



# 即刻行动：

改善皮肤T细胞淋巴瘤 (CTCL) 诊疗的全球患者共识

本文件为疾病认知合作计划的一部分，由协和麒麟参与启动、组织和资助。

# 1

## 即刻行动： 改善皮肤T细胞淋巴瘤 (CTCL) 诊疗 的全球患者共识

我们是**CTCL全球关爱合作联盟 (CTCL Global Care Collaborative)**，致力于携手推动皮肤T细胞淋巴瘤 (CTCL) 这种罕见却可能致命的癌症的诊断和治疗。<sup>1</sup>

我们的目标是设法了解并解决患有CTCL及其两种主要亚型——蕈样肉芽肿 (MF) 和Sézary综合征 (SS) 的患者所长期面临的问题。这些患者面临着**身体、情绪和社交等多方面的挑战**，包括疼痛症状、广泛性皮肤病变、沉重的情绪负担、持续的不安全感，以及严重影响生活质量等。<sup>2</sup>这些问题本身已十分严重，而疾病未能及时得到诊断、患者担心影响亲人则可能会进一步加重情况的恶化。

CTCL包含多种类型的**罕见血液肿瘤**，均主要表现为皮肤受累。<sup>3,4</sup>MF是CTCL中研究最充分的亚型，**易被误诊为常见的良性疾病，如湿疹和银屑病**。<sup>1,5</sup>由于该病的罕见性，MF往往会被误诊。值得关注的是，MF患者的**平均确诊时间为3-4年**。<sup>5,6</sup>

认识到需要改变的迫切性，我们联合起来、共同制定了这份全球共识声明。

在此，我们倡导**12项建议**，以帮助推动全球医疗系统的转型，改善CTCL的诊断和治疗。这些建议包括：

### 医疗卫生部门可以：

- 为当地诊疗CTCL的临床医生提供转诊和联系相关专家的途径。
- 为临床医生建立 (或联系现有) 多学科诊疗团队 (MDT) 提供支持。
- 为资源缺乏的国家提供更多资源。
- 投资用于诊断和病例共享的新技术。
- 确定当地罕见病培训的资助方式。
- 推动临床指南中对疾病分期的认知和共识。
- 帮助临床医生提高对CTCL的认知。

### 医院/诊所可以：

- 促进CTCL相关MDT的建立与联系。
- 在诊治CTCL患者时与其他医疗机构之间保持密切沟通。

### CTCL临床医生可以：

- 确保在诊治CTCL患者时与临床团队保持沟通。
- 主动与非专科医生和当地其他临床医生探讨CTCL。
- 与医学协会和患者组织合作推进CTCL相关疾病教育。

我们相信这些建议的实施能够为受CTCL影响的人们带来重大且积极的影响，为CTCL患者带来希望并提供支持。

作为一个全球合作联盟，我们会与世界各地的医疗卫生部门、医院、临床医生和其他利益相关方共同合作，推动这些建议的实施。**在多方的共同努力下，我们能整合我们的专业知识、洞见和资源，并最终满足在CTCL领域的疾病认知、诊断和治疗等方面的未被满足的需求。**

# 2

## 《即刻行动:改善皮肤T细胞淋巴瘤 (CTCL) 诊疗的全球患者共识》签署方:

### 作者 及目录



西班牙



葡萄牙



全球



德国



中国

TOGETHER! FIGHT LYMPHOMA!  
让淋巴瘤不再  
成为生命的羁绊!



韩国



总部位于日本的全球化  
特药公司



英国



全球



德国



荷兰

### 目录

即刻行动:全球患者共识 .....	2
作者及目录 .....	3
摘要 .....	4
什么是CTCL? .....	5
CTCL的影响 .....	6
在CTCL领域未被满足的需求 .....	7
改进建议 .....	8
参考文献 .....	9

# 3

## 摘要

CTCL是一种罕见的、以皮肤受累为主要表现的T细胞肿瘤。本共识声明概括了为CTCL患者提供更好的诊断和治疗的愿景。<sup>1,3,4</sup>本共识声明由多个国际患者倡导组织共同制定。

