

doi: 10.7499/j.issn.1008-8830.2410093

指南解读:《儿科输血指南》系列

国家卫生健康行业标准《儿科输血指南》中血液病 患儿输血的编制说明与解读

赵明一¹ 黄蓉² 桂嵘² 何庆南¹ 黑明燕³ 竺晓凡⁴ 卢俊⁵ 徐晓军⁶
袁天明⁷ 张蓉⁸ 王旭⁹ 刘晋萍¹⁰ 王静¹¹ 邵智利¹² 郭永建^{13,14}
吴心音¹⁵ 陈佳睿^{16,17} 陈琦蓉^{16,17} 郭佳^{16,17} 杨明华¹

(1.中南大学湘雅三医院儿科,湖南长沙 410013; 2.中南大学湘雅三医院输血科,湖南长沙 410013; 3.首都医科大学附属北京儿童医院新生儿中心,北京 100045; 4.中国医学科学院血液病医院/中国医学科学院血液学研究所儿童血液病诊疗中心,天津 300020; 5.苏州大学附属儿童医院血液肿瘤科,江苏苏州 215025; 6.浙江大学医学院附属儿童医院血液肿瘤内科,浙江杭州 310005; 7.浙江大学医学院附属儿童医院新生儿科,浙江杭州 310005; 8.复旦大学附属儿科医院新生儿科,上海 201102; 9.中国医学科学院阜外医院小儿外科中心,北京 100032; 10.中国医学科学院阜外医院体外循环中心,北京 100032; 11.上海交通大学医学院附属上海儿童医学中心输血科,上海 200127; 12.河北省儿童医院输血科,河北石家庄 050031; 13.国家卫生健康标准委员会血液标准专业委员会,北京 100006; 14.福建省血液中心,福建福州 350004; 15.中南大学湘雅公共卫生学院流行病与卫生统计学系,湖南长沙 410013; 16.中南大学湘雅护理学院,湖南长沙 410013; 17.中南大学湘雅循证卫生保健研究中心,湖南长沙 410013)

[摘要] 为了指导儿童患者的临床输血实践,国家卫生健康委员会发布了卫生健康行业标准《儿科输血指南》(WS/T 795-2022)。输血是血液病患者最常用的支持治疗手段之一,该指南对再生障碍性贫血、地中海贫血、自身免疫性溶血性贫血、葡萄糖-6-磷酸脱氢酶缺乏症、急性白血病和骨髓增生异常综合征、免疫性血小板减少症、血栓性血小板减少性紫癜等患儿的输血给出了指导和建议。该文介绍了《儿科输血指南》中血液病患儿输血条款内容的证据与解读,希望对该指南的血液病患儿输血部分的理解和贯彻实施有所助益。

[中国当代儿科杂志, 2025, 27 (1): 18-25]

[关键词] 再生障碍性贫血; 地中海贫血; 自身免疫性溶血性贫血; 急性白血病; 血小板减少症; 儿童

Explanation and interpretation of blood transfusion provisions for children with hematological diseases in the national health standard "Guideline for pediatric transfusion"

ZHAO Ming-Yi, HUANG Rong, GUI Rong, HE Qing-Nan, HEI Ming-Yan, ZHU Xiao-Fan, LU Jun, XU Xiao-Jun, YUAN Tian-Ming, ZHANG Rong, WANG Xu, LIU Jin-Ping, WANG Jing, SHAO Zhi-Li, GUO Yong-Jian, WU Xin-Yin, CHEN Jia-Rui, CHEN Qi-Rong, GUO Jia, YANG Ming-Hua. Department of Pediatrics, Third Xiangya Hospital, Central South University, Changsha 410013, China (Yang M-H, Email: yangminghua@csu.edu.cn)

Abstract: To guide clinical blood transfusion practices for pediatric patients, the National Health Commission has issued the health standard "Guideline for pediatric transfusion" (WS/T 795-2022). Blood transfusion is one of the most commonly used supportive treatments for children with hematological diseases. This guideline provides guidance and recommendations for blood transfusions in children with aplastic anemia, thalassemia, autoimmune hemolytic anemia, glucose-6-phosphate dehydrogenase deficiency, acute leukemia, myelodysplastic syndromes, immune thrombocytopenic purpura, and thrombotic thrombocytopenic purpura. This article presents the evidence and interpretation of the blood

[收稿日期] 2024-10-23; **[接受日期]** 2024-12-20

[作者简介] 赵明一,女,博士,副研究员;黄蓉,女,博士,副主任技师;赵明一和黄蓉具有同等贡献。

[通信作者] 杨明华,男,主任医师。Email: yangminghua@csu.edu.cn。

transfusion provisions for children with hematological diseases in the "Guideline for pediatric transfusion", aiming to assist in the understanding and implementing the blood transfusion section of this guideline.

