

罕见病超药品说明书用药专家共识 (血液系统·2024 年版)

(广东省药学会 2024 年 2 月 22 日发布)

前言

药品说明书作为临床用药的重要依据，是指导临床医师与药师合理用药的法定标准。随着罕见病诊疗技术的不断发展，受限于罕见病药品说明书更新速度，药品在相关国内外诊疗指南以及临床实际应用中存在一定超药品说明书使用的情况。此外，由于罕见病患者人群的特殊性，在诊疗过程中出现超药品说明书用药的情况常常无法避免。尽管《医师法》第 29 条第 2 款规定，“在尚无有效或者更好治疗手段等特殊情况下，医师取得患者明确知情同意后，可以采用药品说明书中未明确但具有循证医学证据的药品用法实施治疗”，但罕见病患者超说明书用药相关指南与专家共识尚无标准。为进一步规范血液系统罕见病超药品说明书用药的管理，更好地协助广东省内各医疗机构备案药品超说明书使用，促进合理用药，由广东省药学会罕见病专家委员会组织有关专家编写了《罕见病超药品说明书用药专家共识（血液系统·2024 年版）》（以下简称《共识》），旨在提供血液系统罕见病诊疗中常用且有参考价值的药品超说明书使用的循证医学证据，规范相关药品超说明书使用，加强特殊人群个体化治疗中的药学监督管理。在遵循国家、地方政府及医疗单位有关法律法规的前提下，降低医疗机构及医务人员的执业风险，为提高药品治疗有效性、安全性提供循证参考依据。

本《共识》以列表目录形式，根据目前循证医学证据，纳入了血液系统罕见病诊疗中临床使用具有代表性超说明书用药的常用药品，按照药品治疗属性及应用领域进行分类梳理。本共识收录药品标准在参考广东省药学会《超药品说明书用药目录（2023 年版）》[1]的收录标准的基础上，根据罕见病用药的特殊性，调整为满足以下条件之一：（1）美国、欧洲、日本说明书收录（FDA 批准）；（2）《中国药典临床用药须知》、《临床诊疗指南》（中华医学会著，人民卫生出版社出版）收录；（3）国际与国内主流指南或共识收录；（4）Micromedex®有效性、推荐等级在 IIb、证据等级 C 级或以上；

(5) 本专业 SCI 的 1 区期刊发表的 RCT 研究。由于 Micromedex®对临床重症一些常见的超说明书用药没有进行评价，本共识参照 Micromedex®的 Thomson 分级系统标准，由本共识起草专家组对收录药物从有效性等级、推荐等级及证据等级三方面进行评价（Micromedex® 的 Thomson 分级系统详见附录 1）。《共识》为列表目录方式，力求简洁明了。参编人员经认真梳理核校，竭力确保有关证据的准确、完善与可靠。

本《共识》仅供医疗机构医师处方、药师审方参考。在临床实际应用中超药品说明书用药仍需按有关要求规范管理。临床医师应评估超说明书用药时患者的获益及风险，在按照常规说明书可获得较好临床疗效时，应尽量避免超说明书用药。血液系统罕见病超药品说明书用药目录详见表 1~11。

表 1 用于治疗血友病超药品说明书用药目录

通用名	剂型	超说明书类型	超说明书内容	具体用法	循证依据及参考文献	循证证据等级
人凝血因子 VIII	注射剂	适应症	FVIII 抑制物免疫耐受治疗 (ITI 治疗)	①Bonn 方案：开始时 FVIII 用量为 100IU/kg 每 12 小时 1 次，FVIII 活性开始恢复后，FVIII 用量改为 150IU/kg 每 12 小时 1 次，直到抑制物消失； ②Van Creveld 方案：FVIII 25~50IU/kg 隔日 1 次输注，根据抑制物滴度下降和 FVIII 活性恢复情况逐渐减少用量。	1. WFH Guidelines for the Management of Hemophilia, 3rd edition. Haemophilia,[2] 2. 中国血友病管理指南(2021 版)[3] 3. 血友病治疗中国指南（2020 年版）[4] . 4. 凝血因子 VIII/IX 抑制物诊断与治疗中国指南（2018 年版）[5].	micromedex 未收录
		用法用量	低滴度 FVIII 抑制物的止血治疗（先天性 & 获得性血友病）： 体重 (kg) × 80 ×	用于中和抑制物的 FVIII 用量 算法如下：体重 (kg) × 80 × [(1-Hct) × 抑制物滴度	1. WFH Guidelines for the Management of Hemophilia, 3rd edition. Haemophilia,[2] 2. 中国血友病管理指南(2021	micromedex 未收录

		<p>[(1-Hct) ×抑制物滴度 (BU)]+50IU/kg</p>	<p>(BU)], 在此基础上需要额外增加 50IU/kg 的 FVIII。</p>	<p>版).[3] 3.血友病治疗中国指南（2020年版）[4]</p>
	<p>适应症</p>	<p>FVIII抑制物免疫耐受治疗（ITI 治疗）</p>	<p>①Bonn 方案：开始时 FVIII用量为 100IU/kg 每 12 小时 1 次，FVIII活性开始恢复后，FVIII用量改为 150IU/kg 每 12 小时 1 次，直到抑制物消失； ②Van Creveld 方案：FVIII 25~50IU/kg 隔日 1 次输注，根据抑制物滴度下降和 FVIII 活性恢复情况逐渐减少用量。</p>	<p>1. WFH Guidelines for the Management of Hemophilia, 3rd edition. Haemophilia,[2] 2.中国血友病管理指南(2021版)[3] 3.血友病治疗中国指南（2020年版）[4] 4.凝血因子VIII/IX抑制物诊断与治疗中国指南（2018年版）[5].</p>
<p>重组人凝血因子 VIII</p>	<p>注射剂</p>	<p>低滴度 FVIII抑制物的止血治疗（先天性</p>	<p>用于中和抑制物的 FVIII用量算法如下：体重（kg）×80</p>	<p>1. WFH Guidelines for the Management of Hemophilia, 3rd edition. Haemophilia,[2] 2.中国血友病管理指南(2021版).[3] 3.血友病治疗中国指南（2020年版）[4]</p>
	<p>用法用量</p>	<p>与获得性血友病）： 体重（kg）×80×[(1-Hct) ×抑制物滴度 (BU)]+50IU/kg</p>	<p>[(1-Hct) ×抑制物滴度 (BU)], 在此基础上需要额外增加 50IU/kg 的 FVIII。</p>	<p>micromedex 未收录</p>
<p>人凝血酶原复合物</p>	<p>注射剂</p>	<p>适应症 获得性 FVIII抑制物 及用法 状态的旁路途径的止血 用量 血治疗：50~75IU/kg</p>	<p>对于一般的关节出血，PCC 的用量可为每次 50~75 IU/kg，严重或者危及生命出血，可增至每次 100IU/kg，但每 24 小时总剂量不超过 150IU/kg。</p>	<p>1.获得性血友病 A 诊断与治疗中国指南（2021年版）[5] 2.中国血友病管理指南(2021版).[3] micromedex 未收录</p>

