

第 1 章

概 述

儿童急性白血病是起源于骨髓造血干细胞异常增生而引起的血细胞恶性肿瘤性疾病（俗称血癌），是儿童恶性肿瘤中发病率最高的一种，也是儿童时期死亡的主要原因之一。其过去被认为是不治之症，目前已成为绝大多数病例仅通过单用药物（化疗）便可完全治愈的肿瘤疾病。

人们对白血病的认识已有 100 多年的历史。历史上人类对白血病最早的认识是在 1827 年，法国医师维尔波（Velpeau）描述了一位 63 岁的花匠，临床表现为腹胀、发热、乏力，住院不久即死亡的患者，后经尸检发现肝脾有明显肿大，黏稠的血液上有白色脓样的白膜。1845 年，德国的鲁道夫·菲尔绍（Rudolf Virchow）等对死于白血病的患者进行病理解剖，但当时他们并未认识到患者是死于白血病，而认为是血液中的脓样物质所致；1846 年，菲尔绍（Virchow）与富勒（Fuller）才正式以白血病的病名报告了白血病患者。1877 年德国医师埃利希（Ehlich）对白细胞进行分类，并于 1889 年提出了急性白血病的概念；以后才有了各种血细胞白血病的发现。我国最早关于白血病的报道是 1937 年由北京协和医院邓家栋教授报告的。邓教授是我国血液界的鼻祖，最早由他主编的《临床血液学》是我国血液界的权威专著，一直再版至今。

自 1948 年法伯（Farber）首次使用氨甲蝶呤（MTX）治疗白血病以来，人类对白血病化疗的认识只有 70 多年的历史。

氨甲蝶呤自治疗一例儿童急性白血病并取得良好疗效后，人类才认识到，可以用化疗的方法治疗白血病。但在此后相当长的时期内，对此病的治疗探索进展并不大。我国对于儿童急性白血病的化疗进行了长期的临床研究，直至 20 世纪 70 年代，从北京儿童医院胡亚美院士开始，儿童急性白血病化疗取得了 5 年无事件生存率（EFS）74% 的好成绩。近 20 多年来，在我国政府的大力扶持下，随着科学技术的快速发展、对此病认识的不断提高，我国广大医疗工作者得以普遍开展白血病的化疗研究。在美国圣裘德（St. Jude）儿童研究医院肿瘤科主任裴正康（Ching-on-Pui，中国工程院外籍院士）及中国香港中文大学威尔士亲王医院儿科主任李志光两位教授的支持与建议下，我国儿童急性白血病的诊治水平不断提高，化疗方案不断改进，使得儿童急性白血病尤其是急性淋巴细胞白血病（acute lymphoblastic leukemia, ALL）的 5 年生存率（临床治愈）已接近或达到国际先进水平。不像早年只求得缓解，现在已发展到要求治愈，特别是儿童急性白血病，很可能成为单用化疗就可完全治愈的第一个恶性肿瘤。绝大多数儿童 ALL 患者，经过 2~3 年的系统治疗后便可像正常人一样学习、工作、结婚、生子。20 世纪 80 年代后期，在急性早幼粒细胞白血病（acute promyelocytic

leukemia, APL) 的治疗上, 上海第二医科大学附属瑞金医院王振义院士领导的研究小组, 用全反式维甲酸 (all-trans-retinoic acid, ATRA) 诱导分化治疗 APL 及导致白血病细胞走向分化和凋亡的三氧化二砷 (arsenic trioxide, ATO) 治疗, 取得了举世公认的成绩。另外, 笔者首创使用超大剂量阿糖胞苷冲击治疗 (剔除易治 APL 外) 儿童急性髓性白血病 (acute myeloid leukemia, AML), 取得了单用化疗 5 年无事件生存率达 80%, 达到国际上单用化疗 AML 的最高水平。

(吴梓梁)

参考文献

WU Z, WU Z, ZOU Y, et al. A clinical report on high-dose cytarabine therapy for children with acute myeloid leukemia[J]. Mol Clin Oncol, 2022, 17(5): 156.