[Chinese Journal of Contemporary Pediatrics, 2025, 27(1): 18-25]

Key words: Aplastic anemia; Thalassemia; Autoimmune hemolytic anemia; Acute leukemia; Thrombocytopenia; Child

血液病患儿因血液成分部分缺乏、减少或异常改变而出现不同程度的贫血、出血、感染，反复多次甚至长期输血是维持和抢救患儿生命的重要措施。国家卫生健康委员会发布的卫生健康行业标准《儿科输血指南》(WS/T 795—2022)^[1] (以下简称《指南》)对再生障碍性贫血(aplastic anemia, AA)、输血依赖型地中海贫血(transfusion-dependent thalassaemia, TDT)、非输血依赖型地中海贫血(non-transfusion dependent thalassaemia, NTDT)、自身免疫性溶血性贫血(autoimmune hemolytic anemia, AIHA)、葡萄糖-6-磷酸脱氢酶(glucose-6-phosphate dehydrogenase deficiency, G6PD)缺乏症、急性白血病(acute leukemia, AL)、骨髓增生异常综合征(myelodysplastic syndrome, MDS)、免疫性血小板减少症(immune thrombocytopenia, ITP)、血栓性血小板减少性紫癜(thrombotic thrombocytopenic purpura, TTP)等患儿的输血给出了指导和建议。本文旨在阐述《指南》中血液病患儿部分条款内容的证据与解读，希望对《指南》理解和贯彻实施有所助益。

1 关于AA的说明和解读

1.1 《指南》条款

《指南》关于AA患儿输血的条款如下。

(1) “7.1.1 对于病情稳定的患儿，红细胞输血阈值宜为Hb<70 g/L。”

(2) “7.1.2 对于存在氧耗增加的病情(如感染、发热、疼痛等)的患儿，红细胞输血阈值宜适当提高。”

(3) “7.1.3 宜根据患儿具体病情选用相应的血小板输血阈值：a) 对于病情稳定的患儿，血小板输血阈值宜为PLT<10×10⁹/L；b) 对于存在发热、感染、明显出血或正在接受抗胸腺细胞球蛋白治疗的患儿，血小板输血阈值宜为PLT<20×10⁹/L。”

1.2 说明和解读

关于健康儿童达到充分组织氧合所需的血红蛋白(hemoglobin, Hb)水平，现有资料有限，但动物研究和慢性溶血性贫血患儿的临床观察资料表明，研究对象通常可耐受20%的血细胞比容(相当

于Hb大约为67 g/L)且无不良后果^[2-3]。对于病情稳定的患儿，目前的临床实践大多将Hb 70 g/L作为输血阈值^[4]，如果患儿存在氧耗增加的病情，则适当提高阈值。值得注意的是，在儿童患者中，可耐受且不会出现死亡及并发症的最小Hb浓度并不一定是支持其生长和正常活动的最佳浓度。

除了一项回顾性研究^[5]外，缺乏专门针对AA患儿的血小板(platelet, PLT)输注支持的文献，证据主要来自针对接受强化化疗或接受同种异体造血干细胞移植的可逆性骨髓衰竭患者的PLT输注的研究^[6-7]。建议对PLT<10×10⁹/L、正在积极治疗的稳定AA患儿给予预防性PLT输注；对于脓毒症患儿，PLT宜维持在20×10⁹/L以上；在抗胸腺细胞球蛋白(antithymocyte globulin, ATG)治疗期间，可能会发生PLT减少更加严重的情况，这是由于ATG与PLT结合的交叉反应抗体的存在增加了PLT消耗，因此ATG治疗期间，PLT宜维持在20×10⁹/L以上^[8]。

2 关于地中海贫血的说明和解读

2.1 关于TDT的说明和解读

2.1.1 《指南》条款 《指南》关于TDT的条款如下。

(1) “7.2.1.1 宜对输血依赖型地中海贫血患儿进行全面的血型鉴定和抗体筛查，为其专门制订输血方案，将输血方案纳入整体诊疗计划，并根据患儿健康状况和治疗效果适时调整。”

(2) “7.2.1.2 对于出现以下任何1种病情的患儿，宜为其启动输血方案。a) 间隔2周以上的2次血常规均为Hb<70 g/L，且排除存在引起Hb下降的其他病情(如感染等)。b) 出现以下任何1种临床表现：1) 严重的贫血症状；2) 生长发育迟缓；3) 过度骨髓内造血引起的并发症(如病理性骨折和面容改变)；4) 明显的髓外造血。”

(3) “7.2.1.3 启动输血方案后，患儿通常需要每2~5周输血1次。宜根据患儿Hb水平的下降趋势、本次输血后和下次输血前宜达到或维持的Hb水平，估算所需输血量。”

“本次输血后的Hb水平宜达到130~150 g/L。”

“下次输血前的Hb水平宜维持在95~105 g/L。”

(4) “7.2.1.4 宜为患儿选用与其 ABO、RhD 同型，且与其 C、c、E、e 抗原表型匹配的红细胞输注，以避免患儿产生针对这些抗原的同种免疫。”

2.1.2 说明和解读 输血依赖是区分不同地中海贫血表型及其严重程度的一个重要因素。TDT 和 NTDT 属于不稳定的分类，是可以互换的。患儿临床参数、临床治疗方案的变化和进展以及其他疾病情况等因素可能使患儿从一种分类转变成另一种分类。因此，TDT 和 NTDT 主要代表患儿“当前”的临床状态^[9]。地中海贫血国际联合会发布了 TDT 管理指南^[10] 和 NTDT 管理指南^[9]，并定期对其进行更新。

接受长期输血治疗的一个重要并发症是产生一种或多种特异性红细胞抗体（同种免疫）。在开始输血治疗前，宜对患儿进行全面的红细胞抗原分型，至少需包括 A、B、O、C、c、D、E、e。所有的地中海贫血患儿宜输注 ABO 和 Rh（C、c、D、E、e）表型匹配的红细胞，避免产生同种免疫^[10]。

启动长期输血方案的决定应基于对 TDT 的明确诊断。该诊断应考虑分子缺陷、重复测量的贫血严重程度、无效红细胞生成水平和临床标准（如发育不良、贫血症状严重或者骨骼改变）。同时，必须排除存在引起 Hb 暂时下降的其他病情（例如感染）^[10]。

