

华氏巨球蛋白血症

基本信息：
患者指南

**IWMMF**

International Waldenstrom's
Macroglobulinemia Foundation
合作方：





华氏巨球蛋白血症

基本信息： 患者指南

Stephen M. Ansell, 医学博士, 哲学博士

血液恶性肿瘤研究 Dorotha W. and Grant L. Sundquist 教授、梅奥医学院梅奥临床医学教授

Carl Harrington

国际华氏巨球蛋白血症基金会
(IWWMF) 全球患者倡议荣誉主席

Steven Treon, 医学博士, 哲学博士

哈佛医学院 Dana-Farber 癌症研究所医学教授、华氏巨球蛋白血症 Bing 中心主任

本出版物得到以下各方的支持：



医疗免责声明：本文中提供的信息仅用于教育用途。其并不意味着可以替代专业医疗建议。患者若使用文中所提供的信息，应向拥有华氏巨球蛋白血症治疗经验的医生进行完整咨询，并接受医疗照护。我们不鼓励患者在未告知自己专科医生的情况下，使用本文中包含的任何信息。

© 2023 International Waldenstrom's Macroglobulinemia Foundation

基本信息：患者指南

1. 华氏巨球蛋白血症 (WM) 是什么？

- WM 是一种血癌，患者体内会生成过多的特异性异常蛋白，即被称作 IgM 的抗体（免疫球蛋白）。IgM 是所有抗体中最大的抗体，也称为巨球蛋白。人体发生感染时，IgM 通常是最先发生反应的“第一抗体”。健康人群体内一般不存在异常 IgM 蛋白，这种蛋白又称为 M 蛋白或副蛋白。
- 若罹患 WM，异常 WM 细胞不会经历程序性细胞死亡，而是在骨髓中积累。这种情况会导致产生新的红细胞的正常骨髓细胞受到排挤，从而导致贫血，同时也会阻碍人体产生保护我们免受感染的其他细胞。
- 这些异常 WM 细胞也可能生长在骨髓外，导致淋巴结和脾脏肿大，或在肺间隙、大脑或脊柱中增殖。
- WM 细胞或过多的 IgM 会损伤体内细胞和器官，导致疲乏、麻木、刺痛、虚弱等症状。
- 过多的 IgM 还会在血液中循环。由于 IgM 尺寸较大，因此会导致血液变得浓稠，引起高粘血症。该病症会引起血管破裂，从而导致视网膜或大脑出血。IgM 还会在肾脏等器官中积聚，影响这些器官的功能。
- 有些 WM 患者会出现与 IgM 蛋白本身直接相关的症状，例如淀粉样变性、冷球蛋白血症、冷凝集素溶血性贫血和周围神经脱髓鞘病变。这些情况较为罕见。如需了解更多信息，请访问 IWMF 网站：iwmf.com。

2. WM 是一种目前无法治愈但可以治疗的罕见血癌。

- WM 通常是一种发展缓慢的惰性癌症，许多患者都不需要接受治疗，只需定期验血即可。而大多数需要接受治疗的 WM 患者都有时间考虑自己的治疗方案。

3. WM 有多罕见？WM 的发病率是多少？

- 美国每年约有 1500-3000 例 WM 新病例，欧洲每年约有 1500-3000 例。总体而言，WM 仅占所有血癌的 1-2%。
- 这样的罕见性意味着大多数社区肿瘤科医生在其职业生涯中很少接触到 WM 病例

4. 通过何种方法诊断 WM?

- 除了验血外，骨髓活检也是诊断 WM 的基本手段。
- 约 90-95% 的 WM 患者在编码 MYD88 蛋白的基因上存在相同的基因突变，而 30-40% 的 WM 患者在 CXCR4 基因上存在基因突变。有些 CXCR4 突变会影响不同疗法的效果。

5. 我为什么会患 WM? 它会遗传给我的孩子吗?

- WM 的起因未知。但与 WM 相关的基因突变 (MYD88 和 CXCR4) 是患者后天获得的，不会从父母那里遗传，也不会遗传给孩子。
- 而高达 25% 的 WM 患者确实有一位患有 WM 或其他 B 细胞淋巴瘤的一级 (父母、兄弟姐妹或子女) 或二级亲属 (祖父母、姑姑、叔叔、表亲)。
- 少数 WM 家庭的父母、子女以及兄弟姐妹都患有 WM。
- 确定“家族性 WM”的合理步骤是进行血液检测，检查血细胞数量，并通过血清蛋白电泳检测是否存在异常蛋白。鉴于 WM 起病较晚，因此您的初级保健医生可以考虑为您 40 岁或以上年龄的后代进行这些血液检测。

6. WM 通常分阶段发生。我会经历所有阶段吗?

- WM 通常始于 MGUS (未定性的单克隆免疫球蛋白病) 的确诊，这是最常见的 WM 前兆。某些 MGUS 会发展为无症状性 (冒烟型) WM。仅当 MGUS 发展为有症状的 WM 时，患者才需要接受治疗。
- 并非所有患者都会经历这些阶段。事实上，大多数 MGUS 患者并未发展为有症状的 WM。患者可能会一直停留在 MGUS 或无症状阶段。

7. 我什么时候需要接受治疗?