### 问题

CTCL常引起不适、疼痛、广泛性皮肤病变以及疲倦。<sup>2</sup>在心理方面，它可能导致患者抑郁、沮丧和羞耻感。<sup>2</sup>有这些症状的患者可能每天都要忍受这些负担。

而且，患者的负担可能由于**诊断、检查和治疗上的局限而变得愈发严重**，这些局限包括：

- 将MF症状误诊为其他较为常见的疾病，尤其是银屑病或湿疹。
- **诊断不及时** (MF患者可能在三年甚至十多年后才被确诊)，进而可能影响预后。
- **疾病分期不准确**，表明对疾病的认知仍有不足。
- 全球范围内**疾病诊疗资源的可及性不均衡**。

在全球范围内提高对CTCL的认知并改善医疗体系，对于解决这些问题至关重要。

### 解决方案

**为改善医疗体系的疾病认知、诊断和治疗，我们提出了12项建议**，具体包括：

#### 医疗卫生部门可以：

- 为当地诊疗CTCL的临床医生提供转诊和联系相关专家的途径。
- 为临床医生建立(或联系现有)MDT提供支持。
- 为资源缺乏的国家提供更多资源。
- 投资于诊断和病例共享的新技术。
- 确定当地罕见病培训的资助方式。
- 推动临床指南中对疾病分期的认知和共识。
- 帮助临床医生提高对CTCL的认知。

#### 医院/诊所可以：

- 促进CTCL相关MDT的建立与联系。
- 在诊治CTCL患者时与其他医疗机构之间保持密切沟通。

#### CTCL临床医生可以：

- 确保在诊治CTCL患者时与临床团队保持沟通。
- 主动与非专科医生和当地其他临床医生探讨CTCL。
- 与医学协会和患者组织合作推进CTCL相关疾病教育。

### 价值

实施这些建议，医疗系统在识别和管理CTCL病例的能力将得到强化。这将改善患者的诊疗，提升他们的生活质量，尤其针对解决长期存在的问题，更能起到重要作用。

# 4

## 什么是CTCL?

### 概述

原发性皮肤淋巴瘤是一类罕见的非霍奇金淋巴瘤，其中以起源于T细胞的淋巴瘤最为常见。<sup>5,7</sup>

T细胞是一种帮助免疫系统对抗细菌和病原体的白细胞。<sup>8</sup>但是在T细胞淋巴瘤患者体内，T细胞出现异常——**在CTCL患者体内，这些异常的细胞在皮肤部位聚集。**<sup>8</sup>这些异常的T细胞也可能出现在血液、淋巴结和内脏器官中。<sup>9</sup>

CTCL可能表现为持续出现的皮肤斑片和/或隆起的鳞状斑块，通常伴有持续瘙痒。<sup>2,10</sup>患者也有可能出现其他更为明显的皮损。<sup>11</sup>通常在出现明显皮损的早期，这些症状可能**会被误诊**为其他更常见的良性疾病，如银屑病或湿疹。<sup>5</sup>

### 亚型

CTCL亚型中研究最多的是MF和SS。**这两种亚型占所有CTCL患者的约三分之二，其中MF占60%、SS占5%。**<sup>7</sup>

MF更为常见，其特征主要包括皮肤发红、皮疹、干燥、鳞状斑片或斑块，某些情况下可能出现皮肤肿瘤。<sup>2,12</sup>MF不一定会发展为晚期疾病，但一旦疾病进展，通常会比较迅速。<sup>12</sup>**MF的早期诊断具有一定的挑战性。**<sup>12</sup>

SS是一种比MF更为罕见、恶性程度更高的CTCL亚型，**会引起全身发红、剧烈瘙痒和皮肤脱屑。**<sup>2,7</sup>SS还会影响血液和其他身体部位，如淋巴结。

除了MF和SS之外，CTCL还有其他多种亚型，包括淋巴瘤样丘疹病、原发皮肤间变大细胞淋巴瘤等。<sup>1</sup>

### 人口统计学分析

尽管CTCL的病因暂不明确，但研究发现它较易影响以下人群：

- **老年人**，中国人发病年龄通常为40多岁，<sup>13</sup>欧美国家人群的平均发病年龄则为50多到60多岁。<sup>14,15,16</sup>
- **男性**，男性的CTCL患病率比女性高两倍。<sup>17</sup>
- **深色皮肤人群**，尤其是非洲裔美国人/黑人，他们患CTCL的风险是其他人群的两倍。<sup>18</sup>

