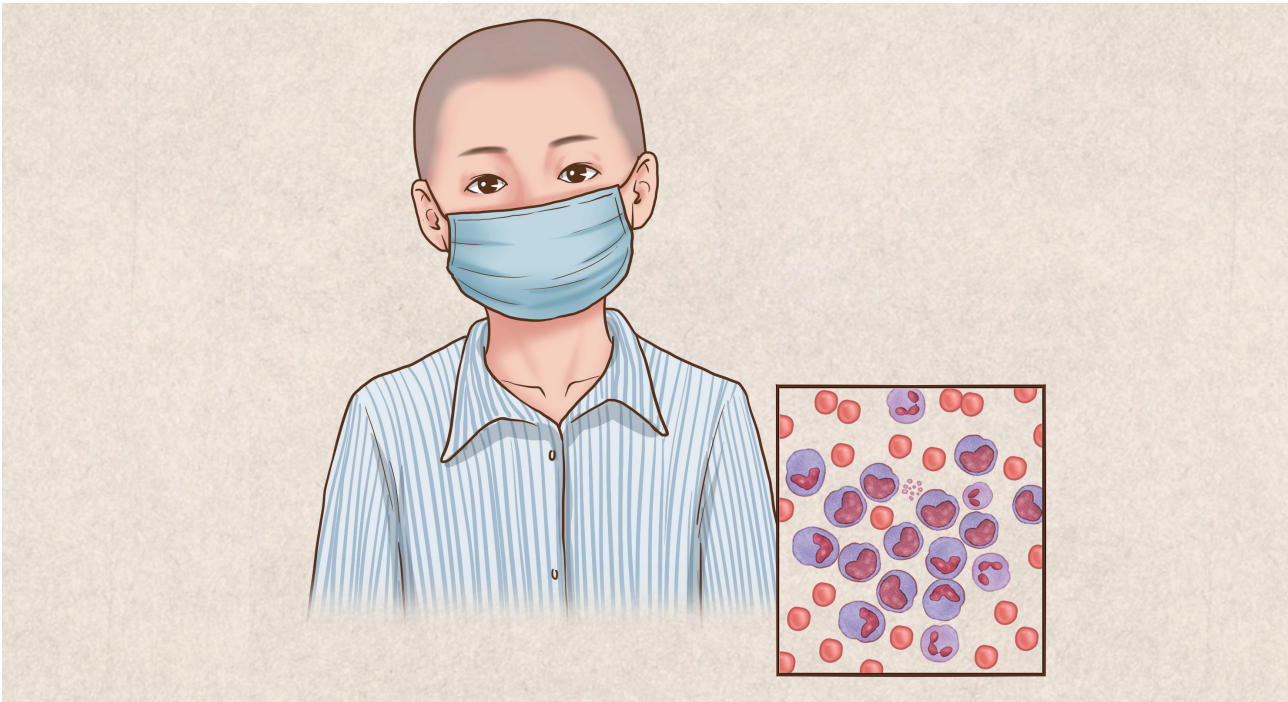


直面儿童白血病： 风险解析与现代医学的突破

文 / 首都医科大学附属北京儿童医院 李雁铭



曾经，儿童白血病被视作一种无法治愈的疾病。当这种病魔袭来时，许多家长都会陷入深深的无助与恐惧之中。但幸运的是，随着医学的持续进步，我们对儿童白血病的风险因素有了更深入的了解，也掌握了更有效的预防和治疗方法。如今，越来越多的小患者获得康复，特别是急性淋巴细胞白血病的长期生存率已经超过80%。接下来，我们就深入聊聊白血病的成因以及最新的治疗突破，希望这篇文章能为更多家庭带来信心和希望，助力患儿战胜病魔、健康成长。

一、揪心的疑问：孩子为什么会得病

1. 遗传因素：隐藏在基因中的风险

到目前为止，医学界还没有弄清楚儿童白血病的确切病因。不过，科学家已经发现了一些可能增加患病风

险的因素。研究表明，某些基因变异可能会提高特定白血病亚型的发病概率。这意味着，有些孩子从出生起，由于携带变异基因，就比其他孩子更容易患白血病。但这并不意味着携带这些基因的孩子一定会患病——只是他们的患病风险比普通人稍高一些而已。