艾美赛珠单抗	注射剂	适应症	不伴有 FVIII抑制物的 A 型血友病成人和儿童患者的常规预防性治疗	第 1~4 周, 3mg/kg/, 每周一次; 第 4 周后, 1.5mg/kg, 每周一次, 或 3mg/kg, 每两周一次, 或 6mg/kg, 每四周一次	FDA 批准[7]	有效性等级 ClassIIa, 推荐等级 ClassIIa, 证据等级 Category B
氨甲环酸	注射剂/ 片剂	适应症	预防血友病患者拔牙出血	术前 10mg/kg 静脉输注, 单次给药, 与替代治疗同时给药, 给药结束马上拔牙。术后, 10mg/kg 静脉输注, 每日 3-次, 疗程 2~8 日	1.FDA 批准[8] 2. WFH Guidelines for the Management of Hemophilia, 3rd edition. Haemophilia,[2] 3.中国血友病管理指南(2021 版).[3] 4.血友病治疗中国指南 (2020 年版) [4]	有效性等级 ClassIIa, 推荐等级 ClassIIa, 证据等级 Category B
	片剂	用法	含漱	含服、漱口, 或将药片磨碎, 清水溶解后用于局部黏膜出血	1. WFH Guidelines for the Management of Hemophilia, 3rd edition. Haemophilia,[2] 2 中国血友病管理指南(2021 版).[3] 3.血友病治疗中国指南 (2020 年版) [4]	micromedex 未收录
泼尼松	片剂	适应症	①获得性血友病免疫抑制治疗一线方案; ②先天性血友病伴抑制物的免疫耐受治疗中的联合免疫抑制治疗	①泼尼松 1 mg kg-1 d-1 口服或等效剂量其他类型糖皮质激素口服或静脉给药, 疗程一般不超过 6 周, 逐渐减量至停用; ②在 Bonn 方案基础上联合免	1. WFH Guidelines for the Management of Hemophilia, 3rd edition. Haemophilia,[2] 2.获得性血友病 A 诊断与治疗中国指南 (2021 年版) [6] 3.中国血友病管理指南(2021	micromedex 未收录

疫抑制治疗，包括口服泼尼松 50~150mg/d。

版).[3]

4.血友病治疗中国指南（2020年版）[4]

5.凝血因子VIII/IX抑制物诊断与治疗中国指南（2018年版）[5]

1. WFH Guidelines for the Management of Hemophilia, 3rd edition. Haemophilia,[2]

2.获得性血友病 A 诊断与治疗中国指南（2021 年版）[6]

3. Reduced-intensity, risk factor-stratified

immunosuppression for acquired hemophilia A: single-center observational study[8]

4.血友病治疗中国指南（2020年版）[4]

5.凝血因子VIII/IX抑制物诊断与治疗中国指南（2018年版）[5]

①联合糖皮质激素治疗；利妥昔单抗 375 mg/m² 每周 1

①获得性血友病免疫抑制治疗联合用药一线方案；次，静脉给药，最多 4 次或 100 mg 每周 1 次×4 次；

②先天性血友病伴抑制物清除免疫耐受诱导治疗中的二线治疗方案。②先天性血友病伴 FVIII抑制物清除免疫耐受诱导治疗中的二线治疗：推荐利妥昔单抗每周剂量为 375mg/m²，最多 4

个周期。

①联合糖皮质激素；环磷酰胺 1.5~2 mg kg⁻¹ d⁻¹，静脉或

①获得性血友病免疫抑制治疗联合用药一线方案；

②先天性血友病伴抑制物清除免疫耐受诱导

②在 Bonn 方案基础上联合免疫抑制治疗，包括环磷酰胺

1. WFH Guidelines for the Management of Hemophilia, 3rd edition. Haemophilia,[2]

2.获得性血友病 A 诊断与治疗中国指南（2021 年版）[6]

3. Reduced-intensity, risk

micromedex 未收录

有效性等级 ClassIIb，推荐等级 ClassIIb，证据等级 Category C

利妥昔单抗

注射剂

适应症

环磷酰胺

注射剂/
片剂

适应症

导治疗中的二线治疗方案。 12~15mg/(kg.d)静注 2 日序贯 2~3mg/ (kg.d) 口服，共 8~10 日

factor-stratified immunosuppression for acquired hemophilia A: single-center observational study[9]

4.血友病治疗中国指南（2020 年版） [4]

5.凝血因子VIII/IX抑制物诊断与治疗中国指南（2018 年版） [5]

先天性血友病伴抑制物清除免疫耐受诱导治疗中的二线治疗方案。 在 Bonn 方案基础上联合免疫抑制治疗，包括静脉注射人免疫球蛋白 0.4g/(kg.d)5 日

1. WFH Guidelines for the Management of Hemophilia, 3rd edition. Haemophilia,[2]
- 2..血友病治疗中国指南（2020 年版） [4]
- 3.获得性血友病 A 诊断与治疗中国指南（2021 年版） [6]
4. 凝血因子VIII/IX抑制物诊断与治疗中国指南（2018 年版） [5]

1. WFH Guidelines for the Management of Hemophilia, 3rd edition. Haemophilia,[2]

- 2..血友病治疗中国指南（2020 年版） [4]
- 3.获得性血友病 A 诊断与治疗中国指南（2021 年版） [6]
4. 凝血因子VIII/IX抑制物诊

人免疫球蛋白

注射剂 适应症

micromedex 未收录

硫唑嘌呤 片剂

适应症

获得性血友病免疫抑制治疗 一线及二线治疗均无效时，可尝试使用。

micromedex 未收录

长春新碱	注射剂	适应症	获得性血友病免疫抑制治疗	一线及二线治疗均无效时，可尝试使用。	<p>断与治疗中国指南（2018年版） [5]</p> <p>1. WFH Guidelines for the Management of Hemophilia, 3rd edition. Haemophilia,[2]</p> <p>2..血友病治疗中国指南（2020年版） [4]</p> <p>3.获得性血友病 A 诊断与治疗中国指南（2021年版） [6]</p> <p>4. 凝血因子VIII/IX抑制物诊断与治疗中国指南（2018年版） [5]</p>	micromedex 未收录
吗替麦考酚酯	注射剂/ 片剂/胶 囊剂	适应症	获得性血友病免疫抑制治疗	一线及二线治疗均无效时，可尝试使用。	<p>1. WFH Guidelines for the Management of Hemophilia, 3rd edition. Haemophilia,[2]</p> <p>2..血友病治疗中国指南（2020年版） [4]</p> <p>3.获得性血友病 A 诊断与治疗中国指南（2021年版） [6]</p> <p>4. 凝血因子VIII/IX抑制物诊断与治疗中国指南（2018年版） [5]</p>	micromedex 未收录
环孢素 A	注射剂/ 软胶囊/ 口服溶 液	适应症	获得性血友病免疫抑制治疗	一线及二线治疗均无效时，可尝试使用。	<p>1. WFH Guidelines for the Management of Hemophilia, 3rd edition. Haemophilia,[2]</p>	micromedex 未收录

