

血友病中心建设标准(2024年版)

Standard for the establishment of hemophilia center (Version 2024)

中国血友病协作组

Hemophilia Treatment Center Collaborative Network of China

[中图分类号]R554+.1

[文献标识码]A

[文章编号]1009-6213(2024)01-0001-04

DOI: 10.3969/j.issn.1009-6213.2024.01.001

为了推动我国血友病中心建设,中国血友病协作组于2019年制订了我国各级血友病中心的建设标准^[1],旨在帮助血友病中心进行多学科职能建设,提高血友病管理水平。在此基础上,我们将上述标准细化为具体评估细则,以便有关医院对照该细则进行自我评估和能力建设。2020年,中国血友病协作组联合中国罕见病联盟联合发起我国血友病中心能力建设项目,对于自愿提出申请的医院进行现场检查和能力评估。截至2023年12月底,共334家医院向国家血友病病例信息管理中心提交数据,187家自我评估达标后提交申请,158家医院通过数据审核,116家医院通过现场检查并获得授牌,其中综合管理中心7家、诊疗中心36家、治疗中心73家。

为了进一步提高我国血友病防治水平,我们近期制订并更新了血友病诊疗相关指南^[2-7]。在此基础上,参照2023年发表的加拿大和欧洲血友病相关组织的文件^[8-9],我们对此前的血友病中心建设标准进行更新,希望在新的起点上进一步提高各级血友病中心能力建设。

1 血友病中心分级及其职能

根据血友病中心的多学科管理职能分为三级(该建议的血友病中心职能为各级血友病中心必备要求):

1.1 血友病治疗中心:

1.1.1 为当地接受预防治疗的患者和急性出血患者提供安全有效的血友病治疗药物及注射治疗。

安全有效的治疗药物指必备的凝血因子浓缩制剂(血浆源性凝血因子或基因重组凝血因子)及其他辅助止血药物。

1.1.2 参与国家及地区的血友病登记项目;记录、保存数据(患者登记信息、医疗文件和数据管理)。常年随访的血友病患者至少20例,向国家血友病病例信息管理中心录入的有效病例数不低于20例。随访内容需要更新,每年至少1次。

1.1.3 为血友病患者/看护者进行血友病相关疾病的知识宣教,鼓励及指导患者/看护者开展家庭治疗及康复锻炼。

1.1.4 接受血友病诊疗中心或血友病综合管理中心提供的多学科支持;及时将本中心无法处理的血友病患者转诊至血友病诊疗中心或血友病综合管理中心进行诊治。

1.2 血友病诊疗中心:

除了血友病治疗中心必须具备的职能以外,需具备以下职能(或与其他医疗机构和/或指定的血友病综合管理中心进行合作达到要求):

1.2.1 可明确诊断血友病及评估血友病/治疗相关的并发症

1.2.1.1 出凝血实验室检查包括活化部分凝血活酶时间(APTT)、凝血酶原时间(PT)、凝血酶时间(TT)、纤维蛋白原活性(Fg)、凝血因子Ⅷ和凝血因子Ⅸ活性水平(FⅧ:C及FIX:C)测定、vWF抗原(vWF:Ag)、抑制物测定(APTT混合纠正试验及抑制物定量试验)。

1.2.1.2 对肌肉关节进行多方位评估,包括:

基金项目:中国医学科学院医学与健康科技创新工程创新项目(2021-I2M-1-003)

*通讯作者:杨仁池,中国医学科学院血液病医院(中国医学科学院血液学研究所),实验血液学国家重点实验室,国家血液系统疾病临床医学研究中心,天津300020,Email:rcyang65@163.com

体格检查: HJHS 评分及 Gilbert 评分等。影像学评估检查: 包括 X 线、超声波检查和/或 MRI 检查。

1.2.2 为血友病患者制定常规凝血因子替代治疗方案和随访方案: 包括但不限于预防治疗方案、按需治疗方案及定期生活质量评估。长期随访的血友病患者至少 50 例, 向国家血友病病例信息管理系统录入的有效病例不低于 100 例。随访内容需要更新, 每年至少 1 次。

