。

可能需要验血。 医护人员将监测您的血细胞计数和其他血液值。 也可能会安排进行肝肾功能检查。 有时，可能会进行外周血涂片检查。 可能需要执行骨髓抽吸和活检来排除骨髓纤维化的进展。

改变预防性护理

如果症状大有改善，您的护理方式可能不会发生改变。 如果症状几乎没有缓解或恶化，则可能需要改变护理方式。 有关可能需要改变护理方式的信号触发事件完整列表，请参见**指南 5**。

如需改变预防性护理，可以选择临床试验。 临床试验是一种医学试验性研究。有关临床试验的更多信息，请阅读*第 5 章：骨髓纤维化*。

如果之前未接受过细胞减灭治疗，则下一步的护理可能会采用该疗法。 如果您现在有高危疾病、症状或异常失血等情况，

指南 5
标志着可能是时候改变预防性护理方式的事件

事件	红细胞增多症	原发性血小板增多症
血栓	●	●
获得性假血友病综合征		●
大出血	●	●
脾大	●	●
血细胞计数高或不断增加	●	●
新症状	●	●
服用阿司匹林后仍出现微血管症状		●
需要更多静脉切开术来保持低血细胞计数，或者静脉切开术带来了问题	●	
细胞减灭治疗未能降低血细胞计数，或者带来了问题	●	●
骨髓纤维化	●	●
血液中的原始细胞	●	●

则可能会开始采用该疗法。

有时，细胞减灭治疗起初有效，但后续无效。有时，该疗法会不够有效，或甚至根本不起作用。在这些情况下，需要更换为**指南 6** 中列出的护理方案。

“

现在已经是我确诊 PV 后的第 10 年，直到最近一个月，我才改变了服用 500 mg 羟基脲，每天两次的这一治疗方案。 虽然羟基脲会引起皮肤问题，但我很幸运，我基本没有症状！ 了解有关 MPN 的所有信息，坚持提出问题，并与您的肿瘤医生和谐沟通。”

指南 6
血栓初期预防护理后的下一步治疗方案

	红细胞增多症	原发性血小板增多症
如果先前未接受过细胞减灭治疗，则开始接受该治疗	• 临床试验（首选） • 聚乙二醇干扰素 α-2b-njft（首选） • 羟基脲 • 聚乙二醇干扰素 α-2a	• 羟基脲（首选） • 聚乙二醇干扰素 α-2a • 阿那格雷
停止目前的细胞减灭治疗，开始一种新的治疗方法	• 临床试验（首选） • 停用羟基脲后，使用鲁索替尼（首选）。 • 如果之前未服用过，则使用聚乙二醇干扰素 α-2b-njft、羟基脲、聚乙二醇干扰素 α-2a	• 临床试验（首选） • 如果之前未服用过，则使用羟基脲（首选） • 如果之前未服用过，则使用聚乙二醇干扰素 α-2a 或阿那格雷 • 鲁索替尼有时有用 • 在紧急情况下从血液中去除血小板（血小板单采术）
如果 MPN 转变为骨髓纤维化，则采用新的治疗方案	相关治疗方案，请阅读第 5 章	相关治疗方案，请阅读第 5 章

PV 和 ET 进展

PV 和 ET 可进展为骨髓纤维化。大约 1/10 的 PV 或 ET 患者会出现进展。 这些 MPN 进展的原因尚不清楚。 研究者正在研究炎症和异常基因的作用。

PV 或 ET 的患病时间越长，进展风险就越大。这些 MPN 很少像急性髓细胞白血病 (AML) 那样直接进展到骨髓纤维化的急变期。如果 PV 和 ET 确实出现进展，它们通常会进展成为慢性期骨髓纤维化，然后再进入晚期。

一旦开始进展，这一过程可能会十分缓慢，并且可能会持续很多年。 进展的早期迹象是降低血细胞计数的治疗需求稳步下降。 医护人员可能会减少或停止治疗，以查看您的血细胞计数是否会停止下降。 如果没有停止下降，则表明您可能患有骨髓纤维化。 骨髓纤维化治疗将在第 5 章讨论。

关键点

- 红血球增多症 (PV) 和原发性血小板增多症 (ET) 患者很容易形成血栓。 通过预防性护理，大多数患者可以存活很多年。
- 预防性护理是基于您的血栓风险。 拥有健康的心脏和血管是每个人的目标。 阿司匹林也经常用于预防血栓。
- 对于 PV，可通过静脉切开术来降低红细胞压积。 对于高危 PV/ET，细胞减灭治疗可能是减少血细胞计数的治疗方案之一。
- 如果您已怀孕并且血细胞计数在分娩后再次改变，您的护理方式可能会再次发生改变。 如果您需要手术，由于手术会增加血栓和出血的风险，因此您的护理方式也可能会发生改变。
- 您需要经常与您的治疗护理团队会面。 访视期间，将检查癌症状况和预防性护理的结果。
- 如果 PV 或 ET 越来越严重，您的治疗可能会发生改变。 下一步治疗将取决于当前的血栓风险级别、您之前的治疗以及是否有骨髓纤维化进展。

“

知识就是力量。 如果您的问题和疑虑未得到妥善解决，请不要放弃。 全国有许多技术精湛的 MPN 专家可以为您提供缓解、缓和和改善生活质量的服务。 为自己和自己的需求积极争取服务。”

5
骨髓纤维化

37 骨髓纤维化的类型

37 预测预后

39 治疗无贫血的骨髓纤维化

42 治疗伴有贫血的骨髓纤维化

44 治疗晚期骨髓纤维化

45 参与临床试验

47 骨髓纤维化检查

47 改变治疗方法

48 关键点

在某些人体内的骨髓纤维化几乎是隐性，但在另一些人体内却进展迅速。本章将讨论其治疗方法，包括治疗骨髓纤维化伴贫血的最新方法。

骨髓纤维化的类型

骨髓纤维化是一种会导致骨髓瘢痕形成的血癌，称为纤维化。 有或没有骨髓增殖性肿瘤 (MPN) 病史的人都可能患骨髓纤维化。

如果骨髓纤维化是人体内第一种 MPN，则称为**原发性骨髓纤维化 (PMF)**。 当红细胞增多症 (PV) 或原发性血小板增多症 (ET) 发展到一定程度时，也会发生骨髓纤维化。 在这些情况下，该疾病被称为继发性骨髓纤维化或 **PV 后**和 **ET 后骨髓纤维化**。

骨髓纤维化因人而异。 其在病程、进展速度和症状方面均有所不同。

治疗部分基于对骨髓纤维化侵袭性的预测。 许多患者的骨髓纤维化进展缓慢。 它可以稳定多年。

对其他人来说，MPN 则更为活跃。 治疗计划的第一步是评估预后。

预测预后

预后是指骨髓纤维化的可能病程和结果。 专家和治疗护理团队使用风险分层评分系统来评估预后。

评分系统

对于 PMF，NCCN 专家更倾向于使用 MIPPS-70 和 MIPSS-70 Plus 2.0 版来进行评分。这些评分系统适用于 70 岁或 70 岁以下需要进行广泛分子检测的人群。 针对任何年龄人群的其他评分系统有 DIPSS 和 DIPSS-Plus。

MYSEC-PM 是用于 PV 后和 ET 后骨髓纤维化的风险分层系统。

风险基于您的医疗信息。 每一个反映不良结局风险的回答都会得到相应的分数。根据总分，给患者分配一个风险级别。

请询问医护人员您的风险级别是多少，以及计算风险级别所使用的系统。 每个系统的风险级别列于下一页的**指南 7** 中。

NCCN 风险组

NCCN 专家将总分分为 2 个风险组（较低危组和较高危组），以便制定治疗计划。

下一节将讨论无贫血的较低危和较高危骨髓纤维化的治疗方法。 但大多数骨髓纤维化患者都有贫血。 如果您有贫血，请阅读本章“*治疗伴贫血的骨髓纤维化*”一节。

“您的抗癌之旅是一次独特的人生历程。放松心情，笑对人生，不要试图预测结果。”

