

输血依赖型非重型再生障碍性贫血的中西医治疗进展

刘 铭^{1*}, 王金环^{2#}

¹黑龙江中医药大学第一临床医学院, 黑龙江 哈尔滨

²黑龙江中医药大学附属第一医院血液病科, 黑龙江 哈尔滨

收稿日期: 2025年12月29日; 录用日期: 2026年1月23日; 发布日期: 2026年2月3日

摘要

输血依赖型非重型再障(TD-NSAA)不同于预后相对较好的非输血依赖型再障(NTD-NSAA),往往病情迁延,且有向重型再障(SAA)转化的风险。在TD-NSAA的治疗中,往往采用传统的治疗方案如免疫抑制治疗来试验性治疗,或直接启动SAA的治疗方案。而中医辨治TD-NSAA多采用以补肾生血为治疗核心的NTD-NSAA治则,以肾之阴阳偏盛为辨证要点,没有将因久病和长期外来输血的血瘀兼证作为辨治的重点。本文从TD-NSAA的治疗策略以及中医、西医的治疗方案对TD-NSAA的中西医治疗现状展开研究。

关键词

髓劳, 输血依赖, 中西医治疗, 治疗策略

Progress in Chinese and Western Medicine Treatment of Transfusion-Dependent Non-Severe Aplastic Anemia (TD-NSAA)

Ming Liu^{1*}, Jinhuan Wang^{2#}

¹First School of Clinical Medicine, Heilongjiang University of Chinese Medicine, Harbin Heilongjiang

²Hematology Department, The First Affiliated Hospital of Heilongjiang University of Chinese Medicine, Harbin Heilongjiang

Received: December 29, 2025; accepted: January 23, 2026; published: February 3, 2026

*第一作者。

#通讯作者。

Abstract

Transfusion-dependent non-severe aplastic anemia (TD-NSAA) is different from non-transfusion-dependent non-severe aplastic anemia (NTD-NSAA) with relatively good prognosis. It is often prolonged and has the risk of conversion to severe aplastic anemia (SAA). In the treatment of TD-NSAA, traditional treatment regimens such as immunosuppressive therapy are often used for experimental treatment, or direct initiation of SAA treatment. The traditional Chinese medicine treatment of TD-NSAA mostly adopts the NTD-NSAA treatment principle with tonifying kidney and generating blood as the core of treatment, and takes the yin and yang of the kidney as the key point of syndrome differentiation, while does not take the blood stasis and syndrome of long-term disease and long-term external blood transfusion as the focus of treatment. This paper studies the current situation of Chinese and Western medicine treatment of TD-NSAA from the treatment strategy of TD-NSAA and the treatment plan of traditional Chinese medicine and Western medicine.

Keywords

Suilao, Blood Transfusion Dependence, Chinese and Western Medicine Treatment, Treatment Strategy

Copyright © 2026 by author(s) and Hans Publishers Inc.

This work is licensed under the Creative Commons Attribution International License (CC BY 4.0).

<http://creativecommons.org/licenses/by/4.0/>



Open Access

1. 引言

再生障碍性贫血(aplastic anemia, AA)是一种由多种原因所引起的骨髓造血衰竭性疾病[1]，其诊断依据是外周血全血细胞减少和骨髓细胞减少[2]。我国是世界患者人数最多的国家，患病率高达 7.4/106 人[3]。目前研究认为，免疫介导的造血功能抑制是造成 AA 骨髓衰竭的重要因素[4]。2017 年，由中华医学学会血液学分会红细胞疾病(贫血)学组制订《再生障碍性贫血诊断与治疗中国专家共识(2017 年版)》[3]，不再区分急性和慢性再障，而是根据骨髓象和血象水平，将其分为重型再障(severe aplastic anemia, SAA)、极重型再障(very severe aplastic anemia, VSAA)和非重型再障(non-severe aplastic anemia, NSAA)。《再生障碍性贫血诊断与治疗中国指南(2022 年版)》依据是否有平均每 8 周至少 1 次成分输血且输血依赖持续时间 ≥ 4 个月，把非重型再障进一步分为输血依赖型再障(Transfusion-dependent non-severe aplastic anemia, TD-NSAA)和非输血依赖型再障(non-transfusion-dependent non-severe aplastic anemia, NTD-NSAA) [5]。

