



骨髓增生 异常综合征 100问



100个与MDS诊断和治疗相关的问题及其答案

不仅可供血液科医生在日常诊疗工作中参考，
也可供患者及其家属在漫长的疗养生活中参考与借鉴

浦杰 主编



军事医学科学出版社

骨髓增生 异常综合征

100问

最新专家问答 骨髓增生异常综合征
问题及其答案

中国医学科学院肿瘤医院 血液科 主任医师
王卫庆 主编

中国协和医科大学出版社

ISBN 7-309-04944-2



骨髓增生异常综合征

100问

浦权 主审

浦杰 主编

军事医学科学出版社

· 北 京 ·

图书在版编目(CIP)数据

骨髓增生异常综合征100问 / 浦杰 主编.

—北京: 军事医学科学出版社, 2012.4

ISBN 978-7-80245-925-0

I. ①骨… II. ①浦… III. ①骨髓增生异常-综合征-诊疗-问题解答
IV. ①R551.3-44

中国版本图书馆CIP数据核字(2012)第049953号

策划编辑: 李 玫 盛 立 责任编辑: 曹继荣 责任印制: 丁爱军

出 版 人: 孙 宇

出 版: 军事医学科学出版社

地 址: 北京市海淀区太平路27号

邮 编: 100850

联系电话: 发行部: (010) 66931049

编辑部: (010) 66931039, 66931127, 66931038

传 真: (010) 63801284

网 址: <http://www.mmssp.cn>

印 装: 中煤涿州制图印刷厂北京分厂

发 行: 新华书店

开 本: 850mm × 1168mm 1/32

印 张: 5

字 数: 96千字

版 次: 2012年5月第1版

印 次: 2012年5月第1次

定 价: 18.00元

本社图书凡缺、损、倒、脱页者, 本社发行部负责调换

序

骨髓增生异常综合征（MDS）是一种严重威胁人类健康和生命的常见血液病，在我国的发病率较急性髓细胞白血病高3~4倍，较再生障碍性贫血高20~30倍，且有日益增长的趋势。推算我国每年有25~30万例新增患者，故而对广大血液病学工作者是一个严峻的挑战。近10多年来，本病在基础理论、诊断和治疗等各个方面均已取得了长足进展。血液病医生在日常诊疗工作中，经常会遇到不少MDS患者及其家属希望能了解罹患此病后的详情细节，诸如血液和骨髓检验、病程和预后、日常生活和饮食调节的相关信息，以及各种治疗药物和血液制品应用等对他们生活质量和生存的影响。本书编者根据临床实践中所积累的经验，结合国内外有关MDS诊治的最新进展，深入浅出地介绍了100个与MDS诊断和治疗相关的问题及其答案，实为一本值得阅读和参考的好书，本人愿意推荐该书给广大读者。一方面可供MDS患者本人及其家属在病员的漫长疗养和康复生活中参考与借鉴；亦可供血液病医生在日常诊疗工作中参考。

MDS的基础与临床研究日新月异，但治疗手段十分有限。2004年前，国际上从未批准任何一种用于治疗MDS的有效药物。近些年来虽有4种新药陆续被美国食品和药品监督管理局（FDA）批准上市供MDS患者治疗，但效果并不十分理想。因此，如何攻克这一世纪

骨髓增生异常综合征100问

难题，是摆在血液病学工作者面前的艰巨任务，任重而道远！望大家齐心协力，刻苦钻研，加强新药，尤其是汉方植物药的探索与研究，共同为攻克MDS作出新贡献。

上海交通大学附属第六人民医院

—血液科和血液病理研究室教授，主任医师

复旦大学客座教授，复旦大学血液病中心

—上海道培医院血液病理实验室主任，主任医师

浦权

2012年3月

前言

当医生提出“骨髓增生异常综合征”（“MDS”）或“骨髓增生异常瘤”（“MPN”）这一深不可测的诊断病名时，常使患者及其家属深感迷惑。现代，MDS是一种威胁人类健康的常见血液病，其发病率在各国均有日益增加的趋势，较急性髓细胞白血病的发病高3~4倍，推算我国每年约有30万例新发患者，故而受到广大血液病工作者的高度重视。近些年来，我们在日常诊疗工作中经常遇到MDS患者希望能了解罹患此病后的详情细节，诸如血液和骨髓检验、病程和预后、日常生活与饮食调节的相关信息，以及各种治疗药物和血液制品应用等对他们生存和生活质量的影响。为此，编者在本书中介绍了100个与MDS诊断和治疗等相关的问题及其答案，以期供血液科医生在日常诊疗工作中参考，也可为MDS患者及其家属在病员漫长的疗养生活中提供借鉴。

