

· 标准 · 方案 · 指南 ·

儿童血小板增多症诊断与治疗专家共识 (2026)

中华医学会儿科学分会血液学组

中国医师协会儿科医师分会血液学组

中华儿科杂志编辑委员会

通信作者:方拥军,南京医科大学附属儿童医院血液科,南京 210008, Email:fyj322@189.cn;吴润晖,国家儿童医学中心 首都医科大学附属北京儿童医院血液病科,北京 100045, Email:runhuiwu@hotmail.com

【摘要】 血小板增多症在儿科较为常见,根据病因可分为反应性、家族性和克隆性3类,甄别尤为重要,但目前仍缺乏切实可行的诊疗策略,制约了该病的精准诊疗。原发性血小板增多症(ET)是克隆性血小板增多症的罕见亚型,在儿科较为罕见,但随着诊疗技术的进步,其诊断率正不断提高。中华医学会儿科学分会血液学组、中国医师协会儿科医师分会血液学组和中华儿科杂志编辑委员会组织全国儿童血液、药学专家,围绕儿童血小板增多症的诊断流程及儿童ET诊疗中的临床问题,共同制订了“儿童血小板增多症诊断与治疗专家共识(2026)”,旨在为规范儿童血小板增多症的诊断与治疗提供临床参考。

基金项目:高水平医院科技创新支撑计划临床研究类重点项目(KJCXZ2024001)

实践指南注册:国际实践指南注册与透明化平台(PREPARE-2025CN2014)

Expert consensus on diagnosis and treatment of pediatric thrombocytosis (2026)

The Subspecialty Group of Hematology, the Society of Pediatrics, Chinese Medical Association; the Subspecialty Group of Hematology, the Society of Pediatrics, Chinese Medical Doctor Association; the Editorial Board, Chinese Journal of Pediatrics

Corresponding author: Fang Yongjun, Department of Hematology, Children's Hospital of Nanjing Medical University, Nanjing 210008, China, Email: fyj322@189.cn; Wu Runhui, Department of Hematology, Beijing Children's Hospital, Capital Medical University, National Center for Children's Health, Beijing 100045, China, Email: runhuiwu@hotmail.com

血小板增多症在儿科较常见,根据病因分为反应性、家族性和克隆性3类。儿童以反应性血小板增多症(reactive thrombocytosis, RT)最常见,多由感染、贫血、外伤或手术等诱发;家族性血小板增多症(familial thrombocytosis, FT)及血液肿瘤性疾病导致的克隆性血小板增多症相对少见。原发性血小

板增多症(essential thrombocythemia, ET)是克隆性血小板增多症的罕见亚型,属于费城染色体阴性的骨髓增殖性肿瘤(myeloproliferative neoplasms, MPN)。0~20岁人群ET年发病率仅为0.6/10万^[1],其特征为骨髓巨核细胞克隆性异常增生,导致外周血血小板计数(platelet count, PLT)持续显著升

DOI: 10.3760/cma.j.cn112140-20260130-00097

收稿日期 2026-01-30 本文编辑 孙艺倩

引用本文:中华医学会儿科学分会血液学组,中国医师协会儿科医师分会血液学组,中华儿科杂志编辑委员会. 儿童血小板增多症诊断与治疗专家共识(2026)[J]. 中华儿科杂志, 2026, 64(5): 479-489. DOI: 10.3760/cma.j.cn112140-20260130-00097.



中华医学会儿科学分会
Chinese Medical Association Publishing House

版权所有 违者必究



高^[2-3]。RT、FT 和其他克隆性血小板增多症统称为继发性血小板增多症,其治疗主要针对原发病,原发病控制后 PLT 多恢复正常^[4-6]。ET 作为独立疾病,具有特异的发病机制及诊疗策略。由于儿童 ET 罕见,其诊断、危险分层、预后评估和治疗尚缺乏统一规范。为此,中华医学会儿科学分会血液学组、中国医师协会儿科医师分会血液学组和中华儿科杂志编辑委员会组织全国儿童血液、药学专家成立工作组,制订了“儿童血小板增多症诊断与治疗专家共识(2026)”(简称本共识),围绕儿童血小板增多症的诊断流程及儿童 ET 规范化管理提出推荐意见,旨在为临床实践提供指导。

一、共识制订过程

1. 共识制订原则:遵循“中国制订/修订临床诊疗指南的指导原则(2022 版)”和《世界卫生组织指南制订手册》的制订流程及方法学标准^[7-8]。

2. 共识制订工作组:2025 年 12 月,由中华医学会儿科分会血液学组、中国医师协会儿科分会血液学组和中华儿科杂志编辑委员会发起,邀请儿童血液专业、儿童药学专业、儿童血管外科领域 43 名专家组建共识专家组。全体成员均填写利益冲突声明表。

3. 使用及目标人群:本共识适用于从事临床工作的儿科、儿童血液专科医生及基层临床医生。目标人群为血小板增多症患者(28 日龄至 18 岁)。

4. 证据的检索及意见形成过程:检索 PubMed、万方数据库和中国知网的中、英文相关文献,检索时间为建库至 2025 年 10 月,检索词为“thrombocythemia”“essential thrombocythemia”“thrombocytosis”“pediatric”“children”“treatment”“guideline”“consensus”“meta-analysis”“review”“recommendation”及“血小板增多症”“原发性血小板增多症”“继发性血小板增多”“儿童”“指南”“共识”“Meta 分析”和“综述”。经过评估,根据发表时间、发表期刊的质量及内容的相关度,最终纳入 72 篇文献。

5. 推荐意见的形成:专家组通过多轮线上及线下会议讨论,对共识草案的框架、内容和推荐意见进行逐条讨论与修订,最终达成共识,形成 16 条推荐意见。

6. 共识的撰写与外审:撰写共识初稿后邀请成人血小板增多症专业领域专家进行评审,根据反馈意见修改完善,经工作组全体成员讨论后形成定稿。

7. 共识的推广与更新:共识发表后将通过期刊、学术会议及网络平台推广,计划 3~5 年结合临床实践和研究进展更新修订。

二、定义与分型

推荐意见 1:建议儿童血小板增多症的标准根据年龄分层,即<2 岁婴幼儿 PLT>600×10⁹/L;≥2 岁的患儿 PLT>450×10⁹/L。发现血小板增多后,应在 7 d 内间隔 1 d 以上至少 2 次血常规检测,持续观察至少 4 周,PLT 仍超过相应年龄上限,以排除暂时性血小板增多。

儿童 PLT 值正常上限尚无统一标准,随年龄变化而不同^[9-12],专家组参考我国儿童血细胞分析参考区间现行行业标准、意大利小儿血液肿瘤学协会(Italian Association for Pediatric Hematology Oncology, AIEOP)指南及相关综述形成该推荐意见^[11-15]。诊断时应排除假性及暂时性血小板增多,如肿瘤细胞碎片或细菌误判、血液浓缩等因素。鉴于儿童血小板增多多为反应性且具有自限性,首次发现 PLT 升高时,应在 7 d 内间隔 1 d 以上至少 2 次血常规检测,并持续观察至少 4 周无自限趋势,方可诊断。

推荐意见 2:建议血小板增多症患者依据 PLT 数值、临床表现及 JAK2 基因 V617F 变异进行危险度分层:(1)低危:PLT<700×10⁹/L,不伴血栓或出血表现且无 JAK2 基因 V617F 变异;(2)中危:PLT(700~1 500)×10⁹/L,不伴血栓或出血表现且无 JAK2 基因 V617F 变异;(3)高危:PLT>1 500×10⁹/L,不伴血栓或出血表现且无 JAK2 基因 V617F 变异;或 PLT<1 500×10⁹/L,伴血栓或出血表现且无 JAK2 基因 V617F 变异;或 PLT<1 500×10⁹/L,不伴血栓或出血表现但有 JAK2 基因 V617F 变异;(4)极高危:PLT<1 500×10⁹/L,伴血栓或出血表现且有 JAK2 基因 V617F 变异;PLT>1 500×10⁹/L 伴临床血栓或出血表现和(或)有 JAK2 基因 V617F 变异。

