



<https://printo.it/pediatric-rheumatology/CN/intro>

## 药物治疗

第几版本2016

### 前言

本章节介绍了常用的治疗儿科风湿性疾病的药物。每一节分成四个主要部分。

### 概述

这一部分全面介绍了药物的作用机制及预期的副作用。

### 剂量/用法

这一部分介绍了药物的剂量，通常为mg/kg/d或mg/体表面积（m<sup>2</sup>），以及给药方式（例如丸剂，注射剂，静脉注射）。

### 副作用

这一部分全面介绍了药物的副作用。

### 儿科风湿性疾病的主要适应症

最后一部分对每种药物适于的儿科风湿性疾病进行列表。适应症意味着该药物做过专门的儿童研究，并被官方监督管理，如欧洲药品管理局（EMA）或美国食品药品监督管理局（FDA）等机构允许其在儿童中使用。在某些情况下，医生可能会决定应用某种药物，即使这种药物未经过官方批准。

### 儿科用药法规，说明书内和超说明书用药及未来治疗的可能性。

直至15年以前，治疗JIA和许多其他儿科疾病的药物还未经过规范的儿童研究。这意味着医师是根据个人经验或基于成人的研究来使用这些药物的。

事实上，在过去，在儿科风湿病进行临床试验是十分困难的，主要是由于缺乏用于儿童研究的经费，以及制药公司对如此小的、无收益的儿科市场缺乏兴趣。这种情况在几年前发生了巨大变化。这是由于引入了美国儿童最好的药品法案及欧盟对儿科药物研发的专门立法（儿科条例）。这些措施迫使制药企业对儿科用药进行研究。

美国和欧盟的立法，联合了2大网络，国际儿科风湿病临床试验组织（PRINTO网址WWW.printo.it），其联合了全世界50多个国家，以及儿科风湿病研究协作组，（PRCSG 网址是 www.prcsg.org），其以北美为根基，在儿科风湿病尤其是JIA新治疗的发展中起到了非常积极的作用。世界各地成百上千名被PRINTO或PRCSG治疗的JIA患儿家庭参与了这些临床研究，允许JIA患儿应用所研究的药物进行治疗。有时，这些研究需要使用安慰剂（即无有效成分的药片或注射液），来确定预估剂量的药物是否利大于弊。

由于这些重大的发展可能性，现在有几种药物专门被批准应用于JIA。这意味着监管部门，如美国食品药品监督管理局（FDA），欧洲药品管理局（EMA）及一些国家主管部门，已经根据临床试验的科学结果修订了药物的信息，允许制药公司在说明书上标注此药物对儿童是有效和安全的。

专门被批准用于治疗JIA的药物包括甲氨蝶呤，依那西普，阿达木单抗，阿巴西普，托珠单抗和卡

---

那单抗。

一些其他药物目前正在或将要进行儿童试验，所以你的医生可能会询问你的孩子是否愿意参加这些试验。

也有一些药物没有被明确批准应用于JIA，如一些非甾体抗炎药（NSAIDs），硫唑嘌呤，环孢素，阿那白滞素和英夫利昔单抗。这些药物应用是未经批准的（所谓的超说明书用药），你的医生可能会建议使用这些药物，特别是没有其他更好的治疗方法时。

### **依从性**

治疗的依从性是保持健康最重要的一点，无论是短期还是长期。

依从性即遵守医师制定的治疗计划；包括坚持服药，规律门诊随诊，定期物理治疗及实验室检查等等。这些方面协同起作用，成为一个互补的治疗方案，有利于对抗疾病，强健孩子的身体并保持他/她的健康。药物的频率和剂量由药物在体内需要的维持浓度来确定。依从性差可能导致药物浓度低，即无效的药物浓度，增加疾病复发的机会。为了防止这种情况发生，规律注射和口服药物是非常重要的。

最常见的治疗失败的原因是治疗依从性差。遵守由医生和医疗团队制定的医疗计划中的所有细节会大大增加病情缓解的机会。坚持治疗过程中的各方面对于患儿家长或监护人来说有时是繁重的。然而，这是确保孩子最有机会来获得健康所必需的。遗憾的是，随着年龄的增长，尤其是他/她进入青春期，依从性差越发成为一个问题。青少年抗拒将自己定义为患者，并跳过那些给他们带来不便的治疗。因此，疾病复发非常普遍。治疗的依从性好能确保最大程度上达到病情缓解和获得好的生活质量。