《指南》推荐的 TDT 输血方案是终生定期输血，可促进正常生长，允许正常的身体活动，充分抑制大多数患儿的骨髓活性，并最大限度地减少输血后的铁累积量。此外，对于患有心脏病、临床显著的髓外造血或其他疾病的患儿，以及在较低 Hb 水平下无法充分抑制骨髓活性的患儿，可能适合维持更高的输血前目标 Hb 水平（110~120 g/L）。对于某些输血前背部疼痛的患儿，可能在维持较高的输血前 Hb 水平时疼痛得到缓解。虽然较短的输血间隔可能会降低总体血液需求，但间隔的选择必须考虑其他因素，如患儿的学校或工作时间表以及其他生活方式问题^[10]。

2.2 关于 NTDT 的说明和解读

2.2.1 《指南》条款 《指南》关于 NTDT 的条款如下。

(1) “7.2.2.1 对于非输血依赖性地中海贫血患儿，宜对患儿的生长发育、并发症和输血利弊等情况综合分析，决定是否给予输注红细胞。不宜单纯以 Hb 水平作为输血的决定依据，除非患儿 Hb<50 g/L。”

(2) “7.2.2.2 对于出现 Hb 可能快速下降的病情

（如感染、手术）的患儿，宜给予输注红细胞。”

(3) “7.2.2.3 对于出现以下病情的患儿，宜考虑为其增加输血频次，并在取得稳定的临床疗效后再次评估可否逐渐减少直至停止输血：a) 脾脏迅速增大（每年脾脏增大超过 3 cm）伴 Hb 下降；b) 生长发育迟缓；c) 运动耐量下降；d) 继发性发育迟缓，与骨龄不同步；e) 骨骼改变；f) 溶血危象频发；g) 生活质量差。”

(4) “7.2.2.4 对于可能出现或已经出现以下并发症的患儿，可考虑给予输注红细胞：a) 血栓或脑血管疾病；b) 肺动脉高压伴或不伴继发性心力衰竭；c) 髓外造血性假瘤；d) 腿部溃疡。”

(5) “7.2.3 宜为患儿选择与其 ABO、RhD 同型，且与其 C、c、E、e 抗原表型匹配的红细胞输注，以避免患儿产生针对这些抗原的同种免疫。”

2.2.2 说明和解读 多年来的经验和研究表明，NTDT 并不像从前认知的那样“良性”，随着时间的推移，NTDT 可能发展成严重到危及生命的并发症，甚至可能在频率、严重程度和/或器官受损伤方面与 TDT 患儿不同，使它们几乎成为一种独特的临床综合征。

Hb 水平不应成为输血需求的唯一决定因素。一些 NTDT 患儿对低 Hb 水平的适应能力很强，患儿活动、生长、发育和骨骼变化的早期出现是需要考虑的因素^[9]。虽然评估输血治疗在 NTDT 患儿中的作用的临床试验缺乏，但观察性研究表明，输血在预防和管理成人 NTDT 患儿经常遇到的以下临床并发症方面发挥了作用：腿溃疡、血栓事件、肺动脉高压、沉默性脑梗死和髓外造血性假瘤^[11-17]。这些观察结果也可以解释与定期输血的 β-地中海贫血患儿相比，某些 NTDT 类型的这些并发症发生率较高的原因。

3 关于 AIHA 的说明和解读

3.1 《指南》条款

《指南》关于 AIHA 患儿输血的条款如下。

(1) “7.3.1 AIHA 患儿存在自身抗体，其输血相容性检测和适合输注血液选择的难度和耗时大幅增加。”

“宜根据患儿输血相容性检测情况、贫血及其临床表现的严重程度和病情进展速度等综合分析，确定具体输血时机。”

“如果在不能排除存在同种抗体或不能明确同

种抗体特异性的情况下给予输血，可能增加同种抗体引发患儿发生溶血性输血反应的风险。因此在这种情况下时宜避免或减少输血。”

“如果已排除患儿存在同种抗体或已明确同种抗体特异性，输血适应证可适当放宽。”

(2) “7.3.2 对于急性 AIHA 且出现严重贫血症状的患儿，宜给予输注红细胞。”

(3) “7.3.3 对于慢性 AIHA 患儿，红细胞输注适应证如下：a) Hb>70 g/L，不宜给予输注红细胞；b) Hb 50~70 g/L，且具有不能耐受的贫血症状，宜考虑给予输注红细胞；c) Hb<50 g/L，宜给予输注红细胞。”

(4) “7.3.4 宜根据 AIHA 患儿输血相容性检测情况和输血需求的紧急程度，选用适宜的红细胞输注：a) 对于血型检测尚未完成，需要紧急输血的患儿，可选用 O 型洗涤红细胞；b) 对于血型已确定，同种和（或）自身抗体检测尚未完成，需要紧急输血的患儿，输注红细胞血型选择的最低要求是 ABO、RhD 血型与患儿相容；其他血型宜为 C、c、E、e、Jk^a和 Jk^b抗原表型匹配，也可为 C、c、E 和 e 抗原表型匹配；c) 对于不具有同种抗体，且自身抗体不具特异性的患儿，宜选用与患儿 ABO、RhD 同型的红细胞；d) 对于具有 1 种或数种特异性同种抗体的患儿，宜选用与患儿 ABO、RhD 同型且患儿所具有的同种抗体对应抗原为阴性的红细胞；e) 对于具有特异性自身抗体且有进行性溶血的患儿，宜输注与患儿 ABO、RhD 同型且自身抗体对应抗原为阴性的红细胞。”

