

婴幼儿血管瘤治疗的最新研究进展

赖世能^{1*}, 罗昭伟¹, 周易¹, 王建君¹, 况欧桔¹, 谢林海^{2#}

¹赣南医科大学第一临床医学院, 江西 赣州

²赣南医科大学第一附属医院整形外科, 江西 赣州

收稿日期: 2026年8月11日; 录用日期: 2026年9月5日; 发布日期: 2026年9月14日

摘要

婴幼儿血管瘤(infantile hemangioma, IH)是婴幼儿时期最常见的良性血管源性肿瘤, 好发于女婴, 头颈部多见, 足月新生儿患病率约4.5%。IH具有独特的自然病程, 通常经历增殖期、平台期和消退期三个阶段。多数IH可自行消退, 但部分病例可导致毁容、器官功能障碍甚至危及生命, 需积极干预。自2008年普萘洛尔被发现对IH具有显著疗效以来, IH的治疗格局发生了革命性变化。近年来, 随着新型药物制剂(如马来酸噻吗洛尔凝胶)的上市、靶向治疗药物的探索以及联合治疗策略的优化, IH的治疗体系日趋完善。本文就IH治疗的最新研究进展进行综述, 以为临床治疗提供参考。

关键词

婴幼儿血管瘤, 普萘洛尔, β 受体阻滞剂, 噻吗洛尔, 激光治疗, 联合治疗

Recent Advances in the Treatment of Infantile Hemangiomas

Shineng Lai^{1*}, Zhaowei Luo¹, Yi Zhou¹, Jianjun Wang¹, Ouju Kuang¹, Linhai Xie^{2#}

¹The First Clinical Medical College of Gannan Medical University, Ganzhou Jiangxi

²Department of Plastic Surgery, The First Affiliated Hospital of Gannan Medical University, Ganzhou Jiangxi

Received: August 11, 2026; accepted: September 5, 2026; published: September 14, 2026

Abstract

Infantile hemangioma (IH) is the most common benign vascular tumor of infancy, with a female predominance, a predilection for the head and neck region, and a prevalence of approximately 4.5% in full-term neonates. IH exhibits a distinctive natural history, typically evolving through proliferative,

*第一作者。

#通讯作者。

文章引用: 赖世能, 罗昭伟, 周易, 王建君, 况欧桔, 谢林海. 婴幼儿血管瘤治疗的最新研究进展[J]. 临床医学进展, 2026, 16(9): 1529-1534. DOI: 10.12677/acm.2026.1693192

plateau, and involution phases. Although most IH lesions undergo spontaneous regression, a subset may lead to disfigurement, functional impairment, or even life-threatening complications, thus warranting active intervention. Since the serendipitous discovery of propranolol's efficacy against IH in 2008, the therapeutic landscape of this condition has been revolutionized. In recent years, with the approval of novel pharmaceutical formulations (e.g., timolol maleate gel), the exploration of targeted therapeutic agents, and the optimization of combination treatment strategies, the armamentarium for IH has been progressively refined. This article reviews the latest advances in the management of IH, aiming to provide a practical reference for clinical decision-making.

Keywords

Infantile Hemangioma, Propranolol, Beta-Blockers, Timolol, Laser Therapy, Combination Therapy

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

婴幼儿血管瘤是婴幼儿时期最常见的良性血管源性肿瘤，发病率约 4%~5%，好发于女婴，男女比例约为 1:3~5，头颈部为好发部位，约占 40%~60% [1]。IH 具有独特的临床病程，通常在出生后最初几周出现，经历快速增殖期(0~1 岁)、平台期(约 1 岁)和缓慢消退期(1~5 岁)三个阶段[1]。

虽然多数 IH 可自行消退而不留后遗症，但仍有部分血管瘤可出现瘤体出血、溃疡、瘤体压迫导致呼吸困难或视力障碍，甚至出现进食困难、心力衰竭等危及生命的并发症，需积极干预[2]。2008 年，普萘洛尔被意外发现对 IH 具有显著疗效，由此开启了 IH 治疗的新纪元[2]。近年来，随着对 IH 发病机制认识的深入、新型药物制剂的研发以及治疗策略的不断优化，IH 的治疗已从单一的“观察等待”发展为“口服 β 受体阻滞剂 - 外用 β 受体阻滞剂 - 激光/硬化剂 - 手术 - 靶向药物”的多层级、个体化治疗体系。本文就 IH 治疗的最新研究进展进行综述。

2. 发病机制研究进展

IH 的确切发病机制至今尚未完全阐明。目前主流观点认为，IH 最可能的发病机制是缺氧应激激活缺氧诱导因子- α (HIF- α)通路，继而促进血管生成相关因子的表达[3]。