# 5

## CTCL 的影响

CTCL患者面临着身体、情绪和社交等多方面的挑战，这会降低他们的生活质量。

生理方面，疾病晚期阶段的严重皮肤症状会导致患者不适、疼痛、睡眠障碍以及疲倦。<sup>2</sup>这会**严重影响患者的日常活动能力——而这些活动对正常人来说轻而易举。**<sup>2</sup>

“CTCL导致我脖子上长了个大肿瘤，像是身上被绑了一块砖头。”

Michael,  
英国CTCL患者。

“这个病最折磨我的是它反复发作，没办法完全治愈。我只能不停地去医院。”

Liang, 中国CTCL患者。

疾病会影响患者的社交生活和家庭关系，甚至无法继续工作或完成学业。<sup>2</sup>

患者在**情绪和社交方面会遇到巨大挑战**。一些CTCL患者会出现抑郁，缺乏安全感，感到沮丧、愤怒。<sup>2</sup>

“我没办法在白天工作。我现在上夜班，因为我不想让别人看到我皮肤的样子。而且我实在不能忍受皮肤瘙痒。”

Carole,  
美国CTCL患者。

一些患者会因为皮肤症状而**心生羞耻感**，从而产生孤立感。<sup>2</sup>

“对我来说这个病最不能忍受的是它会出现在暴露在外的皮肤上，比如脸上和手上。所以我会尽量避免外出。我受不了别人看我的眼神，就好像我做了什么坏事一样。”

Dong, 中国CTCL患者。

由于CTCL是一种罕见病，**患者如何找到其他具有相似经历的病友或患者组织和教育资源同样具有挑战性**。这会进一步加深患者的孤立感。

“我从头到脚，包括我周围的地上，到处都是不正常的死皮，像是撒了一袋糖。而且我的手脚会出现裂纹和撕裂。”

Lee,  
韩国CTCL患者。

CTCL的影响远远超出了**医学诊断的范畴**并且每天都会给患者及其亲人带来**巨大影响**，从令人痛苦的身体症状到沉重的情绪和社交负担。

# 6

## 针对CTCL 未被满足的 需求

### 诊断

目前最重要的未被满足的需求是**准确、及时的诊断**。

诊断CTCL具有一定的挑战性。这是一种罕见病，而且一些亚型的表现与银屑病和湿疹非常相似，比如MF。<sup>5</sup>此外，临床医生往往只在患者对其他常见的良性疾病治疗无效时才会考虑CTCL。<sup>19</sup>患者的生活区域距离专科中心的远近也是一项影响因素，如果患者能更方便地见到专科医生，被确诊的几率也就更高。

**MF的平均确诊时间为3-4年。<sup>5,6</sup>有些患者甚至在十多年后才得以确诊。<sup>20</sup>大多数患者都经历过被转诊至多个不同科室的情况。**

早期MF患者的生存时间往往比晚期患者更长。<sup>21</sup>但是，如果没能及时得到诊断，进而没能及时得到治疗，患者会受到严重影响，而这些影响本可以避免。

### 分期

除了诊断之外，还需要对疾病分期进行准确评估。对MF和SS的分期需要使用临床检查和多种技术对4个方面进行评估：皮肤、淋巴结、血液和内脏器官。<sup>4</sup>准确的疾病分期对于确定疾病的严重程度至关重要，会影响对疾病预后、治疗及整体管理的分析。<sup>22</sup>然而，**在血液累及等一些方面，目前对于最佳治疗方案的评价仍缺乏全球统一的临床共识。**<sup>23</sup>此外，对皮肤淋巴瘤的T细胞受体进行基因测序很有必要，这有助于尽早确诊。<sup>22</sup>