(5) “7.3.5 给予 AIHA 患儿输注红细胞时，宜选用较小剂量（3~5 mL/kg），缓慢输注，密切观察患儿反应情况，注意防范发生循环超负荷和溶血性输血反应等输血不良反应的风险。”

(6) “7.3.6 对于极严重的 AIHA 患儿，如果药品和输血治疗无效，宜为其实施血浆置换。”

3.2 说明和解读

尽管自身抗体的存在使得为 AIHA 患儿寻找相容血液的难度加大，输血仍是 AIHA 患儿常用的支持治疗手段^[18]。AIHA 患儿的输血需要在风险和临床需求之间寻找平衡。

患儿存在自身抗体本身并非输血的禁忌证。在选择用于输注的红细胞之前，最重要的是排除是否存在有潜在临床意义的同种抗体^[19]。对于需要紧急输血的患儿，临床医生应与输血科医师沟通，制定输血决策。AIHA 患儿贫血严重时（Hb

<50 g/L 时），可引起心血管受损，此时需要紧急输血，以降低肺水肿、心肌梗死或心律失常导致死亡的风险。输注的红细胞在 AIHA 患儿体内存活时间与患儿自身红细胞相近，因此即使输注的红细胞在循环中仅能存在较短的时间，一般也可帮助改善贫血症状和体征^[20]。

符合 ABO 疑难血型判定标准和紧急抢救输血指征的患儿，应选择 O 型洗涤红细胞。对于 ABO、RhD 血型已知，但尚未明确是否具有同种抗体的患儿，可以输注抗原相匹配的 ABO、RhD 同型红细胞。可将常见的具有临床意义的抗体考虑在内，一般而言，做到 C、c、E 和 e 抗原表型匹配并不困难。此外，由于 JK 抗体常导致急性溶血性输血反应，有条件的输血科可为该类患儿提供 Jk^a和 Jk^b抗原表型匹配的红细胞。如果患儿没有检测到同种抗体，则可以选择输注 ABO 和 Rh 同型的红细胞。如果存在有临床意义的同种抗体，输入的红细胞应无相应的抗原。如果自身抗体对单一抗原（例如 e 抗原）有特异性，并且患儿有进行性溶血，则应选择无该抗原的红细胞成分^[19]。

对于 AIHA 患儿，降低溶血性输血反应可能性的策略包括以缓慢的速度开始输血，并定期检测血浆和尿液样本有无游离血红蛋白。输注 3~5 mL/kg 红细胞成分足以改善患儿贫血症状，同时可以减少超负荷和输注不相容血液引起的并发症^[21]。

血浆置换应仅考虑用于输血或药物治疗无效的极重度 AIHA 病例^[21]。美国单采学会（American Society for Apheresis, ASFA）于 2019 年发布的临床实践中治疗性单采使用指南（第 8 版）^[22]将血浆置换作为重度冷抗体型 AIHA 的 II 类适应证，表明血浆置换可作为二线治疗，既可作为独立治疗，也可与其他治疗方式结合使用。ASFA 指南还将血浆置换作为重度温抗体型 AIHA 的 III 类适应证，提示血浆置换在治疗温抗体型 AIHA 中的作用尚未确定，使用血浆置换的决定应取于患儿的个体情况。

4 关于 G6PD 缺乏症的说明和解读

4.1 《指南》条款

《指南》关于 G6PD 缺乏症患儿输血的条款如下。

“患儿出现下列任何 1 种病情时，宜给予输注红细胞：a) Hb<60 g/L；b) 持续血红蛋白尿，溶血的临床症状严重；c) 出现脑部缺氧或脑细胞水

肿症状。”

4.2 说明和解读

G6PD 缺乏症患儿在无溶血发作时无需特殊治疗。当出现急性溶血时，宜立即阻断诱因，并对症治疗。当合并慢性溶血性贫血时，宜根据贫血程度选择相应治疗，严重贫血可输注 G6PD 活性正常的红细胞或全血^[23]。轻、中型 G6PD 缺乏症急性发作患儿可不用输血，可通过补充晶体液，维持机体电解质与酸碱平衡，加上适当的药物治疗观察。如患儿溶血持续数天未见好转，贫血进行性加重，宜予以输血治疗。Hb<60 g/L，宜给予输血。临床症状严重，血红蛋白尿持续，应迅速输血。病情严重，患儿出现脑部缺氧或脑细胞水肿症状，宜急速输血进行抢救。输血后病情不见好转或仍有血红蛋白尿者，宜再次输血^[24]。

5 关于 AL 和 MDS 的说明和解读

5.1 《指南》条款

《指南》关于 AL 和 MDS 患儿输血的条款如下。

(1) “7.5.1 患儿 Hb<70 g/L 时，宜给予输注红细胞。”

(2) “7.5.2 患儿的血小板输血阈值如下：
a) PLT<10×10⁹/L，宜给予预防性输注血小板；存在明显出血、发热、高白细胞血症、PLT 快速下降、凝血功能异常（如急性早幼粒细胞白血病）等病情时宜适当提高血小板输血阈值；b) 对于拟接受大型侵入性操作或手术的患儿，血小板输血阈值宜为 PLT 40×10⁹/L~50×10⁹/L；c) 对于拟接受小型侵入性操作（如骨髓穿刺活检和中心静脉置管拔除）的患儿，宜维持其 PLT>20×10⁹/L。”