目前儿童血小板增多症相关大样本研究较少。由于 ET 患儿血栓事件发生率极低,且不携带经典驱动基因(即 JAK2-V617F、CALR、MPL 基因)变异的“三阴性”(简称三阴性)患儿比例较高,基于成人修订版国际血栓预测模型的分层治疗模式不宜直接用于儿童^[16]。参考 AIEOP 指南、成人修订版国际血栓预测模型及国际共识^[15-16],并结合儿童临床特点,本共识提出上述临床危险度分层建议。

三、鉴别诊断与诊断流程

儿童血小板增多症病因与成人不同,主要分为



RT、FT和克隆性血小板增多症(包括血液系统骨髓增殖或增生异常性肿瘤)3类。ET是克隆性血小板增多症的特殊类型,其发病与JAK2-V617F、CALR、MPL等经典驱动基因变异或其他因素导致JAK-STAT信号通路的过度激活有关,最终导致骨髓巨核细胞克隆性增生和血小板增多。儿童ET具有以下特殊性:(1)“三阴性”比例较成人明显更高。研究表明50%~75%的ET患儿未发现经典驱动基因变异^[1, 17];我国一项大型队列研究显示^[18],仅31.2%的儿童ET患者具有典型驱动基因变异,且JAK2-V617F和CALR基因变异阳性率也明显低于成人患者。(2)驱动基因变异的发生率随年龄增加而升高,提示获得性克隆变异可能参与儿童ET的疾病演化,必须动态监测ET患儿驱动基因。此外,成人ET中92.4%可检出驱动和(或)非驱动变异(如TET2、ASXL1、DNMT3A基因等)^[18],而儿童中此比例仅为65.6%,提示儿童ET的发病机制更复杂。

因此,在缺乏基因变异证据时,儿童ET诊断难度较大,需充分排除FT、RT及其他继发性克隆性血小板增多症^[19],诊断流程见图1。

推荐意见3:建议血小板增多症患儿首先筛查RT,对感染、贫血、外伤或手术、肿瘤、免疫性疾病及药物等常见诱因进行逐一排查。RT的处理以原发病干预为主,原发病控制后PLT多可恢复,PLT显著升高者可酌情给予降细胞治疗。

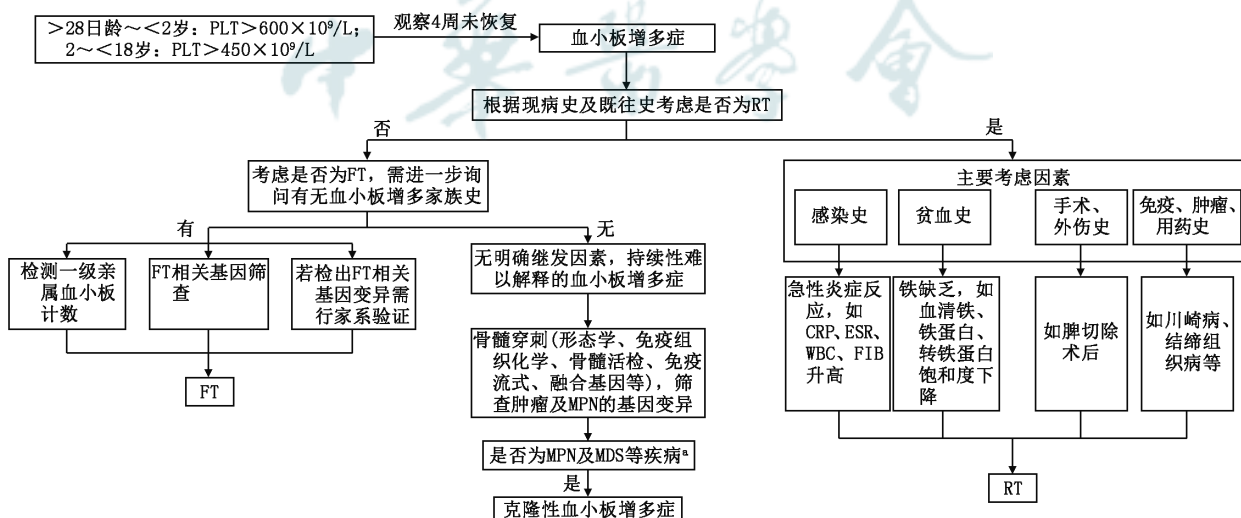
RT是儿童血小板增多症最常见类型,诊断时

应逐一排查诱因(表1)。RT多由外源性刺激所致,如急性或慢性炎症反应诱导白细胞介素6大量生成,促进血小板生成素分泌,刺激巨核细胞生成^[20]。感染是儿童RT最常见原因^[5-6]。儿童营养性贫血高发,缺铁性贫血时促红细胞生成素升高可刺激共同祖细胞增殖,导致血小板增多^[21]。过敏反应及某些药物等亦可导致血小板增多^[22]。脾切除术后因血小板分布异常,可出现一过性血小板增多,恢复通常需至少6个月,部分患儿可持续数年甚至终身^[23-24]。因此,诊断时应详细询问现病史、既往史及服药史等,以排查RT病因。

一旦诊断RT,治疗应积极控制原发病,多数患儿无需特异性抗血小板治疗,原发病控制后血小板多可恢复正常。对 $PLT > 1\,000 \times 10^9/L$ 且伴血栓或出血等明显症状,或存在既往血栓史等高危因素者,可酌情给予个体化抗血小板和降细胞药物治疗^[13, 25]。

推荐意见4:建议血小板增多症患儿甄别FT,询问有无血小板增多和(或)血液系统恶性肿瘤家族史;建议患儿一级亲属行外周血PLT检测,并根据需要进行FT相关基因筛查。FT通常无需治疗,建议长期观察随访。

排查FT时,需重点关注血小板增多症及血液系统恶性肿瘤疾病家族史,可结合其一级亲属(如父母、兄弟姐妹)PLT检测,必要时完成FT相关基因筛查综合判断。若检出相关基因变异,需行家系验证。



注: PLT为血小板计数; RT为反应性血小板增多症; FT为家族性血小板增多症; MPN为骨髓增殖性肿瘤; MDS为骨髓增生异常综合征; CRP为C反应蛋白; ESR为红细胞沉降率; WBC为白细胞计数; FIB为纤维蛋白原; ^a包括慢性髓系白血病、慢性粒单核细胞白血病、真性红细胞增多症、原发性骨髓纤维化、MDS或MPN伴SF3B1基因变异和血小板增多、MDS伴低原始细胞和孤立5q-等

图1 血小板增多症诊断流程图



表 1 RT 常见病因及相关辅助检查^[3, 15]

病因	常见疾病或表现	辅助检查
感染与炎症	急性或慢性感染(细菌、真菌、病毒等);自身免疫性疾病(川崎病、幼年特发性关节炎、血管炎、炎性肠病等);组织损伤(手术后、创伤等)	(1)炎症指标:C反应蛋白、红细胞沉降率、降钙素原;(2)感染筛查:血常规(注意白细胞及分类)、血培养等病原学检查;(3)自身免疫抗体:抗核抗体谱、抗中性粒细胞胞质抗体、类风湿因子等;(4)影像学检查:根据疑似感染或炎症部位选择(如胸X线片、腹部超声、冠状动脉超声、关节磁共振成像等)
缺铁性贫血	摄入不足或吸收障碍;慢性失血(月经过多、消化道溃疡、痔疮等)	(1)铁代谢指标:血清铁蛋白、血清铁、总铁结合力、转铁蛋白饱和度;(2)血常规与形态:平均红细胞体积、平均红细胞血红蛋白含量;外周血涂片;(3)寻找失血源:如粪潜血试验、必要时胃镜检查
溶血性贫血	自身免疫性溶血性贫血;遗传性溶血性疾病(如遗传性球形红细胞增多症)	(1)溶血指标:血红蛋白、网织红细胞计数、间接胆红素、乳酸脱氢酶、结合珠蛋白;(2)直接和间接抗人球蛋白试验;(3)红细胞形态、红细胞渗透脆性试验、血红蛋白电泳、基因检测等
脾切除术后或无脾状态	脾切除术后(创伤、遗传性球形红细胞增多症、地中海贫血等);功能性无脾	(1)确认病史、手术史;(2)外周血涂片有无豪-乔小体、有核红细胞等;(3)影像学:腹部超声或CT确认脾脏缺失或萎缩
恶性肿瘤	实体瘤(肺癌、胃癌、结直肠癌、卵巢癌等);淋巴瘤	(1)肿瘤标志物:CEA、CA125等;(2)影像学筛查:全身CT、PET-CT等;(3)组织活检:确诊的金标准
药物与生理反应	药物(类固醇激素、长春新碱、咪康唑、抗生素如亚胺培南);剧烈运动;应激反应;化疗后恢复期	(1)详细用药史询问;(2)停药观察:部分药物所致血小板增多在停药后可恢复;(3)排除剧烈运动、月经期等其他病理性原因