指南 7
评估骨髓纤维化预后的风险系统

系统	系统风险级别	NCCN 风险级别
MIPSS-70	• 低危的评分为 0 或 1分 • 中危的评分为 2、3 或 4分 • 高危风评分为 5 分或以上	• 较低危的评分为 3 分或以下 • 较高危的评分为 4 分或以上
MIPSS70-plus 2.0 版	• 极较低风险的评分为 0 分 • 低风险的评分为 1 或 2分 • 中风险的评分为 3 或 4分 • 高风险的评分为 5、6、7 或 8 分 • 极高风险的评分为 9 分或以上	• 较低风险的评分为 3 分或以下 • 较高风险的评分为 4 分或以上
DIPSS	• 低风险的评分为 0 分 • 中危-1的评分为 1 分或 2 分 • 中等 -2 风险的评分为 3 分或 4 分 • 高风险的评分为 5 或 6 分	• 较低风险的评分为 2 分或以下 • 较高风险的评分为 3 分或以上
DIPSS-PLUS	• 低风险的评分为 0 分 • 中等 -1 风险的评分为 1 分 • 中危等 -2 风险的评分为 2 分或 3 分 • 高风险的评分为 4 或 5 分	• 较低风险的评分为 1 或 0 分 • 较高风险的评分为 2 分或以上
MYSEC-PM	• 低风险的评分为 11 分或以下 • 中等 -1 风险的评分为 12 分或 13 分 • 中等 -2 风险的评分为 14 分或 15 分 • 高风险的评分为 16 分或以上	• 较低风险的评分为 13 分或以下 • 较高风险的评分为 14 分或以上

治疗无贫血的骨髓纤维化

骨髓纤维化的治疗计划是依据各种信息，而不仅仅是依据预后来制定的。 将跟踪记录您的症状。 医护人员将在检查期间评估您的脾脏大小。 将监测血细胞和原始细胞计数。

根据这些信息，您的治疗目标可能包括：

- 缓解症状
- 改善血细胞计数
- 预防或延缓发展为晚期骨髓纤维化或白血病

骨髓纤维化的治疗方案将在下几页介绍，并列于**指南 8** 中。

指南 8
治疗无贫血的骨髓纤维化

较低危	临床状态	治疗方案
较低风险	无症状	• 观察和等待 • 临床试验

较低风险	有症状	• 临床试验
		• 接受以下治疗有时可能有效：
		  • 鲁索替尼
		  • 聚乙二醇干扰素 α-2a
		  • 如果降低血细胞计数可减轻症状，可服用羟基脲
		  • 如果血小板低于 50,000，可服用帕克替尼
		  • 莫洛替尼

较高危	您的血小板数量在**低到高**范围内（50,000 或更高）	• 尝试使用同种异体造血细胞移植来治疗 MPN 或 • 临床试验、鲁索替尼、菲达替尼、莫洛替尼、帕克替尼
较高风险	血小板数量**极低**（低于 50,000）	• 尝试使用同种异体造血细胞移植来治疗 MPN 或 • 临床试验、帕克替尼（首选方案）或莫美罗替尼

临床试验

如果可以，建议进行临床试验。临床试验是一种医学试验性研究。有关临床试验的更多信息，请阅读本章“*参与临床试验*”一节。

观察和等待

较低危骨髓纤维化可能会保持稳定或进展缓慢。如果患者患有未引起症状的较低危骨髓纤维化，则可以开始“观察和等待”。观察河北等待也称为“观察”或“观察性等待”，是指通过一段时间的检测来评估骨髓纤维化的变化。 如果出现症状，则可开始治疗。

细胞减灭治疗

对于引起症状的较低危骨髓纤维化，可选择细胞减灭治疗。 用于治疗骨髓纤维化的疗法有聚乙二醇干扰素 α-2a 或羟基脲。 有关治疗的更多信息，请参见*第 4 章：PV 和 ET 中的凝血*。

JAK 抑制剂

JAK 是一种帮助细胞生长的细胞蛋白。 它是造血干细胞发育成成熟血细胞的关键。 无论是否有 *JAK* 突变，骨髓纤维化患者的 JAK 都过度活跃。

JAK 抑制剂可阻止 JAK，并减少产生的新血细胞数量。 相反，它们还能缩小脾脏体积，减轻核心症状。 鲁索替尼 (Jakafi)、菲达替尼 (INREBIC)、帕克替尼 (Vonjo) 和莫洛替尼 (Ojjaara) 均属于 JAK 抑制剂。

推荐使用哪种 JAK 抑制剂?

对于**较低危骨髓纤维化**，必要时通常使用鲁索替尼来治疗症状。 当血小板水平很低时，可选择帕克替尼。 也可以选择莫洛替尼，但需要在较低风险骨髓纤维化患者中开展更多研究。

对于**较高危骨髓纤维化患者**，NCCN 专家会根据血小板水平推荐特定的 JAK 抑制剂。

当血小板水平在低到高的范围内时，推荐使用鲁索替尼、莫洛替尼和菲达替尼。需要在这一血小板范围内进行菲达替尼研究。

当血小板水平非常低时，NCCN 专家更倾向于使用帕克替尼进行治疗。 需要在血小板极低的人群中进行更多帕克替尼研究。

治疗包括哪些内容?

JAK 抑制剂是一种居家服用的药片。 您的医护人员将确定适合您的药物和剂量，并根据需要进行调整。 除非医护人员给您发出指令，否则请勿停止服药。

同种异体 HCT

造血干细胞是一种可发育成各种血细胞的细胞。 骨髓纤维化患者的造血干细胞和骨髓会发生病变。

同种异体造血细胞移植 (HCT) 使用供体细胞在体内形成健康的骨髓和血细胞。 它可以延长寿命，并且可能治愈骨髓纤维化。

并非所有人都适合进行同种异体 HCT。 这是一种高强度治疗，因此很多人无法接受。 移植专家将评估您是否可以进行移植。 专家还将评估供体选项

哪种情况可以选择同种异体 HCT?

同种异体 HCT 很少用于治疗较低危骨髓纤维化，但如果血小板计数较低或癌细胞具有复杂的细胞遗传学，则可以选择进行同种异体 HCT。复杂核型是指在 2 个或更多细胞中出现 3 个或更多不相关的染色体缺陷。

每名较高危骨髓纤维化患者均应接受移植评估，因为移植是治愈的唯一机会。对于具有 *ASXL1*、*EZH2* 和 *RAS* 等高危突变的 PMF 来说，移植益处可能大于风险。

治疗包括哪些内容?

接受同种异体 HCT 需要经历四个步骤，这可能是一个艰苦的过程。 接受移植前，您可能会一直服用 JAK 抑制剂来缩小脾脏体积和改善症状。

您的治疗护理团队将为您提供有关同种异体 HCT 的详细信息，并回答您的问题。 为了让您对移植过程有一个大致的了解，以下是简要说明：

1. 将对您血液中一种名为人类白细胞抗原 (HLA) 的细胞蛋白进行检测。 供体 HLA 必须与您的接近完全匹配，才能成功移植。即使匹配近乎完全，供体细胞也可能会攻击您的身体。这就是所谓的移植物抗宿主病 (GVHD)。
2. 您将接受一种称为调理的治疗，以杀死您的骨髓细胞。 它还会削弱免疫系统，所以您的身体不会杀死供体细胞。
3. 接下来，您将通过输注来接受供体细胞。输注是将血液制品缓慢注入静脉。 新的健康血细胞将在接下来的 2 到 4 周内形成。这一过程称为移植。
4. 移植后的前几周，您须格外小心，避免细菌感染。 这是因为您的抗感染免疫系统几乎完全消失。 您可能会服用抗生素来预防或治疗感染。 您可能会接受称为免疫抑制剂的药物来预防 GVHD。

有关 GVHD 的更多信息，请访问 NCCN.org/patientguidelines 和 NCCN Patient Guides for Cancer 应用程序。



> 为了子孙后代，从小事做起...
> 如果我没有接受干细胞移植，我就不会在这里享受移植的益处。”

治疗伴有贫血的骨髓纤维化

贫血是血红蛋白水平较低的一种说法。 大多数骨髓纤维化患者会在确诊后一年内出现贫血。 贫血可能会让人感到疲倦、畏寒或脸色苍白。 这些症状是由于细胞无法得到足够氧气所致。

如果您患有贫血，医护人员将根据您是否有以下情况来制定治疗方案：

- 有因骨髓纤维化以外的原因导致的贫血
- 正在服用 JAK 抑制剂
- 有贫血症状或骨髓纤维化症状

根据贫血原因，您的治疗护理团队可能会处方开具一些补充剂来补充低铁、低叶酸或低维生素 B12 水平。**指南 9** 列出了骨髓纤维化相关贫血的治疗方案。

临床试验

NCCN 专家倾向于采用临床试验来治疗贫血。 还需要进一步研究，以便在更多人群中测试目前的治疗方法。 尽管最近的治疗方法有所改善，但仍需更好的治疗方法。 有关临床试验的更多信息，请阅读本章“*参与临床试验*”一节。

JAK 抑制剂

JAK 抑制剂可缩小脾脏体积和减轻核心症状，但可能会加重贫血。 由于贫血，可能会减少 JAK 抑制剂的剂量，也可能会暂停或停止治疗。还有不需要避免或停用 JAK 抑制剂的其他治疗方案。