5.2 说明和解读

血液肿瘤患儿常常需要通过输血来缓解贫血和预防出血。目前仍缺乏专门针对儿童血液肿瘤患儿输血的研究证据，仅有少数儿童输血指南涉及该类病患儿的输血阈值。目前的临床实践提示，采用 Hb 70~80 g/L 作为输注阈值可能是合理的。在急性期，儿科重症监护病房输血需求试验研究结果支持阈值为 Hb 70 g/L，已有其他研究报告采用这一阈值^[4]。

一项 Cochrane 系统评价评估了骨髓抑制化疗或干细胞移植后血液病患者预防性 PLT 输注的 PLT 阈值，结果显示使用较低阈值（10×10⁹/L）不会增加出血的风险，并可导致输血量减少^[25]。上述

的研究对象包括青少年，但不包括更年幼的儿童或婴儿。在对这一人群完成更多研究之前，对儿童和较大的婴儿使用类似的指南是合理的^[26]。

一篇系统综述纳入了 8 项在 PLT 减少患者中放置中心静脉导管的观察性研究，并建议对放置中心静脉导管前 PLT<20×10⁹/L 的患者进行预防性 PLT 输注^[27]。基于观察性数据，血液与生物治疗促进协会（Association for the Advancement of Blood & Biotherapies, AABB）指南（2015）^[28] 建议对 PLT<50×10⁹/L 的选择性诊断性腰椎穿刺成年患者预防性输注 PLT。加拿大关于儿科血液学/肿瘤学患者 PLT 输血阈值指南建议，对于新诊断的儿童白血病患儿进行诊断性腰椎穿刺时，输血阈值为 PLT<50×10⁹/L，对于需要腰椎穿刺的病情稳定的患儿，输血阈值为 PLT<20×10⁹/L，某些患儿可能需要更高的输血阈值^[29]。PLT>50×10⁹/L 通常被认为是可以安全进行大手术的标准水平，但目前还需更系统的研究提供数据来支持该结论。

6 关于 ITP 的说明和解读

6.1 《指南》条款

《指南》关于 ITP 患儿 PLT 输注的条款如下。

(1) “7.6.1 不宜给予预防性输注血小板。患儿出现明显出血和（或）急需侵入性操作或手术且其他治疗方法无效时，宜根据具体病情评估决定是否给予输注血小板。”

(2) “7.6.2 出现严重出血（如内脏出血、颅内出血）时，宜给予输注血小板。”

6.2 说明和解读

儿童 ITP 由抗 PLT 抗原的自身抗体导致，大多数病因不详，但病毒或环境因素可诱发，也可能继发于潜在的免疫缺陷^[30]。ITP 患儿的 PLT 输注有别于其他 PLT 减少症的患儿。PLT 与出血风险之间的相关性较弱，只有很少的数据描述了不同水平 PLT 减少时发生有临床意义的出血风险。ITP 的出血发生率不能从 PLT 功能异常相关的其他类型 PLT 减少症的出血发生率来推算，ITP 患儿循环中的 PLT 较年轻且止血效果可能更好^[31]。在 PLT 相当的情况下，ITP 患儿的出血表现严重程度往往低于骨髓抑制导致 PLT 降低的患儿。此外，由于 ITP 患儿体内存在抗 PLT 抗体，可破坏循环中的 PLT，因此 ITP 患儿 PLT 输注通常出现免疫性 PLT 输注无效。不宜将 PLT 输注作为出血的预防措施^[32]。

ITP 患儿发生危及生命的出血（如颅内出血）或需要急诊手术时，应迅速提升 PLT 至安全水平^[33]。关于 ITP 患儿严重出血时的 PLT 输注，目前尚无随机对照研究，已有文献主要是基于病例报告、观察研究和未设对照的干预研究^[34]。对这些研究的评价显示，大量、多次 PLT 输注，即便 PLT 没有明显提升，也能有效止血。PLT 输注联合免疫球蛋白注射，PLT 提升的维持时间更长，临床疗效更好^[34-35]。

7 关于 TTP 的说明和解读

7.1 《指南》条款

《指南》关于 TTP 患儿输血的条款如下。

（1）“7.7.1 宜尽快为患儿实施血浆置换。无法为其实施血浆置换时，可给予输注 FFP。”

（2）“7.7.2 不宜给予输注血小板。在发生危及生命的出血时可考虑给予输注血小板。”

7.2 说明和解读

TTP 可分为遗传性 TTP 和免疫性 TTP。遗传性 TTP 与导致 ADAMTS13 功能严重缺陷的体细胞突变有关。免疫性 TTP 患儿体内大多可检测到针对 ADAMTS13 的自身抗体。9 岁以下儿童很少发生免疫性 TTP，9 岁以上人群的发病率上升，且多为女性^[36]。

未经治疗的 TTP 患儿病死率高达 90%，早期启动血浆置换可将病死率降至 <15%^[37]。ASFA 将 TTP 列为治疗性血浆置换的 I 类适应证^[22]。推荐血浆置换作为 TTP 的首选治疗方案^[38]。一旦诊断得到确认，应紧急启动血浆置换^[22]。如果不能立即进行血浆置换，可以在患儿耐受的情况下给予大剂量新鲜冰冻血浆（fresh frozen plasma, FFP）输注（25~30 mL/kg），直到可以开始血浆置换^[22, 39]。

尽管 TTP 患儿存在严重的 PLT 减少，但有临床意义的出血发生罕见。一项大型观察性研究结果显示接受 PLT 输注的 TTP 患者比没有接受 PLT 输注的患者动脉血栓形成的可能性更高^[40]。现有的指南和专家共识^[4, 34, 38]均推荐 TTP 患儿仅在发生危及生命的出血时才可输注 PLT。