近年来，非编码 RNA 在 IH 发病机制中的作用受到广泛关注。研究表明，非编码 RNA (ncRNA)能在表观遗传学、转录前及转录后水平调控基因表达，在 IH 发病进程中发挥重要的基因调控作用。随着基因芯片技术及生物信息学的不断应用，在人血管瘤内皮细胞(HemECs)中已筛选出大量差异表达基因。长链非编码 RNA (lncRNA)和环状 RNA (circRNA)的异常表达可影响细胞增殖、活力、侵袭、迁移、细胞周期进程和血管生成[3]。此外，TGF- β 1 通过内皮 - 间质转化(EndoMT)促进 IH 血管生成的作用机制也得到进一步阐明[3]。这些发现为 IH 的靶向治疗提供了新的潜在靶点。

3. 诊断与评估进展

IH 的诊断主要依据典型的临床表现，包括出生后数周内出现的红色或紫红色斑块或肿块，随后进入增殖期。影像学评估在 IH 的诊断、分期和疗效评价中具有重要价值[4]。

彩色多普勒超声是 IH 最常用的影像学检查手段。通过总结 IH 的超声征象，可寻找可能影响其退化和

治疗反应的亚临床特征[4]。超声微血流成像(MFI)定量参数可用于评估 IH 的血流分级,提取血管指数(VI)、血管段数量(NV)、分支点数量(NB)等参数,为临床决策提供客观依据[4]。三维超声等新技术在 IH 诊疗中的应用也不断拓展。产前超声在先天性血管瘤的诊断中也具有重要价值,可帮助发现胎儿期的血管病变[5]。

4. 药物治疗进展

4.1. 口服 β 受体阻滞剂

4.1.1. 普萘洛尔

普萘洛尔是目前 IH 的一线治疗药物,已在临床应用 10 余年。2021 年,首个药品适应证包含 IH 的盐酸普萘洛尔口服溶液剂在国内上市,但此前普萘洛尔片剂一直属于超说明书用药,在安全性和规范性上存在一定问题[6]。

2025 年,由中华医学会整形外科学分会血管瘤与脉管畸形学组牵头,联合全国 40 余家权威医院的 74 名专家共同制定的《盐酸普萘洛尔口服溶液剂治疗婴幼儿血管瘤临床应用专家共识》在《中华整形外科杂志》正式发布[6]。该共识提出盐酸普萘洛尔口服溶液剂治疗 IH 的适应证、推荐剂量及用法、治疗前评估、用药安全性及临床监测管理、疾病复发或耐药后解决方案 5 个关键问题。共识基于循证医学证据,为规范临床用药、降低 IH 并发症及不良反应提供了重要参考[6]。

在治疗时机方面,最新研究表明,口服普萘洛尔治疗 IH 的年龄截断值为 9.9 周(约 10 周龄),在 10 周龄内开始治疗可显著提高瘤体消退满意率[2]。这强调了早期识别和及时干预的重要性。

普萘洛尔治疗 IH 的作用机制也在不断深入。研究表明,普萘洛尔可通过 Notch 信号通路抑制血管内皮细胞迁移和侵袭[3]。此外,普萘洛尔还能通过调控 VEGF 等血管生成相关因子发挥治疗作用[2]。

4.1.2. 普萘洛尔的安全性监测与风险管理

普萘洛尔在 IH 治疗中总体疗效确切,但其不良反应仍需临床高度关注。治疗前评估是确保用药安全的首要环节:用药前应对患儿进行全面体检,用药前常规行心电图检查。美国 FDA 批准的普萘洛尔口服溶液(Hemangeol)说明书同样建议,在首次给药或剂量增加后监测心率和血压 2 小时。用药期间监测方面:初次服药前 3 天建议住院观察,严密监测生命体征;用药后密切观察患儿的精神、呼吸、心率、血压及瘤体的颜色、张力、表面温度;每次服药后观察患儿的心率、血压变化,推荐首次服用 300 $\mu\text{g}/\text{kg}$ 后行 2 小时心电监测。动态心电监测可更有效地发现普萘洛尔治疗相关的心律失常。治疗期间还应常规监测外周血流速、血氧饱和度、心电图 PR 间期、左心功能、血压和心率等心血管指标。低血糖的预防是安全管理的关键环节:应在服药后 30 分钟至 2 小时内进食,避免空腹服药;对于 <3 月龄的婴儿,普萘洛尔易诱发低血糖,应给予充足的热量摄入;建议每日监测心率并详细记录,定期监测血糖;如出现低血糖症状(发汗、发绀、喂养困难、低体温、嗜睡等),应及时增加喂养次数或暂停服药。出现短暂性心动过缓、低血压等症状一般不需要改变普萘洛尔剂量,严重不能耐受者需调整剂量或暂时停药。