- 其中一种方案是服用莫洛替尼。 莫洛替尼可以改善贫血和骨髓纤维化症状。 对于有贫血但无骨髓纤维化症状的患者，还需要更多关于在该人群中使用这种药物的信息。
- 第二种方案是服用帕克替尼。在服用帕克替尼期间，贫血可能不严重，因为它不会抑制新血细胞的产生，甚至还可能增加血红蛋白。
- 对于服用鲁索替尼的患者而言，第三种方案是继续服用药物并开始贫血治疗。在服用鲁索替尼的同时，还可以添加促红细胞生成剂 Luspatercept-aamt 或达那唑来治疗贫血。但对于许多人而言，这些附加药物不能长时间改善贫血，或者可能根本没有帮助。

红细胞药物

如果不需要使用 JAK 抑制剂，您可能会接受增加红细胞数量的贫血治疗。 此类贫血药物包括：

- 罗特西普
- 促红细胞生成剂，如达依泊汀 α 和依泊汀 α（如果血液中的促红细胞生成素低于 500 mU/mL)。
- 达那唑
- 来那度胺联合泼尼松，用于治疗伴有 5q 缺失异常基因的骨髓纤维化

红细胞输注

引起症状的贫血病标准治疗方法是红细胞输注。红细胞输注是接受捐献血液的常见操作。应从捐献血液中去除大部分白细胞，因为这有助于防止捐献血液攻击您的身体。 这还能防止您感染巨细胞病毒 (CMV)。

指南 9
治疗伴有贫血的骨髓纤维化

当 JAK 抑制剂正在控制骨髓纤维化症状时，贫血的治疗方法	推荐的治疗方案为： • 临床试验（首选） • 在鲁索替尼基础上添加促红细胞生成剂 luspatercept-aamt 或达那唑。 • 将当前的 JAK 抑制剂换成莫洛替尼或帕克替尼有时会有帮助 • 除上述方案外，如果贫血引起症状，您可能需要接受红细胞输注
贫血和非受控骨髓纤维化症状的治疗方法	推荐的治疗方案为： • 临床试验（首选） • 莫洛替尼（首选） • 帕克替尼 • 在鲁索替尼基础上添加促红细胞生成剂 luspatercept-aamt 或达那唑。 • 除上述方案外，如果贫血引起症状，您可能需要接受红细胞输注
无骨髓纤维化症状时的贫血治疗方法	推荐的治疗方案为： • 临床试验（首选） • 罗特西普 • 如果您血液中的促红细胞生成素低于 500 mU/mL，可使用促红细胞生成剂 • 达那唑 • 莫洛替尼 • 帕克替尼 • 来那度胺与泼尼松联合治疗（针对有 5q 缺失的疾病） • 除上述方案外，如果贫血引起症状，您可能需要接受红细胞输注

治疗晚期骨髓纤维化

骨髓纤维化可发展成为加速期或急变期。20 年后，大约 1/20 的 PV 或 ET 患者会出现进展。对于 PMF，这一比例约为 3/20。

进展期标志是骨髓或血液中幼稚型血细胞（称为成髓细胞）的比例较高。 成髓细胞（简称“原始细胞”）通常只存在于骨髓中。

正常情况下，骨髓中的原始细胞计数低于 5%。在骨髓纤维化的加速期，原始细胞计数在 10% 至 19% 之间。骨髓纤维化的急变期（也称为 MPN 后急性髓细胞白血病 (AML)）至少有 20% 的原始细胞计数。如果染色体出现某些异常变化，且原始细胞低于 20%，则可诊断为 AML。

实验室检查

为确认进展，需要对骨髓进行实验室检查。 如果无法抽取骨髓，可使用血液样本。 您可能知道一些用于疾病进展的实验室检查，因为这些检查也用于 MPN 诊断（参见第 2 章）：

- 使用包括或不包括荧光原位杂交 (FISH) 的核型细胞遗传学
- 流式细胞术
- AML 相关突变的二代测序 (NGS)

治疗计划

确认进展后，您和您的治疗护理团队将立即讨论治疗方案。治疗可能包括化疗或在化疗后进行同种异体 HCT。如果移植是一个治疗方案，您将被转介至移植专家处进行治疗。

临床试验

无论是否接受移植，NCCN 专家都建议进行临床试验。 咨询治疗团队是否有适合您的开放临床试验。有关临床试验的更多信息，请阅读本章“*参与临床试验*”一节。

低强度化疗

当移植不是一个治疗方案时，通常会采用低强度化疗来进行治疗。 低强度化疗的一种类型是去甲基化药物，如阿扎胞苷和地西他滨。 如需了解其他针对 AML 的低强度化疗方案，请访问 NCCN.org/patientguidelines 和 NCCN Patient Guides for Cancer 应用程序。



JAK 抑制剂或维奈托克 (Venclexta) 有时会与去甲基化药物一起使用。 JAK 抑制剂可缩小脾脏体积和减轻骨髓纤维化症状。维奈托克是一种通过靶向作用于名为 BCL2 的蛋白质来帮助控制 MPN 生长的药片。 但其可能会导致严重的健康问题，因此需要更多信息来确定 MPN 患者是否能从中受益。

诱导治疗

一些病情较好的患者会接受诱导疗法，这种疗法涉及多种药物的联合应用。 诱导治疗的目标是清除骨髓中的原始细胞。 用于治疗 AML 的化疗通常用于诱导治疗。

同种异体 HCT

如果您已经在服用 JAK 抑制剂，则在接受移植前，可继续服用该药物。

对于晚期骨髓纤维化，第一步治疗是在移植前接受诱导治疗。 如果诱导治疗效果良好，则移植手术会更成功。 有些人不接受诱导治疗，而是在服用或不服用 JAK 抑制剂的情况下服用去甲基化药物。

接受同种异体移植会经历多个步骤。本章前面的“*治疗无贫血骨髓纤维化*”一节介绍了这些步骤。

“

时刻做好最坏情况的准备，但要保持积极乐观的态度，并抱有最佳希望。 最重要的是，永不放弃！”

参与临床试验

NCCN 专家建议对许多 MPN 患者进行临床试验。 临床试验是一种医学试验性研究。这些临床试验可以测试抗癌的潜在新方法及其对人类产生的负面影响。在开发出潜在抗癌新方法并经过实验室测试后，需要在人体内进行研究。如果在临床试验中发现药物、器械或治疗方法是安全而有效的，则可能会获得美国食品和药物管理局 (FDA) 的批准。

所有癌症患者都应仔细考虑所有适用于其癌症类型的治疗方案，包括标准治疗和临床试验。请与医护团队讨论临床试验是否对您有意义。

分期

大多数癌症临床试验都侧重于治疗。治疗试验按不同的分期进行。

- **1 期试验**研究试验用药或治疗方法的剂量、安全性和副作用。他们还寻找药物或治疗方法可以起作用的早期体征。
- **2 期试验**研究药物或方法对特定类型癌症的疗效。
- **3 期试验**将药物或方法与标准治疗相比较。若结果良好，就可能获得 FDA 的批准。
- **4 期试验**研究 FDA 批准治疗的长期安全性和获益。

谁能入组?

每项临床试验都有参加的规则，这叫做入组资格标准。规则可能与年龄、癌症类型和分期、治疗史或一般健康状况有关。这些要求可确保受试者在特定方面是相似的，并尽可能保证试验对受试者是安全的。

知情同意

临床试验由一组称为研究团队的专家管理。研究团队将与您一起详细审查研究，包括其目的以及加入的风险和获益。还将以知情同意书的形式提供所有这些信息。请仔细阅读同意书，并在签署前提出问题。花些时间与家人、朋友或您信任的其他人讨论。请记住，您可以随时离开，寻求临床试验之外的治疗。

开始对话

不要等团队提出临床试验。主动开始对话，了解您的所有治疗方案。如果您发现一项可能有资格参加的研究，请询问团队您是否符合要求。如果您已经开始了标准治疗，您可能不符合某些临床试验的资格。如果无法加入，请不要气馁。总会有可用的新临床试验。

常见问题

围绕临床试验存在许多谬见和误解。许多癌症患者并不清楚可能的获益和风险。



寻找临床试验

在美国

NCCN 癌症中心
NCCN.org/cancercenters

国家癌症研究所 (NCI)
cancer.gov/about-cancer/treatment/clinical-trials/search

全球

美国国家医学图书馆 (NLM)
clinicaltrials.gov/

在寻找临床试验方面需要帮助吗?

NCI 的癌症信息服务 (CIS)
1.800.4.CANCER (1.800.422.6237)
cancer.gov/contact

我会不会服用安慰剂?