8 关于血友病的说明和解读

8.1 《指南》条款

《指南》关于血友病的条款如下。

（1）“7.8.1 对于血友病 A 型患儿，宜首选凝血因子 VIII 药品。无该类药品可用时，可选用冷沉淀凝血因子或 FFP。”

（2）“7.8.2 对于血友病 B 型患儿，宜首选凝血因子 IX 药品或凝血酶原复合物药品。无该类药品可用时，可选用 FFP。”

（3）“7.8.3 对于在确诊前急需治疗的疑似血友病患儿，可给予输注 FFP。”

8.2 说明和解读

随着各种长效凝血因子药品和非因子类药品相继问世，血友病患儿的治疗策略发生了演变，血友病治疗共识和指南也已更新。冷沉淀凝血因子已不再是血友病患儿的标准治疗方法。凝血因子浓缩物在治疗和预防出血方面表现出良好的安全性和有效性。非因子类产品（例如艾美赛珠单抗）近年来也为血友病患儿提供了一种替代的治疗方案。

凝血因子浓缩物是血友病的首选治疗方法，主要有两种类型：由献血者捐献的血浆制成的病毒灭活血浆衍生产品以及利用基因工程细胞和重组技术制造的重组产品，可为治疗和预防出血提供方便的高剂量凝血因子。凝血因子 IX（factor IX, FIX）浓缩物可分为两类，一类是纯的 FIX 凝血因子浓缩物，另一类除了 FIX 外，还含有凝血因子 II、VII 和 X，称为凝血酶原复合物（prothrombin complex concentrates, PCC）。血友病患儿优先使用纯的 FIX 凝血因子浓缩物，使用该产品时血栓形成和弥散性血管内凝血的风险较 PCC 更低。PCC 在制备过程中部分凝血因子可能会被激活，使患儿容易发生血栓栓塞。

出于对冷沉淀凝血因子和 FFP 安全性和质量的担忧，仅在无凝血因子浓缩物可用时考虑输注冷沉淀凝血因子^[41]。部分地区凝血因子浓缩物和其他非因子类的药物获得受到限制，血友病患儿的治疗仍依靠冷沉淀凝血因子或者 FFP^[41]。冷沉淀凝血因子中主要含有凝血因子 VIII、vWF、纤维蛋白原、凝血因子 XIII 等，可用于无凝血因子 VIII 药品时血友病 A 型患儿的治疗。FFP 中含有几乎全部的凝血因子，尽管浓度较低，当无相应药品可用时，FFP 可用于血友病 A 型和 B 型患儿的治疗。对于血友病 A 型患儿，冷沉淀凝血因子优于 FFP。对于怀疑有血友病，在等待凝血因子测定结果的同时，可能适宜给予 FFP。一旦确诊，应给予适当剂量的凝血因子浓缩物以获得满意的因子水平^[41]。

9 结语与展望

近年来在疾病治疗过程中,患儿的生活质量评估逐渐得到广泛关注,如何对患儿生活质量进行评估也已有明确的方法。医学进步不应仅体现在患儿疾病的缓解,还应为患儿创造更好的生活体验和提升幸福感。儿童和青少年因慢性疾病造成身体机能失调,教育缺失和社会活动中断,这对患儿的生长发育造成严重的影响。期待研究者们未来在探讨血液病患儿的输血治疗时能更多地考虑不同输血方案对患儿生活质量水平的影响。

作者贡献声明:赵明一、黄蓉负责数据分析、论文撰写;桂嵘、竺晓凡、卢俊、徐晓军、袁天明、张蓉、王旭、刘晋萍、王静、黑明燕、何庆南、邵智利负责文章学术性和专业性校对;郭佳、吴心音、陈佳睿、陈琦蓉负责指导证据检索和证据评价过程;郭永建、杨明华负责文章的构思、指导修改与定稿。

利益冲突声明:所有作者均声明无利益冲突。

[参 考 文 献]