4.1.3. 其他口服 β 受体阻滞剂

除普萘洛尔外,纳多洛尔、阿替洛尔等其他口服 β 受体阻滞剂也在 IH 治疗中有所探索。阿替洛尔联合聚桂醇治疗 IH 的临床研究显示,联合组总有效率达 95.56%,可显著提升疗效[7]。

4.2. 外用 β 受体阻滞剂

4.2.1. 马来酸噻吗洛尔凝胶——里程碑式进展

2025 年,我国获批上市全球首款治疗婴幼儿血管瘤的外用 0.5%马来酸噻吗洛尔凝胶[8]。研究结果表明,该药物采用每天 3 次外用给药方式,24 周后患儿治愈率达 61.2%,有效率达 89.4%;随着治疗

周期延长至 52 周,治愈率进一步提升至 73.0%,有效率稳定维持在 89.9% [8]。该药物为非选择性 β 受体阻滞剂,通过血管收缩、抗血管生成、诱导内皮细胞凋亡三重机制,促进血管瘤由增殖期向消退期转化。凝胶剂型可延长病灶滞留时间、降低全身吸收与非靶向弥散风险,适合各部位皮肤血管瘤的治疗 [8]。

基于马来酸噻吗洛尔凝胶逐步推广应用的临床实际,国内多名不同专业长期从事 IH 诊治工作的知名专家共同讨论,制订了《外用马来酸噻吗洛尔凝胶治疗婴幼儿血管瘤中国专家共识》。该共识于 2026 年发表于《中国口腔颌面外科杂志》,为临床规范应用这一新型外用制剂提供了重要指导 [8]。

4.2.2. 其他外用 β 受体阻滞剂

我国诊疗指南推荐外用噻吗洛尔、卡替洛尔滴眼液治疗 IH,每日 2~3 次,用保鲜膜包封湿敷 1 小时 [7]。噻吗洛尔滴眼液外敷治疗浅表型 IH 已在临床广泛应用,具有良好的有效性和安全性 [2]。

4.3. 靶向治疗与新兴药物

4.3.1. 伊曲康唑

伊曲康唑是一种高效广谱亲脂性三唑类抗真菌药物,近年研究发现其具有抗血管生成和抑制细胞增殖的作用,在治疗 IH 中显示出新兴潜力 [9]。《伊曲康唑治疗婴幼儿血管瘤的研究进展》一文系统综述了该领域的最新进展 [9]。研究显示,伊曲康唑显著降低血小板衍生生长因子 D (PDGF-D) 水平,抑制 PDGFR- β 的激活,通过 PDGF-D/PI3K/Akt/mTOR 信号通路抑制其下游效应物,这对婴幼儿血管瘤的细胞生长和生存至关重要 [9]。

4.3.2. 西罗莫司(雷帕霉素)

西罗莫司作为一种 mTOR 抑制剂,在难治性、危及生命或严重影响功能的血管瘤治疗中显示出一定疗效 [10]。研究显示,西罗莫司在各类脉管性疾病中有较好的疗效且耐受性良好,推荐治疗时间为 6 个疗程,血药浓度为 10~15 $\mu\text{g/L}$ 时疗效相对更好 [10]。在口服普萘洛尔疗效达平台后序贯外用西罗莫司,是一种安全有效的治疗策略 [10]。

4.3.3. 靶向治疗的范式转变

2026 年发表的综述系统阐述了血管异常(包括 IH 和脉管畸形)从传统治疗到精准靶向治疗的范式转变,聚焦于 β 受体阻滞剂(如普萘洛尔)治疗 IH 的机制,以及针对 PI3K/AKT/mTOR 和 RAS/MAPK 等基因驱动通路的靶向药物(如西罗莫司、阿培利司、曲美替尼等)的前景 [11]。

4.4. 糖皮质激素

在 β 受体阻滞剂时代之前,糖皮质激素是 IH 的主要治疗手段 [2]。目前,糖皮质激素仍可作为 IH 治疗的备选方案,尤其在 β 受体阻滞剂禁忌或不耐受的情况下。泼尼松龙病灶注射联合激光治疗的方案在临床中仍有应用 [12]。