中医古籍中并没有再障的病名，但有类似再障临床表现的相关描述。如《金匱要略·血痹虚劳病脉证并治第六》有云：“男子脉虚沉弦，无寒热，短气里急，小便不利，面色白，时目瞑，兼衄，少腹满，此为劳使之然。”均为对再障出血、贫血等临床症状的描述。陈信义等专家在 2008 年的血液病中医病名专题讨论会上根据再障疾病的症状及特点，将其命名为“髓劳”，“髓”指出了病位，“劳”代表了虚劳的病情与病性，体现了对再障病因病机的认识[6]。

2. TD-NSAA 的治疗策略

TD-NSAA 以骨髓衰竭为主要矛盾，故在治疗上要以促进骨髓造血功能恢复为主。西医治疗以雄激素刺激骨髓造血为主，如司坦唑醇(康力龙)或达那唑，在用药过程中要定期检测患者的肝功能，调整用药。2021

年的《成人重型和输血依赖的非重型再生障碍性贫血中西医结合诊疗专家共识》提出连续治疗 6 个月无效的 TD-NSAA 应根据 SAA 的中西医结合治疗方案进行治疗[7]。

在 NSAA 中，NTD-NSAA 的预后相对较好，而 TD-NSAA 有向 SAA 转化的高风险，如果按照 NTD-NSAA 治疗可能因为免疫抑制治疗不足等原因导致疗效欠佳，应尽早按照 SAA 的治疗策略给予治疗[8]。

虚劳患者病位在“髓”，病势较为缓慢，故将 NSAA 命名为“慢髓劳”。其中需要长期依赖成分输血病情较重者，精亏髓枯不能化血、营血虚弱更甚，故 TD-NSAA 属于慢髓劳中病情较重者。在诊治时，以补肾益髓生血为主要治则，首辨寒热阴阳，根据临床症状确定慢髓劳的中医证候分型[7]。值得注意的是，慢髓劳病长期输血依赖患者，病程绵长，常兼夹血瘀证[9]，应在补肾生血的基础上养血活血。

3. 西医治疗

3.1. 药物治疗

3.1.1. HLA 为首选

当 TD-NSAA 患者的年龄 ≤ 40 岁，且有 HLA 相合同胞供者，在没有活动性感染和出血的情况下，首选 HLA 相合同胞供者造血干细胞移植(MSD-HSCT) [10]。随着国内造血干细胞移植领域的发展，2022 版指南将一线移植 SAA 患者的年龄从 2017 版的 ≤ 35 岁放宽至 ≤ 40 岁。指南同时建议一线不适合 MSD-HSCT 的患者以 IST (ATG + 环孢素 A)联合血小板受体激动剂(TPO-RA)的治疗方案作为基石，在此基础上酌情增加其他的造血治疗方案[5]。

3.1.2. IST (ATG/ALG + CsA)联合促造血治疗

IST 适用于无 HLA 相合同胞供者的 SAA 或 VSAA 患者，TD-NSAA 及使用环孢素 A (CsA)治疗 6 个月无效的患者[3] [7]。经 NIH 和 RACE 两个临床研究证实，已将 IST 联合 TPO-RA 方案确立为不适合移植 SAA 患者的一线治疗方案[5]。

3.1.3. CsA + 血小板受体激动剂联合促进造血

CsA 与 TPO-RA 皆为 AA 的本病治疗。血小板受体激动剂 TPO-RA 包括海曲泊帕、艾曲泊帕、阿伐曲泊帕、罗米司亭等，其中海曲泊帕在我国获批难治成人 SAA 适应证，艾曲泊帕在美国获批治疗初诊及难治 SAA，其他 TPO-RA 的临床研究均正在进行，目前多为探索性治疗[5]。

相比于单一 CsA 方案，CsA 联合艾曲波帕可提高疗效且安全性较好。南京医科大学第一附属医院将 CsA 与艾曲波帕联合，13 例 TD-NSAA 患者接受了 CsA 联合艾曲波帕的治疗方案，其中 12 例患者治疗 3 个月总体血液学反应，至研究的随访截点，2 例达完全血液学反应，9 例达部分血液学反应，1 例达血液学反应。1 例患者在治疗 6 个月时转为阵发性睡眠性蛋白尿，5 例患者在治疗过程中出现了不同程度的不良反应[11]。

