

華氏巨球蛋白血症

重要資訊：
患者指南

**IWMMF**

International Waldenstrom's
Macroglobulinemia Foundation

與以下機構合作：





華氏巨球蛋白血症

重要資訊：

患者指南

Stephen M. Ansell, MD, PhD

梅約醫學中心梅約診所醫學教授暨 Dorotha W. 與 Grant L. Sundquist 血液惡性腫瘤研究教授

Carl Harrington

全球患者倡議組織 IWMMF 總裁暨
榮譽主席

Steven Treon, MD, PhD

哈佛醫學院丹娜－法柏癌症研究所醫學教授暨華氏巨球蛋白血症賓氏中心
（Bing Center for Waldenstrom's Macroglobulinemia）主任

本刊物由以下機構協助出版：



醫療免責聲明：本文載有的資訊僅供教育用途使用，這些資訊的用意並非取代專業醫療建議。患者若使用文中提供的資訊，應與擁有 WM 治療經驗的醫師進行完整的諮商，並接受其醫療照護。我們不鼓勵患者在未告知自己專科醫師的情況下，使用本文載有的任何資訊。

© 2023 國際華氏巨球蛋白血症基金會

重要資訊：患者指南

1. 什麼是華氏巨球蛋白血症 (WM)？

- WM 是一種血癌，這種疾病會使人體生成過多的特定異常蛋白，一種稱為 **IgM** 的抗體（或稱免疫球蛋白）。**IgM** 是體積最大的抗體，稱為巨球蛋白。一般而言，**IgM** 是人體遭受感染的「第一反應者」。健康人體內通常不會出現異常的 **IgM** 蛋白，這些異常蛋白也稱為 **M** 蛋白或副蛋白。
- 罹患 WM 後，異常的 WM 細胞不會經歷計畫性細胞死亡，而是累積在骨髓中。這可能會使生成新紅血球的正常骨髓細胞遭到排擠，導致貧血，同時排擠其他細胞（這些細胞能保護我們免於感染）的生成。
- 這些異常的 WM 細胞也可能在骨髓外增生，導致淋巴結和脾臟腫大，或在胸腔、大腦或脊柱增生。
- WM 細胞和過多的 **IgM** 會傷害體內細胞和器官，引發倦怠、麻木、刺痛和虛弱等症狀。
- 過多的 **IgM** 也會在血液中循環。由於 **IgM** 體積大，患者的血液會變得非常黏稠，稱為血液高度黏稠症。這可能導致血管破裂，引發視網膜或大腦出血。**IgM** 也可能沉積在腎臟等器官中，影響其功能。
- 部分 WM 患者會出現與 **IgM** 蛋白本身直接相關的症狀，例如類澱粉沉積症、冷凝球蛋白血症、冷凝集素溶血性貧血和髓鞘脫失周邊神經病變，上述病症皆相當罕見。如需更多相關資訊，請造訪 IWMF 網站：iwmf.com。

2. WM 是目前無法治癒但可治療的罕見血癌。

- 一般而言，WM 無痛且進展緩慢。許多患者無須治療，只需定期接受血液檢驗即可。就算需要治療，大多數 WM 患者都有時間考慮要選擇哪種治療方案。

3. WM 有多罕見？WM 的發生率是多少？

- 在美國，每年大約新增 1,500-3,000 個 WM 病例，在歐洲為每年 1,500-3,000 個病例。整體而言，WM 僅佔所有血癌的 1-2%。
- 這種罕見性代表大多數社區腫瘤科醫師在其職業生涯中很少遇見 WM 病例。

4. WM 的診斷方式為何？

- 除了血液檢驗，骨髓活體組織切片是診斷 WM 的必要手段。
- 大約 90-95% 的 WM 患者都有相同的基因突變，突變位於有 MYD88 蛋白編碼的基因上，而 30-40% 的患者有 CXCR4 基因突變。部分 CXCR4 突變會使不同治療的療效受到影響。

5. 為什麼我會罹患 WM？我的孩子是否也會罹患 WM？

- WM 的起因仍然不明。然而，與 WM 相關的基因突變（MYD88 和 CXCR4）皆為後天突變，不是來自您的父母，也不會遺傳給您的孩子。
- 的確有高達 25% 的 WM 患者有一位一等親（父母、兄弟姊妹或子女）或二等親（祖父母、姑嬸，叔伯、表兄弟姊妹）患有 WM 或其他 B 細胞淋巴瘤。
- 有少數 WM 患者家庭是父母、子女及兄弟姊妹都患有 WM。
- 若懷疑為「家族性」WM，接受血液檢驗是合理的做法：檢查血球細胞數量，並透過血清蛋白電泳檢查是否有異常的蛋白質。鑒於 WM 的發病時間較晚，提供初級照護的醫師可考慮為 40 歲以上的子女進行這些血液檢驗。