### 治疗

**由于诊断存在的问题，患者可能要在数年后才会转诊到CTCL专科医生。**<sup>20</sup>然而，即便是在确诊后，仍然存在未被满足的需求。

CTCL患者和医生之间的互动交流可能会使患者在预后方面产生不确定性，甚至误解。因此在改进医患沟通方面仍有提升空间。

另外，尽管**采用MDT**在个别病例的管理中展示出了诸多益处，多学科诊疗模式在医疗系统中的应用仍未被普及。

最后，**各个国家均存在诊疗和支持资源分配不均的问题，而且各个国家都需要将患者更迅速地转诊给专家**，这样才能确保患者从专家的专业治疗中获益。

# 7

## 即刻行动

### 建议做出的改变

为加强诊疗水平、提高患者的生存质量,能准确、及时诊断CTCL至关重要。要实现这样的转变,在全球范围内提高对CTCL的认知并改善医疗体系势在必行。

这需要通过医疗卫生部门、医院/诊所和每一位CTCL临床医生的行动来实现。为此,我们提出以下**12点建议**:

#### 医疗卫生部门可以:

- **为当地诊疗CTCL的临床医生提供转诊和联系相关专家的途径**,无论是国内还是国外,可以考虑通过国内合作组织来实现。
- **为临床医生建立(或联系现有)MDT提供资金和行政支持**,促进MDT在区域内的扩展。
- **为资源缺乏的国家提供更多资源**,包括在需要时提供影像检查和活检等方面的支持。
- **投资新技术和数字化工具**,用于诊断和病例的快速分享。
- **确定当地罕见病培训的资助方式**,支持财政紧张的医疗系统,帮助临床医生从相关课程和认证中获益。
- **推动临床指南中对疾病分期的认知和共识**,就如何在身体受累部位进行CTCL检测达成临床共识。
- 通过在医疗系统和专业协会中协助开展教育和培训, **帮助临床医生提高对CTCL的认知**。

#### 医院/诊所可以:

- **促进CTCL相关MDT的建立与联系**,让更多CTCL患者能够从专科临床医生和护士的专业治疗和护理中获益。
- **在诊治CTCL患者时与其他医疗机构之间保持密切沟通**,确保关键信息能够及时地共享并得到实施,使患者能够顺利获得诊治。

#### CTCL临床医生可以:

- **确保在诊治CTCL患者时与临床团队保持沟通**,从当前的临床实践和过去的病例中学习,确保他们的患者不会收到前后不一致的信息。
- **主动与所在医疗体系中的非专科医生和当地其他临床医生探讨CTCL**,促进关于CTCL特有症状的进一步学习,提高早期确诊的几率。
- **与医学协会和患者组织合作推进CTCL相关疾病教育**,分别针对临床医生和患者群体在医学期刊和医疗会议上进行宣传。