胶体磷 [32P]酸铬	注射剂	适应症	血友病患者放射性核 酸滑膜切除术	成人（或体重在 30 kg 及以上者）的剂量为膝、髋关节 1.0~2.0mCi, 踝、肘关节 0.5~1.0mCi, 儿童（或体重小于 30 kg 者）剂量减半	2..血友病治疗中国指南 (2020 年版) [4] 3.获得性血友病 A 诊断与治疗中国指南 (2021 年版) [6] 4. 凝血因子VIII/IX抑制物诊断与治疗中国指南 (2018 年版) [5] 1. WFH Guidelines for the Management of Hemophilia, 3rd edition. Haemophilia.[2] 2.中国血友病管理指南(2021 版).[3]	micromedex 未收录
----------------	-----	-----	---------------------	--	--	-------------------

表 2 用于治疗 Castleman 病超药品说明书用药目录

通用名	剂型	超说明书类型	超说明书内容	具体用法	循证依据及参考文献	循证证据等级
托珠单抗	注射剂	适应症	castleman 综合症	在西妥昔单抗不可用或未获得批准的国家，可以使用托珠单抗。	1.International, evidence-based consensus treatment guidelines for idiopathic multicentric Castleman disease[10] 2.International evidence-based consensus diagnostic and treatment guidelines for unicentric Castleman disease.[11]	micromedex 未收录
利妥昔单抗	注射剂	适应症	castleman 综合症	对 IL-6 单克隆抗体治疗无反应的患者应考虑使用基于利妥昔单抗的治疗+糖皮质激素±免疫调节剂/免疫抑制剂的方案（二线或三线	1.International, evidence-based consensus treatment guidelines for idiopathic multicentric Castleman disease[10]	micromedex 未收录

			治疗的免疫调节剂/免疫抑制剂包括沙利度胺、环孢素 A、西罗莫司或硼替佐米）。	2.International evidence-based consensus diagnostic and treatment guidelines for unicentric Castleman disease.[11]	
泼尼松	片剂	适应症	对 IL-6 单克隆抗体治疗无反应的患者应考虑使用基于利妥昔单抗的治疗+糖皮质激素±免疫调节剂/免疫抑制剂的方案（二线或三线治疗的免疫调节剂/免疫抑制剂包括沙利度胺、环孢素 A、西罗莫司或硼替佐米）。	1.International, evidence-based consensus treatment guidelines for idiopathic multicentric Castleman disease[10] 2.International evidence-based consensus diagnostic and treatment guidelines for unicentric Castleman disease.[11]	micromedex 未收录
沙利度胺	片剂	适应症	对 IL-6 单克隆抗体治疗无反应的患者应考虑使用基于利妥昔单抗的治疗+糖皮质激素±免疫调节剂/免疫抑制剂的方案（二线或三线治疗的免疫调节剂/免疫抑制剂包括沙利度胺、环孢素 A、西罗莫司或硼替佐米）。	1.International, evidence-based consensus treatment guidelines for idiopathic multicentric Castleman disease[10] 2.International evidence-based consensus diagnostic and treatment guidelines for unicentric Castleman disease.[11] 3.中国 Castleman 病诊断与治疗专家共识（2021 版）[12]	micromedex 未收录
环孢素	注射剂/ 软胶囊/ 口服溶液	适应症	对 IL-6 单克隆抗体治疗无反应的患者应考虑使用基于利妥昔单抗的治疗+糖皮质激素±免疫调节剂/免疫抑制剂的方案（二线或三线治疗的免疫调节剂/免疫抑制剂包括沙利度胺、环孢素 A、西罗莫司或硼替佐米）。	1.International, evidence-based consensus treatment guidelines for idiopathic multicentric Castleman disease[10] 2.International evidence-based consensus diagnostic and treatment guidelines for unicentric Castleman disease.[11]	micromedex 未收录

3.中国 Castleman 病诊断与治疗专家共
识（2021 版）[12]

1.International, evidence-based
consensus treatment guidelines for
idiopathic multicentric Castleman
disease[10]

2.International evidence-based consensus
diagnostic and treatment guidelines for
unicentric Castleman disease.[11]
3.中国 Castleman 病诊断与治疗专家共
识（2021 版）[12]

micromedex
未收录

1.International, evidence-based
consensus treatment guidelines for
idiopathic multicentric Castleman
disease[10]

2.International evidence-based consensus
diagnostic and treatment guidelines for
unicentric Castleman disease.[11]
3.中国 Castleman 病诊断与治疗专家共
识（2021 版）[12]

micromedex
未收录

西罗莫司 片剂/胶
囊/口服 适应症
溶液
castleman
综合症
对 IL-6 单克隆抗体治疗无反应的
患者应考虑使用基于利妥昔单抗
的治疗+糖皮质激素±免疫调节剂
/免疫抑制剂的方案（二线或三线
治疗的免疫调节剂/免疫抑制剂包
括沙利度胺、环孢素 A、西罗莫
司或硼替佐米）。

硼替佐米 注射剂 适应症
castleman
综合症
对 IL-6 单克隆抗体治疗无反应的
患者应考虑使用基于利妥昔单抗
的治疗+糖皮质激素±免疫调节剂
/免疫抑制剂的方案（二线或三线
治疗的免疫调节剂/免疫抑制剂包
括沙利度胺、环孢素 A、西罗莫
司或硼替佐米）。

表 3 用于治疗 Erdheim-Chester 病超药品说明书用药目录

通用名	剂型	超说明 书类型	超说明书内 容	具体用法	循证依据及参考文献	循证证据等 级
-----	----	------------	------------	------	-----------	------------