6. WM 通常會階段性發病，我是否會經歷所有階段的病情？

- 一般而言，診斷出 MGUS（意義不明的單株伽瑪球蛋白症）是最常見的 WM 前驅狀況。此後，有些患者會進展為無症狀（或潛伏）WM，只有當 WM 進展到有症狀時才需要治療。
- 並非所有人的病情都會按照上述順序發展，事實上，大多數 MGUS 患者並未進展為有症狀的 WM。一個人可能永遠停留在 MGUS 或無症狀階段。

7. 我何時該接受治療？

- 一般而言，若您出現與低血球計數和高腫瘤負荷有關的症狀時（例如倦怠或出血），或 IgM 濃度上升導致有症狀的血液高度黏稠症，或細胞或器官受損時，就需要治療。
- WM 的病程差異很大，且因人而異。例如，有些患者在 IgM 濃度低時才出現症狀，有些患者在 IgM 濃度高時卻感覺良好。因此，醫師通常只能依據患者出現的症狀加以治療。只有當 IgM 濃度升至非常高時，醫師才可能決定開始治療，以降低發生血液高度黏稠症的風險。

8. 我是否應該尋求第二意見？

- 由於 WM 是罕見疾病，建議您參閱 IWMF 國際醫師名錄，聯絡名單上的醫師，尋求第二意見。取得第二意見後，請與您的醫療團隊討論。

9. 我有哪些治療選擇？

- 好消息是，如今已有許多治療方案可供選擇。過往 WM 只有少數幾種治療方案，且往往伴隨顯著的副作用。
- WM 的治療大致分為兩類：無限期服用口服藥物，或在一定時間內接受輸注治療。您的醫療團隊將協助您決定哪個治療方案最適合您。
- 利妥昔單抗是一種藥物，可治療包括 WM 在內的多種血癌。遺憾的是，它有時會導致 IgM 濃度暫時上升，稱為 IgM 遽升，結果可能相當危險。有些患者在接受利妥昔單抗治療之前，必須先進行一項醫療程序，稱為血漿清除術，以暫時降低體內的 IgM 濃度。或者，利妥昔單抗也可作為較晚期的治療選項。
- 治療後一旦出現任何副作用，請務必告知醫療團隊。醫療團隊通常會採取某些策略，降低副作用對您的影響。

10. 要是我的 WM 復發了怎麼辦？

- 即使接受化療或持續治療，且病情已長時間緩解，WM 仍可能在初期治療後復發或惡化。如果初期治療的療效已成功維持數年，醫師可能會重複採用相同的治療，或建議您選擇新的治療方案。許多患者無須立即直接治療，因為復發沒有症狀，僅需定期追蹤控制病情即可。請與您的醫療團隊討論各種治療選項。

11. 我還能活多久？

- 近年來，WM 患者的壽命已大幅延長。過往許多患者確診後，被告知只能再活 3-5 年。
- 而現在患者的預期壽命要長得多，據部分 WM 意見領袖的說法，自確診日起，患者平均可再活 15-20 年。事實上，許多患者的死因與 WM 無關。重點是 WM 患者的壽命已大幅延長，隨著更新穎、更安全和更有效的藥物問世，患者的預期壽命還會持續延長。



12. 我可以上哪兒尋求協助？

聯絡 IWMF：

國際華氏巨球蛋白血症基金會 iwmf.com

電話：941-927-4963

國際電話：001-941-927-4963

IWMF 是唯一一個專為華氏巨球蛋白血症病友服務的國際非營利組織，由患者創立且以患者為導向，肩負簡單卻有說服力的願景和使命。

我們的願景：沒有華氏巨球蛋白血症 (WM) 的世界。

我們的使命：致力於尋找治癒療法的同時也改善患者預後，並給予每一位華氏巨球蛋白血症 (WM) 病友支援與教育資源。

IWMF 致力於尋找治癒療法，希望創造一個沒有 WM 的世界。自 1999 年以來，IWMF 已投入超過 2,100 萬美元，支持世界各地的 WM 研究計畫。這些研究結果使 WM 患者的壽命大幅延長，能挑選更適合自己的治療選項，病情緩解時間更久，同時減少副作用。

請造訪 IWMF 網站：

- 下載免費的新確診患者專屬資訊包。
- 下載免費的 WM 出版品，所有刊物均以清晰易懂的風格編寫，並提供多種語言版本。
- 加入 IWMF 在地支持團體或全球附屬組織。
- 加入 IWMF Connect，這是一個線上社群，提供各式各樣與 WM 相關的電郵討論，或關注 IWMF Facebook 帳號。
- 參加 IWMF 年度教育論壇或線上網路研討會。
- 訂閱 IWMF Torch，這是免費的電子報，每季發行一次。
- 聯絡 IWMF 附屬組織：iwmf.com/international-affiliates/
- 聯絡 IWMF 合作夥伴：iwmf.com/partners/
- 與您的醫療團隊合作，聯絡 IWMF 醫師名錄上的醫師，尋求第二意見：
iwmf.com/directory-of-wm-physicians/

WM 雖是罕見疾病，但有 IWMF 與您同行，您不會孤單。



International Waldenstrom's
Macroglobulinemia Foundation

6144 Clark Center Avenue, Sarasota, FL 34238

電話：941-927-4963

國際電話：001-941-927-4963

iwmf.com