紫贝壳公益
Chinese Organization
For Scleroderma

多一分了解
多一点安心

系统性硬皮病 >>>
SYSTEMIC SCLEROSIS

成都紫贝壳公益服务中心

硬皮病标准治疗方法

本章重点介绍的标准治疗方法，旨在针对硬皮病整体进行治疗或对多种症状进行改善，例如，波生坦（Tracleer）用于治疗皮肤溃疡和肺动脉高压PAH。

您需要明白，当前没有一种常规治疗方法能完全阻止或逆转系统性硬皮病的整个病程。目前，精心设计的科学研究已经证明了许多药物（至少在短期内）可以减缓现有的硬皮病相关症状或减少新症状发生。

尽管过去几十年中，硬皮病患者长期生存率有显著改善，但并没有直接证据表明任何一种标准疗法都能长期显著改善硬皮病患者生存率。

此外，硬皮病患者生存率的提高可能更多是由于医疗保健和营养水平的提高，人群总寿命提高。

免疫抑制剂/改善症状的药物

除了用于治疗个体症状的药物之外，许多用于治疗系统性硬皮病患者的药物可以缓解症状恶化。系统性硬皮病是一种自身免疫性疾病，因此，一些药物可以抑制患者的免疫系统，从而改善症状，减缓或阻止疾病恶化，例如环磷酰胺（Cytoxan）等。其他药物则针对疾病特定症状起作用，例如涉及皮肤纤维化药物，甲磺酸伊马替尼（格列卫）等。第三类药物用于调节患者免疫系统，例如羟氯喹（Plaquenil）。

硬皮病药物的潜在副作用

硬皮病患者需要了解治疗方法本身具有一定毒性，或可能导致短期/长期的严重副作用，这一点非常重要。在决定是否披露药物的知情权时，医生需要权衡患者需要了解哪些相关信息。

同样，对于正式确诊的硬皮病患者，例如抗SCL-70阳性弥漫型系统性硬皮病患者，其图谱内症状和进展情况也存在很大差异。硬皮病患者在开始治疗之前，与熟悉这些药物使用方法的医生共同探讨是至关重要

的。许多药物都需要密切监视其潜在的副作用，以防止出现可能难以治疗的症状。

如果患者查阅有关硬皮病标准药物的最新文献，患者会发现：关于这些药物的描述和分类方式几乎没有一致性。例如，在许多文章中，甲氨蝶呤被归类为免疫抑制剂，但在其他文章中，又将其归类为DMARDs（修饰性抗风湿药）。这种不同对研究人员而言很重要，但患者最好了解这些药物的功效，是否适用于患者自身情况及医生总体治疗计划，如何平衡药物疗效和潜在副作用之间的关系（在某些情况下非常重要）。

下表列出了目前用于治疗系统性硬皮病的主要药物。本表所提供的信息在文献中差异很大，作者已尽最大努力总结当前的研究文献。

表3　免疫抑制剂及改善病情类药物	
【1】Azathioprine 硫唑嘌呤	
通用名	硫唑嘌呤
商品名	依木兰、 Azasan
作用机理	阻止免疫细胞(如T细胞和B细胞)的繁殖以及自身抗体的产生，这些抗体会错误地攻击人体自身的组织和器官。用于改善系统性硬皮病
潜在副作用	胃部轻度不适、恶心、腹泻、食欲不振、脱发或皮疹。此外，使用硫唑嘌呤会增加患某些癌症的风险，尤其是皮肤癌和淋巴瘤。
其他注意事项	硫唑嘌呤需要持续给药几周或数月，才能明显改善症状。主要是抑制免疫系统，以帮助防止器官移植排斥。研究人员认为其效果不如环磷酰胺，常与低剂量的皮质类固醇合用。

【2】Cyclophosphamide 环磷酰胺	
通用名	环磷酰胺
商品名	1.癌得星　2.Neosar
作用机理	作为免疫抑制剂，用于各种自身免疫性疾病，如严重类风湿性关节炎、全身性红斑狼疮、儿童肾病综合征、多发性肉芽肿、天疱疮以及溃疡性结肠炎、特发性血小板减少性紫癜等。也用于器官移植时抗排斥反应，通常与泼尼松、抗淋巴细胞球蛋白合用。研究表明，可适度改善硬皮病患者肺功能。
潜在副作用	骨髓抑制（最低值1～2周，一般维持7～10天，3～5周恢复）、脱发、消化道反应、口腔炎、膀胱炎，个别报道有肺炎、过量的抗利尿激素（ADH）分泌等。一般剂量对血小板影响不大，也很少引起贫血。此外，环磷酰胺可杀伤精子，但为可逆性。超高剂量时（>120mg/kg）可引起心肌损伤及肾毒性。
其他注意事项	可引起出血性膀胱炎，要多饮水，必要时可用美司钠拮抗。CTX大量给药时应注意膀胱炎，对于有痛风病史、泌尿系统结石史或肾功能损害者应慎用。