- [1] 中华人民共和国国家卫生健康委员会法规司. 关于发布《输血相容性检测标准》等3项推荐性卫生行业标准的通告: 国卫通〔2022〕1号 [EB/OL]. (2022-02-23) [2022-09-01]. <http://www.nhc.gov.cn/fzs/s7852d/202202/1484f47dcf824ee8bae3ad7b6809e603.shtml>.
- [2] Case RB, Berglund E, Sarnoff SJ. Ventricular function. VII. Changes in coronary resistance and ventricular function resulting from acutely induced anemia and the effect thereon of coronary stenosis[J]. *Am J Med*, 1955, 18(3): 397-405. PMID: 14349964. DOI: 10.1016/0002-9343(55)90219-9.
- [3] Yawn BP, Buchanan GR, Afenyi-Annan AN, et al. Management of sickle cell disease: summary of the 2014 evidence-based report by expert panel members[J]. *JAMA*, 2014, 312(10): 1033-1048. PMID: 25203083. DOI: 10.1001/jama.2014.10517.
- [4] New HV, Berryman J, Bolton-Maggs PH, et al. Guidelines on transfusion for fetuses, neonates and older children[J]. *Br J Haematol*, 2016, 175(5): 784-828. PMID: 27861734. DOI: 10.1111/bjh.14233.
- [5] Sagmeister M, Oec L, Gmür J. A restrictive platelet transfusion policy allowing long-term support of outpatients with severe aplastic anemia[J]. *Blood*, 1999, 93(9): 3124-3126. PMID: 10216111.
- [6] Estcourt L, Stanworth S, Doree C, et al. Prophylactic platelet transfusion for prevention of bleeding in patients with haematological disorders after chemotherapy and stem cell transplantation[J]. *Cochrane Database Syst Rev*, 2012(5): CD004269. PMID: 22592695. DOI: 10.1002/14651858.CD004269.pub3.
- [7] Stanworth SJ, Estcourt LJ, Powter G, et al. A no-prophylaxis platelet-transfusion strategy for hematologic cancers[J]. *N Engl J Med*, 2013, 368(19): 1771-1780. PMID: 23656642. DOI: 10.1056/NEJMoa1212772.
- [8] Killick SB, Bown N, Cavenagh J, et al. Guidelines for the diagnosis and management of adult aplastic anaemia[J]. *Br J Haematol*, 2016, 172(2): 187-207. PMID: 26568159. DOI: 10.1111/bjh.13853.
- [9] Taher A, Vichinsky E, Musallam K, et al. Guidelines for the management of non transfusion dependent thalassaemia (NTDT): 2nd edition[EB/OL]. [2021-08-06]. <https://thalassaemia.org.cy/wp-content/uploads/2017/10/NTDT-final-combined-1.pdf>.
- [10] Cappellini MD, Farmakis D, Porter J, et al. 2021 Guidelines for the management of transfusion dependent thalassaemia (TDT): 4th edition[EB/OL]. [2021-08-06]. <https://www.thalassemia.org/wp-content/uploads/2021/06/TIF-2021-Guidelines-for-Mgmt-of-TDT.pdf>.
- [11] Taher AT, Musallam KM, Cappellini MD, et al. Optimal management of β thalassaemia intermedia[J]. *Br J Haematol*, 2011, 152(5): 512-523. PMID: 21250971. DOI: 10.1111/j.1365-2141.2010.08486.x.
- [12] Karimi M, Musallam KM, Cappellini MD, et al. Risk factors for pulmonary hypertension in patients with β thalassemia intermedia[J]. *Eur J Intern Med*, 2011, 22(6): 607-610. PMID: 22075289. DOI: 10.1016/j.ejim.2011.05.013.
- [13] Taher A, Isma'eel H, Mehio G, et al. Prevalence of thromboembolic events among 8,860 patients with thalassaemia major and intermedia in the Mediterranean area and Iran[J]. *Thromb Haemost*, 2006, 96(4): 488-491. PMID: 17003927.
- [14] Taher AT, Musallam KM, Karimi M, et al. Overview on practices in thalassemia intermedia management aiming for lowering complication rates across a region of endemicity: the OPTIMAL CARE study[J]. *Blood*, 2010, 115(10): 1886-1892. PMID: 20032507. DOI: 10.1182/blood-2009-09-243154.
- [15] Taher AT, Musallam KM, Nasreddine W, et al. Asymptomatic brain magnetic resonance imaging abnormalities in splenectomized adults with thalassemia intermedia[J]. *J Thromb Haemost*, 2010, 8(1): 54-59. PMID: 19817994. DOI: 10.1111/j.1538-7836.2009.03651.x.
- [16] Haidar R, Mhaidli H, Taher AT. Paraspinal extramedullary hematopoiesis in patients with thalassemia intermedia [J]. *Eur Spine J*, 2010, 19(6): 871-878. PMID: 20204423. PMCID: PMC2899982. DOI: 10.1007/s00586-010-1357-2.
- [17] Musallam KM, Taher AT, Karimi M, et al. Cerebral infarction in β -thalassemia intermedia: breaking the silence[J]. *Thromb Res*, 2012, 130(5): 695-702. PMID: 22857801. DOI: 10.1016/j.thromres.2012.07.013.
- [18] Sankaran J, Rodriguez V, Jacob EK, et al. Autoimmune hemolytic anemia in children: mayo clinic experience[J]. *J*