维莫非尼	片剂	适应症	Erdheim-Chester 病	治疗伴有 BRAF V600 突变的 Erdheim-Chester 病, 480-960 mg 口服, 一天两次	1.FDA 批准[13]. 2. Consensus guidelines for the diagnosis and clinical management of Erdheim-Chester disease[14]	micromedex 未收录
干扰素- α	注射剂	适应症	Erdheim-Chester 病	3 mIU 皮下注射, 每周 3 次 (标准剂量); 或 6~9 mIU 皮下注射, 每周 3 天 (高剂量)	Consensus guidelines for the diagnosis and clinical management of Erdheim-Chester disease[14]	micromedex 未收录
聚乙二醇干扰素 α	注射剂	适应症	Erdheim-Chester 病	皮下注射 135 μ g/周 (标准剂量), 或皮下注射 180 μ g/周 (高剂量)	Consensus guidelines for the diagnosis and clinical management of Erdheim-Chester disease[14].	micromedex 未收录
曲美替尼	片剂	适应症	Erdheim-Chester 病	用于伴有 BRAF V600 以及 KRAS Q61H 突变的 Erdheim-Chester 病的联合治疗	Trametinib after disease reactivation under dabrafenib in Erdheim-Chester disease with both BRAF and KRAS mutations.[15]	micromedex 未收录
克拉屈滨	注射剂	适应症	Erdheim-Chester 病	6 mg/m ² 静脉注射, 每日 1 次, 连续 5 日, 4 周为一个周期	Consensus guidelines for the diagnosis and clinical management of Erdheim-Chester disease[14].	micromedex 未收录
西罗莫司	片剂/ 胶囊/ 口服 溶液	适应症	Erdheim-Chester 病	2mg/天	1.Sirolimus plus prednisone for Erdheim-Chester disease: an open-label trial. [16] 2. Consensus guidelines for the diagnosis and clinical management of Erdheim-Chester disease[14].	micromedex 未收录

泼尼松	片剂	适应症	Erdheim-Chester 病	初始剂量为 0.75 mg/kg/天，在 6 个月内逐渐递减至 0.125~0.5mg/kg/天	Sirolimus plus prednisone for Erdheim-Chester disease: an open-label trial. [16]	micromedex 未收录
-----	----	-----	-------------------	--	--	-------------------

表 4 用于治疗范可尼贫血超药品说明书用药目录

通用名	剂型	超说明书类型	超说明书内容	具体用法	循证依据及参考文献	循证证据等级
达那唑	胶囊	适应症	范可尼贫血	初始用药 200mg/次，2~3 次/日，起效后，维持剂量一般为初始剂量的 50% 或更少，在 1~3 个月或更长一段的间隔时递减。	Androgens and liver tumors: Fanconi's anemia and non-Fanconi's conditions.[17].	micromedex 未收录

表 5 用于治疗朗格汉斯细胞组织细胞增生症超药品说明书用药目录

通用名	剂型	超说明书类型	超说明书内容	具体用法	循证依据及参考文献	循证证据等级
长春碱	注射剂	适应症	朗格汉斯细胞组织细胞增生症	首次用药剂量 3.7mg/m ² ，静脉注射，第二次用药剂量 5.5mg/m ² ，静脉注射，第三次用药剂量 7.4mg/m ² 静脉注射，第四次用药剂量 9.25mg/m ² ，静脉注射，第五次用药剂量 11.1mg/m ² ，静脉注射，间隔一周，每周增加用药剂量直至最大剂量达到 18.5mg/m ² 。	FDA 批准[18]	有效性等级 ClassIIa, 推荐等级 ClassIIa, 证据等级 Category B

克拉屈滨	注射剂	适应症	朗格汉斯细胞组织细胞增生症(儿童)	<p>1. 在一项对 10 名复发或难治性朗格汉斯细胞组织细胞增多症儿童患者的研究中, 克拉屈滨起始剂量为 5mg/m², 每日给药, 持续 3 天, 增加至 6.5mg/m², 持续 3 天/周期, 最多 6 个周期。克拉屈滨与 100mL 生理盐水混合, 并通过便携式泵给药。</p> <p>2. 克拉屈滨对 6 例复发性朗格汉斯细胞组织细胞增多症患儿有效治疗, 以 5~7mg/m²/天的剂量静脉注射克拉屈滨, 连续 5 天, 间隔 21 至 28 天。患者将接受总共 6 个疗程的治疗。</p>	<p>1. Efficacy of continuous infusion-2-CDA (cladribine) in pediatric patients with Langerhans cell histiocytosis.[19]</p> <p>2. Treatment of children with Langerhans cell histiocytosis with 2-chlorodeoxyadenosine.[20]</p> <p>3. Analysis of outcome for patients with mass lesions of the central nervous system due to Langerhans cell histiocytosis treated with 2-chlorodeoxyadenosine. [21]</p>	<p>有效性等级</p> <p>ClassIIa, 推荐等级</p> <p>ClassIIb, 证据等级</p> <p>Category B</p>
			朗格汉斯细胞组织细胞增生症	<p>用水稀释氮芥至 200mg/L (0.02%)。使用棉签涂抹患处, 初始平均剂量为 2 至 3mg/天, 10 分钟后冲洗干净。每天一次应用于病变, 直到出现消退, 然后将频率降低到每隔一天, 然后每三天, 最后, 每周一次, 直到清除。</p>	<p>Long term follow up of topical mustine treatment for cutaneous Langerhans cell histiocytosis.[22]</p>	<p>成人: 有效性等级</p> <p>ClassIIa, 推荐等级</p> <p>ClassIIb, 证据等级</p> <p>Category C</p> <p>儿童: 有效性等级</p> <p>ClassIIa, 推荐等级</p> <p>ClassIIb, 证据等级</p> <p>Category B</p>
环磷酰胺	注射剂/片剂	适应症	朗格汉斯细胞组织细胞增生症	<p>300mg/m² 每次, 在 4 周的循环内第 1、8、15 天注射</p>	<p>Phase 2 study of oral thalidomide-cyclophosphamide-dexamethasone</p>	<p>有效性等级</p> <p>ClassIIa, 推荐等级</p>

		细胞增生症		for recurrent/refractory adult Langerhans cell histiocytosis. [23]	ClassIIb, 证据等级
		朗格汉斯细胞组织增生症		Successful treatment of Langerhans'-cell histiocytosis with etanercept. [24]	ClassIIa, 推荐等级
依那西普	注射剂	适应症	0.4mg/kg 每周两次		ClassIIb, 证据等级
		朗格汉斯细胞组织增生症		1. Multisystem Langerhans-cell histiocytosis with life-threatening pulmonary involvement--good response to cyclosporine A. [25]	有效性等级
环孢素	注射剂/软胶囊/口服溶液	适应症	朗格汉斯细胞组织增生症 12mg/kg/天; 15~20mg/kg/天	2. Treatment of relapsed Langerhans cell histiocytosis by cyclosporin A combined with etoposide and prednisone.[26]	ClassIIa, 推荐等级
		朗格汉斯细胞组织增生症		3. Cyclosporine therapy for advanced Langerhans cell histiocytosis. [27]	ClassIIb, 证据等级
		朗格汉斯细胞组织增生症		1. Etoposide in the treatment of six children with Langerhans cell histiocytosis (histiocytosis X)[28]	有效性等级
依托泊苷	注射剂/胶囊	适应症	每周接受 100mg/m ² 两次, 持续 4 周后, 每 2~4 周接受 1 次	2. Treatment of Langerhans cell histiocytosis in children with etoposide.[29]	ClassIIa, 推荐等级
		朗格汉斯细胞组织增生症			ClassIIb, 证据等级
					Category C

