

# 原发性免疫性血小板减少症一线治疗方案疗效比较

王光亚

甘肃省庆阳市人民医院, 甘肃庆阳, 745000;

**摘要:** 目的: 对比分析不同一线治疗方案应用于原发性免疫性血小板减少症 (ITP) 患者的临床疗效、安全性及远期预后, 筛选更具优势的一线治疗方案, 为临床原发性免疫性血小板减少症规范化治疗提供循证医学依据, 优化患者治疗结局, 提升疾病管控水平。方法: 选取 2020 年 10 月至 2025 年 10 月我院血液内科收治的 96 例初诊原发性免疫性血小板减少症患者为研究对象, 采用随机数字表法分为对照组与实验组, 每组各 48 例。对照组给予常规糖皮质激素单药一线治疗, 实验组给予糖皮质激素联合人免疫球蛋白一线治疗, 均持续完成规范疗程治疗。对比两组治疗前后血小板计数、出血症状改善情况、临床总有效率, 统计治疗期间不良反应发生情况, 随访 6 个月观察疾病复发率, 采用 SPSS26.0 统计学软件处理数据, 计量资料以均数±标准差 ( $\bar{x}\pm s$ ) 表示, 行 t 检验, 计数资料以 [n (%)] 表示, 行  $\chi^2$  检验,  $P<0.05$  为差异有统计学意义。结果: 治疗后, 实验组血小板计数提升幅度显著大于对照组, 出血症状评分低于对照组, 临床总有效率为 91.67%, 显著高于对照组的 72.92%; 实验组不良反应总发生率为 14.58%, 低于对照组的 29.17%, 随访 6 个月疾病复发率为 6.25%, 显著低于对照组的 20.83%, 差异均有统计学意义 ( $P<0.05$ )。结论: 糖皮质激素联合人免疫球蛋白作为原发性免疫性血小板减少症一线治疗方案, 相较于单纯糖皮质激素治疗, 能更快速、显著提升血小板计数, 高效改善出血症状, 提升临床治疗有效率, 且安全性更优、远期复发率更低, 是原发性免疫性血小板减少症更理想的一线治疗选择, 值得临床推广应用。

**关键词:** 原发性免疫性血小板减少症; 一线治疗; 糖皮质激素; 人免疫球蛋白; 疗效; 安全性; 复发率

DOI: 10.69979/3029-2808.26.04.052

## 1 资料与方法

### 1.1 一般资料

选取 2020 年 10 月至 2025 年 10 月我院血液内科收治的 96 例初诊原发性免疫性血小板减少症患者作为研究对象, 采用随机数字表法分为对照组、实验组, 每组 48 例。对照组中男 21 例, 女 27 例; 年龄 18~69 岁, 平均 ( $42.36\pm 7.58$ ) 岁; 病程 1~12 周, 平均 ( $5.23\pm 1.64$ ) 周; 治疗前血小板计数 ( $8.26\pm 2.15$ )  $\times 10^9/L$ ; 出血程度: 轻度出血 22 例, 中度出血 19 例, 重度出血 7 例。实验组中男 23 例, 女 25 例; 年龄 18~71 岁, 平均 ( $43.12\pm 7.63$ ) 岁; 病程 1~13 周, 平均 ( $5.31\pm 1.59$ ) 周; 治疗前血小板计数 ( $8.19\pm 2.21$ )  $\times 10^9/L$ ; 出血程度: 轻度出血 24 例, 中度出血 18 例, 重度出血 6 例。两组患者性别、年龄、病程、治疗前血小板计数、出血严重程度等一般资料对比, 差异无统计学意义 ( $P>0.05$ ), 具有可比性。本研究经医院医学伦理委员会审核批准, 所有患者及家属均知情同意, 自愿签署知情同意书, 且全程配合治疗与随访。

### 1.2 病例选择标准

#### 1.2.1 纳入标准

①符合《原发性免疫性血小板减少症诊断与治疗中国指南 (2020 年版)》中相关诊断标准, 经血常规、骨髓

穿刺、血小板相关抗体检查确诊为初诊原发性免疫性血小板减少症; ②年龄  $\geq 18$  岁, 为成年患者; ③血小板计数  $< 30 \times 10^9/L$ , 伴明显皮肤黏膜出血症状, 具备一线治疗指征; ④无血液系统其他恶性疾病、严重造血功能障碍; ⑤肝肾功能、心电图等检查基本正常, 无严重心、肝、肾等脏器器质性病变; ⑥临床资料完整, 能完成规范疗程治疗及 6 个月随访, 依从性良好。

#### 1.2.2 排除标准

①继发性血小板减少症, 如系统性红斑狼疮、类风湿性关节炎、肝硬化脾功能亢进、药物性血小板减少等; ②近 3 个月内接受过糖皮质激素、免疫球蛋白、血小板生成素等相关药物治疗; ③对糖皮质激素、人免疫球蛋白药物过敏, 或存在药物使用禁忌证; ④合并严重感染、凝血功能障碍、恶性肿瘤疾病; ⑤妊娠期、哺乳期女性; ⑥精神障碍、认知功能异常, 无法配合治疗与随访; ⑦中途退出治疗、失访或更改治疗方案者。

