

# 监测您的非输血依赖性地中海贫血 (NTDT)

无论您是患有  $\alpha$ -地中海贫血还是  $\beta$ -地中海贫血，了解需要进行哪些检测都可以帮助您和您的医生预防和管理并发症。您务必与治疗团队合作，以便治疗团队根据您的地中海贫血类型和输血体验为您制定个性化的监测计划。通过这种合作，您可以时时掌握监测计划的最新变化。

以下指南显示出适用于 18 岁及以上非输血依赖性  $\alpha$ - 或  $\beta$ -地中海贫血患者的建议检测项目和检测频率。该时间表根据国际地中海贫血联合会 (TIF) 指南以及地中海贫血症首席专家们的意见制定。如果您每年仅到血液科医生处就诊一次，那么治疗团队的另一名成员可能会为您预约其中一些检测。

您可查看“日期”列，以便掌握进行检测的时间。您与医生讨论监测事宜时，可能会用到这些信息。还有一件事情也很重要，那就是您应该与治疗团队分享地中海贫血对您的生活质量有何影响。

此类监测指南由 Agios 组织地中海贫血症首席专家成立的一个指导委员会编写；这些专家在指南编写期间花费了很多时间，Agios 为此向专家们支付了报酬。这不属于医疗建议。如需寻求医疗建议，请向您的医生咨询。

## 每次就诊时的建议检测和检查项目

应审查病史（包括生活质量），并与上次就诊时相比较

体格检查

实验室检测

全血细胞计数\*（如果您正在使用一种名为去铁酮 [Ferriprox®] 的铁螯合剂，这项检测应每两周进行一次）

血清铁蛋白

肝肾功能（如果您正在接受铁螯合治疗，那么这项检测应每月进行一次）

## 针对所列并发症的建议监测时间表

	基线	日期	每年	每两年	日期
<b>骨髓外形成的红细胞（髓外造血）</b>					
脊柱增强 MRI C/T/L*	监测频率取决于贫血严重程度和具体症状，例如背部或上腹部疼痛、饱腹感，以及感觉到东西或活动身体部位的能力丧失或减退				
脾脏大小（体格检查/超声）					
<b>铁水平高（铁超负荷）</b>					
检测肝内铁浓度的肝脏 MRI†	●		●‡		
心脏扫描（心脏 T2* MRI§）	●				
<b>心功能</b>					
ECHO*，包括 TRV*			●		
动态心电图监测或等效方法	监测频率取决于您的具体健康状况				
<b>骨头无力脆弱（骨质疏松症*）以及骨病</b>					
骨密度（DEXA 扫描*）	●			●¶	
维生素 D	●		●		
<b>激素失衡（内分泌病*）</b>					
您的医生将会收集基线评估的结果，如有铁超负荷的证据，将每年进行检查 <sup>1</sup>					
<b>生殖激素水平低*（性腺功能减退症）</b>					
FSH*、LH*、睾酮和雌激素	●		●		
<b>甲状腺功能低下（甲状腺功能减退症）</b>					
游离甲状腺素 (FT4) 和 TSH*	●		●		
<b>甲状旁腺功能低下（甲状旁腺功能减退症）</b>					
PTH*、钙、磷酸盐、镁	●		●		
<b>糖尿病</b>					
空腹血糖或口服葡萄糖耐量试验	●		●		

\*如果您频繁输血或血清铁蛋白  $\geq 300$  ng/mL，医生可能会进行一次基线肝脏 MRI 检查。

†如果您正在接受螯合治疗，医生可能每年评估一次；如果您当前未接受螯合治疗，医生可能每两年评估一次。

‡如果肝内铁浓度  $\geq 10$  mg/g 干重，您的医生可能会进行心脏 MRI 检查。

§如果发现异常，您的医生可能每两年或每年进行一次这项检测。

¶这些检查项目可转诊至内分泌科医生处进行，或者单独进行。

### \*关键词和缩略语

**螯合治疗：**这种治疗是使用药物与血液中的铁结合，从而通过消化道或尿路将铁排出体外。**全血细胞计数：**这项检测可评估许多指标，从而更全面地了解您血液的健康状况，具体检测指标通常包括血红蛋白、红细胞压积和白细胞水平等。**内分泌病：**这种疾病是指腺体或器官不能产生适当数量的激素。**髓外造血：**这是指身体开始在骨髓以外的部位（例如在其他器官或脊柱内）生成红细胞。出现这种情况是因为地中海贫血症使体内红细胞数量减少，导致身体会尝试在其他部位生成红细胞，以弥补红细胞短缺。**激素：**这是一类化学物质，可通过血液流遍全身。激素可帮助调控生长发育、代谢（将食物转化为能量的过程）、情绪、性功能和生殖。激素是内分泌系统的一部分。**骨质疏松症：**这种疾病使骨头无力、脆弱，导致骨头更容易断裂。

**C/T/L = 颈/胸/腰；DEXA = 双能 X 线吸收测定法；ECHO = 超声心动图；FSH = 卵泡刺激素；LH = 促黄体生成素；MRI = 磁共振成像；PTH = 甲状旁腺激素；TRV = 三尖瓣反流射速；TSH = 促甲状腺激素。**