5. 局部与物理治疗进展

5.1. 激光治疗

激光是治疗浅表型 IH 的重要方法,尤其适用于颜色鲜红、较平坦、位于皮肤浅层的病变。595 nm 脉冲染料激光(PDL)是目前最常用的激光类型 [12]。

姜陈思等分析了 595 nm 脉冲染料激光治疗 IH 的安全性及临床治疗效果的影响因素 [12]。研究表明,对于早期浅表血管瘤,激光治疗的有效率可达 90% 以上。血管瘤 1 岁内建议 1~2 个月治疗一次,定期随访 [12]。

在联合治疗方面, 泼尼松龙病灶注射联合 595 nm 脉冲染料激光治疗浅表型 IH 的研究探讨了治疗时机及安全性[12]。聚桂醇注射液与平阳霉素分别联合 595 nm 脉冲染料激光治疗婴幼儿混合型血管瘤的疗效分析显示, 联合治疗具有良好的临床效果[12]。

5.2. 硬化剂注射治疗

聚桂醇是目前最常用的硬化剂之一。序贯局部封闭注射血管硬化剂和 β 受体阻滞剂治疗 IH 的临床研究显示, 聚桂醇联合美托洛尔注射具有较好的安全性和有效性[7]。

多中心研究数据显示, 相较于单用口服普萘洛尔口服液或注射聚桂醇, 联合治疗组(口服普萘洛尔口服液 + 注射聚桂醇)有效率达 93.0%, 较单药治疗组提升了 20 至 30 个百分点[7]。口服普萘洛尔联合局部注射曲安奈德和聚桂醇治疗婴幼儿眶周血管瘤可缩短疗程、减少注射次数[7]。

5.3. 手术治疗

手术切除通常不作为 IH 的首选治疗。除非发生危及生命或累及重要器官的并发症, 应避免手术切除或其他创伤性疗法, 因为手术可能比自然消退残留更多的瘢痕[2]。对于年龄较大的儿童, 血管瘤已消退到最大程度时, 可考虑手术改善美观[2]。在特殊情况下, 如巨大肝血管瘤危及生命时, 多学科协作下的手术切除仍是必要手段[5]。

6. 联合与综合治疗策略

联合治疗已成为 IH 治疗的重要趋势。多项研究证实, 联合治疗可显著提高疗效[7] [12]。

在药物联合方面, 阿替洛尔与聚桂醇联合治疗 IH, 总有效率达 95.56%, 并可有效调节患儿血清中 PEDF 水平及降低 MMP-9 水平[7]。口服普萘洛尔联合局部注射曲安奈德和聚桂醇治疗婴幼儿眶周血管瘤可缩短疗程、减少注射次数[7]。

在药物与物理治疗联合方面, 聚桂醇注射液与平阳霉素分别联合 595 nm 脉冲染料激光治疗婴幼儿混合型血管瘤已取得良好临床效果[12]。一项多中心、前瞻性、随机对照临床研究正在开展, 旨在评价普萘洛尔联合硬化注射治疗对比单用普萘洛尔治疗 IH 的临床疗效[7]。

低剂量口服普萘洛尔联合博来霉素注射治疗 IH 的随机对照试验也在进行中, 旨在确定联合疗法是否提供更优的临床结局[7]。 β 受体阻滞剂联合激光治疗溃疡性 IH 的系统评价和 Meta 分析也显示, 联合治疗在溃疡愈合时间方面具有潜在优势[12]。

7. 特殊类型与特殊部位 IH 的处理

7.1. 先天性血管瘤

先天性血管瘤(CH)是一种较为罕见的良性血管肿瘤, 出生前瘤体已经存在。按照出生后瘤体的生长特征可分为 4 类: 不消退型 CH、部分消退型 CH、快速消退型 CH 以及迟发性扩张型 CH。不同类型的 CH 其临床特征及治疗方式不同[5]。《先天性血管瘤的研究进展》一文对 CH 的发病机制、临床特征、诊断及治疗进行了系统综述[5]。

7.2. PHACE 综合征与 LUMBAR 综合征

PHACE 综合征是指后颅窝畸形(posterior fossa anomalies)、血管瘤(hemangioma)、动脉异常(arterial anomalies)、心脏缺陷(cardiac defects)和眼异常(eye anomalies)的综合征[11]。口服普萘洛尔是 PHACE 综合征背景下 IH 的主要治疗手段[11]。然而, PHACE 综合征患儿的后期管理仍面临巨大挑战, 包括头痛、