帕米膦酸二钠	注射剂	适应症	降低朗格	静脉注射帕米膦酸钠 90 mg/次，之后每月继续治疗一次，共 4 次	1. Pamidronate for bone pain from osteolytic lesions in Langerhans'-cell histiocytosis.[30]. 2. Treatment of Langerhans cell histiocytosis with pamidronate.[31]	有效性等级
			汉斯细胞			ClassIIa,
			组织细胞			推荐等级
			增生症引			ClassIIb,
起的疼痛	证据等级					
					Category C	

表 6 用于治疗阵发性睡眠性血红蛋白尿症超药品说明书用药目录

通用名	剂型	超说明书类型	超说明书内容	具体用法	循证依据及参考文献	循证证据等级
去铁酮	片剂/口服液	适应症	阵发性睡眠性血红蛋白尿症	3~6g/天	Long-term treatment of transfusional iron overload with the oral iron chelator deferasirox (L1): a Dutch multi-center trial. [32]	micromedex 未收录

表 7 用于治疗 POEMS 综合征超药品说明书用药目录

通用名	剂型	超说明书类型	超说明书内容	具体用法	循证依据及参考文献	循证证据等级
来那度胺	胶囊	适应症	POEMS 综合征	大剂量治疗：25mg/天使用 3 周，暂停 1 周，连续 6 个周期，联合使用地塞米松；小剂量治疗：10mg/天，联合使用地塞米松	1. Lenalidomide and dexamethasone in patients with POEMS syndrome: results of a prospective, open-label trial. [33] 2. Efficacy and safety of low-dose lenalidomide plus dexamethasone in patients with relapsed or refractory POEMS syndrome. [34]	有效性等级 ClassIIa, 推荐等级 ClassIIb, 证据等级 Category B
沙利度胺	片剂	适应症	POEMS 综合征	与地塞米松联用，28 天为 1 个疗程，地塞米松每疗程前 4 天，12mg/m ² ，每天用药，沙利度胺起始用	1.European myeloma network recommendations on diagnosis and management of patients with rare plasma cell dyscrasias. [35] 2. POEMS syndrome: 2021 Update on diagnosis, risk-stratification, and management.[36]	micromedex 未收录

			药时 100mg/隔日， 第 8 天起 100mg/ 日，第 15 天起 200mg/日	3. Safety and efficacy of thalidomide in patients with POEMS syndrome: a multicentre, randomised, double-blind, placebo-controlled trial.[37]	
美法仑	注射 剂/片 剂	适应症 POEMS 综合征	与地塞米松联用，剂 量为 140~200mg/m ² ，病 情较重患者使用较低 剂量	1. European myeloma network recommendations on diagnosis and management of patients with rare plasma cell dyscrasias. [35] 2. POEMS syndrome: 2021 Update on diagnosis, risk- stratification, and management. [36]	micromedex 未收录
硼替佐米	注射 剂	适应症 POEMS 综合征	与环磷酰胺、地塞米 松联合化疗：硼替佐 米在第 1、4、5 天静 脉注射 1mg/m ² ； 第 8 天和第 11 天静 脉注射环磷酰胺 200 mg，第 1~4 天及 8~11 天静脉注射地 塞米松 20 mg	1. European myeloma network recommendations on diagnosis and management of patients with rare plasma cell dyscrasias. [35] 2. POEMS syndrome: 2021 Update on diagnosis, risk- stratification, and management. [36] 3.Successful treatment of newly diagnosed POEMS syndrome with reduced-dose bortezomib based regimen.[38]	micromedex 未收录
达雷妥尤 单抗	注射 剂	适应症 POEMS 综合征	16mg/kg 每周 1 次	POEMS syndrome: 2021 Update on diagnosis, risk- stratification, and management. [36]	micromedex 未收录
地塞米松	注射 剂/片 剂	适应症 POEMS 综合征	与其他化疗药物联合 用药使用	1. Update on the Diagnosis and Treatment of POEMS (Polyneuropathy, Organomegaly, Endocrinopathy, Monoclonal Gammopathy, and Skin Changes) Syndrome: A Review.[39]. 2. POEMS syndrome: 2021 Update on diagnosis, risk- stratification, and management. [36]	micromedex 未收录

3. Safety and efficacy of thalidomide in patients with POEMS syndrome: a multicentre, randomised, double-blind, placebo-controlled trial.[37]
4. Successful treatment of newly diagnosed POEMS syndrome with reduced-dose bortezomib based regimen[38]

表 8 用于治疗卟啉病超药品说明书用药目录

通用名	剂型	超说明书内容	超说明书类型	具体用法	循证依据及参考文献	循证证据等级
羟氯喹	片剂	难以进行或难以耐受静脉放血治疗的卟啉病患者的替代治疗		每次 100mg, 每周 2 次	中国卟啉病诊治专家共识 (2020 年) [40]	micromedex 未收录

表 9 用于治疗原发性轻链型淀粉样变药品说明书用药目录

通用名	剂型	超说明书内容	超说明书类型	具体用法	循证依据及参考文献	循证证据等级
硼替佐米	注射剂	原发性轻链型淀粉样变		与地塞米松和 (或) 环磷酰胺组成联合化疗方案使用	<p>1. Management of systemic AL amyloidosis: Recommendations of the Myeloma Foundation of Australia Medical and Scientific [41]</p> <p>2. Guidelines on the management of AL amyloidosis. [42]</p> <p>3. Induction therapy with bortezomib and dexamethasone followed by autologous stem cell transplantation versus autologous stem cell transplantation alone in the treatment of renal AL amyloidosis: A randomized controlled trial. [43]</p>	<p>有效性等级</p> <p>ClassIIa, 推荐等级</p> <p>ClassI, 证据等级</p> <p>Category B</p>
沙利度胺	片剂	原发性轻链型淀粉样变		每天晚上给予初始口服沙利度胺 200mg。如果耐受, 则每隔 2 周以	<p>Tolerability and efficacy of thalidomide for the treatment of patients with light chain-associated (AL) amyloidosis. [44]</p>	<p>有效性等级</p> <p>ClassIIb, 推荐等级</p> <p>ClassIIb,</p>