圣犹达儿童研究医院的一项研究发现，GATA3基因的遗传变异会使儿童患一种特殊类型白血病（费城染色体样急性淋巴细胞白血病）的风险增加近四倍。即便如此，大多数携带这种高风险基因的孩子依然可以健康成长，并不会患白血病。也就是说，基因变异只是提升了孩子患病的可能性，并不意味着注定会得病。

2. 环境因素：外部暴露的影响

除了先天的基因因素，后天的环境因素在某些情况下也会增加儿童患白血病的风险。辐射暴露就是一

个较为明确的危险因素。1945年广岛和长崎原子弹爆炸后,有研究显示,受低剂量电离辐射影响的儿童患白血病的风险明显上升。

同样,接触某些化学物质也被怀疑会增加患白血病的风险。研究人员综合分析全球多项研究数据后发现,如果孩子在孕期或幼年时期经常在家中接触杀虫剂、除草剂等农药,日后患急性白血病的风险也会略微上升。但需要强调,这种风险增加的幅度非常小,而且大多数患白血病的孩子并没有经历过这些特定的环境暴露。所以,环境因素只是导致白血病的众多因素之一,没有哪个单一因素可以完全解释这种疾病。

3.特殊遗传综合征: 罕见但重要的高风险因素

还有一些罕见的遗传性疾病或综合征,会显著提高儿童患白血病的概率。唐氏综合征就是一个典型例子。这种遗传病是第21号染色体比正常多出一条导致的,患者从出生就带有特殊的遗传特征。早在几十年前,医生就注意到,唐氏综合征儿童患白血病的概率远远高于普通人。研究显示,唐氏综合征儿童患白血病的风险比普通儿童高出20倍,患病概率在2%~3%,而普通儿童患白血病的概率不到0.1%。也就是说,每50个唐氏综合征儿童中,可能就有1个在童年时期会患上白血病,而普通儿童中患白血病的比例要低得多。特别是某些白血病类型,比如急性巨核细胞白血病,在唐氏综合

征儿童中的发病率比正常儿童高出百倍。

另一种值得关注的疾病是李-弗美尼综合征。这是一种罕见的遗传病,由TP53抑癌基因的突变引起。这种综合征患者患多种癌症的风险都会大幅增加,其中就包括骨肉瘤、乳腺癌、脑肿瘤以及白血病。