1.2.3 与血友病综合管理中心合作, 为血友病及相关并发的治疗提供综合管理方案。

1.2.3.1 为合并抑制物的患者提供具体的预防、止血治疗及免疫耐受诱导治疗方案。

1.2.3.2 对出血及常见的肌肉、骨骼、关节并发症制定个体化的综合治疗方案, 选择适宜技术进行物理治疗与康复。

1.2.4 在紧急情况下可以为血友病患者提供必要的治疗, 可以由急诊室完成。血友病诊疗中心需提供 24 h 咨询及诊疗指导。

1.2.5 为血友病治疗中心提供咨询和支持; 并与血友病综合管理中心合作, 接受多学科支持(详见表 1)。

表 1 各级血友病中心多学科科室/专业人员配置

血友病治疗中心	血友病诊疗中心	血友病综合管理中心
血液科/儿科	血液科/儿科	血液科/儿科
护理	护理	护理
急诊科	急诊科	急诊科
药剂科	检验科	检验科
	康复理疗科	康复理疗科
	骨科/其他外科	骨科/其他外科
	影像科	影像科
	口腔科	口腔科
	传染病科	传染病科
	药剂科	药剂科
	输血科(血库)	输血科(血库)
		妇产科
		社会心理
		遗传咨询

1.3 血友病综合管理中心:

在血友病诊疗中心的职能基础上, 具备完整的血友病专业和多学科综合管理能力, 并作为三级转诊中心, 可处理复杂的血友病相关并发症; 能满足血友病患者及家庭的需求, 促进患者及家属身心及

社会健康; 为血友病诊疗中心和治疗中心提供培训和专业指导。

此外, 还需具备以下职能(可通过与其他医疗机构进行合作而达到要求):

1.3.1 由有经验的医务人员对血友病患者提供临床诊疗服务, 包括急诊服务(可由综合管理中心急诊科提供)。

1.3.2 实验室检查包括诊断血友病以及其他罕见遗传性出凝血疾病所需的各种检测项目, 包括特殊的凝血因子测定。此外, 能够监控治疗并对抑制物进行检测。

1.3.3 建立由血友病专科医生、护士、儿科、检验科等专业人员(详见表 1)组成的综合关怀团队, 对血友病患者进行综合管理。其中血友病专科/儿科医生及护士担负核心角色, 负责根据患者的实际需求召集及协调多学科团队共同合作。

1.3.4 按照国家相关政策做好并保证良好的质量控制, 确保与诊疗有关的所有实验室检测准确可靠。及时参加国家卫生健康委员会临床检验中心出凝血实验室检查的质控项目。

1.3.5 维护血友病患者的医疗记录; 必须记录所有采取的治疗以及出现的不良反应, 常年随访的血友病患者至少 200 例; 及时向国家血友病病例信息管理系统录入患者的诊疗信息, 录入的有效病例不低于 500 例。随访内容需要更新, 每年至少 1 次。