【3】Cyclosporine 环孢霉素	
通用名	环孢霉素
商品名	改性环孢霉素：新山地明/Gengraf 非改性环孢霉素：山地明
作用机理	作用于T细胞这一特殊免疫细胞，能够与亲环蛋白结合，用于某些严重疾病迹象的病例，以控制硬皮病的症状。
潜在副作用	腹泻、胃灼热、头痛、潮红、耳部问题、抽筋、肌肉、关节疼痛以及抑郁症。严重的副作用包括：肾脏损害、意识丧失、癫痫发作、异常出血、运动控制困难和行为改变。
其他注意事项	患者应与医生仔细讨论药物的使用剂量，并在医生监督下使用。

【4】D-penicillamine D-青霉胺	
通用名	D-青霉胺
商品名	信谊
作用机理	青霉胺阻碍可溶性胶原成熟为不溶性聚合体。这种聚合体在机体内部即为纤维。青霉胺同样可以减慢胶原的合成。减少纤维化。
潜在副作用	对肾脏有刺激作用，偶见蛋白尿、血尿、头痛、咽痛、发热、淋巴结肿大、恶心、食欲减退等。对骨髓有抑制作用，可出现白细胞和血小板减少。可产生短暂皮疹、剥脱性皮炎等，长期服用可引起视神经炎。
其他注意事项	用前需做青霉素过敏试验。慢性铅、汞中毒者，一般可用l-3个疗程，每个疗程间隔2～3d。治疗肝豆状核变性，一般需服用半年到1年。用药期间需经常检查尿常规。肾功能不全者及孕妇忌用。

【5】Hydroxychloroquine羟化氯喹	
通用名	羟化氯喹
商品名	赛能/纷乐
作用机理	直接结合细胞DNA，干扰细胞分裂复制过程，从而减缓细胞分裂，调节免疫系统，缓解系统性和局部性硬皮病的症状。
潜在副作用	头痛、头晕、恶心、呕吐、胃痛、体重减轻、情绪波动、皮疹或瘙痒，以及暂时性脱发。
其他注意事项	长期服用羟基氯喹和氯喹对视网膜（眼睛吸收光线的部分）有毒。与其他免疫抑制剂一样，抗疟疾药物会增加患者感染风险。

【6】Imatinib mesylate 甲磺酸伊马替尼	
通用名	甲磺酸伊马替尼
商品名	格列卫
作用机理	甲磺酸伊马替尼在体内外均可在细胞水平上抑制Bcr-Abl酪氨酸激酶，能选择性抑制Bcr-Abl阳性细胞系细胞、Ph染色体阳性的慢性粒细胞白血病和急性淋巴细胞白血病病人的新鲜细胞的增殖和诱导其凋亡。可改善皮肤纤维化，肺部疾病。
潜在副作用	一些病人服用该药后，出现了心力衰竭的不良反应。
其他注意事项	用作抗癌药，临床试验结果呈现多样性。 近期对照研究显示其未能在弥漫型系统性硬皮病患者皮肤纤维化上呈现任何症状改善。

【7】IV immunoglobulin IV免疫球蛋白	
通用名	免疫球蛋白
商品名	Privigen
作用机理	作为治疗先天性免疫缺陷（PI）患者的替代药物，提高免疫球蛋白G水平，还能治疗慢性免疫血小板减少性紫癜（ITP），从而提高血小板计数。目前这种疗法对硬皮病的疗效正在测试验证中。可改善关节痛，皮肤纤维化，肺功能。
潜在副作用	轻度头痛、头晕、疲倦、背痛、肌肉痉挛、轻微胸痛和潮红。
其他注意事项	暂无

【8】Methotrexate 甲氨蝶呤	
通用名	甲氨蝶呤
商品名	氨克生
作用机理	甲氨蝶呤于1988年开始用于治疗类风湿关节炎（RA）。可以改善身体功能。与传统药物相比，耐受性良好。可以改善硬皮病患者关节僵硬，疼痛，发炎，皮肤纤维化症状。
潜在副作用	应密切监测患者潜在的肝损害，如果在怀孕期间服用会导致严重的胎儿先天缺陷。
其他注意事项	研究表明，此药治疗硬皮病具有有限疗效，常用于治疗类风湿关节炎和狼疮。妊娠期妇女需采取至少两种以上避孕措施以防怀孕。