注:RT为反应性血小板增多症;CEA为癌胚抗原;CA125为糖类抗原125;PET为正电子发射计算机断层显像

FT主要与THPO、MPL、JAK2等基因胚系变异相关。THPO基因相关变异多位于5'-端非翻译区上游开放阅读框^[26],可促进血小板生成素生成^[27-30];MPL和JAK2胚系变异,如MPL-P106L、MPL-S505N、MPL-W515R、MPL-K39N、JAK2-V617I、JAK2-T875N、JAK2-R867Q和JAK2-R938Q等亦可通过持续激活信号通路导致血小板增多^[31-39]。

已报道仅约20%的FT患儿可检出明确相关基因变异^[15],因此,对于有家族史、血小板持续增多但未检出典型驱动基因变异者,建议进一步行全外显子测序或更全面的遗传学检测,以协助诊断及预后评估。FT通常属于良性病变,多数患儿无需治疗,应长期监测PLT变化及相关临床表现,必要时进行治疗。

推荐意见 5:建议血小板增多症患儿排查继发性克隆性血小板增多症,建议完成骨髓涂片检测或对>1岁患儿完善骨髓活检病理检查以排除MPN或骨髓增生异常综合征(myelodysplastic syndromes, MDS)等骨髓克隆性疾病。若诊断为继发性克隆性血小板增多症,建议以治疗原发病为主,并酌情给予降细胞治疗并处理血栓、出血等并发症。

多种MPN和MDS可导致血小板增多,如费城染色体阳性的慢性髓性白血病(chronic myelogenous leukemia, CML)、费城染色体阴性的真性红细胞增多症(polycythemia vera, PV)、原发性骨髓纤维化(primary myelofibrosis, PMF)、MDS、MPN

伴SF3B1基因变异和血小板增多、MDS伴低原始细胞和孤立5q-等。诊断需结合骨髓形态、免疫组织化学、免疫分型及BCR::ABL融合基因等检测综合判断。骨髓活检对于鉴别“三阴性”ET或继发性克隆性血小板增多尤为重要,并建议进一步完成ASXL1、TET2、EZH2等髓系基因检测,以明确疾病亚型。

推荐意见 6:建议排除上述继发性血小板增多症因素后,根据以下标准诊断ET(符合4条主要标准或前3条主要标准和次要标准)。主要标准:(1)PLT达血小板增多症标准(参见推荐意见2);(2)骨髓病理示巨核细胞高度增生,胞体大、核分叶过多的成熟巨核细胞数量增多,粒系及红系无显著增生或左移,无显性纤维化(网状纤维0~1级);(3)不能满足BCR::ABL融合基因阳性CML、PV、PMF、MDS和其他髓系肿瘤的诊断标准;(4)存在JAK2、CALR或MPL基因变异。次要标准:存在其他克隆性证据或排除RT。

本诊断标准采用2022年世界卫生组织(World Health Organization, WHO)ET诊断标准^[40],结合本共识的年龄分层标准。<1岁患儿因不能完成骨髓活检,必须结合基因检测进行诊断。需满足主要标准的(1)、(3)、(4)条及次要标准,方可诊断ET,并建议随访至1岁后完善骨髓活检辅助诊断。

推荐意见 7:建议诊断ET的患儿排查血栓并发症(静脉血栓、动脉血栓和微血管病等)。



ET 患儿血栓栓塞发生率为 0~3.4%^[1, 15, 17], JAK2-V617F 基因变异患儿发生微血管病及血栓事件的比例更高^[17, 41]。微血管病主要包括冠状动脉微血管功能障碍、脑微血管疾病和慢性肾脏疾病等^[42]。多数患儿无症状,少数可表现出微循环障碍症状,如头痛、复发性胸痛、视觉障碍或红斑肢痛症等。对疑似血栓者,需完成凝血功能和相关影像学检查,如超声心动图、头颅磁共振成像、血管造影及超声等,并根据实际病情开展进一步评估。血栓是影响 ET 患儿预后的高危因素,应尽早识别并干预,以改善预后。

推荐意见 8: 建议 PLT>1 000×10⁹/L 的 ET 患儿进一步排查获得性血管性血友病综合征(acquired von Willebrand syndrome, aVWS)并发症,检测血管性血友病因子(von willebrand factor, VWF)活性及抗原;对确诊患儿谨慎应用抗血小板治疗。

ET 患儿血小板不仅数量增多,且处于过度激活状态,可高表达血小板糖蛋白 I b (glycoprotein I b, GP I b)样受体并大量吸附 VWF,导致血浆 VWF 消耗性减少,从而导致 aVWS 及出血表现^[43]。ET 患儿诊断时合并出血发生率约为 1%,确诊后随访期合并出血发生率约为 5%^[43-45]。当 PLT>1 000×10⁹/L, aVWS 发生率明显升高^[46]。因此,对 PLT>1 000×10⁹/L 或合并不明原因出血的 ET 患儿,建议检测 VWF 活性及 VWF 抗原(VWF: Ag),有条件者可行 VWF 多聚体分析,以明确是否存在 aVWS 并鉴别遗传性血管性血友病^[47]。

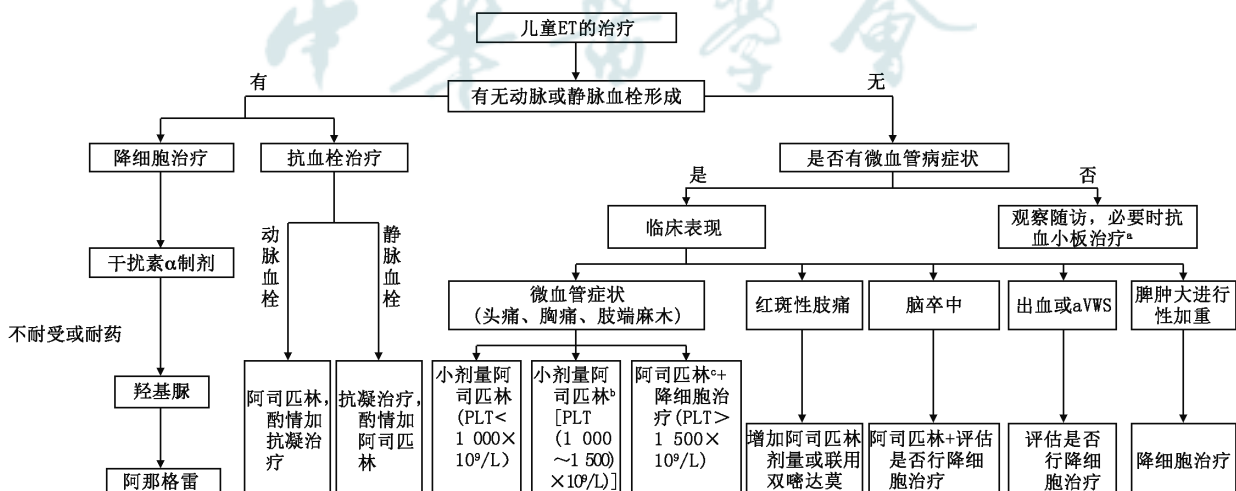
四、ET 的治疗管理策略

ET 患儿管理以预防血栓、出血等严重并发症及缓解症状(如头痛、肢端麻木等)为目标,应结合基础疾病、临床表现、并发症风险及其他风险因素(如 JAK2 基因变异、持续性白细胞增多、aVWS 等)制订个体化方案(图 2),避免过度干预。

目前儿童 ET 相关研究有限,其管理主要依据专家临床经验^[4, 14, 48]。成人 ET 治疗以预防血栓栓塞为核心,通常基于成人修订版国际血栓预测模型^[16, 49-50],但儿童中血栓事件罕见^[50],驱动基因谱亦与成人不同,因此成人管理策略在儿童中存在局限。ET 患儿血栓及出血发生率分别为 0~3.4% 和 0~4.8%^[1, 15, 17],明显低于成人。2015 年 AIEOP 指南及儿童相关文献建议,儿童 ET 治疗应遵循“避免不必要药物治疗”原则:对无症状患儿推荐随诊观察,但需要严格定期血液学与临床监测^[15, 51]。