几乎不会进行仅使用安慰剂（真正药物的非活性版本）的癌症临床试验。但接受标准治疗联合安慰剂或标准治疗联合新药的情况很常见。如果安慰剂是临床试验的一部分，将会在您入组前通过口头和书面形式通知您。

临床试验是免费的吗?

参加临床试验是免费的。研究申办方支付与研究相关的费用，包括研究用药。但是，可能会产生与试验间接相关的费用，例如因额外预约而产生的交通费用或托儿费用。试验期间，您将继续接受标准癌症护理。标准癌症治疗由保险支付，而且通常由保险承保。您需要负责承担标准癌症治疗中保险未涵盖的共付金额和任何成本。

骨髓纤维化检查

开始治疗后，您需要经常与您的治疗护理团队会面。NCCN 专家建议，接受观察的较低危骨髓纤维化患者应每 3 至 6 个月进行一次访视。如果您正在接受积极治疗（如 JAK 抑制剂），您可能需要经常进行访视。

与您的治疗护理团队一同接受访视

访视期间，您将被问及是否有新的或恶化的症状，以及新的诊断。可能会要求您完成一项名为 MPN-10 的症状调查。有关症状治疗的信息，请阅读*第 6 章：支持治疗*。

医护人员会对您的身体进行体检。此外还会检查您脾脏和肝脏大小。

将申请进行验血。医护人员将监测您的血细胞计数和其他血液值。如果症状恶化或有可能存在疾病进展的迹象，您可能需要接受骨髓活检和抽吸。

治疗反应

研究有评估药物效果的标准。 要知道，您的治疗可能有效，但可能不符合这些标准。 医护人员将主要根据症状是否有所改善来评估治疗结果。

改变治疗方法

如果症状有所改善且血细胞计数可接受，您的治疗方法可能不会改变。 改变治疗方法的原因包括症状几乎没有缓解或症状恶化。 此外，血细胞计数恶化或出现疾病进展迹象也可能导致治疗方法改变。

分子检测可为治疗决策提供指导。 检测可能会发现自上次检测以来出现的新突变。 对活检样本进行二代测序 (NGS) 试验可以检测 *ASXL1*、*EZH2* 和 *RAS* 等较高危突变。 这些突变提示骨髓纤维化可能出现进展，可能需要移植。

如果骨髓纤维化恶化但没有进展，下一步治疗将根据当前的风险级别和之前的治疗来进行。新出现的贫血可使用改善血细胞计数的药物来进行治疗。

关键点

- 骨髓纤维化是一种会导致骨髓瘢痕形成的血癌（纤维化）。 病情恶化速度因人而异。
- 治疗计划的第一步是使用风险分层系统评估预后。 NCCN 的治疗建议基于两个风险级别—较低和较高。
- 如果没有贫血，观察和等待是没有引起症状的较低危骨髓纤维化的治疗方案。症状和较低危骨髓纤维化通常使用 JAK 抑制剂来进行治疗。有些人健康状况良好，可以接受同种异体造血细胞移植 (HCT)。
- 如果患有贫血，治疗方法可能包括 JAK 抑制剂、增加红细胞计数的药物或两者合用。引起症状的贫血的标准治疗方法是红细胞输注。
- 晚期骨髓纤维化通常采用化疗，且化疗强度各不相同。 化疗后，有些患者可能会进行同种异体移植。
- NCCN 专家建议对 MPN 患者进行临床试验。 临床试验可测试阻止人类癌症或减轻症状的新方法。询问医护团队是否有适合您的临床试验。
- 确诊后，您将经常与您的治疗护理团队会面。访视期间，您的治疗护理团队会检查您的癌症状况，并询问您的感受。

“初步诊断和新的现实可能会让人不知所措，因为人们对 MPN 知之甚少。 虽然骨髓纤维化非常罕见，但 MPN 研究和教育组织以及非正式患者网络存在很多有用的资源，以提供机会来分享问题、恐惧、症状和治疗方法。令人欣慰的是，不断出现新的研究和潜在的治疗方案，将有助于改善和延长我们的寿命。”

6
支持治疗

50 出血

51 血栓

53 骨痛

53 头痛和耳鸣

53 瘙痒

54 感染

54 肿瘤溶解综合征

54 铁过载

54 支持治疗指南

56 关键点

支持治疗目标是维持或改善您的生活质量。 本章将讨论骨髓增殖性肿瘤 (MPN) 患者的一些支持性需求。

支持治疗对所有骨髓增殖性肿瘤 (MPN) 患者都非常重要。 这不仅仅适用于生命末期需要临终关怀的人。

支持治疗有时称为姑息治疗，因为主要目标是缓解症状。但支持治疗解决了许多其他需求。您可以获得食物帮助、经济援助、或家庭咨询。

告诉医护团队您的症状和其他需求，以便获得最佳支持治疗。姑息治疗专家可能是癌症治疗护理团队的成员之一。专家已接受过专门培训，可以为您提供额外支持。有些癌症中心设有姑息治疗项目。

出血

MPN 患者的出血风险会增加。 出血(bleeding)也称为出血 (hemorrhaging)，症状通常轻微，在血小板计数过高或过低时才发生。

与红细胞增多症 (PV) 或原发性血小板增多症 (ET) 相比，骨髓纤维化最常发生出血。 出血可能很严重，尤其是贫血或血小板计数低的患者。

出血事件因人而异。 有些人容易出现淤青，而另一些人则会流鼻血。 月经量可能比正常情况多。 消化道可能会发生出血。尿液中可能会发现带血。

请咨询您的治疗护理团队哪些类型的出血需要立即就医。

“请确保您的血液病专家/MPN 专家认真倾听您的主诉。 症状是什么并不重要。 您可能是第一个经历“雷达之外”事物的人。 他们就在您身边"。



出血原因

正常情况下，当血小板细胞在凝血因子的帮助下堵住血管孔时，出血就会停止。 如果血液不能正常凝结，就会出现大量出血。

PV 和 ET 出血原因有几种：

- 血小板可能无法正常工作。
- 血小板数量可能非常高。 高血小板水平可能会降低一种名为血管性血友病的凝血因子。
- 用阿司匹林预防血栓可能会过度稀释血液。
- 用抗血小板或细胞减灭治疗预防血栓可能会使血细胞计数降至非常低的水平。
- 用抗凝剂治疗血栓可能会大大减缓凝血时间。

骨髓纤维化出血原因更简单。 出血通常是由血小板数量过低所致。

骨髓纤维化出血

如果血小板计数低于 10,000 m^3，您可能需要接受血小板输注来预防出血。血小板输注也可用于治疗出血。 应从捐献血液中去除大部分白细胞。 这将有助于防止捐献血液攻击您的身体。同时还可以防止您感染巨细胞病毒 (CMV)。