本书在内容与文字的编写上难免存在某些缺点或错误，尚望读者批评指正，辛甚！

桂林医学院附院血液病科 浦杰

2012年3月

目录

1. 何谓骨髓增生异常综合征（MDS）？	1
2. 何谓“灰区病”？	2
3. MDS的发病率如何？	2
4. 罹患MDS的年龄范围如何？	4
5. 何谓“病态造血”？	5
6. MDS是一种遗传性疾病吗？	7
7. 引起MDS的病因为何？	7
8. MDS是一种癌症吗？	10
9. 何谓急性髓细胞白血病（AML）？	
MDS有可能转化成AML吗？	12
10. 正常骨髓产生的血细胞与MDS受罹骨髓	
产生的血细胞有何不同？	13
11. 白细胞、红细胞和血小板的功能	
有何不同？	14
12. 术语“原始细胞”和“白血病细胞”	
意指什么？	16

13. 列入与原始细胞相关“等价细胞”的范围
有哪些？ 19
14. MDS是一种疾病，抑或是一种与
相关疾病类似的综合征？ 19
15. 怎样正确诊断MDS？ 20
16. MDS骨髓活检切片受累如何？切片对诊断
能提供哪些信息？ 22
17. 何谓幼稚前体细胞异常定位（ALIP）？ 24
18. 真性与假性ALIP如何区分？ 25
19. 何谓MDS的FAB分类？ 26
20. 何谓MDS的世界卫生组织（WHO）
分类？ 29
21. 何谓FAB和WHO分类以外的MDS
特殊类型？ 33
22. 增生减退型MDS如何与
再生障碍性贫血鉴别？ 35
23. 纤维增生型MDS如何与
再生障碍性贫血鉴别？ 36



24. MDS与增生减退型的急性淋巴细胞 白血前期如何鉴别?	37
25. 如何诊断Di-guglielmo综合征的红血病期, 以及红血病如何与低危MDS相鉴别?	38
26. 如何诊断克隆性血小板减少型MDS, 与ITP如何鉴别?	39
27. 何谓国际预后积分系统 (IPSS) ? 低危和高危MDS有何不同?	39
28. 染色体分析在决定MDS预后中意义如何?	41
29. 年龄对MDS患者的预后有何影响?	43
30. MDS患者的疗效如何判定?	45
31. MDS最常见的临床表现有哪些?	46
32. 何以MDS患者常感全身疲乏无力呢?	47
33. MDS时贫血程度如何判定? 贫血 对患者有何影响?	47
34. 中性粒细胞减少症对MDS患者有何影响?	50
35. 血小板减少症的程度如何判定? 对MDS患者有何影响?	51

36. MDS患者治疗选择的决定因素有哪些? 53
37. 凋亡现象对MDS究竟有何意义? 54
38. 凋亡在MDS治疗中应用的可能性如何? 55
39. 临床上目前用于治疗低、高危MDS的
药物种类有哪些? 56
40. 低危MDS治疗计划中选择观察与等待
适合于哪些病例? 58
41. 临床上治疗和支持疗法间有何差别? 59
42. MDS支持治疗中何时需输注红细胞? 60
43. MDS红细胞输注的来源及常见的
输血反应有哪些? 61
44. 为什么MDS患者需输注血小板? 62
45. 当MDS患者对红细胞或血小板的输注
产生了抗体怎么办? 63
46. 因频繁红细胞输注后体内铁负荷过多
对MDS患者的身体有何影响? 64
47. 清除MDS患者体内铁质过多的有效药物
有哪些? 何时开始使用为合理? 65



48. 亲脂型铁螯合剂地拉罗司分散片的
 不良反应如何? 66
49. 白细胞计数降低的MDS患者能使用抗生素
 预防感染吗? 68
50. MDS患者进行静脉插管的适应证如何? 68
51. 何谓造血生长因子? MDS患者何以要使用
 造血生长因子? 69
52. MDS患者何时可考虑使用
 红细胞生成素? 71
53. 短效和长效红细胞生长因子之间
 有何差别? 72
54. 红细胞生长因子注射疗程期限如何决定? 73
55. 红细胞生长因子注射后最常见的
 不良反应有哪些? 74
56. MDS患者注射白细胞生长因子的
 指征有哪些? 76
57. 采用白细胞联合红细胞生长因子
 治疗MDS贫血的指征如何? 77