卒中等问题。多模式治疗策略(包括 β 受体阻滞剂、病灶内类固醇注射、眼周手术减容、气道干预和栓塞等)在复杂病例中可能是必要的[11]。

儿童期常见血管肿瘤相关综合征(如 PHACE 综合征、LUMBAR 综合征、多发婴儿血管瘤伴肝血管瘤、卡梅现象等)的诊疗进展也受到关注[11]。

7.3. 并发症的处理

IH 的并发症包括溃疡、出血、感染、器官功能障碍等[2]。溃疡性血管瘤需积极处理,低剂量普萘洛尔起始、溃疡愈合后增量是常用的治疗策略[2]。卡梅综合征(Kasabach-Merritt 综合征)是一种以血管瘤伴血小板减少和凝血功能障碍为特征的罕见危重疾病,需要多学科综合治疗[10]。

8. 总结与展望

近年来,婴幼儿血管瘤的治疗取得了令人瞩目的进展。普萘洛尔作为一线治疗药物的地位进一步巩固,《盐酸普萘洛尔口服溶液剂治疗婴幼儿血管瘤临床应用专家共识》(2025 年)的发布为规范用药提供了重要指导[6]。全球首款 IH 外用凝胶——马来酸噻吗洛尔凝胶的获批上市,结束了该领域无专用外用药的历史[8]。伊曲康唑、西罗莫司等新型药物的探索为复杂/难治性 IH 提供了更多选择[9] [10]。激光、硬化剂等局部治疗手段不断优化,联合治疗策略日益受到重视[7] [12]。

当前, IH 的治疗已形成“口服 β 受体阻滞剂-外用 β 受体阻滞剂-激光/硬化剂-手术-靶向药物”的多层级、个体化治疗体系。未来研究方向包括: 1) IH 发病机制的深入阐明,尤其是非编码 RNA 调控网络和微环境互作机制[3]; 2) 新型药物制剂的开发与优化[8]; 3) 精准医学指导下的个体化治疗[11]; 4) 联合治疗方案的标准化[7]; 5) 多中心随机对照研究提供更高级别的循证医学证据。

参考文献

- [1] 安思远, 陶永欣, 吕臣, 等. 婴幼儿血管瘤的治疗进展[J]. 医学理论与实践, 2025, 38(5): 752-754+762.
- [2] 陈远征. 普萘洛尔治疗婴幼儿血管瘤不同给药方案疗效对比及作用机制研究[D]: [博士学位论文]. 济南: 山东大学, 2017.
- [3] 喻丽, 舒虹. 非编码 RNA 在婴幼儿血管瘤发病机制中的研究进展[J]. 皮肤病与性病, 2025, 47(3): 184-187.
- [4] 马瑶, 洪千尧, 秦鸣, 等. 超声联合临床特征预测口服普萘洛尔治疗婴幼儿浅表血管瘤疗效的价值[J]. 中国超声医学杂志, 2025, 41(10): 1168-1171.
- [5] 张丽琪, 黄晓烨, 斯文越, 等. 先天性血管瘤的研究进展[J]. 广州医药, 2025, 56(8): 1021-1027.
- [6] 中华医学会整形外科学分会血管瘤与脉管畸形学组, 盐酸普萘洛尔口服溶液剂治疗婴幼儿血管瘤专家共识编写组. 盐酸普萘洛尔口服溶液剂治疗婴幼儿血管瘤临床应用专家共识[J]. 中华整形外科杂志, 2025, 41(2): 115-129.
- [7] 漆召阳, 王鑫, 赵艺. β 受体阻滞剂联合聚桂醇治疗婴幼儿血管瘤的临床研究[J]. 儿科学杂志, 2026, 32(3): 15-19.
- [8] 郑家伟, 王绪凯, 刘学键, 等. 外用马来酸噻吗洛尔凝胶治疗婴幼儿血管瘤中国专家共识[J]. 中国口腔颌面外科杂志, 2026, 24(3): 211-217.
- [9] 林莹, 马泓铨, 黄晓烨, 等. 伊曲康唑治疗婴幼儿血管瘤的研究进展[J]. 中国皮肤性病学杂志, 2025, 39(8): 925-930.
- [10] 吴莉, 陈凛凛, 曾颖华, 等. 西罗莫司治疗儿童各类脉管性疾病的有效性和安全性分析[J]. 临床皮肤科杂志, 2025, 54(12): 720-724.
- [11] Arasiewicz, H. and Dec, M. (2026) Targeted Therapies in Infantile Hemangiomas and Vascular Malformations: From β -Blockers to PI3K/AKT/mTOR Inhibitors. *Journal of Cellular and Molecular Medicine*, **30**, e71103. <https://doi.org/10.1111/jcmm.71103>
- [12] 王思, 刘春景, 邢小光. 聚桂醇注射液与平阳霉素分别联合 595 nm 脉冲染料激光治疗婴幼儿混合型血管瘤疗效分析[J]. 中国美容医学, 2025, 34(5): 105-109.