			200mg/天的增量增加剂		证据等级
			量, 最大剂量为 800mg		Category B
来那度胺	胶囊	适应症	原发性轻链型淀粉样变联合治疗方案	<p>来那度胺 15mg, 每日 1 次, 在 28 天周期的第 1 天至第 21 天口服, 联合使用地塞米松和 (或) 环磷酰胺</p> <p>1. Salvage therapy with lenalidomide and dexamethasone in patients with advanced AL amyloidosis refractory to melphalan, bortezomib, and thalidomide. [45]</p> <p>2. A phase II trial of cyclophosphamide, lenalidomide and dexamethasone in previously treated patients with AL amyloidosis.[46].</p>	<p>有效性等级</p> <p>ClassIIa,</p> <p>推荐等级</p> <p>ClassIIb,</p> <p>证据等级</p> <p>Category B</p>
美法仑	注射剂/片剂	适应症	原发性轻链型淀粉样变联合治疗方案	<p>High-dose melphalan and autologous bone marrow transplantation for systemic AL amyloidosis with cardiac involvement. [47]</p>	<p>有效性等级</p> <p>ClassIIb,</p> <p>推荐等级</p> <p>ClassIIb,</p> <p>证据等级</p> <p>Category B</p>
环磷酰胺	注射剂/片剂	适应症	原发性轻链型淀粉样变联合治疗方案	<p>在每个周期的第 1、8、15、22 天, 口服或静脉注射环磷酰胺</p> <p>300mg/m², 联合硼替唑咪, 最多 6 个周期</p> <p>Daratumumab plus CyBorD for patients with newly diagnosed AL amyloidosis: safety run-in results of ANDROMEDA. [48]</p>	<p>有效性等级</p> <p>micromedex</p> <p>未收录</p>
达雷妥尤单抗	注射剂	适应症	原发性轻链型淀粉样变	<p>前两个循环, 每 4 周在第 1 天、第 8 天、第 15 天、第 22 天静脉注射</p> <p>16mg/kg, 之后第 3~6 周期每隔一周用药一次, 之后每 4 周用药 1 次。</p> <p>1. A prospective phase 2 trial of daratumumab in patients with previously treated systemic light-chain amyloidosis. [49]</p> <p>2. Daratumumab for systemic AL amyloidosis: prognostic factors and adverse outcome with nephrotic-range albuminuria. [50]</p>	<p>有效性等级</p> <p>ClassIIa,</p> <p>推荐等级</p> <p>ClassIIa,</p> <p>证据等级</p> <p>Category B</p>

地塞米松	注射剂/片剂	适应症	原发性轻链型淀粉样变	每周口服或静脉注射地塞米松 40mg（起始剂量），最多 6 个周期。	Daratumumab plus CyBorD for patients with newly diagnosed AL amyloidosis: safety run-in results of ANDROMEDA. [48]	micromedex 未收录 有效性等级 ClassIIa, 推荐等级 ClassIIb, 证据等级 Category B
泊马度胺	胶囊	适应症	原发性轻链型淀粉样变联合治疗方案	联合地塞米松使用，每次 4mg，每日 1 次	A phase 2 trial of pomalidomide and dexamethasone rescue treatment in patients with AL amyloidosis. [51]	有效性等级 ClassIIa, 推荐等级 ClassIIb, 证据等级 Category B

表 10 用于治疗镰刀型细胞贫血病药品说明书用药目录

通用名	剂型	超说明书类型	超说明书内容	具体用法	循证依据及参考文献	循证证据等级
羟基脲	片剂	适应症	镰刀型细胞贫血病(中到重型)	起始剂量，每日 15mg/kg 单次口服，根据血细胞计数，每隔 12 周可增加 5mg/kg/d，直到最大剂量 35mg/kg/d	FDA 批准[52]	有效性等级 ClassIIa, 推荐等级 ClassIIa, 证据等级 Category B
L-谷氨酰胺	胶囊	适应症	镰刀型细胞贫血病	体重 30kg 以下，每次 15g，每日 2 次；体重 30~65kg，每次 10g，每日 2 次；体重 65kg 以上，每次 15g，每日 2 次	FDA 批准[53]	有效性等级 ClassI, 推荐等级 ClassI, 证据等级 Category B

表 11 用于湿疹-血小板减少-免疫缺陷综合征药品说明书用药目录

通用名	剂型	超说明书类型	超说明书内容	具体用法	循证依据及参考文献	循证证据等级
-----	----	--------	--------	------	-----------	--------

					有效性等级
免疫球蛋白	注射剂	适应症	湿疹-血小板减少-免疫缺陷综合征	静脉输注，用于改善患者免疫功能的替代治疗	ClassIIa, 推荐等级
泼尼松	片剂	适应症	湿疹-血小板减少-免疫缺陷综合征	可用于湿疹的短期全身治疗	ClassIIa, 证据等级
重组血小板生成素	注射剂	适应症	湿疹-血小板减少-免疫缺陷综合征	用于血小板减少的辅助治疗	Category B
艾曲泊帕	片剂	适应症	湿疹-血小板减少-免疫缺陷综合征	每天口服一次艾曲泊帕 (9~75mg)，并调整剂量以保持血小板计数 $>50 \times 10^9/L$ 用于使用艾曲泊帕	micromedex 未收录
罗普司亭	注射剂	适应症	湿疹-血小板减少-免疫缺陷综合征	无效的湿疹-血小板减少-免疫缺陷综合征的治疗	micromedex 未收录
白消安	注射剂/片剂	适应症	湿疹-血小板减少-免疫缺陷综合征联合免疫抑制治疗	Reconstitution of normal megakaryocytopoiesis and immunologic functions in Wiskott-Aldrich syndrome by marrow transplantation following myeloablation and immunosuppression with busulfan and cyclophosphamide[58]	micromedex 未收录

环磷酰胺	注射 剂/片 剂	适应症	湿疹-血小板减少 -免疫缺陷综合征 50 mg/kg/天, 连续 联合免疫抑制治 4 天 疗	Reconstitution of normal megakaryocytopoiesis and immunologic functions in Wiskott-Aldrich syndrome by marrow transplantation following myeloablation and immunosuppression with busulfan and cyclophosphamide[58]	micromedex 未收录
------	----------------	-----	---	--	-------------------



参考文献

- [1] 广东省药学会. 超药品说明书用药目录 (2023 年版新增用法) [J]. 今日药学, 2023, 33(7):481-498.
- [2] Srivastava A, Santagostino E, Dougall A, et al. WFH Guidelines for the Management of Hemophilia[J], 3rd edition. Haemophilia, 2020,26(S6):1-158
- [3] 中国血友病协作组, 中国血友病管理指南(2021 版) [M]. 中国协和医科大学出版社, 2021 年 11 月第 1 版
- [4] 中华医学会血液学分会血栓与止血学组, 中国血友病协作组. 血友病治疗中国指南 (2020 年版) [M]. 中华血液学杂志,2020,41 (04): 265-271
- [5] 中华医学会血液学分会血栓与止血学组, 中国血友病协作组. 凝血因子VIII/IX抑制物诊断与治疗中国指南 (2018 年版) [M]. 中华血液学杂志, 2018, 39 (10): 793-800
- [6] 中华医学会血液学分会血栓与止血学组, 中国血友病协作组. 获得性血友病 A 诊断与治疗中国指南 (2021 年版) [M]. 中华血液学杂志, 2021, 42(10) : 793-799
- [7] Product Information: HEMLIBRA(R) subcutaneous injection, emicizumab-kxwh subcutaneous injection. Genentech Inc (per FDA) [EB/OL], South San Francisco, CA, 2021
- [8] Product Information: CYKLOKAPRON(R) intravenous injection, tranexamic acid intravenous injection. Pharmacia & Upjohn Company (per FDA) [EB/OL], New York, NY, 2020.
- [9] DobbelsteinC, MoschovakisGL, TiedeA. Reduced-intensity, risk factor-stratified immunosuppression for acquired hemophilia A: single-center observational study[J]. Ann Hematol, 2020, 99(9): 2105-2112.
- [10] van Rhee F, Voorhees P, Dispenzieri A, et al. International, evidence-based consensus treatment guidelines for idiopathic multicentric Castleman disease[J], Blood. 2018, 132(20):2115-2124
- [11] van Rhee F, Oksenhendler E, Srkalovic G, et al. International evidence-based consensus diagnostic and treatment guidelines for unicentric Castleman disease[J]. Blood Adv. 2020, 4(23):6039-6050