输血可能无法止血。 在这种情况下，可以使用抗纤维蛋白溶解剂。 这些药物有助于血液凝固。

PV 和 ET 中的出血

医护人员将识别并治疗所有出血原因。 可能会进行凝血试验，以评估是否存在获得性血管性血友病 (aVWS)。 由于血小板计数高，血管性血友病因子水平可能较低。

在血小板计数正常之前，将停用阿司匹林。 可能会进行降低血小板计数的治疗。 如果您患有 ET 并且如果出血严重，您可能会接受血小板单采术，但这种情况很罕见。

血栓

即使采取了预防措施，仍有可能出现血栓。 许多血栓可以使用抗凝剂来安全控制。 凝血是血液凝固的另一个说法。 尽管抗凝剂被称为血液稀释剂，但它能减缓血液凝固。

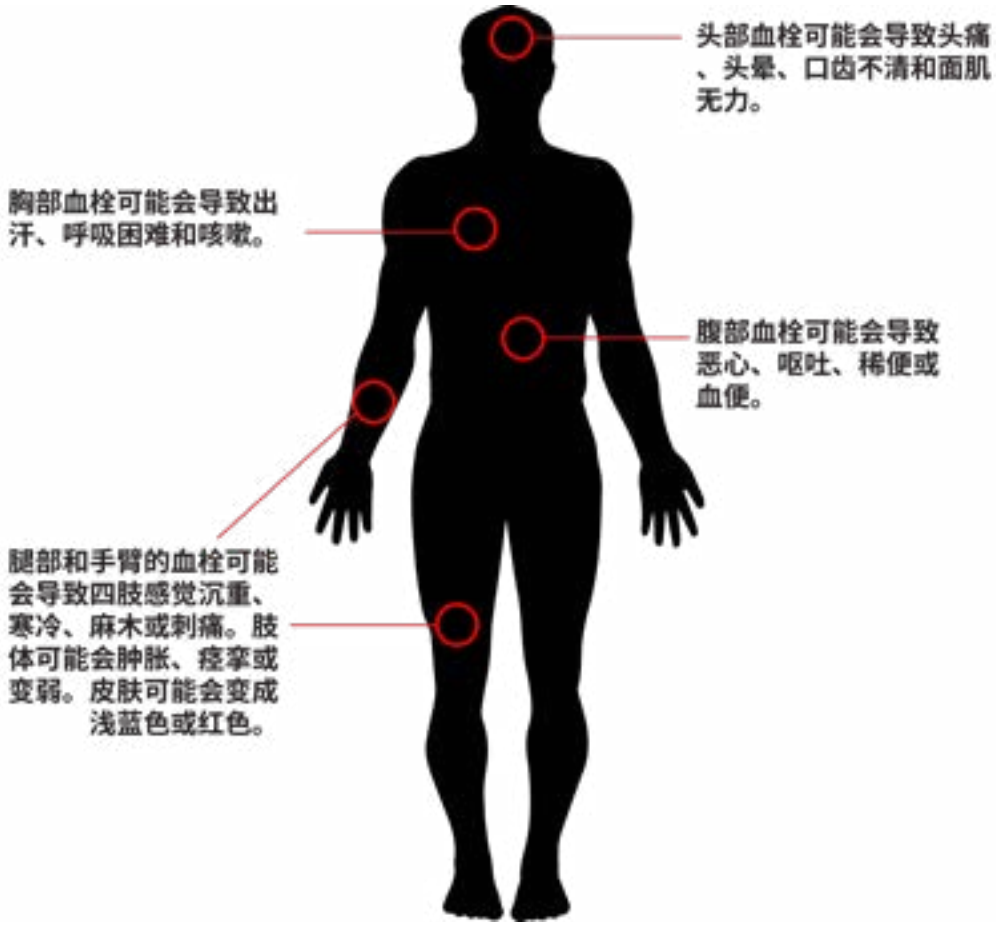
抗凝剂

研究表明，在一般情况下，抗凝剂有助于治疗血栓。 但几乎没有关于 MPN 患者使用抗凝剂的疗效研究。 目前尚不清楚一种抗凝剂是否比另一种抗凝剂更有效。 亦不清楚抗凝剂需要多长时间才能发挥作用。

医护人员会根据血栓的严重程度来决定您服用抗凝剂的时间。 常见的抗凝剂有三种：

- **低分子量肝素 (LMWH)**–这种药物可增强体内天然抗凝剂的效果。它可以注射到皮肤中，也可以在家服用。
- **直接口服抗凝剂**–这些药片会破坏有助于血液凝固的蛋白质。这些药物包括阿哌沙班 (Eliquis)、贝曲沙班 (Bevyxxa)、达比加群 (Pradaxa)、依多沙班 (Savaysa) 和利伐沙班 (Xarelto)。
- **维生素 K 阻滞剂**–在这些药物中，最常用的是华法林 (Coumadin、Jantoven)。这是一种在家服用的药丸。华法林会阻止肝脏利用维生素 K，而维生素 K 是制造凝血蛋白所必需的。 服用华法林时，需要定期进行检测，以测量您的血液凝固快慢。

血栓的示警体征



抗凝剂会增加出血风险。 如果服用阿司匹林或接受降低血小板计数的治疗，风险会更高。 在您服用抗凝剂期间，医护人员可能会停止这些治疗。 有心血管风险因素的人可以继续服用阿司匹林，但可能需要根据情况而变化。

血小板单采术

如果您突然出现危及生命的血栓，您可能会接受血小板单采术。 这种手术会抽取您的血液并去除血小板。 然后，减少了血小板的血液将回输至您的体内。

血小板单采术很少采用，因为它只能在短时间内轻微减少血小板。 这种方法适用于出现危及生命的出血或血栓或对药物治疗无效的 ET 患者。

骨痛

医护人员会评估骨痛是否由 MPN 引起。 必须进行这一评估，因为 MPN 相关性骨痛的治疗不同于关节痛的治疗。

在一项 MPN 研究中，鲁索替尼能够稳定骨痛和肌肉疼痛。 对于一些患者而言，氯雷他定和非甾体抗炎药 (SAID) 可缓解疼痛。 低剂量放射治疗可短期缓解骨痛。

头痛和耳鸣

如果开始头痛，您可能有血栓。 此外，由身体发出而他人听不到的声音（耳鸣），如高音铃声，也可能是血栓症状。 如果您出现这些症状，请告知医护人员。

头痛和其他血管症状可以服用低剂量阿司匹林缓解。 如果症状持续存在，每天服用两次阿司匹林或服用抗血小板药物（氯吡格雷）可能会有更好的效果。 阿司匹林可与抗血小板药物同时服用。 在服用阿司匹林的同时服用 NSAID 应谨慎，不得在医生不知情的情况下服用。 如果您每天服用阿司匹林，请务必告知急诊或急救医生。

除阿司匹林外，还有几种治疗方案。静脉切开术或鲁索替尼可缓解 PV 患者的头痛。 对于所有 MPN，细胞减灭疗法可减轻头痛和其他血管症状。 偏头痛可使用曲普坦或托吡酯进行预防和治疗。

瘙痒

瘙痒（皮肤瘙痒）是 MPN 患者的常见问题。 瘙痒可能很严重，甚至会影响生活。

止痒的首要方法是进行敏感性皮肤护理。 这种护理包括短时间淋浴、使用温和肥皂和滋润皮肤。抗组胺药（西替利嗪、苯海拉明）和外用类固醇药物也可能有帮助。

如果需要，将根据治疗方法的利弊采取下一步措施来缓解瘙痒。 鲁索替尼可缓解瘙痒。 关于选择性五羟色胺再摄取抑制剂 (SSRI) 和窄谱紫外线 B 的早期研究显示了其应用前景。

可以尝试使用的其他药物包括聚乙二醇干扰素 α-2a、加巴喷丁、阿瑞匹坦和免疫抑制剂，如环孢素、甲氨蝶呤、硫唑嘌呤、霉酚酸酯或度匹鲁单抗。

感染

由于骨髓纤维化或其治疗方法，您可能容易受到感染。 请咨询医护人员，确认哪些疫苗对您是安全的。如果服用 JAK 抑制剂，医生可能会给您处方开具重组（灭活）带状疱疹疫苗。

如果您经常发生感染，医护人员可能会给您处方开具抗生素以预防感染。 如果中性粒细胞计数较低，您可能会接受粒细胞集落刺激因子 (G-CSF) 或粒细胞-巨噬细胞集落刺激因子 (GM-CSF) 来代替抗生素。 这些药物应谨慎使用，因为虽然罕见，但可能会导致脾脏肿大。

肿瘤溶解综合征

当死亡细胞释放的废物不能迅速排出体外时，就会出现肿瘤溶解综合征 (TLS)。 这些废物会造成肾脏损伤和严重的血液电解质紊乱。 TLS 可能会危及生命。

诱导化疗可能会导致 TLS。 诱导化疗是一种治疗晚期骨髓纤维化或急性髓细胞白血病 (AML) 的方法。 这种治疗方法会杀死许多癌细胞，并在短时间内产生过多废物。

化疗期间大量输液可以预防 TLS。 输液可能有助于清除细胞废物。 另一种方案是使用别嘌呤醇或拉布立酶来降低尿酸水平。如果尿酸水平过高或影响到肾脏，可首先使用拉布立酶进行治疗。

铁过载

铁过载是指体内铁含量过多。 如果多次接受红细胞输注，就会出现这种情况。 铁螯合剂是一种能清除体内多余铁质的药物。 对于较低危骨髓纤维化患者，有时可以选择这种方法。如果输注超过 20 次或血液铁蛋白水平超过 2500 ng/mL，医护人员可能会给您处方开具铁螯合剂。

支持治疗指南

NCCN Guidelines for Patients 资源库中有多种关于支持治疗方面的书籍。这些书籍主要介绍如何治疗多种癌症的常见身心影响。其中一本书是关于健康生活的，书中分享了有关运动、食物和补充剂以及疫苗的建议。

支持治疗指南

痛苦



所有癌症患者都会在某个时候感到痛苦。担心、悲伤、无助或生气是正常的。痛苦可能会变得严重，影响您的生活方式。

疲劳



癌症相关性疲劳并不是忙碌或长时间工作后出现的典型疲倦。 它是一种令人苦恼的精力不足，无法通过正常休息或睡眠得到改善，并且会扰乱生活。

姑息治疗



姑息治疗是一种为患有严重疾病（包括癌症）的患者提供医疗服务的方法。 其重点是缓解癌症的症状和压力。

恶心和呕吐



化疗会引起恶心和呕吐。 恶心是一种想要呕吐的感觉。呕吐是强行把胃里的东西吐出来。

移植物抗宿主病



同种异体造血细胞移植的副作用是移植物抗宿主病。 这种副作用是由于供体细胞攻击您的健康细胞所致。

迟发性影响和长期影响



癌症及其治疗可能会造成长期影响和迟发性影响。长期影响始于治疗期间，并在治疗结束后持续存在。少数情况下，治疗结束后很长时间才会开始出现影响。迟发性影响和长期影响包括心脏病、疲劳、睡眠质量不佳、疼痛和抑郁。