作为一个由CTCL相关组织和临床医生组成的全球合作联盟,我们期望与世界各地的医疗卫生部门、医院和临床医生共同合作,促进这些改善的实施。

**在我们的共同努力下,我们一定能整合我们的专业知识、洞见和资源,确保取得有意义的进展,并最终满足CTCL患者在疾病认知、诊断和治疗等方面长期存在的未被满足的需求。**



# 8

## 参考文献

1. Girardi M, et al. The Pathogenesis of Mycosis Fungoides. *New England Journal of Medicine*. 2004;350(19):1978-88.
2. Demierre M-F, et al. Significant impact of cutaneous T-cell lymphoma on patients' quality of life. *Cancer*. 2006;107(10):2504-2511.
3. Willemze R, et al. The 2018 update of the WHO-EORTC classification for primary cutaneous lymphomas. *Blood*. 2019;133(16):1703-1714.
4. Cleveland Clinic. Cutaneous T-Cell Lymphoma. Available from <https://my.clevelandclinic.org/health/diseases/17940-cutaneous-t-cell-lymphoma>. Last Accessed: May 2024.
5. Wilcox RA. Cutaneous T-cell lymphoma: 2016 update on diagnosis, risk-stratification, and management. *American Journal of Hematology*. 2016;91(1):151-65.
6. Scarisbrick J, et al. The PROCLIP international registry of early-stage mycosis fungoides identifies substantial diagnostic delay in most patients. *British Journal of Dermatology*. 2019;181(2):350-357.
7. Trautinger F, et al. European Organisation for Research and Treatment of Cancer consensus recommendations for the treatment of mycosis fungoides/Sézary syndrome - Update 2017. *European Journal of Cancer*. 2017;77:57-74.
8. Mayo Clinic. Cutaneous T-Cell Lymphoma. 2023. Available at: <https://www.mayoclinic.org/diseases-conditions/cutaneous-t-cell-lymphoma/symptoms-causes/syc-20351056>. Last Accessed: May 2024.
9. Olsen E, et al. Revisions to the staging and classification of mycosis fungoides and Sezary syndrome: a proposal of the International Society for Cutaneous Lymphomas (ISCL) and the cutaneous lymphoma task force of the European Organization of Research and Treatment of Cancer (EORTC). *Blood*. 2007;110(6):1713-22.
10. Ni X, et al. Reduction of regulatory T cells by Mogamulizumab, a defucosylated anti-CC chemokine receptor 4 antibody, in patients with aggressive/refractory mycosis fungoides and Sézary syndrome. *Clinical Cancer Research*. 2014;21(2):274-85.
11. Bagherani N, et al. An Overview of Cutaneous T-Cell Lymphomas. *F1000 Research*. 2016;5:F1000 Faculty Rev-1882.
12. Cleveland Clinic. Mycosis Fungoides. Available from: <https://my.clevelandclinic.org/health/diseases/21827-mycosis-fungoides>. Last Accessed: May 2024.
13. Chen Z, et al. Prognostic Factors and Survival Outcomes among Patients with Mycosis Fungoides in China – A 12-Year Review. *JAMA Dermatology*. 2023;159(10):1059-1067.
14. Wilson L, et al. Age, Race, Gender, Stage and the Incidence of Cutaneous Lymphoma. *Clinical Lymphoma, Myeloma & Leukemia*. 2012;12(5): 291-296.
15. Nenonen J, et al. Overall survival and registration of cutaneous T-cell lymphoma patients in Sweden: a multi-center cohort and validation study. *Acta Oncologica*. 2022;61(5):597-601.
16. Agar N, et al. Survival outcomes and prognostic factors in mycosis fungoides/Sézary syndrome: validation of the revised International Society for Cutaneous Lymphomas/European Organisation for Research and Treatment of Cancer staging proposal. *Journal of Clinical Oncology*. 2010;28(31):4730-4739.
17. Leukemia & Lymphoma Society. Cutaneous T-Cell Lymphoma Facts. 2014. Available at: [https://www.lls.org/sites/default/files/file\\_assets/cutaneoustcelllymphoma.pdf](https://www.lls.org/sites/default/files/file_assets/cutaneoustcelllymphoma.pdf). Last Accessed: May 2024.
18. Wiese D, et al. Disparities in Cutaneous T-Cell Lymphoma Incidence by Race/Ethnicity and Area-Based Socioeconomic Status. *International Journal of Environmental Research and Public Health*. 2023;20(4):3578.
19. Boh E, et al. Healthcare Provider Experience in Diagnosis and Treating Cutaneous T-Cell Lymphoma. *Dermatology and Therapy*. 2023;13(3):835-842.
20. CL Foundation. Mycosis Fungoides. 2018. Available at: <https://www.clfoundation.org/mycosis-fungoides>. Last Accessed: May 2024.
21. Scarisbrick J. Survival in Mycosis Fungoides and Sezary Syndrome. How can we predict outcome? *Journal of Investigative Dermatology*. 2020;140(2):281-283.
22. Olsen E, et al. Primary cutaneous lymphoma: recommendations for clinical trial design and staging update from the ISCL, USCLC, and EORTC. *Blood*. 2022;140(5):419-437.
23. Vermeer M, et al. Flow cytometry for the assessment of blood tumour burden in cutaneous T-cell lymphoma: towards a standardized approach. *British Journal of Dermatology*. 2022;187(1):21-28.

本文件为疾病认知合作计划的一部分，由协和麒麟参与启动、组织和资助。