- [12] 中华医学会血液学分会淋巴细胞疾病学组, 中国抗癌协会血液肿瘤专业委员会, 中国 Castleman 病协作组. 中国 Castleman 病诊断与治疗专家共识 (2021 版) [M], 中华血液学杂志, 2021, 42 (7): 529-34
- [13] Product Information: ZELBORAF(R) oral tablets, vemurafenib oral tablets. Genentech USA, Inc (per FDA) [EB/OL], South San Francisco, CA, 2017.
- [14] Diamond EL, Dagna L, Hyman DM, et al. Consensus guidelines for the diagnosis and clinical management of Erdheim-Chester disease[J]. Blood. 201;124(4):483-92.
- [15] Thierry M Nordmann, Freimut D Juengling, Mike Recher, et al. Trametinib after disease reactivation under dabrafenib in Erdheim-Chester disease with both BRAF and KRAS mutations[J]. Blood. 2017, 129(7):879-882
- [16] Davide Gianfreda, Maria Nicastro, Maricla Galetti, et al. Sirolimus plus prednisone for Erdheim-Chester disease: an open-label trial[J]. Blood. 2015, 126(10):1163-71.
- [17] Velazquez I, Alter BP. Androgens and liver tumors: Fanconi's anemia and non-Fanconi's conditions[J]. Am J Hematol. 2004 ;77(3):257-67.
- [18] Product Information: vinblastine sulfate intravenous injection, vinblastine sulfate intravenous injection[EB/OL]. APP Pharmaceuticals, LLC, Schaumburg, IL, 2008.
- [19] Stine KC , Saylor RL , Saccente S , et al: Efficacy of continuous infusion 2-CDA (cladribine) in pediatric patients with Langerhans cell histiocytosis[J]. Pediatr Blood Cancer 2004; 43(1):81-84.
- [20] Rodriguez-Galindo C, Kelly P, Jeng M, et al: Treatment of children with Langerhans cell histiocytosis with 2-chlorodeoxyadenosine[J]. Am J Hematol 2002; 69:179-184.
- [21] Dhall G , Finlay JL , Dunkel IJ , et al: Analysis of outcome for patients with mass lesions of the central nervous system due to Langerhans cell histiocytosis treated with 2-chlorodeoxyadenosine[J]. Pediatr Blood Cancer 2008; 50(1):72-79. "

- [22] Hoeger PH, Nanduri VR, Harper JI, et al: Long term follow up of topical mustine treatment for cutaneous Langerhans cell histiocytosis[J]. Arch Dis Child 2000; 82:483-487
- [23] Wang JN, Liu T, Zhao AL, et al. Phase 2 study of oral thalidomide-cyclophosphamide-dexamethasone for recurrent/refractory adult Langerhans cell histiocytosis[J]. Leukemia. 2022,36(6):1619-1624.
- [24] Henter JI, Karlén J, Calming U, et al. Successful treatment of Langerhans'-cell histiocytosis with etanercept[J]. N Engl J Med. 2001, 345(21):1577-8.
- [25] Zeller B, Storm-Mathisen I, Smevik B, et al: Multisystem Langerhans-cell histiocytosis with life-threatening pulmonary involvement—good response to cyclosporine A[J]. Med Pediatr Oncol 2000; 35:438-442.
- [26] Korholz D, Janben G, & Gobel U: Treatment of relapsed Langerhans cell histiocytosis by cyclosporin A combined with etoposide and prednisone[J]. Pediatr Hematol Oncol 1997; 14:443-449.
- [27] Mahmoud HH, Wang WC, & Murphy SB: Cyclosporine therapy for advanced Langerhans cell histiocytosis[J]. Blood 1991; 77:721-725.
- [28] Viana MB, Oliveira BM, Silva CM, et al: Etoposide in the treatment of six children with Langerhans cell histiocytosis (histiocytosis X) [J]. Med Ped Oncol 1991; 19:289-294.
- [29] Ishii E, Matsuzaki A, Okamura J, et al: Treatment of Langerhans cell histiocytosis in children with etoposide[J]. Am J Clin Oncol 1992; 15:515-517.
- [30] .Arzoo K, Sadeghi S, & Pullarkat V: Pamidronate for bone pain from osteolytic lesions in Langerhans'-cell histiocytosis[J]. N Engl J Med 2001; 345(3):225.
- [31] Farran RP, Zaretski E, & Egeler RM: Treatment of Langerhans cell histiocytosis with pamidronate[J]. J Pediatr Hematol Oncol 2001; 23(1):54-56.

- [32] Kersten MJ, Lange R, Smeets MEP, et al: Long-term treatment of transfusional iron overload with the oral iron chelator deferiprone (L1): a Dutch multi-center trial[J]. *Ann Hematol* 1996; 73:247-252.
- [33] Nozza A, Terenghi F, Gallia F, et al: Lenalidomide and dexamethasone in patients with POEMS syndrome: results of a prospective, open-label trial[J]. *Br J Haematol* 2017; 179(5):748-755.
- [34] Cai QQ, Wang C, Cao XX, et al: Efficacy and safety of low-dose lenalidomide plus dexamethasone in patients with relapsed or refractory POEMS syndrome[J]. *Eur J Haematol* 2015; 95(4):325-330. "
- [35] Maria Gavriatopoulou, Pellegrino Musto, Jo Caers, et al. European myeloma network recommendations on diagnosis and management of patients with rare plasma cell dyscrasias[J]. *Leukemia*. 2018, 32(9):1883-1898.
- [36] Angela Dispenzieri. POEMS syndrome: 2021 Update on diagnosis, risk-stratification, and management[J]. *Am J Hematol*. 2021, 96(7):872-888
- [37] Misawa S, Sato Y, Katayama K, et al. Safety and efficacy of thalidomide in patients with POEMS syndrome: a multicentre, randomised, double-blind, placebo-controlled trial[J]. *Lancet Neurol*. 2016;15(11):1129-1137
- [38] He H, Fu W, Du J, Jiang H, Hou J. Successful treatment of newly diagnosed POEMS syndrome with reduced-dose bortezomib based regimen[J]. *Br J Haematol*. 2018 Apr;181(1):126-128.
- [39] Khouri J, Nakashima M, Wong S. Update on the Diagnosis and Treatment of POEMS (Polyneuropathy, Organomegaly, Endocrinopathy, Monoclonal Gammopathy, and Skin Changes) Syndrome: A Review[J]. *JAMA Oncol*. 2021, 7(9):1383-1391.
- [40] 中华医学会血液学分会红细胞疾病（贫血）学组，中国卟啉病诊治专家共识（2020年）[J]，*中华医学杂志*，2020,100(14): 1051-1056.
- [41] Weber N, Mollee P, Augustson B, et al: Management of systemic AL amyloidosis: Recommendations of the Myeloma Foundation of Australia Medical and Scientific Advisory Group[J]. *Intern Med J* 2015; 45(4):371-382.