58. 注射白细胞生长因子后有哪些
最常见的不良反应? 78
59. 白细胞生长因子注射能刺激MDS
向AML转化吗? 79
60. 目前有无提高MDS患者血小板计数的
有效注射药物? 80
61. 5q-综合征与其他MDS亚型间有何不同? 82
62. 目前5q-MDS患者的一线治疗方法如何? 83
63. 来那利度胺对5q-综合征患者的
疗效如何? 83
64. 临床用来那利度胺治疗后
有何不良反应? 85
65. 使用来那利度胺治疗期间如何调控
外周血液计数的检测? 86
66. 5q-综合征以外的其他MDS亚型使用
来那利度胺是否有效? 87
67. 5q-MDS患者来那利度胺采用何种剂量? 88
68. 氨磷汀治疗MDS的作用机制如何? 89

69. 哪些MDS患者可选用氨磷汀，效果如何？	90
70. 5-氮（杂）胞苷和地西泰平是何类药物？ 临床如何选用？	92
71. 5-氮（杂）胞苷和地西泰平的 作用机制如何？	93
72. 5-氮（杂）胞苷和地西泰平怎样给药？	94
73. 5-氮（杂）胞苷和地西泰平的疗效如何？	98
74. 5-氮（杂）胞苷和地西泰平能延缓 MDS向AML转形吗？	99
75. 5-氮（杂）胞苷和地西泰平治疗 有哪些不良反应？	100
76. 使用5-氮（杂）胞苷（5-AZGR）和 地西泰平对患者的生活质量有何影响？	101
77. 5-氮（杂）胞苷（5-AZGR）和 地西泰平治疗要采用多少疗程？	101
78. 5-氮（杂）胞苷和地西泰平对目前 治疗MDS的评价如何？	102
79. 如何减轻5-氮（杂）胞苷注射局部的 刺激反应？	103

80. MDS时用抗-胸腺细胞球蛋白和其他抗-免疫治疗的作用机制如何? 104
81. 目前化疗在高危-MDS患者治疗中的评价如何? 106
82. 何谓干细胞移植? 108
83. 临床常用的干细胞移植类型有哪些? 109
84. MDS患者选用骨髓或外周血干细胞移植要考虑哪些因素? 112
85. 干细胞移植有何潜在并发症? 114
86. MDS患者进行干细胞移植的疗效如何? 116
87. 曾用于治疗MDS的药物还有哪些? 117
88. 何谓调研性药物? 调研性药物如何发展成为新药? 118
89. 参与MDS调研性药物临床试验的患者应符合哪些条件? 120
90. I期、II期和III期临床试验的目的何在? 121
91. 与MDS诊断相关忧虑的常见原因是什么? 124



92. 如何指导提高MDS患者的生活质量,
 预防发生感染? 125
93. MDS患者应如何合理饮食? 126
94. MDS患者病程中如何进行自我保健? 131
95. MDS患者进行齿科等小手术要注意
 哪些问题? 135
96. MDS患者需住院处理的常见原因何在? 136
97. 使用维生素类和中草药辅剂对MDS
 有何助益? 136
98. MDS患者能进行体育锻炼吗? 137
99. 处于生殖年龄的成年MDS患者, 特定的MDS治
 疗会引起不孕不育吗? 如何处理? 138
100. MDS研究和治疗的未来方向如何? 139



1. 何谓骨髓增生异常综合征（MDS）？

人体血液由三型血细胞组成，即红细胞、白细胞和血小板。三者均由处于骨中央软组织内的骨髓产生。术语骨髓增生异常综合征（MDS）指的是一组类似的血液病，其中的每一型均带有两种主要共同特征：①骨髓不能产生足量的正常血细胞进入外周血循环；②在所有的MDS各亚型中，其骨髓所产生的血细胞显示形态畸异，此即所谓“病态造血”（“dysplasia”，详见问题5），可在显微下的血和骨髓标本中看到。然而，MDS应考虑是一种临床综合征，而非特异疾病。这是因为某些MDS患者可出现持续多年的红细胞和血红蛋白的降低，而白细胞与血小板则未受罹；另一些患者则红细胞和白细胞的计数均降低，患者易致感染；还有某些患者可出现血小板计数降低，患者易致出血。因此，红细胞、白细胞和血小板计数不同程度降低，以及三者降低的不同联合在不同病例中出现均有可能。此外，约1/3的MDS患者骨髓内的改变最终可转化为急性髓细胞白血病（AML）。

这里必须说明的是，在造血系统内发育这一生物学现象，应包括增殖（细胞分裂）、成长（细胞增大）、分化（多潜能转化为单潜能，或于起始等价细胞内具有不同特性）和成熟这几个相互连续而又不可分割的阶段。而MDS这一“灰区”（grey zone）病，其病理基础是多能干细胞水平上的恶性变所致分化障碍，绝非增生的异