健康生活



开始或保持健康的生活方式很重要。 健康的生活方式有助于预防疾病和改善健康。内容包括体育锻炼、食物和疫苗接种。

完整的 NCCN Guidelines for Patients 资源库可从 NCCN.org/patientguidelines 获得。

关键点

- 支持治疗是一种可以改善生活质量的健康护理。它可以提供症状缓解和其他需求方面的帮助。
- 与 PV 和 ET 相比，骨髓纤维化最常见的症状是出血。 针对出血原因，不同的 MPN 类型有不同的治疗方案。
- PV 和 ET 的治疗重点是血栓，但骨髓纤维化患者也会出现血栓。 他们需要接受抗凝剂和抗血小板药物治疗。
- 所有 MPN 都会出现骨痛、头痛、耳鸣和瘙痒，并且严重影响生活质量。 需要开展更多研究，以找到治疗 MPN 患者这些症状的最佳治疗方法。
- 骨髓纤维化患者可能会出现频繁感染、肿瘤溶解综合征和铁含量过高。 接种疫苗可能是预防感染的最佳方法。 通过输液清除细胞废物可预防 TLS。 铁螯合剂是铁含量过高的一种治疗方法。
- NCCN Guidelines for Patients 资源库中包含有关支持治疗方面的书籍。这些书重点关注癌症及其治疗的常见影响，例如疲劳、痛苦、恶心和呕吐和睡眠质量差。

“确诊为 MPN 后，生活会充满挑战。 这不是一种决定生命的疾病，而是一种改变生活的经历。 这需要了解和控制身体症状，例如疲劳和疼痛，以及与慢性病共存的情绪影响。”

7
做出治疗决定

58 这是您自己的选择

59 要问的问题

66 资源

对自己选择的癌症治疗方法感到满意很重要。要进行选择，首先要与医护团队进行开诚布公的对话。

这是您自己的选择

在共享决策中，您和医护团队需要共享信息、讨论治疗方案，并就治疗计划达成一致。这要从您和医护团队之间开展开诚布公的对话开始。

治疗决定是一件非常私人的事。对您重要的事情对别人来说可能并不重要。一些可能在您的决策中发挥作用的事情：

- 您想要什么，以及它与其他人想要的有何不同
- 您的宗教和精神信仰
- 您对某些治疗的感受
- 您对疼痛或副作用的感受
- 治疗费用、前往治疗中心的旅费，以及辍学和停工的时间
- 生活质量和寿命
- 您的活动程度以及对您很重要的活动

请考虑您想从治疗中获得的内容。公开讨论特定治疗和程序的风险和获益。权衡治疗方案，并与医护团队分享您的担忧。如果您花时间与团队建立关系，将有助于在考虑治疗方案和做出治疗决定时感受到支持。

第二方意见

希望尽早开始治疗很正常。虽然癌症治疗不容忽视，但还是有时间让另一位医疗人员复查您的检查结果，并提出一个治疗计划。这称为征求第二方意见，这是癌症治疗的正常组成部分。甚至专家也要获取第二方意见！

您可以做的准备工作：

- 与您的保险公司核实关于第二方意见的规则。在您保险计划之外的医护人员就诊可能需要自付费用。
- 制定计划，将所有结果的副本发送给提供第二方意见的医护人员。

支持小组

许多癌症确诊患者发现支持小组很有帮助。支持小组通常包括处于不同治疗阶段的患者。有些人可能是新诊断患者，而另一些人可能已经完成了治疗。如果您所在的医院或社区没有癌症患者支持小组，请查看本书中列出的网站。

要问的问题

以下几页列出了可以询问治疗护理团队的问题。可以随意使用这些问题，或提出自己的问题。

有关癌症检测的问题

1. 我将接受哪些检查？ 如果我需要进行活检，需要做哪些准备？
2. 检查有什么风险吗？
3. 我需要为检查做些什么准备吗？
4. 我需要找人陪同就诊吗？
5. 我应该去哪里做检查，需要多长时间？
6. 如果任何检查会造成伤害，您会采取什么措施让我感到舒适？
7. 我多久会知道结果，由谁向我解释结果？
8. 我如何获取病理报告和其他检查结果的副本？
9. 是否有在线门户网站可以查到我的检查结果？

关于 MPN 的问题

1. 我的 MPN 是什么类型?
2. 我的 MPN 是快速发展型，还是缓慢发展型?
3. MPN 有哪些可能的并发症?
4. 我如何找到 MPN 专家?
5. 治疗目标是什么?
6. 我的 MPN 变成骨髓纤维化或白血病的几率有多大?
7. 有哪些症状和体征表明 MPN 可能发生变化?

有关治疗方案的问题

1. 我有什么治疗方案?
2. 如果什么都不做会怎样?
3. 除 NCCN 建议之外，您是否建议其他治疗方案？如果是，原因何在?
4. 我的年龄、性别、总体健康状况和其他因素对我的治疗方案有何影响?
5. 如果我怀孕了或计划怀孕，该怎么办?
6. 是否有任何治疗方案能治愈或长期控制癌症?
7. 我如何获得第二方意见?
8. 我必须在多长时间内作出治疗决定，是否会有社工或其他人可以帮助我做出决定?
9. 如果 MPN 出现进展，我有哪些治疗方案?

关于临床试验的问题

1. 您建议我考虑参加临床试验来治疗吗?
2. 如何找到我可以参加的临床试验?
3. 临床试验中使用的研究用药是什么，是否每个人都会得到?
4. 研究用药是否已用于其他类型的癌症?
5. 这种药物的风险和获益是什么?
6. 我应该预期哪些副作用？如何管理这些副作用?
7. 我将参加临床试验多长时间?
8. 如果试验无效，我还能接受其他治疗吗?
9. 您如何知道治疗是否有效?
10. 我需要为临床试验缴费吗?

有关可以预料的问题

1. 这家医院或癌症中心能为我提供最好的治疗吗?
2. 我可以选择何时开始治疗吗?
3. 治疗会持续多长时间?
4. 推荐的治疗方法会与我正在服用的其他药物会产生哪些相互作用?
5. 开始服用药物后，如果我对治疗有顾虑或疑问，应向谁致电?
6. 如果办公室关门了，我应该联系谁解决问题或疑虑?
7. 您如何知道治疗是否有效?
8. 癌症恶化的可能性有多大?
9. 治疗后还需要哪些随访治疗?

关于副作用的问题

1. 治疗有哪些可能的并发症和副作用?
2. 癌症本身会引起任何副作用吗?
3. 哪些副作用最常见?它们通常持续多长时间?
4. 哪些副作用是严重或危及生命的?
5. 有长期或永久性副作用吗?
6. 我应该立即报告哪些症状，我应该联系谁?
7. 我可以采取哪些措施预防或减轻治疗的副作用?
8. 有什么药物会加重副作用吗?
9. 副作用会随着时间的推移减轻或加重吗?
10. 如果出现严重副作用，您会停止或改变治疗吗?

关于资源和支持的问题

1. 我可以向谁寻求住房、食物和其他基本需求方面的帮助?
2. 在交通、托儿和家庭护理方面有哪些帮助?
3. 谁能告诉我可以选择哪些医疗保险并帮助我申请保险?
4. 我需要为我的治疗支付多少费用? 在药物和其他治疗费用支付方面有哪些帮助?
5. 谁能帮助我解决工作或学业方面的问题?
6. 我如何与他人建立联系并建立支持系统?
7. 如果我在家里、工作场所或社区感到不安全，我可以向谁倾诉?