【9】Mycophenolate 霉酚酸酯	
通用名	霉酚酸酯
商品名	骁悉、赛可平
针对症状	吗替麦考酚酯是一种有机化合物，能特异性地抑制淋巴细胞嘌呤从头合成途径中次黄嘌呤核苷酸脱氢酸(1MPDH)的活性，因而具有强大的抑制淋巴细胞增殖的作用。能改善硬皮病间质性肺病（ILD），皮肤纤维化。
潜在副作用	胃肠道反应、骨髓抑制、肿瘤、机会性感染。
其他注意事项	孕妇及严重的活动性消化性疾病患者慎用。

【10】Prednisone 泼尼松	
通用名	泼尼松
商品名	强的松
作用机理	泼尼松是一种合成皮质类固醇，它与人体本身产生一种类似的化合物，通过抑制免疫系统来减少炎症，药膏可用于治疗皮肤表面斑块，口服泼尼松可用于治疗更广泛的硬皮病病症。
潜在副作用	睡眠障碍、情绪波动、食欲增加、体重增加、体内脂肪的形状或位置发生变化、痤疮、出汗、皮肤干燥、瘀伤或皮肤变色、伤口愈合缓慢、头痛、恶心、胃痛和腹胀。
其他注意事项	坚持服用泼尼松非常重要，因为突然停止服用任何类固醇药物都可能引发肾危象。与服用其他类型免疫抑制剂的患者相比，服用皮质类固醇的患者发生肺部感染的风险更高。

【11】Rituximab 利妥昔单抗	
通用名	利妥昔单抗
商品名	美罗华
作用机理	抑制B细胞（一种形式的白细胞），B细胞产生的抗体被认为会触发硬皮病症状。可改善硬皮病相关间质性肺病。
潜在副作用	不良反应大部分是轻微的流感样反应。通常症状包括发热，畏寒和寒战。其他症状有脸部潮红、血管性水肿、恶心、荨麻疹/皮疹、疲劳、头痛、咽喉刺激、鼻炎、呕吐。
其他注意事项	已知对本药的任何组份和鼠蛋白过敏的患者禁用利妥昔单抗。

【12】Bosentan 波生坦	
通用名	波生坦
商品名	全可利
作用机理	波生坦是一种内皮素受体拮抗剂（ERA），"内皮素"是一种神经激素可以在体内自然形成，并且参与血液循环。当内皮素形成过量时，就会导致血管收缩，减少血液流量，使得心脏有效功能减少。波生坦便可以阻止PAH患者体内所产生的过量的内皮素。改善硬皮病患者皮肤溃疡，肺动脉高压（PAH）。
潜在副作用	呼吸道感染、头痛、水肿、胸部疼痛、晕厥、低血压、鼻炎、关节疼痛、血清氨基转移酶异常、贫血等。
其他注意事项	育龄期妇女需采取至少两种以上避孕措施。

本网站不提供专业医疗建议、诊断或疗法。网站上的内容并不是为了取代相关的医嘱、诊断或疗法。如您有健康问题，请立刻咨询专业医师或其他有资质的医疗机构。请勿因在此网站上浏览的相关内容而忽视专业医师建议或延迟就医。

ORGANIZATION
INTRODUCTION

机构简介

成都紫贝壳公益服务中心（简称：紫贝壳公益，原名：硬皮病关爱之家），2016年由硬皮病患者及家属发起创办的中国硬皮病（SSc）患者关爱组织，并于2020年在成都市民政局登记注册。

紫贝壳公益致力于提升疾病公众认知，搭建相关方沟通协作的桥梁，帮助和关爱患者及家庭，并努力为患者寻求更多治疗、康复、帮扶路径，推动中国硬皮病医疗事业的进步。

愿景：人们不再害怕硬皮病

使命：帮助硬皮病患者勇敢有尊严的面对疾病，提高患者及家庭的生活质量

口号：爱，让我们更柔软

本手册由以下机构授权翻译

SCLERODERMA NEWS

The Scleroderma Education Project

CONTACT

联系方式

办公电话：18180768676

邮箱：info@sscchina.org

网站：www.sscchina.org

新浪微博：@紫贝壳公益

微信公众号：紫贝壳公益

病友交流QQ群：152267349（进群需提供诊断证明）

扫码关注