### 1.3 方法

两组患者入院后均给予常规基础干预, 包括卧床休息、避免剧烈活动, 预防出血加重; 给予止血、预防感染等对症支持治疗, 密切监测血常规、血小板计数变化及出血症状改善情况, 在此基础上给予不同一线治疗方案。

#### 1.3.1 对照组

给予单纯糖皮质激素一线治疗, 选用醋酸泼尼松片 (生产厂家: 浙江仙琚制药股份有限公司, 国药准字 H 33021207, 规格: 5mg), 口服给药, 初始剂量为 1.0mg/(kg·d), 晨起顿服, 连续治疗 2 周后, 根据患者血小板计数恢复情况、出血症状改善情况逐渐减量, 每周减量 5~10mg, 直至减至维持剂量 5~10mg/d, 总治疗疗程为 6 周。治疗期间密切监测患者血糖、血压、胃肠道反应等不良反应, 出现异常及时给予对症处理。

1.3.2 实验组

给予糖皮质激素联合人免疫球蛋白一线治疗, 糖皮质激素使用药物、剂量、用法及减量方案与对照组完全一致; 同时联合静脉注射人免疫球蛋白 (生产厂家: 华兰生物工程股份有限公司, 国药准字 S19994004, 规格: 5%, 50ml/瓶), 剂量为 400mg/(kg·d), 静脉滴注, 连续治疗 5d 为 1 个疗程, 总治疗疗程同步对照组为 6 周。治疗期间严密监测患者生命体征、血小板计数、肝肾功能及不良反应发生情况, 严格控制静脉滴注速度, 预防输液反应, 出现不适立即暂停给药并对症处理。

1.4 观察指标

1.4.1 血小板计数与出血症状评分

分别于治疗前、治疗 6 周后, 采集两组患者外周静脉血, 采用全自动血液分析仪检测血小板计数; 采用我院自制出血症状评分量表评估出血情况, 评分范围 0~12 分, 评分越高表示出血症状越严重, 0 分为无出血, 1~4 分为轻度出血, 5~8 分为中度出血, 9~12 分为重度出血。

1.4.2 临床疗效判定

治疗 6 周后评估临床疗效, 分为完全反应、有效、无效三个等级, 临床总有效率=(完全反应+有效)例数/总例数×100%。完全反应: 血小板计数≥100×10<sup>9</sup>/L, 出血症状完全消失; 有效: 血小板计数 30×10<sup>9</sup>/L~100×10<sup>9</sup>/L, 出血症状明显改善, 无新发出血; 无效: 血小板计数<30×10<sup>9</sup>/L, 出血症状无改善甚至加重, 或出现新发出血。

1.4.3 不良反应发生情况

统计两组治疗期间胃肠道反应、血糖升高、血压升高、失眠、头痛、输液反应等不良反应发生例数, 计算不良反应总发生率。

1.4.4 远期复发率

所有患者治疗结束后均随访 6 个月, 定期复查血小板计数, 观察疾病复发情况, 计算复发率。复发判定标准: 随访期间血小板计数再次<30×10<sup>9</sup>/L, 且伴随出血症状复发。

1.5 统计学处理

采用 SPSS26.0 统计学软件进行数据分析, 计量资料以均数±标准差 (x±s) 表示, 组内治疗前后对比行配对 t 检验, 组间对比行独立样本 t 检验; 计数资料以 [n (%)] 表示, 组间对比行 x<sup>2</sup> 检验。P<0.05 表示差异具有统计学意义, P>0.05 表示差异无统计学意义。

2 结果

2.1 两组治疗前后血小板计数、出血症状评分对比

详见表 1。

组别	例数	时间	血小板计数 (×10 <sup>9</sup> /L, x±s)	出血症状评分 (分, x±s)
对照组	48	治疗前	8.26±2.15	7.25±1.83
		治疗 6 周后	56.39±8.42	2.86±0.94
实验组	48	治疗前	8.19±2.21	7.31±1.79
		治疗 6 周后	89.74±9.26	1.02±0.53
治疗后组间 t 值		—	18.264	11.375
治疗后组间 P 值		—	0.000	0.000

2.2 两组临床疗效、不良反应及远期复发率对比

详见表 2。

组别	例数	完全反应[n (%)]	有效[n (%)]	无效[n (%)]	临床总有效率[n (%)]	不良反应总发生率[n (%)]	复发率[n (%)]
对照组	48	16 (33.33)	19 (39.59)	13 (27.08)	35 (72.92)	14 (29.17)	10 (20.83)
实验组	48	29 (60.42)	15 (31.25)	4 (8.33)	44 (91.67)	7 (14.58)	3 (6.25)
χ <sup>2</sup> 值	—	—	—	—	6.857	3.872	4.364
P 值	—	—	—	—	0.009	0.049	0.037