资源

AnCan Foundation
ancan.org

骨髓捐赠中心
BeTheMatch.org/one-on-one

CancerCare
cancercare.org

Imerman Angels
imermanangels.org

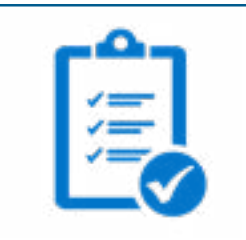
MPN Cancer Connection
mpncancerconnection.org

MPN 研究基金会
mpnrf.org

National Coalition for Cancer Survivorship
canceradvocacy.org

The Leukemia & Lymphoma Society (LLS)
LLS.org/PatientSupport

Triage Cancer
triagecancer.org



期盼您的回复！

我们的目标是提供有帮助且通俗易懂的癌症信息。

请参与我们的调查，帮助我们了解做得正确的方面和可以改进的方面。

NCCN.org/patients/feedback



词汇表

BCR-ABL1
一种异常基因，是慢性髓性白血病的标志。

CMV
巨细胞病毒

DIPSS
动态国际预后评分系统

ET 后骨髓纤维化
伴有骨髓瘢痕形成的晚期原发性血小板增多症。

G-CSF
粒细胞集落刺激因子

GM-CSF
粒细胞-巨噬细胞集落刺激因子

IPSET-血栓形成
血栓形成国际预后评分。

LMWH
低分子量肝素

MDS
骨髓增生异常综合征

MIPPS
突变增强国际预后评分系统

MPN-SAF TSS
MPN 症状评估表症状总分

MYSEC-PM
继发于 PV 和 ET 的骨髓纤维化 - 预后模型

NGS
二代基因测序

NOS
非特指型

NSAID
非甾体抗炎药

PV 后骨髓纤维化
伴有骨髓瘢痕形成的晚期红细胞增多症。

SM-AHN
系统性肥大细胞增多症伴相关血液肿瘤

SSRI
选择性五羟色胺再摄取抑制剂

白细胞
一种白细胞。

白细胞分型计数
测量血液样本中不同类型的白细胞。

饱腹感
进食后的饱腹感。

病理学家
擅长通过检测细胞和组织来发现疾病的医生。

病史
您所有健康事件和用药的报告。

出血
体内或体外失血。 也称为出血。

促红细胞生成剂
一种帮助骨髓产生更多红细胞的药物。

促红细胞生成素 (EPO)
一种由肾脏产生的激素。

动脉
将血液从心脏运往全身各处的血管。

耳鸣
由身体发出而他人听不到的声音，如高音铃声。

分子学检测
对细胞内异常基因进行的一种实验室检查。

风险分层
根据已证实的预测因素对事件发生可能性进行的评估。

肝功能检查 (LFT)
测量肝脏产生或处理的化学物质的试验。

感觉异常
身体有烧灼感或刺痛感。

高血压
高血压。

骨髓
骨骼内柔软的海绵状物质，大多数血细胞都是在骨骼中制造。

骨髓穿刺
取出少量液体骨髓进行疾病检测。

骨髓活检
取出少量骨密质和骨髓进行疾病检测。

骨髓增殖性肿瘤 (MPN)
一种导致血细胞过多或骨髓瘢痕的造血细胞癌。

核型
一种使用显微镜检查细胞染色体的试验。

红细胞压积
血液中红细胞的百分比。

红细胞增多症 (PV)
导致红细胞过多的造血细胞癌。

基因
细胞内控制细胞行为的一组编码指令。

急性髓细胞白血病 (AML)
一种由年轻白细胞（称为成髓细胞）引发的血癌。

假血友病综合征 (VWS)
一种导致血液无法凝固的血液疾病。

进展
癌症恶化。

静脉
将血液输送回心脏的血管。

静脉切开术
抽血。

静脉血栓栓塞 (VTE)
在深静脉中形成的血栓，现在可能阻塞在肺动脉中。

巨核细胞
一种制造凝血血小板的骨髓细胞。

抗凝剂
一种减缓血液凝固的治疗方法。

粒细胞
一种白细胞。

临床试验
对检查或治疗进行的研究，以评估其安全性或有效性。

慢性粒单核细胞白血病 (CML)
一种导致形成过多白细胞（称为粒细胞）的血癌。

逆转录聚合酶链反应 (RT-PCR)
一种实验室检查，即使在少数细胞中也能检测出癌症标记物。

尿酸
一种存在于大多数细胞中的化学物质。

凝血试验
导致血液凝固的蛋白检测。

疲劳
一种极度疲倦感，即使睡眠充足，也会限制人的身体机能。

脾大
脾脏异常大。

脾脏
胃左侧的一个小器官，是免疫系统的一部分。

贫血
健康红细胞含量低，无法为组织提供足够氧气。

前期 PMF
前期原发性骨髓纤维化。

全身症状
一种由疾病引起的身体状况。

全血细胞计数 (CBC)
样本血细胞数量检查。

染色体
细胞内一种长而紧密盘绕的结构，包含细胞行为的编码指令。

人类白细胞抗原 (HLA)
细胞表面的特殊蛋白质，帮助人体区分自身细胞和外来细胞。

乳酸脱氢酶 (LDH)
一种帮助细胞产生能量的蛋白质。

瘙痒症
皮肤瘙痒。

生物标志物检测
对您体内的某种分子进行实验室检查，以评估健康状况。

栓子
不附着于基底并在血液中移动的血栓。

糖尿病
一种导致高血糖的疾病。

体检
健康专家对疾病体征进行的检查。

铁
制造新红细胞所需的一种矿物质。

同种异体造血干细胞移植 (HCT)
一种用供体干细胞替代造血干细胞，进而制造新的健康骨髓的癌症治疗方法。

突变
细胞（基因）中的一组异常编码指令。

外周血涂片
使用显微镜对血滴进行的检查。

细胞过多
细胞数量过多。

细胞减灭治疗
一种减少血细胞数量的治疗方法。

细胞遗传学
使用显微镜对染色体进行的研究。

细胞因子
一种能增强或激活免疫系统的蛋白质。

纤维化
支撑纤维在组织中形成瘢痕。

血红蛋白
红细胞中携带氧气的一种蛋白质。

血生化全套
检测血液中多达 14 项化学物质的一组试验。

血栓
凝胶状血块。 也称为血栓。

血栓形成
一种由血栓引起的血管中的血流阻塞。

血涂片
一种用显微镜观察血滴以评估血细胞特征的检测方法。

血小板
一种有助于控制出血的血细胞。也称为凝血细胞。

血小板单采术
抽取血液、去除血小板，然后将改变后的血液回输至体内的一个操作过程。

血液病专家
擅长治疗血液疾病的医护人员。

移植物抗宿主病 (GVHD)
供体血液干细胞对正常细胞的攻击。

荧光原位杂交 (FISH)
一种使用特殊染料寻找细胞基因和染色体异常变化的实验室检查。

预后
根据检查，认为疾病可能发生的病程和结果。

原发性骨髓纤维化 (PMF)
非因其他骨髓问题引起的骨髓瘢痕。

原发性血小板增多症 (ET)
一种产生过多血小板的血液干细胞癌症。 也称为原发性血小板增多症。

原始细胞
一种幼稚型血细胞，该细胞无法像成熟血细胞那样发挥作用。

造血干细胞
一种所有其他类型的血细胞都是由它形成的细胞。也称为血液干细胞。

诊断
根据检测结果确定疾病。

支持治疗
针对癌症或癌症治疗引起的症状或健康问题的治疗。

肿瘤溶解综合征 (TLS)
一种因许多癌细胞快速死亡引起的健康状况。

NCCN 编著者

本患者指南根据骨髓增殖性肿瘤 NCCN Clinical Practice Guidelines in Oncology (NCCN Guidelines®) 2024 年第 1 版编著。由下列人士协助改编、修订和发表：

Dorothy A. Shead，理学硕士
患者信息操作高级总监

Laura J. Hanisch，心理学博士
患者信息项目经理

Susan Kidney
高级平面设计专员

Tim Rinehart
医学报告撰写专员

骨髓增殖性肿瘤 NCCN Clinical Practice Guidelines in Oncology (NCCN Guidelines®) 2024 年第 1 版由以下 NCCN 专家组成员编著：

Aaron T. Gerds，医学博士，理学硕士/主席
Case Comprehensive Cancer Center/ University Hospitals Seidman Cancer Center and Cleveland Clinic Taussig Cancer Institute

Jason Gotlib，医学博士，理学硕士/副主席
Stanford Cancer Institute

Peter Abdelmessieh，骨科医学博士，理学硕士
Fox Chase Cancer Center

Haris Ali，医学博士
City of Hope National Medical Center

Mariana Castells，医学博士，哲学博士
Adjunct Panel Member
Dana-Farber/Brigham and Women's Cancer Center

Andrew Dunbar，医学博士
Memorial Sloan Kettering Cancer Center

Tracy I. George，医学博士
Huntsman Cancer Institute at the University of Utah

Steven Green，医学博士
Roswell Park Comprehensive Cancer Center

Krishna Gundabolu，临床医学学士
Fred & Pamela Buffett Cancer Center

Elizabeth Hexner，医学博士，理学硕士
Abramson Cancer Center at the University of Pennsylvania

Tania Jain, 临床医学学士
The Sidney Kimmel Comprehensive Cancer Center at Johns Hopkins