对于这些遗传综合征患者来说,需将白血病相关指标作为健康监测的重点。不过,这类遗传综合征非常少见,在儿童白血病病例中占比极低。

二、生命的战场: 现代医学创造的奇迹

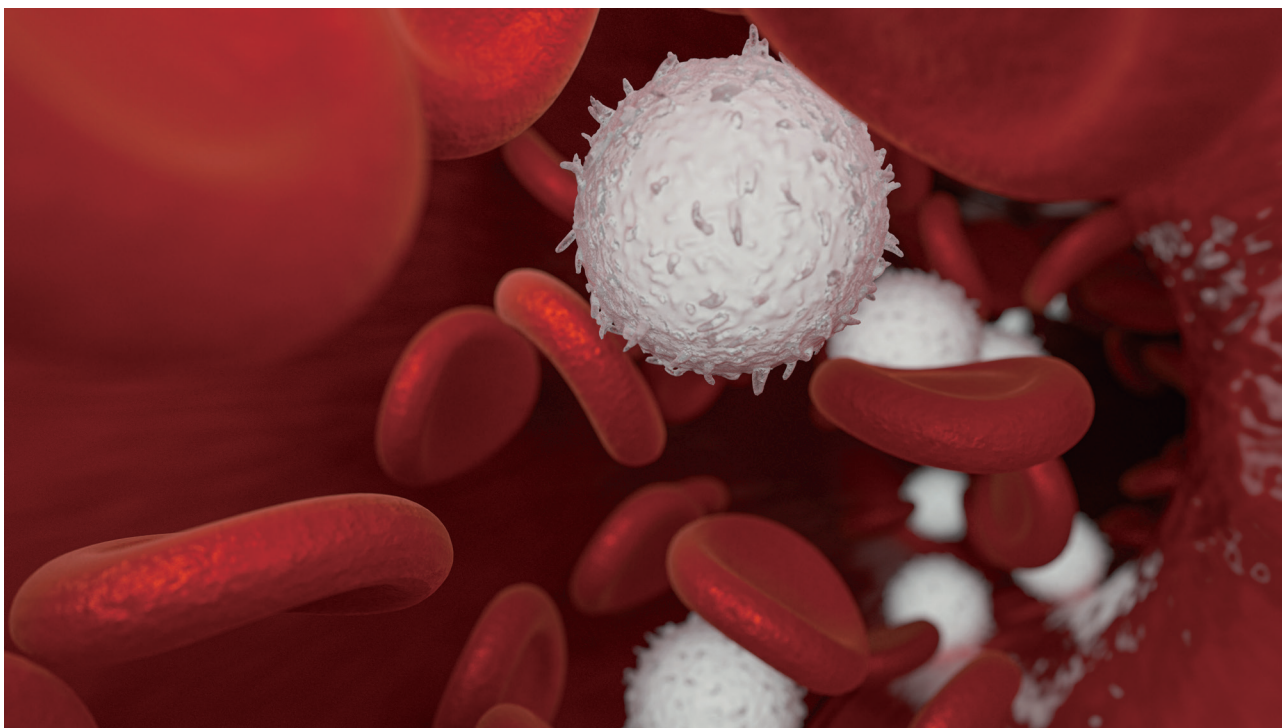
1.传统化疗的精准优化

化疗(化学疗法)一直是治疗儿童白血病的基石。近年来,医生通过对患儿进行精细的风险分层来优化化疗方案。对于低危的白血病患儿,可以适当降低化疗强度,这样能避免不必要的毒副作用;而高危患儿则需要加大治疗力度,尽可能提高治愈率。同时,医生还采用了更精准的微小残留病(MRD)监测技术,根据每位患儿治疗的反应,个性化地调整化疗剂量,以此降低发生不良反应的风险。

2.靶向治疗: 精准打击癌细胞

对于某些存在特定基因突变的儿童白血病,靶向治疗可以精准地攻击癌细胞。以费城染色体阳性的急性淋巴细胞白血病为例,酪氨酸激酶抑制剂类靶向药物能





够有效抑制癌细胞生长,使患儿的生存率大幅提高。针对急性髓系白血病(AML),FLT3抑制剂、BCL-2抑制剂等靶向药物在临床试验中表现出了良好的疗效,为罹患急性髓系白血病的儿童提供了更多的治疗选择。

3.免疫治疗:给免疫细胞装上“GPS”

近年来,免疫治疗成为儿童白血病治疗领域的一大突破。比如,CAR-T(嵌合抗原受体T细胞)疗法可以改造患儿自身的免疫细胞,让这些细胞能够精准识别并消灭癌细胞。这种个性化的治疗方法,在部分复发或难治性白血病儿童中取得了显著效果,即使是那些传统疗法无效的病例,经过CAR-T治疗后,也有相当比例的患者病情得到缓解。除了CAR-T疗法,一些新型的免疫药物(如贝林妥欧单抗)也在研究和应用过程中,为白血病治疗带来了更多的希望。

4.造血干细胞移植的进化

对于高危或复发的儿童白血病患者,造血干细胞移植仍然是关键的治疗手段。近年来,半相合移植技术取得了发展,让更多患者能够找到合适的供者,移植成功率显著提高。同时,新的免疫抑制策略,如移植后使用环磷酰胺等,能够降低移植物抗宿主病(GVHD)的风险,提高移植的安全性。

三、明天会更好:守护康复后的彩虹人生

1.精准医学的兴起

随着基因测序和人工智能技术的不断进步,医生能够更精准地分析患儿的白血病类型,从而选择最合适的治疗方案。全基因组测序正逐渐成为诊断和治疗选择的重要工具。

2.远期生存质量管理

康复仅仅是第一步,长期随访至关重要。家属需要关注心脏、内分泌、认知发育等方面的问题。同时,生育力保护、心理支持和健康管理也越来越受到重视。近年来,患儿的心理健康问题引起了广泛关注。一些孩子在康复后,可能会面临社交困难、学业压力或者焦虑抑郁等问题。因此,建立完善的幸存者支持系统,包括心理咨询、职业指导和康复训练等,对他们的全面发展至关重要。

总的来说,依靠医学领域的这些新突破,儿童白血病不再是过去让人谈之色变的绝症。了解白血病的风险因素,有助于我们做好预防和早期发现工作。同时,先进的治疗手段,正让越来越多的孩子走向康复。相信未来还会出现更多的突破,让每一个患病的孩子都能战胜白血病,健康快乐地成长。**药物与人**