ET 患儿长期用药还应综合评估其对生长发育、成年后生育能力及疾病转化风险的潜在影响。尽管血栓后果严重,但抗血小板或降细胞治疗对预防血栓的疗效尚未明确^[51]。MPN 美国国立综合癌症网络肿瘤学临床实践指南建议治疗决策时应重视控制心血管危险因素(如高血压、高脂血症、糖尿病、吸烟和肥胖等)^[52],需根据 ET 患儿具体情况制订个体化管理方案。对未接受药物治疗的患儿,应加强生活指导,包括避免碰撞性运动、保持充足水分摄入及健康生活方式^[53]。

推荐意见 9: 建议针对存在微循环障碍症状(如头痛、红斑性肢痛等)的 ET 患儿给予口服小剂



注: ET 为原发性血小板增多症; PLT 为血小板计数; aVWS 为获得性血管性血友病综合征; ^a 存在心血管风险因素或家族史、JAK2 V617F 基因变异(CALR 基因状态未知)时,可根据病情酌情考虑使用抗血小板治疗(无需考虑 PLT 数值); ^b 建议完善血管性血友病因子活性及抗原检测后谨慎应用; ^c 建议完善血管性血友病因子活性及抗原检测后谨慎应用,并根据症状控制减量至最低有效剂量

图 2 儿童 ET 的治疗流程图



量阿司匹林抗血小板治疗,并严密监测出血并发症。

研究表明小剂量阿司匹林可改善多数ET患儿的血管收缩症状,降低血栓及出血性并发症风险(表2)。对于 $PLT > 1\,000 \times 10^9/L$ 患儿,指南建议VWF活性 $< 30\%$ 时需考虑停用阿司匹林^[4]。阿司匹林可与降细胞治疗联用,但与阿那格雷联用有增加出血风险可能,应谨慎。意大利研究显示^[17],血小板显著增高的ET患儿可出现轻微黏膜、皮肤出血,严重出血罕见,阿司匹林总体安全性较好。存在心血管风险因素或家族史、JAK2-V617F基因变异者,即使CALR基因状态未知,亦可酌情考虑抗血小板治疗^[15]。

推荐意见 10:建议仅对存在以下情况的ET患儿开展降细胞治疗:(1) $PLT > 1\,500 \times 10^9/L$ 和极高危ET;(2)出血或存在aVWS证据;(3)有明确血栓事件者;(4)排除疾病进展后脾脏仍进行性肿大、血小板和(或)白细胞仍进行性增多时。降细胞治疗一旦启动,需密切监测治疗反应及并发症。

成人ET指南建议,当 $PLT > 1\,500 \times 10^9/L$,发生出血或aVWS、血栓事件,或在排除疾病进展后仍

有进行性脾肿大、血小板和(或)白细胞进行性增多时,应考虑启动降细胞治疗^[2, 52, 54]。针对儿童ET, AIEOP指南建议,对血小板极度增多、有严重临床症状或排除疾病进展后仍有进行性脾肿大的ET患儿,可考虑降细胞治疗^[15]。

接受降细胞治疗的患儿需密切动态监测治疗反应,并在以下情况出现时调整方案^[15, 24]:(1)对初始降细胞治疗不耐受或耐药;(2)出现新的血栓或严重出血表现;(3)进行性脾肿大(排除疾病进展为前提);(4)进行性血小板增多和(或)白细胞增多(排除疾病进展为前提);(5)疾病相关症状不能缓解或加重(如瘙痒、夜间盗汗、乏力等);(6)阿司匹林治疗后微循环障碍症状(如头痛、胸痛、红斑性肢痛等)仍不能缓解或加重时。由于降细胞治疗常需长期甚至终身维持,除评估其预防血栓的获益外,还应关注其对生长发育、生育力以及骨髓纤维化或白血病进展风险的潜在影响^[15, 55]。

推荐意见 11:ET患儿的传统降细胞药物:(1)一线药物为干扰素 α 制剂(干扰素 α 或聚乙二醇干扰素 α -2a/2b)与羟基脲;建议首选干扰素 α 制剂;若出现干扰素 α 制剂不耐受或耐药,可换用羟

表2 儿童ET药物治疗的剂量及不良反应

药物	剂量与调整建议	血常规监测	特殊状态下剂量建议	不良反应
干扰素 α	起始剂量:干扰素 α -2a/2b 150万U/(m ² ·次), 1周3次,皮下注射;干扰素 α -1b 1 μ g/(kg·次),隔日1次,皮下注射	治疗的第1个月每周1次,第2个月每周1次,之后每个月1次,血常规稳定后每3个月1次	重度肝功能受损者起始剂量减至常规剂量的50%~75%。若ALT/AST > 3 倍正常上限或血清肌酐显著上升,应停药;恢复后可按前次给药剂量的50%~75%重新开始用药	流感样症状和神经精神症状,甲状腺功能异常,聚乙二醇干扰素 α 比常规干扰素 α 的毒性更低
聚乙二醇干扰素 α	起始剂量:聚乙二醇干扰素 α -2a 104 μ g/m ² ,每周1次,皮下注射;聚乙二醇干扰素 α -2b 60 μ g/m ² ,每周1次,皮下注射	治疗的第1个月每周1次,第2个月每周1次,之后每个月1次,血常规稳定后每3个月1次	轻中度肾功能损伤(Ccr ≥ 30 ml/min)不调整剂量,重度肾功能损伤建议减少至推荐剂量的50%~75%或延长给药间隔至10~14 d	流感样症状和神经精神症状,甲状腺功能异常,聚乙二醇干扰素 α 比常规干扰素 α 的毒性更低
羟基脲	起始剂量:15~20 mg/(kg·d),口服;最大剂量不超过30 mg/(kg·d);根据血常规调整剂量,保持WBC $> 2.5 \times 10^9/L$, $PLT < 450 \times 10^9/L$	治疗前2个月建议每周1次,之后每个月1次,血常规稳定后每3个月1次	Ccr 30~59 ml/min的患儿,羟基脲应减至推荐剂量的75%;Ccr < 30 ml/min者减至推荐剂量的50%	中性粒细胞减少、巨红细胞性贫血、皮肤色素沉着或黏膜溃疡
阿那格雷	起始剂量:7岁以上患儿初始推荐剂量为0.5 mg/d,分2次口服,至少维持1周;随后根据PLT与耐受性逐步调整。剂量调整时,每周日剂量增加不超过0.5 mg;最大剂量10 mg/d,单次剂量不超过2.5 mg	治疗第1周每2日监测1次PLT,达到维持剂量前至少每周监测1次;治疗期间定期监测肝功能;需定期监测骨髓纤维化;若出现骨髓纤维化应换用其他药物	中度肝功能不全患儿建议以0.25 mg/d起始,若1周耐受良好可酌情加量;重度肝功能不全患者禁用。存在QT间期延长风险因素的患儿应避免使用阿那格雷	贫血、心悸、心力衰竭、头痛
阿司匹林	剂量3~5 mg/(kg·d),每天1次或分2次口服给药,最大量不超过100 mg/d;逐渐减少至最低有效剂量	治疗的第1个月每周1次,第2个月每周2次,之后每个月1次,血常规稳定后每3个月1次	通常不调整,需要监测	胃肠道、出血倾向、过敏反应

注:ET为原发性血小板增多症;ALT为丙氨酸转氨酶;AST为天冬氨酸转氨酶;Ccr为肌酐清除率;WBC为白细胞计数;PLT为血小板计数



基豚;(2)阿那格雷为二线药物,主要用于12岁以上患儿,需避免与阿司匹林联用,具体药物使用剂量见表2。

1. 干扰素 α 制剂:包括普通剂型干扰素 α 和长效干扰素(聚乙二醇干扰素 α),对巨核细胞系具有显著的抗增殖活性,在ET中疗效较好,约90%的患者可获得血液学反应^[56],部分患者中可达分子缓解,甚至完全分子缓解^[57],尤其见于JAK2和CALR等基因变异者^[54]。干扰素 α 或聚乙二醇干扰素 α -2a/2b在年轻患者中安全性相对较好,可作为ET患儿一线治疗药物。