1.3.6 为患者及其家属提供疾病相关的教育, 独立或联合其他血友病中心为患者的家庭治疗计划提供建议并组织相关培训、宣教活动。

1.3.7 对所有手术(包括骨科和口腔科等)、输血相关并发症(如艾滋病和肝炎)、儿科保健、遗传和社会关怀以及其他咨询提供专业指导。

1.3.8 参加血友病诊疗指南的修订及血友病诊疗体系和技术准入规范的制定。

1.3.9 向其他医疗机构(包括尚未建立血友病中心的医疗机构)提供血友病咨询, 且支持相关医院的血友病治疗。

1.3.10 接收省级进修医生、护士和实验室技术人员, 帮助培养血友病专业的医护人员及实验室检测专业技术人员。

1.3.11 负责相关区域或全国的血友病继续教育培训。定期与对口的其他血友病中心进行远程会诊

及指导。开展血友病相关研究项目,参与国内及国际临床研究。积极与医保等机构沟通,为血友病患者争取政策支持,促进我国血友病综合关怀工作的发展。

综合管理中心还应定期回顾及分析相关数据。以计算机输入的方式记录并保存,由指定人员按照个人信息保护法和其他国家法规定期进行更新和维护。涉及的数据指标包括但不限于:出血表型、治疗类型、治疗方案、长期结果的评估(特别是骨骼肌肉功能的评估)、可能与治疗有关的并发症(抑制物、病毒感染等);死亡记录和死亡原因分析,外科手术登记。还应考虑遗传性出血性疾病对患者社会健康的影响,包括患者的生活质量及因出血而缺课或误工的天数。系统数据收集将方便审核,协助改善医疗服务资源分配;促进中心之间的数据共享和发布。

2 各级血友病中心多学科科室/专业人员配置

血友病治疗中心须配备具有血友病治疗经验的血液科或儿科医生和护士。血友病治疗中心所在医院应该设有急诊科,能够在节假日或夜间为出血的血友病患者提供凝血因子的紧急输注。

血友病诊疗中心和血友病综合管理中心可通过与其他医疗机构进行合作达到相应要求(详见表1)。血友病诊疗中心和综合管理核心科室及职责:

2.1 血液科/儿科:具有治疗出血性疾病的专业知识和临床经验。随时可提供适当的急诊治疗及/或电话指导。

2.2 护理:协调患者及家庭所需的护理工作;对患者及家属进行宣教;能够初步评估患者并提供适宜

的首要照护。

2.3 检验科的凝血检查及相关的“操作时间”。

血友病诊疗中心必须在工作日工作时间内为常见的遗传性出血性疾病患者提供诊断/鉴别诊断所需的实验室检查项目,为具有抑制物的患者提供针对性的检查。

血友病综合管理中心的出凝血项目实验室可以是中心内部也可以隶属于检验科,在一个“操作时间”(从标本采集到出报告的时间)内至少提供一组凝血检查结果。凝血检查清单如表2所示。有关出凝血检验项目必须参加国家卫生健康委员会临床检验中心的室间质评。

2.4 康复理疗科:为急性骨骼肌肉出血后及慢性血友病肌肉关节并发症的功能改善和恢复提供治疗,并指导患者自我锻炼。职责包括:

2.4.1 评估

- 急性出血的评估
- 定期骨骼肌肉关节结构及功能评估、日常生活活动及生活质量评估
- 围术期功能评估

2.4.2 治疗

- 采用各种康复治疗技术包括冷疗、神经肌肉电刺激、水疗、低频脉冲磁场治疗、低中频、超声波治疗、运动疗法及矫形支具等对出血后早期、慢性滑膜炎、慢性关节病变以及术后进行康复治疗,减缓疼痛,恢复功能。

2.4.3 培训

- 对患者及家庭成员进行骨骼肌肉并发症及治疗相关康复培训;
- 对患者进行日常基础的自我锻炼及出血后功能恢复训练的培训;

表2 血友病诊疗中心和血友病综合管理中心检验项目要求

检验项目	血友病诊疗中心		血友病综合管理中心	
	是否要求	从标本采集到出报告的时间	是否要求	从标本采集到出报告的时间
PT、APTT、TT、纤维蛋白原定量及混合纠正试验	是	4 h内/每周7 d	是	4 h内/每周7 d
FVIII:C、FIX:C、VWF抗原测定	是	48 h内/每周7 d	是	24 h内/每周7 d
抑制物测定	是	48 h内/每周7 d	是	24 h内/每周7 d
因子II、V、VII、X、XI、XII活性测定	是	48 h内/每周7 d	是	24 h内/每周7 d
血小板聚集实验	否	无	是	无
病毒学检测:HBV、HCV、HIV	是	无	是	无

•对多学科其他成员进行康复知识相关培训;

2.5 骨科:为骨骼肌肉急性出血或因慢性出血造成的并发症以及外伤后骨骼肌肉的损伤进行骨科处理。职责包括:

2.5.1 术前充分的评估,确定适宜的手术方案,由血液科医师协助制定围术期替代治疗方案,与患者及家属充分沟通;

2.5.2 正确的围术期处理

•术前:常规检查及抑制物检查、影像学检查、静脉置管、麻醉准备等;

•术中:凝血因子替代治疗(麻醉前开始)、监护措施;

•术后:凝血因子替代治疗、疼痛管理、早期康复、特殊处理、并发症的监测及处理,功能恢复及随访。

2.6 影像科:及早发现亚临床出血及关节病变,对治疗效果进行随访,以便调整患者的治疗剂量及治疗策略。

3 各级血友病中心如何合作

各级血友病中心需要有效联络。血友病治疗中心在为当地血友病患者提供日常治疗和紧急救治方面起关键作用。患者可能需要通过血友病诊疗中心和血友病综合管理中心,获得更全面的管理(如为抑制物患者进行手术)。建议以区域为单位,以血友病诊疗中心为核心,形成血友病管理医联体。血友病综合管理中心作为三级转诊中心,为血友病诊疗中心提供支持和指导。

4 对血友病综合管理中心人员的要求

4.1 中心负责人和/或主要骨干需接受过血友病的专门培训。

4.2 中心有血友病专职护士。

4.3 中心具有较完整的血友病防治多学科团队(详见表1)

4.4 中心有专人负责将初诊患者的信息录入全国的登记系统,并定期录入患者的治疗信息、药品使用信息及并发症/不良事件等。

(杨仁池执笔)

参与讨论与修订的专家(以专家所在单位的首字母排序,同一单位专家按照姓氏首字母排序):重庆医科大学附属第二医院(陈姝);河南省人民医院(雷平冲);南方医科大学南方医院(孙竞);山东省血液中心(房云海、张心声);上海交通大学医学院附属瑞金医院(王学锋);山西医科大学第二医院(杨林花);首都医科大学附属北京儿童医院(吴润晖);苏州大学附属第一医院(余自强);西安交通大学第一附属医院(张梅);中国科技大学附属第一医院(吴竞生、郑昌成);中国医学科学院北京协和医院(王书杰、陈丽霞、赵永强);中国医学科学院血液学研究所血液病医院(薛峰、杨仁池、张磊),中南大学湘雅医院(赵谢兰)。

参考文献

- [1] 中国血友病协作组.血友病中心建设标准探讨[J].临床血液学杂志,2019,32(3):182-185.
- [2] 中华医学会骨科学分会关节外科学组,中国血友病协作组.中国血友病骨科手术围术期管理指南[J].中华骨科杂志,2023,43(4):215-222.
- [3] 中华医学会血液学分会血栓与止血学组,中国血友病协作组.血友病治疗中国指南(2020年版)[J].中华血液学杂志,2020,41(4):265-271.
- [4] 中华医学会血液学分会血栓与止血学组,中国血友病协作组.血友病合并抑制物诊断与治疗中国指南(2023年版)[J].中华血液学杂志,2023,44(11):881-889.
- [5] 中华医学会骨科学分会关节外科学组,中国血友病协作组.中国血友病性骨关节病髌膝关节置换围术期管理指南[J].中华骨与关节外科杂志,2022,15(7):481-490.
- [6] 中国血友病协作组.血友病性关节病超声评估专家共识(2022年版)[J].中华医学超声杂志(电子版),2022,19(9):877-881.
- [7] 杨仁池.中国血友病管理指南(2021年版)[M].北京:中国协和医科大学出版社,2021.
- [8] Page D, Crymble S, Jardine L, et al. A national assessment of standards of care for inherited bleeding disorders in Canada[J]. Haemophilia, 2023, 29(6):1450-1455.
- [9] Boban A, Baghaei F, Karin F, et al. Accreditation model of European Haemophilia Centres in the era of novel treatments and gene therapy[J]. Haemophilia, 2023, 29(6):1442-1449.

(收稿日期:2023-01-04)

(本文编辑:钱婷婷;本文审校:叶絮)