

全身型重症肌无力患者“波动”困境待破解

●本报记者 张思玮

“全身型重症肌无力(gMG)患者最具特征的表现,在于其全身力量‘晨轻暮重’的反复波动,将患者推入失控的被动人生,严重剥夺了他们的社会功能,更让整个家庭深陷长期照护与经济困境。特别对于正处于生长发育关键期的儿童与青少年而言,这种波动透支的不仅是当下的生活,更是他们的未来——身体发育受到不可逆干扰,心理健康遭受持续冲击。我们希望通过此为契机,凝聚临床、社会与政策各方力量,让更多患者和家庭走出这一波动困局。”近日,在一场gMG主题科普圆桌会议上,复旦大学附属华山医院副院长、神经内科主任医师赵重波教授表示。

活动现场,gMG患者主题短片《破浪新生》同步首映。多位临床专家、药物经济学学者、患者组织代表与企业代表共同出席,围绕疾病负担、规范诊疗与儿童用药保障等核心议题展开深入探讨,共同呼吁社会各界提升对gMG患者长期需求的关注,助力患者稳住波动、重塑人生。

波动背后被透支的童年与人生

MG是一种获得性神经肌肉接头(NMJ)传递障碍的复杂慢性自身免疫疾病。gMG作为以全身肌群受累为主的类型,其最具特征性的临床表现是骨骼肌的波动性无力及易疲劳性。

患者的日常症状往往呈现“晨轻暮重”、活动后加重而休息后减轻的动态起伏。这种难以捉摸的无力感,使患者的身体状态时刻充满未知,生活频频面临失控的可能。

gMG可发生于任何年龄段,对于儿童及青少年患者而言,疾病带来的身心负担尤为凶险。随着病情进展,患儿可能出现吞咽困难、构音障碍。部分发展为难治性gMG的患儿,其急性加重风险与引发肌无力危象的风险分别飙升4.7倍与4倍,严重时可导致死亡。

在患者主题短片中,患者帆帆(化名)分享了她童年因病背负的心理重担:“我对童年的记忆,几乎都是从疾病开始的。小时候,只要听说哪里有医



会议现场。

主办方供图

院、哪里有医生可能治好这个病,父母就会立刻带着我赶过去。求医、转诊、奔波,已经成为整个家庭生活的一部分。此外,我有被全班男同学追着起外号的经历,我很害怕别人问我为什么像怪物。”

国家老年医学中心、北京医院神经内科主任医师殷剑指出:“在日常的临床诊疗中,我们真切地看到gMG给儿童患者及其家庭带来的巨大身心负担。儿童正处于生长发育的关键阶段,疾病的反复波动不仅严重限制其日常学习与社交活动,更对其身心发育造成持续、深远的负面影响。面对如此沉重的疾病负担,打破疾病反复的恶性循环是当下临床亟待破局的关键。令人欣慰的是,近期新型靶向生物制剂已惠及儿童患者,为满足gMG患儿的临床需求带来了新希望。我们期待这些创新疗法能实现临床可及,帮助更多患儿真正走出波动困境,重获健康成长的机会。”

“双达标”策略引领治疗新方向

长期以来,针对gMG的治疗,临床上主要通过胆碱酯酶抑制剂、糖皮质激素、非激素类免疫抑制剂、静脉注射免疫球蛋白、血浆置换以及胸腺切除等传统手段改善病情。

然而,由于gMG病程迁延,大量患者在接受传统治疗后,依然会频繁经历疾病的波动或加重。尤其值得关注的是,为了压制波动症状,部分患者不得不长期或大量使用激素等传统药物。

随着新型靶向生物制剂的研发与广泛应用,gMG的诊疗理念已从单纯

“人和家庭被疾病长期裹挟以后,生活看不到头,就像一条没有尽头的黑暗隧道。”清昭表示,gMG患儿正处于人生的起步阶段,但他们面对的是可能影响全生命周期的波动拉锯战。

的症状控制,升级为注重长病程管理的“双达标”策略。

赵重波表示:“随着诊疗理念不断进步,临床上也越来越关注如何在有效控制症状、减少疾病波动的同时,兼顾患者的长期生活质量和治疗安全性。尤其对于儿童患者而言,治疗不仅要关注当下症状的改善,也需要综合考虑成长发育、心理健康和未来生活。现代gMG管理正在从单纯控制症状,逐步走向更稳定、更精准、更可持续的长期管理,实现少波动、少复发,帮助患者回归正常生活。”

多方呼吁完善儿童用药保障

gMG对儿童的影响远超症状本身——反复波动干扰学业、心理、社会融入,消耗成长时光,给家庭带来长期照护压力与经济负担。而治疗选择的局限,更使这一处境雪上加霜。

数据显示,约10%~20%的患儿进展为难治性gMG,急性加重风险较非难治性增加4.7倍、危象风险增加4倍,严重时可导致死亡。

在治疗方面,现有常规免疫治疗患者3年缓解率仅为48.6%,糖皮质激素诱发的MG加重发生率约为33.3%,如

进展到严重的呼吸或吞咽困难等,患者可能需进入ICU紧急救治。此外,87%的患儿身高低于目标身高,并可引发肥胖、继发性糖尿病、骨髓抑制、肝肾功能损伤等严重不良反应。疾病反复波动叠加治疗副作用,不仅影响患儿的学业、心理与社交发展,更给家庭带来长期沉重的经济与照护负担。

中国医药教育协会药物经济评价分会主任委员张方表示:“gMG患儿家庭所承受的,远不止直接医疗支出,住院、长期照护、家长误工及继发疾病费用,共同构成了一笔被严重低估的社会成本。近年来,国家积极探索儿童及罕见病用药保障路径,相关政策信号持续释放。我们期待这一进程的推进,促进儿童gMG创新药物可及性与支付保障水平提升,让每一位患儿都能获得改变命运的治疗机会。孩子是一个社会最不能辜负的未来。全社会正携手为gMG患者和家庭筑起一道坚实的守护墙。疾病可以限制身体,但永远无法阻挡爱与希望为孩子们铺就的未来。”

创新药物的可及性,不只是一个政策议题,更关乎这些孩子的未来能否被真正托住。

“人和家庭被疾病长期裹挟以后,生活看不到头,就像一条没有尽头的黑暗隧道。”北京爱力重症肌无力罕见病关爱中心创始人、主任清昭表示,gMG患儿正处于人生的起步阶段,但他们面对的是可能影响全生命周期的波动拉锯战。迫切呼吁将MG纳入各地特种病或大病保障范围,推动儿童gMG新型靶向生物制剂尽早纳入医保,这是这些患儿家庭共同的期盼。

与会专家表示,gMG患者,尤其是儿童患者,仍面临疾病反复波动、未被满足治疗需求突显以及可及性不足等现实挑战。我们始终坚持以患者为中心,持续推动罕见病治疗的研发创新与可及,努力将前沿科学成果转化为患者可用、可负担的治疗选择。我们也期待与临床专家、学术机构、患者组织及相关方共同推动儿童gMG用药保障,以科学之力点亮罕见新生,重塑社会栋梁。