- [42] Wechalekar AD, Gillmore JD, Bird J, et al: Guidelines on the management of AL amyloidosis[J]. *Br J Haematol* 2015; 168(2):186-206.
- [43] Huang X, Wang Q, Chen W, et al: Induction therapy with bortezomib and dexamethasone followed by autologous stem cell transplantation versus autologous stem cell transplantation alone in the treatment of renal AL amyloidosis: A randomized controlled trial[J]. *BMC Med* 2014; 12(2):1.
- [44] Seldin DC, Choufani EB, Dember LM et al: Tolerability and efficacy of thalidomide for the treatment of patients with light chain-associated (AL) amyloidosis[J]. *Clin Lymphoma*; 3(4) 241-246, 2003.
- [45] Palladini G, Russo P, Foli A, et al: Salvage therapy with lenalidomide and dexamethasone in patients with advanced AL amyloidosis refractory to melphalan, bortezomib, and thalidomide[J]. *Ann Hematol* 2012; 91(1):89-92.
- [46] Palladini G, Russo P, Milani P, et al: A phase II trial of cyclophosphamide, lenalidomide and dexamethasone in previously treated patients with AL amyloidosis[J]. *Haematologica* 2013; 98(3):433-436. "
- [47] Moreau P, Milpied N, de Faucal P, et al: High-dose melphalan and autologous bone marrow transplantation for systemic AL amyloidosis with cardiac involvement[J]. *Blood* 1996; 87:3063-3064.
- [48] Palladini G, Kastiris E, Maurer MS, et al. Daratumumab plus CyBORd for patients with newly diagnosed AL amyloidosis: safety run-in results of ANDROMEDA[J]. *Blood*. 2020, 136(1):71-80
- [49] Oussel M, Merlini G, Chevret S, et al: A prospective phase 2 trial of daratumumab in patients with previously treated systemic light-chain amyloidosis[J]. *Blood* 2020;135(18):1531-1540.
- [50] Kimmich CR, Terzer T, Benner A, et al: Daratumumab for systemic AL amyloidosis: prognostic factors and adverse outcome with nephrotic-range albuminuria[J]. *Blood* 2020; 135(18):1517-1530. "
- [51] Palladini G, Milani P, Foli A, et al: A phase 2 trial of pomalidomide and dexamethasone rescue treatment in patients with AL amyloidosis[J]. *Blood* 2017; 129(15):2120-2123.

[52] Product Information: DROXIA(R) oral capsules, hydroxyurea oral capsules. Bristol-Myers Squibb Company (per FDA) [EB/OL], Princeton, NJ, 2015.

[53] Product Information: ENDARI(TM) oral powder, L-glutamine oral powder. Emmaus Medical, Inc (per FDA) [EB/OL], Torrance, CA, 2017.

[54] Product Information: CUTAQUIG(TM) subcutaneous solution, immune globulin subcutaneous (human)-hipp subcutaneous solution. Pfizer Labs (per FDA) [EB/OL], New York, NY, 2021.

[55] Hans D Ochs, Adrian J Thrasher. The Wiskott-Aldrich syndrome[J]. J Allergy Clin Immunol. 2006, 117(4):725-38; quiz 739.

[56] Rodeghiero F, Pecci A, Balduini CL. Thrombopoietin receptor agonists in hereditary thrombocytopenias[J]. J Thromb Haemost. 2018, 16(9):1700-1710

[57] Gerrits AJ, Leven EA, Frelinger AL 3rd, et al. Effects of eltrombopag on platelet count and platelet activation in Wiskott-Aldrich syndrome/X-linked thrombocytopenia[J]. Blood. 2015, 126(11):1367-78.

[58] Kapoor N, Kirkpatrick D, Blaese RM, et al. Reconstitution of normal megakaryocytopoiesis and immunologic functions in Wiskott-Aldrich syndrome by marrow transplantation following myeloablation and immunosuppression with busulfan and cyclophosphamide[J]. Blood. 1981, 57(4):692-6.

起草专家组

顾问

郑志华	广东省药学会	主任药师、副理事长兼 秘书长
李亦蕾	南方医科大学南方医院	主任药师
孙竞	南方医科大学南方医院	主任医师

执笔:

赵博欣	南方医科大学南方医院	副主任药师
周璇	南方医科大学南方医院	主治医师

医学专家 (以姓氏拼音排序):

蔡力生	深圳市第二人民医院	主任医师
程淑琴	广州市番禺中心医院	主任医师
冯晓勤	南方医科大学南方医院	主任医师
何丽雅	广州市妇女儿童医疗中心	主任医师
黎国伟	惠州市中心人民医院	主任医师

药学专家 (以姓氏拼音排序):

陈杰	中山大学附属第一医院	主任药师
陈怡禄	广州市妇女儿童医疗中心	主任药师
封卫毅	西安交通大学第一附属医院	主任药师
季波	中国人民解放军南部战区总医院	主任药师
靳怡然	河北医科大学第二医院	主任药师
刘茂柏	福建医科大学附属协和医院	主任药师
刘滔滔	广西医科大学附属第一医院	主任药师
莫小兰	广州市妇女儿童医疗中心	主任药师
苏健芬	广州市番禺中心医院	副主任药师
伍俊妍	中山大学孙逸仙纪念医院	主任药师
吴建龙	深圳市第二人民医院	主任药师
吴晖	昆明医科大学第一附属医院	主任药师
张波	北京协和医院	主任药师

张宏亮	广西医科大学第一附属医院	主任药师
曾英彤	广东省人民医院	主任药师
郑萍	南方医科大学南方医院	主任药师
郑志昌	贵州医科大学附属医院	主任药师