2. 羟基豚:通过抑制核糖核苷酸还原酶阻断DNA合成,可有效降低血小板数量并降低血栓风险^[58]。长期使用羟基豚可能产生类似叶酸缺乏的表现,建议同步补充叶酸;长期使用还可影响生殖系统^[55],也需重视。

3. 阿那格雷:在欧洲获准用于对羟基豚耐药或不耐受的ET患儿,可作为ET的二线治疗。欧洲白血病网建议用于12岁及以上患者,但不与阿司匹林合用,避免增加出血风险^[38]。与羟基豚相比,阿那格雷预防静脉血栓更有优势,羟基豚在预防动脉血栓方面获益更多,并需定期进行骨髓活检监测骨髓纤维化可能^[40, 59]。需注意,阿那格雷通常无明显缩脾作用^[15]。本共识推荐用于对一线治疗不耐受或不能有效降低PLT至目标水平的ET患儿。

4. 靶向治疗:JAK抑制剂目前不作为儿童ET的常规治疗,仅在传统降细胞治疗不耐受或耐药且尚未达到造血干细胞移植(hematopoietic stem cell transplantation, HSCT)指征时(见推荐意见14),以控制症状、减轻脾大和减轻克隆负荷为目标,经血液、HSCT、药学及分子诊断等多学科团队(multidisciplinary team, MDT)充分评估后慎重选择。JAK抑制剂具有一定应用前景,但尚未获批ET治疗适应证,且在18岁以下儿童中的疗效尚不明确。芦可替尼是一种JAK 1/2抑制剂,已获美国食品药品监督管理局和欧洲药品管理局批准用于治疗羟基豚效果不佳的成人PV患者,在儿科主要用于移植后移植物抗宿主病的治疗,在ET患儿中的应用经验有限。一项Ⅱ期随机研究显示,羟基豚不耐受或耐药的高危成人ET患者中,芦可替尼在疾病缓解、血栓形成、出血及白血病或骨髓纤维化转化等方面与最佳可用疗法相当^[60]。此外,新型JAK抑制剂(OB756)、赖氨酸特异性去甲基化酶1抑制剂及CALR单克隆抗体等已进入临床试验

阶段^[61-62]。

推荐意见 12:建议ET患儿评估为完全治疗反应需同时满足以下条件:(1)<2岁患儿PLT<600×10⁹/L,≥2岁患儿PLT<450×10⁹/L,且白细胞计数<10×10⁹/L;(2)若疾病初期存在脾肿大等体征,需达到体征持续消失及相关症状显著改善,并且无疾病进展及任何血栓或出血事件;(3)骨髓组织学缓解。ET患儿治疗即使达到完全治疗反应,也应在医生指导下继续治疗并密切随访,谨慎停药。

ET患儿疗效证据极为有限。本共识综合AIEOP(根据患儿血液学及临床症状缓解)和欧洲白血病网相关建议,从血液学、临床表现、骨髓缓解及并发症等方面制订了儿童ET疗效判断标准^[15, 54]。(1)完全治疗反应(以下4条全部符合):①可触及的肝脾肿大等疾病相关体征持续(≥12周)消失,症状显著改善;②外周血细胞计数持续(≥12周)缓解:28日龄至<2岁者PLT<600×10⁹/L;2~18岁者PLT<450×10⁹/L;白细胞计数<10×10⁹/L,无幼稚粒幼红细胞;③无疾病进展,无任何出血和血栓事件;④骨髓组织学缓解:巨核细胞高度增生消失,无>1级的网状纤维(欧洲分级标准)。(2)部分治疗反应(以下4条全部符合):①可触及的肝脾肿大等疾病相关体征持续(≥12周)消失,症状显著改善;②外周血细胞计数持续(≥12周)缓解:28日龄至<2岁者PLT<600×10⁹/L;2~18岁者PLT<450×10⁹/L;白细胞计数<10×10⁹/L,无幼稚粒幼红细胞;③无疾病进展,无任何出血和血栓事件;④骨髓组织学缓解:有巨核细胞高度增生。(3)无效:疗效没有达到部分治疗反应。(4)疾病进展:进展为PV、ET后骨髓纤维化(post-essential thrombocythemia myelofibrosis, post-ET MF)、MDS或急性白血病。

目前无论是成人还是儿童ET,均缺乏明确停药标准。鉴于药物治疗无法达到疾病治愈,本共识建议,即使达到完全治疗反应,患儿也应在医生指导下继续治疗并密切随访,停药决策应慎重。

推荐意见 13:建议对存在血栓的ET患儿开展降细胞治疗及抗血栓治疗:(1)并发静脉血栓时,按儿科静脉血栓栓塞症(venous thromboembolism, VTE)规范抗凝管理,见“儿童静脉血栓栓塞症抗凝药物治疗专家共识(2025)”^[63];(2)并发动脉血栓时,建议给予抗血小板治疗;(3)酌情开展血管外科介入治疗。

尽管ET患儿合并VTE事件较少见,但一经确诊应立即启动规范抗凝治疗。对合并Budd-Chiari



综合征的 ET 患儿,应警惕颅内静脉窦血栓^[64-65]。若发生动脉血栓,应依据血栓部位参照现行成人指南,选择阿司匹林单药、双联抗血小板(阿司匹林加双嘧达莫)或血管外科介入治疗,并长期给予小剂量阿司匹林进行二级预防,并严格管理心血管危险因素^[66]。若抗血小板治疗期间再次发生动脉血栓,需进行 MDT 会诊,制订进一步抗血栓方案^[67]; AEIOP 指南建议 ET 患儿合并动脉血栓时应持续联用阿司匹林治疗^[15]。

治疗应综合评估血栓部位、范围、形成时间、血流动力学状态、出血风险及全身情况实施个体化管理。对于肺栓塞、颅内静脉窦等特殊部位血栓,可组织 MDT,制订血栓清除及器官功能保护的治疗方案。血管外科或介入治疗主要适用于药物难以控制、危及肢体或脏器功能的重症血栓,如部分重症动脉血栓、部分深静脉血栓、肺栓塞、右心房导管相关血栓及需迅速恢复血流的急性缺血综合征^[68],并需由血液科、血管外科、介入放射科及重症医学团队共同评估,严格权衡手术利弊。

推荐意见 14: 建议对存在出血的 ET 患儿开展降细胞治疗及止血治疗:(1)轻度出血(如皮肤黏膜、口腔黏膜出血及鼻出血等)可仅给予局部处理;(2)严重出血(如颅内、颈部、胃肠道、泌尿系等深部器官出血)时,需积极应用活化重组凝血因子Ⅶ等治疗迅速止血,同时酌情调整抗血小板和(或)抗凝治疗。

ET 患儿出血更为罕见,成人 ET 研究报道中,出血风险多与既往出血史、aVWS 及阿司匹林抗血小板治疗相关^[43],临床表现以轻度出血为主,且可自愈^[2]。如出现严重出血,需监测 PLT,评估是否需要输注血小板、凝血酶原复合物或活化重组凝血因子Ⅶ控制出血,同时考虑调整抗血小板和(或)抗凝治疗方案^[14]。

推荐意见 15: 建议 ET 患儿在疾病进展为 post-ET MF(即使 JAK 抑制剂、干扰素治疗暂时有效)、急性髓系白血病或 MDS 时需要考虑 HSCT。

研究表明 4%~11% 的 ET 成人患者可进展为 post-ET MF, 2%~5% 可转化为骨髓纤维化加速期或急变为白血病^[57],从 ET 进展为 MF 的中位时间为 7~16 年^[69],但儿童中尚缺乏相关流行病学资料。post-ET MF 的发病机制尚未完全阐明,已有研究提示 IDH2、EZH2、SF3B1 和 SH2B3 等基因变异与 post-ET MF 或转化型白血病密切相关^[70]。因此,ET 患儿远期管理应以控制症状和并发症、预防骨髓纤

维化及白血病转化为主要目标。post-ET MF 诊断参照骨髓纤维化研究和治疗国际工作组标准^[37]。

HSCT 是 post-ET MF 及继发性急性髓系白血病或 MDS 的潜在治愈性疗法^[71]。研究显示,对于动态国际预后积分系统评分 ≥ 1 分的中危及以上风险的 post-ET MF 患者,HSCT 可带来长期生存获益,但同时伴有较高的早期移植相关病死率^[72]。HSCT 对患儿生长发育、内分泌及生育功能可能存在远期影响。因此 ET 患儿中 HSCT 应用严格限定于疾病进展风险明确超过移植本身风险的特定情况。