而在 CsA 联合海曲泊帕的基础上添加重组人血小板生成素(rhTPO)也能显著改善 TD-NSAA 患者的早期血液学反应，尤其是血小板恢复速度和输注独立性，这与先前在 SAA 中的相关研究一致[12]。

3.1.4. CsA + 雄激素

中国医学科学院血液病医院通过回顾性分析 2010~2013 年收治的 77 例使用 CsA 联合雄激素方案的 TD-NSAA 患者资料总结，治疗后 6 个月 43 人(55.8%)有血液学反应，治疗后 12 个月 53 人(68.8%)有血液学反应。研究通过预后因素分析得出初诊时较高的血小板基线水平、网织红细胞基线水平和不伴有血小板输注依赖提示预后较好，当血小板水平 $\geq 15.5 \times 10^9/L$ 时可以考虑采用 CsA 联合雄激素治疗[13]。

3.2. 支持治疗

支持治疗同样也是 TD-NSAA 西医治疗重要的一部分，主要包括成分血输注、感染的防治、祛铁治疗和心理辅导。成分输血是患者生命和生活质量的重要保障，当出现如 HGB < 60 g/L (部分放宽至≤80 g/L)，PLT < 20 × 10⁹/L (病情稳定者 < 10 × 10⁹/L) 应及时成分输血。

3.3. 铁过载的影响及治疗

Jin 等[14]分析了 550 例 AA 患者的铁过载相关因素，发现高输血负荷与铁过载具有明显的相关性。获得性 AA 患者多存在输血依赖，输血两年内发生铁过载的风险升高，而脱离输血 6 个月后，患者的红细胞生成数量与铁负荷呈负相关，并持续达 3 年。Zhang 等[15]回顾性分析了 SAA 患者既往的输血史对 HSCT 疗效的影响，确诊 2 个月内行骨髓移植患者，高血清铁蛋白水平(serum ferritin, SF ≥ 1000 μg/L)组死亡风险明显增加，且高风险发生血流感染。在确诊 2 个月后行骨髓移植患者中，输血史与患者的预后呈负相关。

有研究表明，在 AA 小鼠模型研究中，去铁胺(DFO)相比较地拉罗司能够更好的发挥抗骨髓凋亡的作用改善骨髓造血，而地拉罗司(DFX)协同 DFO 仅能快速减低铁负荷，对改善血象的作用有限[16]。总之，铁过载显著影响 AA 患者的骨髓造血功能及移植预后，而祛铁治疗能在一定程度上改善这些不良影响。对于输血依赖的 NSAA 患者来说，长期反复输血超过 20 U 和(或)血清铁蛋白水平(SF)增高达到铁过载标准(SF 水平 ≥ 1000 ug/L)的患者可酌情予祛铁治疗。目前的主要铁螯合剂主要为去铁胺(DFO)、去铁酮(DFP)、地拉罗司(DFS)。一般建议使用服用方式为口服的去铁胺(DFO) [7]。

4. 中医治疗

4.1. TD-NSAA 的病因病机

AA 的诊治经历了以归脾汤、八珍汤等方药从脾论治逐步发展为从肾论治[17]。从中医病机分析，髓劳的病机可以高度概括为“精气夺则虚”[18]。髓劳肾精不足，不能化生气血，肾虚髓枯为本，脾虚气血不足为标[19]。

上文中提到 TD-NSAA 属于慢髓劳中病情较重者，营血亏虚更甚，需要长期依赖成分输血，TD-NSAA 病程绵长，“久病多瘀”，另外来之血非自身之物，易纠结停滞化而为瘀，此瘀血阻碍补髓生血之力，进一步加剧肾精亏枯，即“瘀血不去，新血不生”[9]。外来之瘀血阻碍补髓生血之力，这与西医近年生理和药理研究表明的长期成分输血引起的“铁过载”影响骨髓造血不谋而合，铁过载与血瘀证呈显著正相关性[9]，其主要机制为通过活性氧自由基、诱导细胞凋亡、影响端粒长度等多种途径[20]。