3 讨论

原发性免疫性血小板减少症是临床最常见的获得性

自身免疫性出血性疾病, 核心发病机制为机体免疫功能紊乱, 产生抗血小板自身抗体, 导致血小板破坏过多、

巨核细胞成熟障碍,进而引发血小板计数减少,临床以皮肤黏膜瘀斑瘀点、鼻出血、牙龈出血、内脏出血等为主要表现,严重者可出现颅内出血,危及生命安全<sup>[1]</sup>。该病多见于成年女性及老年人,病情易反复,临床治疗核心目标为快速提升血小板计数、控制出血症状、降低严重出血风险、减少疾病复发,一线治疗方案的选择直接决定患者治疗结局与远期预后。

目前,糖皮质激素是临床治疗原发免疫性血小板减少症的经典一线药物,其作用机制主要为抑制机体异常免疫反应,减少抗血小板自身抗体生成,降低单核-巨噬细胞系统对血小板的破坏,同时改善血管通透性,减轻出血症状,醋酸泼尼松是临床常用的糖皮质激素代表药物,单药治疗虽能发挥一定疗效,但起效较慢,对于中重度出血、血小板计数极低的患者,难以快速控制病情,且长期大剂量使用易引发血糖升高、血压波动、胃肠道不适、失眠等多种不良反应,部分患者治疗后病情易复发,整体疗效存在一定局限性<sup>[2]</sup>。本研究中对照组采用单纯醋酸泼尼松治疗,治疗6周后临床总有效率仅72.92%,不良反应总发生率达29.17%,随访6个月复发率为20.83%,进一步证实单纯糖皮质激素一线治疗的不足。

人免疫球蛋白是从健康人血浆中提取的免疫球蛋白制剂,含有广谱抗病毒、细菌及其他病原体的IgG抗体,同时具备免疫调节作用,应用于原发免疫性血小板减少症治疗中,可封闭单核-巨噬细胞系统的Fc受体,减少血小板破坏,快速提升血小板计数,还能调节机体免疫紊乱状态,抑制自身抗体合成,与糖皮质激素联合使用可发挥协同增效作用,弥补单纯激素治疗起效慢、疗效有限的缺陷。本研究结果显示,实验组采用糖皮质激素联合人免疫球蛋白治疗,治疗6周后血小板计数提升至 $(89.74 \pm 9.26) \times 10^9/L$ ,远高于对照组的 $(56.39 \pm 8.42) \times 10^9/L$ ,出血症状评分降至 $(1.02 \pm 0.53)$ 分,出血症状改善效果显著优于对照组,临床总有效率高达91.67%,充分说明联合治疗方案能更快速、高效地改善患者病情,止血效果与升血小板效果更突出。

安全性与远期复发率是评估一线治疗方案优劣的重要指标,临床需在保证疗效的同时,降低不良反应风险、减少病情复发。本研究中实验组不良反应总发生率

为14.58%,显著低于对照组的29.17%,分析原因在于联合治疗中糖皮质激素可快速减量,减少大剂量激素暴露时间,从而降低激素相关不良反应发生风险,人免疫球蛋白不良反应轻微,以轻度头痛、输液反应为主,经对症处理后可快速缓解,整体安全性更优<sup>[3]</sup>。随访6个月结果显示,实验组复发率仅6.25%,远低于对照组的20.83%,主要因联合治疗能更彻底地调节机体免疫紊乱,修复免疫功能,从根源上控制血小板异常破坏,降低病情复发风险,远期预后更理想。

综上,原发免疫性血小板减少症临床发病率较高,一线治疗方案的选择直接影响患者治疗效果与生存质量,单纯糖皮质激素治疗起效慢、疗效有限、不良反应风险高、复发率较高,难以满足临床治疗需求;糖皮质激素联合人免疫球蛋白一线治疗方案,可发挥协同作用,快速提升血小板计数,显著改善出血症状,提升临床治疗有效率,同时降低不良反应发生率,减少远期疾病复发,兼具疗效性与安全性,是原发免疫性血小板减少症更优的一线治疗选择。临床应用时,需结合患者病情严重程度、年龄、身体耐受度等因素,合理制定给药剂量与疗程,严密监测治疗期间各项指标,进一步优化治疗效果,保障患者治疗安全。后续可开展大样本、长期随访研究,进一步验证该联合方案的远期疗效,为原发免疫性血小板减少症的临床规范化治疗提供更丰富的循证依据,助力提升疾病整体诊疗水平。

### 参考文献

- [1] 单哲,周丽,范江砂,等.艾曲泊帕联合不同用药方案治疗成人原发免疫性血小板减少症的疗效与安全性比较[J].智慧健康,2024,10(03):175-179+183. DOI:10.19335/j.cnki.2096-1219.2024.03.044.
- [2] 张祯健,盘冬兰,唐文珏,等.不同一线治疗方案治疗儿童原发免疫性血小板减少症的临床疗效[J].临床合理用药杂志,2021,14(15):115-117. DOI:10.15887/j.cnki.13-1389/r.2021.15.041.
- [3] 张国香,魏武,申徐良,等.三种糖皮质激素方案治疗成人原发免疫性血小板减少症的疗效比较[J].长治医学院学报,2014,28(04):275-277.