推荐意见 16: 建议 ET 患儿定期评估疾病状态:包括血常规、外周血涂片、器官功能评估,酌情复查或监测骨髓形态学、骨髓活检及驱动基因(包括但不限于 JAK2、MPL、CALR 等基因),以动态评价和实时了解疾病状态,及时指导治疗调整。

ET 患儿治疗期间需定期监测血常规,监测频率见表 2。在血小板增多症患儿中,虽然 RT 占比最高,若原发病因消除后血小板增多持续存在,则需重新评估。

五、总结与展望

本共识结合国内外最新研究进展与我国临床实践经验,围绕儿童血小板增多症的病因分类、诊断标准、危险评估、治疗指征及长期随访策略等关键问题提出实践建议,旨在推动我国儿童血小板增多症诊疗的规范化与标准化。目前针对 ET 和继发性血小板增多症的大样本研究仍较匮乏。未来需进一步加强相关研究,积累中国患儿临床数据,深化对疾病分子机制、风险分层、个体化治疗及长期预后的认识,并推动基因诊断与靶向治疗在临床中的应用,以持续改善患儿远期预后。

(张姮 程晶莹 张利强 成晓玲 陈峰
方拥军 吴润晖 吴鹏 执笔)

参与本共识制订的专家名单(按单位和姓名拼音排序):安徽省儿童医院(刘洪军);北京京都儿童医院(吴敏媛);成都市妇女儿童中心医院(周敏);重庆医科大学附属儿童医院(于洁);复旦大学附属儿科医院(翟晓文);广州医科大学附属妇女儿童医疗中心(何丽雅);贵阳市妇幼保健院 贵阳市儿童医院(梁筱灵);贵州医科大学附属医院(金皎);湖南省儿童医院(张本山);华中科技大学同济医学院附属同济医院(胡群、刘爱国);华中科技大学同济医学院附属武汉儿童医院(熊昊);华中科技大学同济医学院附属协和医院(吴小艳);江西省儿童医院(徐忠金);解放军总医院(冯晨);连云港市第一人民医院(冯越);南方医科大学南方医院(冯晓勤);南京医科大学附属儿童医院(陈峰、方拥军、黄婕、邱德智、吴鹏、张姮);山东大学齐鲁医院(鞠秀丽);深圳市儿童医院(刘四喜、文飞球);首都医科大学附属北京儿童医院(陈振萍、程晶莹、成晓玲、王天有、吴润晖、张利强);四川大学华西第二医院(郭霞);



苏州大学附属儿童医院(胡绍燕);西安市儿童医院(刘安生);扬州大学附属医院(徐金梅);浙江大学医学院附属儿童医院(徐晓军、徐卫群);郑州大学第一附属医院(李白、刘玉峰);中国医学科学院血液病医院(杨文钰、竺晓凡);中南大学湘雅医院(杨良春)

共识外审专家组(按单位和姓名拼音排序):华中科技大学同济医学院附属协和医院(胡豫);山东大学齐鲁医院(侯明、于媛);苏州大学附属第一医院(余自强);中国医学科学院血液病医院(张磊)

秘书组:南京医科大学附属儿童医院(郭宏丽、嵇晓慧)

利益冲突 所有作者声明无利益冲突

参 考 文 献

- [1] Ianotto JC, Curto-Garcia N, Lauermanova M, et al. Characteristics and outcomes of patients with essential thrombocythemia or polycythemia vera diagnosed before 20 years of age: a systematic review[J]. *Haematologica*, 2019, 104(8): 1580-1588. DOI: 10.3324/haematol.2018.200832.
- [2] Tefferi A, Pardanani A. Essential thrombocythemia[J]. *N Engl J Med*, 2019, 381(22): 2135-2144. DOI: 10.1056/NEJMcp1816082.
- [3] Tefferi A, Gangat N, Loscocco GG, et al. Essential thrombocythemia: a review[J]. *JAMA*, 2025, 333(8): 701-714. DOI: 10.1001/jama.2024.25349.
- [4] Stockklauser C, Duffert CM, Cario H, et al. Thrombocytosis in children and adolescents-classification, diagnostic approach, and clinical management[J]. *Ann Hematol*, 2021, 100(7):1647-1665. DOI: 10.1007/s00277-021-04485-0.
- [5] Babacan A, Şenol FF. Thrombocytosis in children[J]. *Rev Assoc Med Bras* (1992), 2023, 69(6): e20230020. DOI: 10.1590/1806-9282.20230020.
- [6] 王莉, 刘爱国, 王雅琴, 等. 儿童继发性血小板增多症 386 例临床分析[J]. *临床儿科杂志*, 2024, 42(5): 425-428. DOI: 10.12372/jcp.2024.23e0156.
- [7] 陈耀龙, 杨克虎, 王小钦, 等. 中国制订/修订临床诊疗指南的指导原则(2022版)[J]. *中华医学杂志*, 2022, 102(10): 697-703. DOI: 10.3760/cma.j.cn112137-20211228-02911.
- [8] World Health Organization. WHO handbook for guideline development[M]. 2nd ed. Vienna: World Health Organization, 2014.
- [9] Matsubara K, Fukaya T, Nigami H, et al. Age-dependent changes in the incidence and etiology of childhood thrombocytosis[J]. *Acta Haematol*, 2004, 111(3): 132-137. DOI: 10.1159/000076520.
- [10] Biino G, Santimone I, Minelli C, et al. Age- and sex-related variations in platelet count in Italy: a proposal of reference ranges based on 40987 subjects' data[J]. *PLoS One*, 2013, 8(1): e54289. DOI: 10.1371/journal.pone.0054289.
- [11] 宋文琪, 彭晓霞, 倪鑫. 卫生行业标准 WS/T 779-2021《儿童血细胞分析参考区间》解读及应用[J]. *中华医学杂志*, 2023, 103(27): 2124-2127. DOI: 10.3760/cma.j.cn112137-20230328-00493.
- [12] Zierk J, Arzideh F, Rechenauer T, et al. Age- and sex-specific dynamics in 22 hematologic and biochemical analytes from birth to adolescence[J]. *Clin Chem*, 2015, 61(7): 964-973. DOI: 10.1373/clinchem.2015.239731.
- [13] Dame C, Sutor AH. Primary and secondary thrombocytosis in childhood[J]. *Br J Haematol*, 2005, 129(2): 165-177. DOI: 10.1111/j.1365-2141.2004.05329.x.
- [14] Harrison CN, Bareford D, Butt N, et al. Guideline for investigation and management of adults and children presenting with a thrombocytosis[J]. *Br J Haematol*, 2010, 149(3): 352-375. DOI: 10.1111/j.1365-2141.2010.08122.x.
- [15] AIEOP. Raccomandazioni per la Gestione Delle Trombocitosi in età Pediatrica. (2021-12-02)[2026-01-20]. <https://www.aieop.org/web/operatori-sanitari/linee-guida-consensus/>.
- [16] Barbui T, Finazzi G, Carobbio A, et al. Development and validation of an International Prognostic Score of thrombosis in World Health Organization-essential thrombocythemia (IPSET-thrombosis) [J]. *Blood*, 2012, 120(26): 5128-5133; quiz 5252. DOI: 10.1182/blood-2012-07-444067.
- [17] Randi ML, Geranio G, Bertozzi I, et al. Are all cases of paediatric essential thrombocythaemia really myeloproliferative neoplasms? Analysis of a large cohort [J]. *Br J Haematol*, 2015, 169(4): 584-589. DOI: 10.1111/bjh.13329.
- [18] Fu R, Dong H, Gu W, et al. Childhood and adolescent essential thrombocythemia and prefibrotic primary myelofibrosis: insights into diagnosis, outcomes, and treatment from a large Chinese cohort[J]. *Leukemia*, 2025, 39(1): 155-165. DOI: 10.1038/s41375-024-02432-2.
- [19] Milosevic Feenstra JD, Nivarthi H, Gisslinger H, et al. Whole-exome sequencing identifies novel MPL and JAK2 mutations in triple-negative myeloproliferative neoplasms [J]. *Blood*, 2016, 127(3): 325-332. DOI: 10.1182/blood-2015-07-661835.
- [20] Kaser A, Brandacher G, Steurer W, et al. Interleukin-6 stimulates thrombopoiesis through thrombopoietin: role in inflammatory thrombocytosis[J]. *Blood*, 2001, 98(9): 2720-2725. DOI: 10.1182/blood.v98.9.2720.
- [21] Song AB, Kuter DJ, Al-Samkari H. Characterization of the rate, predictors, and thrombotic complications of thrombocytosis in iron deficiency anemia[J]. *Am J Hematol*, 2020, 95(10): 1180-1186. DOI: 10.1002/ajh.25925.
- [22] Vo QT, Thompson DF. A review and assessment of drug-induced thrombocytosis[J]. *Ann Pharmacother*, 2019, 53(5): 523-536. DOI: 10.1177/1060028018819450.
- [23] Penny R, Rozenberg MC, Firkin BG. The splenic platelet pool[J]. *Blood*, 1966, 27(1): 1-16.
- [24] Putti MC, Bertozzi I, Randi ML. Essential thrombocythemia in children and adolescents[J]. *Cancers (Basel)*, 2021, 13(23): 6147. DOI: 10.3390/cancers13236147.
- [25] Sutor AH. Screening children with thrombosis for thrombophilic proteins. Cui bono? [J]. *J Thromb Haemost*, 2003, 1(5): 886-888. DOI: 10.1046/j.1538-7836.2003.00159.x.
- [26] Ghilardi N, Wiestner A, Skoda RC. Thrombopoietin production is inhibited by a translational mechanism[J]. *Blood*, 1998, 92(11): 4023-4030.
- [27] Wiestner A, Schlemper RJ, van der Maas AP, et al. An activating splice donor mutation in the thrombopoietin gene causes hereditary thrombocythaemia[J]. *Nat Genet*, 1998, 18(1): 49-52. DOI: 10.1038/ng0198-49.
- [28] Kondo T, Okabe M, Sanada M, et al. Familial essential thrombocythemia associated with one-base deletion in the 5'-untranslated region of the thrombopoietin gene[J]. *Blood*, 1998, 92(4): 1091-1096.
- [29] Ghilardi N, Wiestner A, Kikuchi M, et al. Hereditary