## 可能加入您的治疗团队的其他医生

转诊至心脏科医生处就诊	转诊至内分泌科医生处就诊	转诊至生殖内分泌科医生处就诊
<p>当 ECHO* 联合 TRV* 或 MRI* 扫描显示您的心脏可能有问题或者肺部血压高（也称为肺动脉高压）时。</p> <p>当心脏监测显示心跳不规则或心脏电系统存在其他问题时。</p>	<p>当血液检测结果显示：</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• 生殖、甲状腺或甲状旁腺激素水平低，或者糖尿病</li> <li>• DEXA 扫描* 的结果异常</li> </ul> <p>如果 DEXA 扫描结果异常，您也可以转诊至骨健康专科医生处就诊。</p>	<p>如果您正在考虑生育孩子，您可能希望更多了解有关自身生育力的情况，并想知道可能有哪些支持性选项。</p>

## 需要监测的其他并发症

并发症和/或状况	详细说明
<p><b>溶血危象</b></p> <p>当身体无法产生足够的红细胞来替代正受到破坏的红细胞时，会突然发生通常很严重的贫血。</p>	<p>如果您患有 <math>\alpha</math>-地中海贫血并出现感染伴发热，医生可能会向您详细解释发生溶血危象（一种医学急症）的风险。</p> <p>如果您出现疲劳、皮肤发黄或尿液颜色深的体征和症状，请告诉您的医生。</p>
<p><b>脾切除术前后</b></p> <p>脾切除术是一种切除脾脏的外科手术。</p>	<p>您将在脾切除术之前和/或之后接种疫苗。至于要接种哪些疫苗，请向您的医生咨询，医生会根据 CDC* 的建议，为您选择最适合的疫苗。</p> <p>您接受脾切除术后，请务必向医生咨询有关感染风险的情况，并了解万一发生医学急症该怎么办。人在脾脏切除后可能会出现血小板计数偏高，导致形成血栓。</p>
<p><b>血栓形成和血管事件</b></p> <p>血管内形成血栓，可能会中断或阻塞血液流动。</p>	<p>如果您出现以下体征和症状，请告诉医生：</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• DVT*：肿胀、疼痛、温热、触痛或腿部发红</li> <li>• PE*：呼吸短促、胸痛和咳嗽</li> </ul>
<p><b>肝纤维化、肝硬化和 HCC*</b></p> <p>长期肝损伤可导致形成可逆性（纤维化）或永久性（肝硬化）的瘢痕组织。HCC 是一类可能由肝硬化发展而来的肝癌。</p>	<p>如果您患有长期重度铁超负荷或肝炎，请向医生咨询有关测量基线 AFP* 和进行成像扫描（例如超声检查和 FibroScan*）的事情。</p>
<p><b>胆结石</b></p> <p>由于贫血和红细胞分解（溶血），胆管中会形成结石。这与体内胆固醇过多的情况不同。</p>	<p>如果您出现以下体征和症状，请告诉医生：</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• 胃右上侧或胃中部疼痛、恶心、呕吐，以及皮肤和眼睛更加发黄。您可能会接受旨在评估肝功能的血液检测，也可能会接受成像扫描。</li> </ul>
<p><b>HCV、HBV 和 HIV*</b></p> <p>HCV、HBV 和 HIV 可以通过输血传播，不过几率非常低。HCV 和 HBV 会损害肝脏，而 HIV 会削弱免疫系统。</p>	<p>如果您在过去 12 个月内接受过输血，请向医生咨询如何进行抗体和/或抗原检测，以评估血液中是否存在 HCV、HBV 和 HIV。</p> <p>如果检测结果呈阳性，您的医生需要进行一次 PCR* 检测，然后才能确认结果。</p>
<p><b>腿部溃疡</b></p> <p>小腿有不能正常愈合的开放性溃疡或伤口。</p>	<p>如果您出现以下体征和症状，请告诉医生：</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• 患腿疼痛或不适、肿胀和发红。</li> </ul> <p>每次就诊时，请让医生检查您有无腿部溃疡。</p>

## 与治疗团队分享地中海贫血症对您的影响

每次访视时，请务必告诉治疗团队您感觉如何，特别是您的症状、完成日常活动的能力和心理健康方面是否出现任何变化。



### 身体健康

感觉疲劳和/或疲倦  
感觉虚弱或筋疲力尽  
精力不足



### 功能健康

能够工作  
能够进行日常活动  
能够耐受运动  
(例如，上楼梯)



### 情绪健康

抑郁  
焦虑和/或压力

### \*关键术语和缩略语

**ECHO**: 超声心动图或“心回波图”是一种用来观察心脏结构的扫描检查。**DEXA**: 一种为检测身体特定部位的骨密度而进行的 X 线扫描。**FibroScan**: 一种用来测量肝脏僵硬程度（硬度）和肝内脂肪变化的特殊超声检查技术。

**AFP** = 甲胎蛋白；**CDC** = 美国疾病控制与预防中心；**DVT** = 深静脉血栓形成；**HBV** = 乙型肝炎；**HCC** = 肝细胞癌；**HCV** = 丙型肝炎；**HIV** = 人类免疫缺陷病毒；**MRI** = 磁共振成像；**PCR** = 聚合酶链反应；**PE** = 肺栓塞；**TRV** = 三尖瓣反流射速。



您可与一名 myAgios® 临床护士教育者 (CNE) 建立联系，CNE 可帮助您轻松阅读本监测指南，并为到医生处就诊做好准备。CNE 会与患者、家属和治疗团队密切合作，为您提供个性化支持<sup>†</sup>、教育资源和社群联络。致电 1-877-77-AGIOS (1-877-772-4467) 或访问 [RethinkThalassemia.com](https://www.RethinkThalassemia.com) 就可开始享受我们提供的服务！

<sup>†</sup>CNE 是 Agios Pharmaceuticals 的员工，不提供医疗建议。如需寻求医疗建议或有与治疗相关的问题，请咨询您的医疗保健团队。