4.2. TD-NSAA 的中医辨治

故对于 TD-NSAA 来说，在“精气夺则虚”本虚的基础上，还合并有瘀血，即标实。其治疗宜在补肾填精的基础上佐以活血化瘀，可予桃红四物汤加减，亦可酌用当归等养血活血之品[7]。如何同时标本兼治是 TD-NSAA 中医治疗的重点，而处理好“活血化瘀”和 TD-NSAA 出血倾向是中西医结合治疗的难点。在用药时要留意禁用破血逐瘀以防止增加出血的风险。

辨治 TD-NSAA 除开血瘀这个重要的兼证，肾精不足的阴阳虚实仍是中医治疗 TD-NSAA 的关键。通过患者的症状、舌、脉，四诊合参可辨为肾阴虚、肾阳虚、肾阴阳虚证三证。肾阴虚患者手足心热、盗汗，常兼见发热，或低热，或重度发热，舌质淡，脉细数，当治予滋阴益肾，填精益髓；肾阳虚患者畏寒喜暖，手足冷凉，或见大便稀溏，舌质淡苔白，脉虚大或沉细，当治予温肾壮阳，填精益髓；肾阴阳两虚患者或畏寒畏热均不常见，舌质淡、脉沉弱，治当予滋阴温阳，填精益髓。

髓劳的中医辨证以脏腑辨证为主，气血阴阳辨证为辅，肾的阴阳偏衰在发病中起着主要的作用，并贯穿疾病的整个过程。髓劳的主要病位在脾肾，日久可累积多个脏腑，故在辨治时不能单纯从肾论治，还应注意主证兼夹证候以辨证施治[7]。

5. 总结与展望

TD-NSAA 患者病程迁延，易疾病进展和重要脏器受累，在一项 124 例 TD-NSAA 患者的统计中，并发铁超负荷 53 例(52.5%)，肝功能损害 35 例(28.2%)，糖尿病/糖耐量异常 24 例(19.3%)，严重感染 29 例(23.4%)等，而病程时间的中位数只为 38 月[21]。

无论中医治疗还是西医治疗都有着明显的不足。中医治疗有输血依赖的髓劳仍主要围绕在传统意义的慢髓劳即 NTD-NSAA，而 TD-NSAA 的治疗多与 NTD-NSAA 相同，即以补肾生血为核心的治法，对于 TD-NSAA 的兼夹血瘀标实证并没有太多的临床应用和研究，包括活血化瘀和出血倾向等矛盾仍需进一步的研究。而西医治疗 TD-NSAA 要么直接启动针对 SAA 的治疗方案，要么采用 NTD-NSAA 的试验性治疗方案，根据后续是否有效来决定下一步的治疗。正如中国医学科学院血液病医院在 CsA 联合雄激素治疗 TD-NSAA 的预后因素分析中所说，TD-NSAA 需要尽早启动 SAA 的治疗方案，如何判断非 SAA 治疗方案的预后有着重要的意义[13]。对于患者来说，如何更快捷、准确地找到一个适合自己、能最快发挥疗效的方案是接下来亟需解决的问题。