- thrombocythaemia in a Japanese family is caused by a novel point mutation in the thrombopoietin gene[J]. *Br J Haematol*, 1999, 107(2): 310-316. DOI: 10.1046/j.1365-2141.1999.01710.x.
- [30] Ghilardi N, Skoda RC. A single-base deletion in the thrombopoietin (TPO) gene causes familial essential thrombocythemia through a mechanism of more efficient translation of TPO mRNA[J]. *Blood*, 1999, 94(4):1480-1482.
- [31] Beer PA, Campbell PJ, Scott LM, et al. MPL mutations in myeloproliferative disorders: analysis of the PT-1 cohort [J]. *Blood*, 2008, 112(1): 141-149. DOI: 10.1182/blood-2008-01-131664.
- [32] el-HA E, Roesl C, Ballmaier M, et al. Familial thrombocytosis caused by the novel germ-line mutation p.Pro106Leu in the MPL gene[J]. *Br J Haematol*, 2009, 144(2): 185-194. DOI: 10.1111/j.1365-2141.2008.07430.x.
- [33] Ding J, Komatsu H, Wakita A, et al. Familial essential thrombocythemia associated with a dominant-positive activating mutation of the c-MPL gene, which encodes for the receptor for thrombopoietin[J]. *Blood*, 2004, 103(11): 4198-4200. DOI: 10.1182/blood-2003-10-3471.
- [34] Cabagnols X, Favale F, Pasquier F, et al. Presence of atypical thrombopoietin receptor (MPL) mutations in triple-negative essential thrombocythemia patients[J]. *Blood*, 2016, 127(3): 333-342. DOI: 10.1182/blood-2015-07-661983.
- [35] Moliterno AR, Williams DM, Gutierrez-Alamillo LI, et al. Mpl Baltimore: a thrombopoietin receptor polymorphism associated with thrombocytosis[J]. *Proc Natl Acad Sci U S A*, 2004, 101(31): 11444-11447. DOI: 10.1073/pnas.0404241101.
- [36] Mead AJ, Rugless MJ, Jacobsen SE, et al. Germline JAK2 mutation in a family with hereditary thrombocytosis[J]. *N Engl J Med*, 2012, 366(10): 967-969. DOI: 10.1056/NEJMc1200349.
- [37] Yoshimitsu M, Hachiman M, Uchida Y, et al. Essential thrombocytosis attributed to JAK2-T875N germline mutation[J]. *Int J Hematol*, 2019, 110(5): 584-590. DOI: 10.1007/s12185-019-02725-8.
- [38] Maie K, Yokoyama Y, Yano Y, et al. Progression to polycythemia vera from familial thrombocytosis with germline JAK2 R867Q mutation[J]. *Ann Hematol*, 2018, 97(4):737-739. DOI: 10.1007/s00277-017-3209-1.
- [39] Marty C, Saint-Martin C, Pecquet C, et al. Germ-line JAK2 mutations in the kinase domain are responsible for hereditary thrombocytosis and are resistant to JAK2 and HSP90 inhibitors[J]. *Blood*, 2014, 123(9):1372-1383. DOI: 10.1182/blood-2013-05-504555.
- [40] Khoury JD, Solary E, Abla O, et al. The 5th edition of the World Health Organization classification of haematolymphoid tumours: myeloid and histiocytic/dendritic neoplasms[J]. *Leukemia*, 2022, 36(7):1703-1719. DOI: 10.1038/s41375-022-01613-1.
- [41] Randi ML, Bertozzi I, Putti MC. Contemporary management of essential thrombocythemia in children[J]. *Expert Rev Hematol*, 2019, 12(5): 367-373. DOI: 10.1080/17474086.2019.1602034.
- [42] 中国老年医学学会心血管病分会. 中国多学科微血管疾病诊断与治疗专家共识[J]. *中国循环杂志*, 2020, 35(12): 1149-1165. DOI: 10.3969/j.issn.1000-3614.2020.12.001.
- [43] Finazzi G, Carobbio A, Thiele J, et al. Incidence and risk factors for bleeding in 1104 patients with essential thrombocythemia or prefibrotic myelofibrosis diagnosed according to the 2008 WHO criteria[J]. *Leukemia*, 2012, 26(4):716-719. DOI: 10.1038/leu.2011.258.
- [44] Venkat RK, Redd RA, Harris AC, et al. Risk of bleeding in patients with essential thrombocythemia and extreme thrombocytosis[J]. *Blood Adv*, 2024, 8(23): 6043-6054. DOI: 10.1182/bloodadvances.2024013777.
- [45] Palandri F, Polverelli N, Catani L, et al. Bleeding in essential thrombocythaemia: a retrospective analysis on 565 patients[J]. *Br J Haematol*, 2012, 156(2): 281-284. DOI: 10.1111/j.1365-2141.2011.08858.x.
- [46] Michiels JJ. Acquired von Willebrand disease due to increasing platelet count can readily explain the paradox of thrombosis and bleeding in thrombocythemia[J]. *Clin Appl Thromb Hemost*, 1999, 5(3): 147-151. DOI: 10.1177/107602969900500301.
- [47] 中华医学会检验医学分会, 国家卫生健康委临床检验中心, 中国血友病协作组. 血管性血友病实验诊断中国专家共识 [J]. *中华检验医学杂志*, 2022, 45(10): 1034-1038. DOI: 10.3760/cma.j.cn114452-20220216-00075.
- [48] Kucine N, Chastain KM, Mahler MB, et al. Primary thrombocytosis in children[J]. *Haematologica*, 2014, 99(4):620-628. DOI: 10.3324/haematol.2013.092684.
- [49] Tefferi A, Guglielmelli P, Lasho TL, et al. Mutation-enhanced international prognostic systems for essential thrombocythaemia and polycythaemia vera[J]. *Br J Haematol*, 2020, 189(2):291-302. DOI: 10.1111/bjh.16380.
- [50] Finazzi G, Carobbio A, Guglielmelli P, et al. Calreticulin mutation does not modify the IPSET score for predicting the risk of thrombosis among 1150 patients with essential thrombocythemia[J]. *Blood*, 2014, 124(16): 2611-2612. DOI: 10.1182/blood-2014-08-596676.
- [51] Ameen M, Siddiqui K, Khan S, et al. Essential thrombocythemia in children: a retrospective study[J]. *J Hematol*, 2021, 10(3):106-113. DOI: 10.14740/jh822.
- [52] Gerds AT, Gotlib J, Ali H, et al. Myeloproliferative neoplasms, version 3.2022, NCCN clinical practice guidelines in oncology[J]. *J Natl Compr Canc Netw*, 2022, 20(9):1033-1062. DOI: 10.6004/jncn.2022.0046.
- [53] Kucine N. Myeloproliferative neoplasms in children, adolescents, and young adults[J]. *Curr Hematol Malig Rep*, 2020, 15(2):141-148. DOI: 10.1007/s11899-020-00571-8.
- [54] Barbui T, Tefferi A, Vannucchi AM, et al. Philadelphia chromosome-negative classical myeloproliferative neoplasms: revised management recommendations from European LeukemiaNet[J]. *Leukemia*, 2018, 32(5): 1057-1069. DOI: 10.1038/s41375-018-0077-1.
- [55] Kotam GP, Morrison DB, Karikari JN, et al. Impact of sickle cell anaemia on reproductive health: a narrative review [J]. *Reprod Health*, 2025, 22(1): 203. DOI: 10.1186/s12978-025-02169-w.
- [56] Kiladjian JJ, Chomienne C, Fenaux P. Interferon-alpha therapy in bcr-abl-negative myeloproliferative neoplasms [J]. *Leukemia*, 2008, 22(11): 1990-1998. DOI: 10.1038/leu.2008.280.
- [57] Masarova L, Yin CC, Cortes JE, et al. Histomorphological responses after therapy with pegylated interferon α -2a in patients with essential thrombocythemia (ET) and polycythemia vera (PV) [J]. *Exp Hematol Oncol*, 2017, 6: 30. DOI: 10.1186/s40164-017-0090-5.
- [58] Gisslinger H, Gotic M, Holowiecki J, et al. Anagrelide