- 通常，当患者出现与低血细胞计数和高肿瘤负荷相关的症状 (如疲乏或出血)，或当 IgM 水平升高导致症状性高粘血症或细胞/器官损伤时，即需要接受治疗。
- WM 的病程可能因人而异。例如，某些患者的 IgM 水平较低，而另一些患者的抗体水平较高。因此，医生通常会根据患者的症状进行治疗。仅当 IgM 水平变得非常高时，医生才可能会决定开始施以治疗，以降低高粘血症风险。

8. 我是否应该征询第二意见？

- 由于 WM 是一种罕见疾病，因此我们建议您试着向 IWMF 国际医生目录中列出的医生征询第二意见。请与您的医疗团队就征询第二意见进行讨论。

9. 我的治疗方案有哪些？

- 好消息是，现在有很多治疗方案可供您选择。过去能选择的治疗方案寥寥可数，且通常都有显著的副作用。
- 治疗大致分为两类：您可能无限期服用口服药物，或在有限时间内接受输液治疗。您的医疗团队会帮助您确定最适合您的方案。
- 利妥昔单抗是一种用于治疗多种血癌的药物，包括 WM。但遗憾的是，利妥昔单抗有时会导致 IgM 水平短期升高，即 IgM 燃瘤反应，该情况可能很危险。部分患者在开始接受利妥昔单抗治疗之前，需要先进行名为血浆置换的医疗程序，目的是在短期内降低 IgM 水平，或者选择在治疗后期开始使用利妥昔单抗。
- 如果治疗后出现任何副作用，请务必告知您的医疗团队。他们通常可以采取一些策略来减少副作用的影响。

10. WM 会复发吗？

- 尽管 WM 在经过化疗或持续治疗后会有很长一段时间的缓解期，但在初次治疗后可能会复发或出现进展。如果最初的治疗取得成功，您的医生在几年后可能会重复该治疗，也可能建议新的治疗方法。由于复发时没有症状，并且可以对患者进行定期控制，因此很多患者不需要立即接受直接治疗。请与您的医疗团队探讨治疗方案。

11. 我能活多久？

- 近年来，WM 患者的寿命明显延长。在过去，许多患者在确诊后被告知仅有 3-5 年的寿命。
- 而现在，剩余寿命要长得多，一些 WM 思想领袖表示，从诊断之日起，患者的寿命平均为 15-20 年。许多患者的死因其实与 WM 无关。最重要的是，随着更安全、更有效的新药物出现，患者的寿命大幅延长，并且呈继续延长之势。



12. 我可以在哪里得到帮助？

联系 IWMF：

国际华氏巨球蛋白血症基金会 iwmf.com

电话：941-927-4963

国际电话：001-941-927-4963

IWMF 是唯一一个专门致力于华氏巨球蛋白血症的国际组织，这是一个由患者创办和主导的非营利组织，怀着简单但强烈的愿景和使命。

我们的愿景：让世界没有 WM（华氏巨球蛋白血症）。

我们的使命：致力研究治愈疗法的同时，给予每一位华氏巨球蛋白血症（WM）病友支持和指导，从而改善诊疗效果。

IWMF 致力于寻找治愈疗法，让世界没有 WM。自 1999 年以来，IWMF 向世界各地的 WM 研究项目投资了 2100 万余美元。得益于这项研究，WM 患者的寿命得以延长，并获得了缓解效果更持久、副作用更少的更佳治疗方案。

访问 IWMF 网站可以：

- 免费下载初诊信息包。
- 免费下载 WM 相关出版物，这些出版物行文清晰易懂，并提供多种语言版本。
- 加入本地 IWMF 支持小组或全球分支机构。
- 加入 IWMF Connect（一个提供各种与缓解后 WM 相关电子邮件讨论的在线社区）或 IWMF Facebook。
- 参加 IWMF 年度教育论坛或我们的在线网络研讨会。
- 订阅我们的免费季刊 IWMF Torch。
- 如需联系 IWMF 分支机构，请访问 iwmf.com/international-affiliates/
- 如需联系 IWMF 合作伙伴，请访问：iwmf.com/partners/
- 如需与您的医疗团队一起联系 IWMF 医生目录中列出的医生，征询第二意见，请访问：iwmf.com/directory-of-wm-physicians/

WM 是一种罕见疾病，与 IWMF 相伴，我们一起携手共进。



**International Waldenstrom's
Macroglobulinemia Foundation**

6144 Clark Center Avenue, Sarasota, FL 34238

电话: 941-927-4963

国际电话: 001-941-927-4963

iwmf.com