参考文献

- [1] Li, H., Zhou, C., Shen, Y., Xu, M., Wu, D. and Ye, B. (2023) Research Progress on the Hematopoietic Microenvironment in Aplastic Anemia. *European Journal of Haematology*, **111**, 172-180. <https://doi.org/10.1111/ejh.13991>
- [2] Onishi, Y. (2024) Aplastic Anemia: History and Recent Developments in Diagnosis and Treatment. *International Journal of Hematology*, **119**, 217-219. <https://doi.org/10.1007/s12185-024-03715-1>
- [3] 中华医学会血液学分会红细胞疾病(贫血)学组. 再生障碍性贫血诊断与治疗中国专家共识(2017 年版) [J]. 中华血液学杂志, 2017, 38(1): 1-5.
- [4] Giudice, V. and Selleri, C. (2022) Aplastic Anemia: Pathophysiology. *Seminars in Hematology*, **59**, 13-20. <https://doi.org/10.1053/j.seminhematol.2021.12.002>
- [5] 中华医学会血液学分会红细胞疾病(贫血)学组. 再生障碍性贫血诊断与治疗中国指南(2022 年版) [J]. 中华血液学杂志, 2022, 43(11): 881-888.
- [6] 陈信义, 麻柔, 李冬云. 规范常见血液病中医病名建议[J]. 中国中西结合杂志, 2009, 29(11): 1040-1041.
- [7] 2015 中医药行业科研专项再生障碍性贫血项目专家组. 成人重型和输血依赖的非重型再生障碍性贫血中西医结合诊疗专家共识[J]. 中华中医药杂志, 2021, 36(3): 1513-1521.
- [8] 付蓉, 王婷. 再生障碍性贫血诊断与治疗中国指南(2022 年版)解读[J]. 中华血液学杂志, 2023, 44(3): 188-192.
- [9] 刘文宾, 吴迪炯, 叶宝东, 等. 慢性再生障碍性贫血患者铁过载与中医血瘀证的相关性研究[J]. 中国中西医结合杂志, 2018, 38(1): 38-41.
- [10] Killick, S.B., Bown, N., Cavenagh, J., Dokal, I., Foukaneli, T., Hill, A., et al. (2015) Guidelines for the Diagnosis and Management of Adult Aplastic Anaemia. *British Journal of Haematology*, **172**, 187-207. <https://doi.org/10.1111/bjh.13853>
- [11] 陈好, 查蔷, 黄菲, 等. 艾曲泊帕联合环孢素 a 治疗输血依赖非重型再生障碍性贫血疗效分析[J]. 中华内科杂志, 2022, 61(4): 409-411.
- [12] Liu, Z., Lin, X., Yang, C., Shen, S., Chen, M. and Han, B. (2025) Adding Recombinant Human Thrombopoietin to Cyclosporine A and Hetrombopag Enhances the Early Hematologic Response in Transfusion-Dependent Non-Severe Aplastic Anemia: A Retrospective Study. *Hematology*, **30**, Article ID: 2556514. <https://doi.org/10.1080/16078454.2025.2556514>
- [13] 刘晨曦, 宋琳, 张莉, 等. 环孢素 a 联合雄激素治疗输血依赖非重型再生障碍性贫血预后因素分析[J]. 中华血液学杂志, 2020, 41(3): 234-238.

- [14] Jin, P., Wang, J., Li, X., Wang, M., Ge, M., Zhang, J., et al. (2014) Evolution of Iron Burden in Acquired Aplastic Anemia: A Cohort Study of More than 3-Year Follow-Up. *International Journal of Hematology*, **101**, 13-22. <https://doi.org/10.1007/s12185-014-1708-6>
- [15] Zhang, X., Shi, Y., Huang, Y., Zhang, G., He, Y., Jiang, E., et al. (2017) Serum Ferritin Is a Different Predictor from Transfusion History for Allogeneic Transplantation Outcome in Patients with Severe Aplastic Anemia. *Hematology*, **23**, 291-298. <https://doi.org/10.1080/10245332.2017.1390929>
- [16] Wu, D., Wen, X., Liu, W., Hu, H., Ye, B. and Zhou, Y. (2018) Comparison of the Effects of Deferasirox, Deferoxamine, and Combination of Deferasirox and Deferoxamine on an Aplastic Anemia Mouse Model Complicated with Iron Overload. *Drug Design, Development and Therapy*, **12**, 1081-1091. <https://doi.org/10.2147/dddt.s161086>
- [17] 周郁鸿. 中医药治疗慢性再生障碍性贫血研究述评[J]. 北京中医药大学学报, 2023, 46(10): 1461-1466.
- [18] 左祥宇, 王爱迪, 刘宝山. 再生障碍性贫血病机分析[J]. 天津中医药大学学报, 2017, 36(4): 248-250.
- [19] 孙伟正, 孙凤, 孙岸弢. 中医血液病学[M]. 北京: 人民卫生出版社, 2017.
- [20] 黄蕾, 付蓉. 铁过载影响骨髓造血特点及机制研究进展[J]. 中华血液学杂志, 2019, 40(8): 709-712.
- [21] 王素丽. 再障乙肝病毒活化及输血依赖非重型再障进展风险评估[D]: [硕士学位论文]. 南京: 南京医科大学, 2020.