- Pediatr Hematol Oncol, 2016, 38(3): e120-e124. PMID: 26925716. DOI: 10.1097/MPH.0000000000000542.
- [19] Cohn CS, Delaney M, Johnson ST, et al. Technical Manual[M]. 20th ed. Bethesda: American Association of Blood Banks, 2020.
- [20] Salama A, Berghöfer H, Mueller-Eckhardt C. Red blood cell transfusion in warm-type autoimmune haemolytic anaemia[J]. Lancet, 1992, 340(8834/8835): 1515-1517. PMID: 1361607. DOI: 10.1016/0140-6736(92)92766-9.
- [21] Ladogana S, Maruzzi M, Samperi P, et al. Diagnosis and management of newly diagnosed childhood autoimmune haemolytic anaemia. Recommendations from the Red Cell Study Group of the Paediatric Haemato-Oncology Italian Association[J]. Blood Transfus, 2017, 15(3): 259-267. PMID: 28151390. PMID: PMC5448833. DOI: 10.2450/2016.0072-16.
- [22] Padmanabhan A, Connelly-Smith L, Aquil N, et al. Guidelines on the use of therapeutic apheresis in clinical practice—evidence-based approach from the Writing Committee of the American Society for Apheresis: The Eighth Special Issue[J]. J Clin Apher, 2019, 34(3): 171-354. PMID: 31180581. DOI: 10.1002/jca.21705.
- [23] 中华预防医学会出生缺陷预防与控制专业委员会新生儿筛查学组, 中国医师协会医学遗传医师分会临床生化遗传专业委员会, 中国医师协会青春期医学专业委员会临床遗传学组. 葡萄糖-6-磷酸脱氢酶缺乏症新生儿筛查、诊断和治疗专家共识[J]. 中华儿科杂志, 2017, 55(6): 411-414. PMID: 28592006. DOI: 10.3760/cma.j.issn.0578-1310.2017.06.003.
- [24] 杨雪, 谭春泽, 李聚林. 葡萄糖-6-磷酸脱氢酶缺乏症急性溶血与安全输血最新研究进展[J]. 中国实验血液学杂志, 2018, 26(5): 1569-1573. DOI: 10.7534/j.issn.1009-2137.2018.05.052.
- [25] Estcourt LJ, Stanworth SJ, Doree C, et al. Comparison of different platelet count thresholds to guide administration of prophylactic platelet transfusion for preventing bleeding in people with haematological disorders after myelosuppressive chemotherapy or stem cell transplantation[J]. Cochrane Database Syst Rev, 2015, 2015(11): CD010983. PMID: 26576687. PMID: PMC4717525. DOI: 10.1002/14651858.CD010983.pub2.
- [26] Schiffer CA, Bohlke K, Anderson KC. Platelet transfusion for patients with cancer: American Society of Clinical Oncology clinical practice guideline update summary[J]. J Oncol Pract, 2018, 14(2): 129-133. PMID: 29182492. DOI: 10.1200/JOP.2017.028902.
- [27] Kumar A, Mhaskar R, Grossman BJ, et al. Platelet transfusion: a systematic review of the clinical evidence[J]. Transfusion, 2015, 55(5): 1116-1127. PMID: 25387589. DOI: 10.1111/trf.12943.
- [28] Kaufman RM, Djulbegovic B, Gernsheimer T, et al. Platelet transfusion: a clinical practice guideline from the AABB[J]. Ann Intern Med, 2015, 162(3): 205-213. PMID: 25383671. DOI: 10.7326/M14-1589.
- [29] The C17 Guidelines Committee. Guideline for platelet transfusion thresholds for pediatric hematology/oncology patients[M]. [2021-08-06]. https://c17.ca/application/files/6916/2006/0819/C17_Platelet_Guideline_English_Complete_2011.pdf.
- [30] D'Orazio JA, Neely J, Farhoudi N. ITP in children: pathophysiology and current treatment approaches[J]. J Pediatr Hematol Oncol, 2013, 35(1): 1-13. PMID: 23073045. DOI: 10.1097/MPH.0b013e318271f457.
- [31] Peng J, Friese P, Heilmann E, et al. Aged platelets have an impaired response to thrombin as quantitated by P-selectin expression[J]. Blood, 1994, 83(1): 161-166. PMID: 7506077.
- [32] Provan D, Stasi R, Newland AC, et al. International consensus report on the investigation and management of primary immune thrombocytopenia[J]. Blood, 2010, 115(2): 168-186. PMID: 19846889. DOI: 10.1182/blood-2009-06-225565.
- [33] 中华医学会血液学分会血栓与止血学组. 成人原发性免疫性血小板减少症诊断与治疗中国指南(2020年版)[J]. 中华血液学杂志, 2020, 41(8): 617-623. PMID: 32942813. PMID: PMC7525165. DOI: 10.3760/cma.j.issn.0253-2727.2020.08.001.
- [34] Estcourt LJ, Birchall J, Allard S, et al. Guidelines for the use of platelet transfusions[J]. Br J Haematol, 2017, 176(3): 365-394. PMID: 28009056. DOI: 10.1111/bjh.14423.
- [35] Spahr JE, Rodgers GM. Treatment of immune-mediated thrombocytopenia purpura with concurrent intravenous immunoglobulin and platelet transfusion: a retrospective review of 40 patients[J]. Am J Hematol, 2008, 83(2): 122-125. PMID: 17874448. DOI: 10.1002/ajh.21060.
- [36] Siddiqui A, Journeycake JM, Borogovac A, et al. Recognizing and managing hereditary and acquired thrombotic thrombocytopenic purpura in infants and children[J]. Pediatr Blood Cancer, 2021, 68(5): e28949. PMID: 33660913. DOI: 10.1002/pbc.28949.
- [37] Lara PN, Coe TL, Zhou H, et al. Improved survival with plasma exchange in patients with thrombotic thrombocytopenic purpura-hemolytic uremic syndrome[J]. Am J Med, 1999, 107(6): 573-579. PMID: 10625026. DOI: 10.1016/s0002-9343(99)00286-7.
- [38] 中华医学会血液学分会血栓与止血学组. 血栓性血小板减少性紫癜诊断与治疗中国指南(2022年版)[J]. 中华血液学杂志, 2022, 43(1): 7-12. PMID: 35231985. PMID: PMC8980665. DOI: 10.3760/cma.j.issn.0253-2727.2022.01.002.
- [39] Coppo P, Bussel A, Charrier S, et al. High-dose plasma infusion versus plasma exchange as early treatment of thrombotic thrombocytopenic purpura/hemolytic-uremic syndrome[J]. Medicine (Baltimore), 2003, 82(1): 27-38. PMID: 12544708. DOI: 10.1097/00005792-200301000-00003.
- [40] Goel R, Ness PM, Takemoto CM, et al. Platelet transfusions in platelet consumptive disorders are associated with arterial thrombosis and in-hospital mortality[J]. Blood, 2015, 125(9): 1470-1476. PMID: 25588677. PMID: PMC4342358. DOI: 10.1182/blood-2014-10-605493.
- [41] Srivastava A, Santagostino E, Dougall A, et al. WFH guidelines for the management of hemophilia, 3rd edition[J]. Haemophilia, 2020, 26 Suppl 6: 1-158. PMID: 32744769. DOI: 10.1111/hae.14046.

(本文编辑: 张辉)

(版权所有©2025 中国当代儿科杂志)