Catriona Jamieson，医学博士，哲学博士
UC San Diego Moores Cancer Center

Paul R. Kaesberg，医学博士
UC Davis Comprehensive Cancer Center

Andrew T. Kuykendall，医学博士
Moffitt Cancer Center

Yazan Madanat，医学博士
UT Southwestern Simmons Comprehensive Cancer Center

Naveen Manchanda，医学博士
Indiana University Melvin and Bren Simon Comprehensive Cancer Center

Lucia Masarova，医学博士
The University of Texas MD Anderson Cancer Center

Jori May，医学博士
O'Neal Comprehensive Cancer Center at UAB

Brandon McMahon，医学博士
University of Colorado Cancer Center

Sanjay R. Mohan，医学博士，理学硕士
Vanderbilt-Ingram Cancer Center

Kalyan V. Nadiminti，医学博士
University of Wisconsin Carbone Cancer Center

Stephen Oh，医学博士，哲学博士
Siteman Cancer Center at Barnes-Jewish Hospital and Washington University School of Medicine

Jeanne Palmer
Mayo Clinic Comprehensive Cancer Center

*Anand A. Patel，医学博士
The UChicago Medicine Comprehensive Cancer Center

Nikolai Podoltsev，医学博士，哲学博士
Yale Cancer Center/Smilow Cancer Hospital

*Lindsay Rein，医学博士
Duke Cancer Institute

*Ruth Fein Revell
Patient Advocate

Rachel Salit，医学博士
Fred Hutchinson Cancer Center

Moshe Talpaz，医学博士
University of Michigan Rogel Cancer Center

Martha Wadleigh，医学博士
Dana-Farber/Brigham and Women's Cancer Center

Sarah Wall，医学博士，公共卫生硕士
The Ohio State University Comprehensive Cancer Center - James Cancer Hospital and Solove Research Institute

NCCN 工作人员

Mary Anne Bergman
指南协调员

Cindy Hochstetler，哲学博士
肿瘤学家/医学作家

* 审核本患者指南。关于公开性原则，请访问 NCCN.org/disclosures。

NCCN 癌症中心

Abramson Cancer Center
at the University of Pennsylvania
Philadelphia, Pennsylvania
800.789.7366 • pennmedicine.org/cancer

Case Comprehensive Cancer Center/
University Hospitals Seidman Cancer Center and
Cleveland Clinic Taussig Cancer Institute
Cleveland, Ohio
UH Seidman Cancer Center
800.641.2422 • uhhospitals.org/services/cancer-services
CC Taussig Cancer Institute
866.223.8100 • my.clevelandclinic.org/departments/cancer
Case CCC
216.844.8797 • case.edu/cancer

City of Hope National Medical Center
Duarte, California
800.826.4673 • cityofhope.org

Dana-Farber/Brigham and Women's Cancer Center |
Mass General Cancer Center
Boston, Massachusetts
877.442.3324 • youhaveus.org
617.726.5130 • massgeneral.org/cancer-center

Duke Cancer Institute
Durham, North Carolina
888.275.3853 • dukecancerinstitute.org

Fox Chase Cancer Center
Philadelphia, Pennsylvania
888.369.2427 • foxchase.org

Fred & Pamela Buffett Cancer Center
Omaha, Nebraska
402.559.5600 • unmc.edu/cancercenter

Fred Hutchinson Cancer Center
Seattle, Washington
206.667.5000 • fredhutch.org

Huntsman Cancer Institute at the University of Utah
Salt Lake City, Utah
800.824.2073 • healthcare.utah.edu/huntsmancancerinstitute

Indiana University Melvin and Bren Simon
Comprehensive Cancer Center
Indianapolis, Indiana
888.600.4822 • www.cancer.iu.edu

Mayo Clinic Comprehensive Cancer Center
Phoenix/Scottsdale, Arizona
Jacksonville, Florida
Rochester, Minnesota
480.301.8000 • Arizona
904.953.0853 • Florida
507.538.3270 • Minnesota
mayoclinic.org/cancercenter

Memorial Sloan Kettering Cancer Center
New York, New York
800.525.2225 • mskcc.org

Moffitt Cancer Center
Tampa, Florida
888.663.3488 • moffitt.org

O'Neal Comprehensive Cancer Center at UAB
Birmingham, Alabama
800.822.0933 • uab.edu/onealcancercenter

Robert H. Lurie Comprehensive Cancer Center
of Northwestern University
Chicago, Illinois
866.587.4322 • cancer.northwestern.edu

Roswell Park Comprehensive Cancer Center
Buffalo, New York
877.275.7724 • roswellpark.org

Siteman Cancer Center at Barnes-Jewish Hospital
and Washington University School of Medicine
St. Louis, Missouri
800.600.3606 • siteman.wustl.edu

St. Jude Children's Research Hospital/
The University of Tennessee Health Science Center
Memphis, Tennessee
866.278.5833 • stjude.org
901.448.5500 • uthsc.edu

Stanford Cancer Institute
Stanford, California
877.668.7535 • cancer.stanford.edu

The Ohio State University Comprehensive Cancer
Center -
James Cancer Hospital and Solove Research Institute
Columbus, Ohio
800.293.5066 • cancer.osu.edu

The Sidney Kimmel Comprehensive
Cancer Center at Johns Hopkins
Baltimore, Maryland
410.955.8964
www.hopkinskimmelcancercenter.org

The UChicago Medicine Comprehensive Cancer Center
Chicago, Illinois
773.702.1000 • uchicagomedicine.org/cancer

The University of Texas MD Anderson Cancer Center
Houston, Texas
844.269.5922 • mdanderson.org

UC Davis Comprehensive Cancer Center
Sacramento, California
916.734.5959 • 800.770.9261

health.ucdavis.edu/cancer

UC San Diego Moores Cancer Center
La Jolla, California
858.822.6100 • *cancer.ucsd.edu*

UCLA Jonsson Comprehensive Cancer Center
Los Angeles, California
310.825.5268 • *uclahealth.org/cancer*

UCSF Helen Diller Family Comprehensive Cancer Center
San Francisco, California
800.689.8273 • *cancer.ucsf.edu*

University of Colorado Cancer Center
Aurora, Colorado
720.848.0300 • *coloradocancercenter.org*

University of Michigan Rogel Cancer Center
Ann Arbor, Michigan
800.865.1125 • *rogelcancercenter.org*

University of Wisconsin Carbone Cancer Center
Madison, Wisconsin
608.265.1700 • *uwhealth.org/cancer*

UT Southwestern Simmons Comprehensive Cancer Center
Dallas, Texas
214.648.3111 • *utsouthwestern.edu/simmons*

Vanderbilt-Ingram Cancer Center
Nashville, Tennessee
877.936.8422 • *vicc.org*

Yale Cancer Center/Smilow Cancer Hospital
New Haven, Connecticut
855.4.SMILOW • *yalecancercenter.org*



请参与我们的调查，让 NCCN Guidelines for Patients 变得更好，让每位患者受益！

NCCN.org/patients/comments

注

索引

CALR 11, 15–17, 19
JAK 抑制剂 30, 40–45, 47, 54
JAK2 11, 15–17, 27–28
MPL 11, 15–17
NCCN 癌症中心 73–74
NCCN 编著者 72
三阴性 16–17
临床试验 33, 36, 40, 42, 44–47
人类白细胞抗原 (HLA) 14
全血细胞计数 (CBC) 11, 13
共同决策 58
凝血 11
化疗 44, 54
原发性骨髓纤维化(PMF) 11, 15–16, 18, 37, 41
同种异体造血细胞移植 (HCT) 40–41, 45
后期 ET 骨髓纤维化 37
后期 PV 骨髓纤维化 37
急性髓细胞白血病 (AML) 5, 8, 35, 44–45, 54
慢性髓系细胞白血病 (CML) 7, 15
抗凝剂 31–32, 51–52
支持治疗 50, 54–55
病史 11–12
第二方意见 58
细胞减灭治疗 29–30, 32–34, 40, 51
获得性假血友病综合征 (aVWS) 14, 29, 51
血小板单采术 34, 51, 53
观察等待 40
贫血 16, 30, 37, 39, 42–43, 47
阿司匹林 28–31, 33, 51, 53
静脉切开术 29, 53
骨髓增生异常综合征 (MDS) 5, 16
骨髓活检 14, 47
骨髓穿刺 14, 47



NCCN GUIDELINES FOR PATIENTS®

骨髓增殖性肿瘤

2024

要资助 NCCN Guidelines for Patients，请访问

NCCNFoundation.org/Donate

NCCN Guidelines for Patients 的语言翻译由 Sobi 资助。

National Comprehensive Cancer Network®
3025 Chemical Road, Suite 100
Plymouth Meeting, PA 19462
215.690.0300

NCCN.org/patients–适用于患者 | NCCN.org–适用于临床医生

PAT-TRA-1773-0724