- compared with hydroxyurea in WHO-classified essential thrombocythemia: the ANAHYDRET Study, a randomized controlled trial[J]. *Blood*, 2013, 121(10):1720-1728. DOI: 10.1182/blood-2012-07-443770.
- [59] Stein BL, Rademaker A, Spivak JL, et al. Gender and vascular complications in the JAK2 V617F-positive myeloproliferative neoplasms[J]. *Thrombosis*, 2011, 2011: 874146. DOI: 10.1155/2011/874146.
- [60] Harrison CN, Nangalia J, Boucher R, et al. Ruxolitinib versus best available therapy for polycythemia vera intolerant or resistant to hydroxycarbamide in a randomized trial[J]. *J Clin Oncol*, 2023, 41(19): 3534-3544. DOI: 10.1200/JCO.22.01935.
- [61] Huang J, Li R, Gong T, et al. Efficacy and safety of OB756 (a novel selective JAK2 inhibitor) for essential thrombocythemia in patients intolerant of or resistant to hydroxyurea or intolerant of interferon: a phase 2, open-label, multicenter study[J]. *Cancer*, 2025, 131(20): e70101. DOI: 10.1002/cncr.70101.
- [62] Tefferi A, Vannucchi AM, Barbui T. Essential thrombocythemia: 2024 update on diagnosis, risk stratification, and management[J]. *Am J Hematol*, 2024, 99(4):697-718. DOI: 10.1002/ajh.27216.
- [63] 中华医学会儿科学分会血液学组, 中国医师协会儿科医师分会血液学组, 中华儿科杂志编辑委员会. 儿童静脉血栓栓塞症抗凝药物治疗专家共识(2025)[J]. *中华儿科杂志*, 2025, 63(10): 1058-1065. DOI: 10.3760/cma. j. cn112140-20250430-00379.
- [64] Tokgoz H, Caliskan U, Yükksekaya HA, et al. Essential thrombocythemia with Mpl W515 K mutation in a child presenting with Budd-Chiari syndrome[J]. *Platelets*, 2015, 26(8):805-808. DOI: 10.3109/09537104.2015.1041900.
- [65] Wigton JC, Tersak JM. JAK2+essential thrombocythemia in a young girl with budd-chiari syndrome: diagnostic and therapeutic considerations when adult disease strikes the young[J]. *J Pediatr Hematol Oncol*, 2016, 38(1): 70-73. DOI: 10.1097/MPH.0000000000000453.
- [66] Falanga A, Marchetti M, Schieppati F. Prevention and management of thrombosis in BCR/ABL-negative myeloproliferative neoplasms[J]. *Hamostaseologie*, 2021, 41(1):48-57. DOI: 10.1055/a-1334-3259.
- [67] Arachchilage DR, Laffan M. Pathogenesis and management of thrombotic disease in myeloproliferative neoplasms[J]. *Semin Thromb Hemost*, 2019, 45(6): 604-611. DOI: 10.1055/s-0039-1693477.
- [68] 中国医师协会介入医师分会, 中华医学会放射学分会介入专业委员会, 中国静脉介入联盟. 下肢深静脉血栓形成介入治疗规范的专家共识(第2版)[J]. *介入放射学杂志*, 2019, 28(1): 1-10. DOI: 10.3969/j.issn.1008-794X.2019.01.001.
- [69] Mehta J, Wang H, Iqbal SU, et al. Epidemiology of myeloproliferative neoplasms in the United States[J]. *Leuk Lymphoma*, 2014, 55(3): 595-600. DOI: 10.3109/10428194.2013.813500.
- [70] Tefferi A, Vannucchi AM. Genetic risk assessment in myeloproliferative neoplasms[J]. *Mayo Clin Proc*, 2017, 92(8):1283-1290. DOI: 10.1016/j.mayocp.2017.06.002.
- [71] Wolschke C, Badbaran A, Zabelina T, et al. Impact of molecular residual disease post allografting in myelofibrosis patients[J]. *Bone Marrow Transplant*, 2017, 52(11):1526-1529. DOI: 10.1038/bmt.2017.157.
- [72] Gowin K, Ballen K, Ahn KW, et al. Survival following allogeneic transplant in patients with myelofibrosis[J]. *Blood Adv*, 2020, 4(9): 1965-1973. DOI: 10.1182/bloodadvances.2019001084.

· 讣告 ·

中华儿科杂志编辑委员会资深编委赵祥文教授逝世

中华儿科杂志第八至十届编辑委员会编委、湖南省儿童医院首任院长、我国儿科急诊医学主要创始人、享受国务院政府特殊津贴专家赵祥文教授,因病医治无效,于2026年4月12日6时55分在长沙逝世,享年100岁。

赵祥文教授1926年8月出生于山东省寿光市。少年时代辗转求学,矢志从医。1948年考入山东医学院,1953年毕业后踏上从医之路,1958年加入中国共产党。

1985年,赵祥文教授担任湖南省儿童医院首任院长,1987年起兼任党委书记。从选址规划到人才引进,从建章立制到学科布局,赵教授殚精竭虑,四处奔走,把一个稚嫩的医院打造成今天三湘大地儿童健康的坚实堡垒。1988年,赵祥文教授在湖南省儿童医院建成了湖南省第一个现代化、规范化儿童重症监护病房,将儿科急救确立为医院发展的战略方向,为重症患儿筑牢生命防线。

赵祥文教授历任中华医学会儿科学分会副主任委员、

中华医学会急诊医学分会常务委员、湖南省医学会儿科学专业委员会主任委员、湖南省医学会急诊医学专业委员会主任委员,兼任多家儿科核心期刊副主编、编委,主编了《小儿感染性休克》《现代诊疗新技术》《临床儿科急诊手册》等多部专著,参与编写全国高校《儿科学》《小儿内科学》《急诊医学》等核心教材,深耕学术、引领行业发展。2013年,他荣获中华医学会儿科学分会第一届儿科“终身成就奖”。

赵祥文教授一生淡泊名利,心里装着的只有患儿、只有学生、只有儿科事业的未来。他曾说,我这辈子最骄傲的,从来不是“医学泰斗”或“终身成就”,而是孩子们喊的那一声“赵爷爷”,学生口中的“赵老师”,患者那一声“赵大夫”。

中华儿科杂志编辑委员会对赵祥文教授的逝世表示沉重哀悼。

本刊编辑部

