

再生不良性貧血 (Aplastic Anemia) 跟血癌一樣嗎？

Aplastic anemia vs leukemia: bone marrow failure, not malignancy

林協霆, MD, 內科專科醫師, 腫瘤內科專科醫師

醫療財團法人辜公亮基金會和信治癌中心醫院 腫瘤內科部 · ORCID: [0009-0002-3974-4528](https://orcid.org/0009-0002-3974-4528)

發表日期：2026/05/12 · 最後更新：2026/05/12 · 審稿：林協霆 (2026/05/12) · 主題：再生不良性貧血 (Aplastic anemia)

DOI: 10.5281/zenodo.20131190 · 此版本 10.5281/zenodo.20131191 ·

<https://lin.hsiehting.com/posts/2026/aplastic-anemia-vs-leukemia/>

摘要 · ABSTRACT

再生不良性貧血 (AA) 是骨髓造血衰竭，不是癌症——但與 MDS / PNH / 白血病的鑑別困難，治療路徑也部分重疊。本文整理 AA 與 MDS / PNH / 白血病的差別、嚴重度分類 (NIH severe / very severe AA)、免疫抑制 (ATG + cyclosporine + eltrombopag) vs. 異體幹細胞移植的選擇。

再生不良性貧血 (aplastic anemia, AA) 不是血癌——是骨髓造血幹細胞衰竭。 但治療強度、長期管理、與 MDS / PNH / 低度血癌的鑑別困難，讓 AA 常被誤以為是「血癌」。本文整理 AA 與 MDS / PNH / 白血病的差別、嚴重度分類 (severe / very severe AA)、免疫抑制治療 (ATG + cyclosporine + eltrombopag, RACE 試驗) vs. 異體幹細胞移植的決策、與長期進展為 MDS / AML / PNH 的監測。

閱讀對象

本文設定讀者為剛診斷 AA 的病友與家屬。實際治療由血液腫瘤科團隊個案決定；本文不取代專業諮詢。



AA 是什麼？跟血癌差在哪？

疾病	機轉	骨髓	血球數
AA (再生不良性貧血)	造血幹細胞免疫攻擊 (多數)	Hypocellular (空蕩蕩)	全血球低下
MDS (骨髓增生不良)	造血幹細胞質變、無效造血	多數 Hypercellular，少數 Hypo	血球低下 + 不典型細胞
AML (急性白血病)	Blast 急速增生	Hypercellular，blast ≥ 20%	Blast 出現、血球變化
CLL / CMML / MPN	各自不同的慢性增生	多 Hypercellular	因型而異
PNH	GPI anchor 缺失 → 補體溶解紅血球	多正常或合併 AA	慢性溶血

AA 的常見原因

類型	來源
特發性 (idiopathic)	80–85%，多為自體免疫攻擊造血幹細胞
藥物 / 毒素相關	Benzene、化療、氯黴素、抗甲狀腺藥、卡馬西平
病毒	EBV、HIV、肝炎 (HAV/HBV/HEV 後 AA)、parvovirus B19
遺傳性	Fanconi anemia、Dyskeratosis congenita、Shwachman-Diamond
懷孕	罕見
放射線	高劑量

嚴重度分類 (Camitta criteria)

等級	條件
Severe AA (SAA)	骨髓細胞 < 25% (或 25–50% 且 < 30% 為造血細胞) + 至少 2 項：ANC < 500、PLT < 20K、網狀紅血球絕對值 < 60K
Very Severe AA (vSAA)	SAA + ANC < 200
Non-severe AA (NSAA)	不達 SAA 標準

治療決策

第一步 — 確診與排除

骨髓 + 染色體 + NGS (排除 hMDS) + PNH flow + 病毒篩檢 + 維生素 B12 / 葉酸 / 鐵 / 自體免疫 panel + 遺傳性 AA (年輕者)。

第二步 — 確認嚴重度與年齡

SAA / vSAA 需立即治療；NSAA 可觀察或免疫抑制。

第三步 — 治療路徑

< 40 歲 + matched sibling donor → 異體 SCT 為首選 (5 年 OS 75–90%)。 > 40 歲 或 無 matched sibling → IST (ATG + cyclosporine + eltrombopag) (RACE 試驗, 3 個月反應率 68%)。

第四步 — 支持治療

輸血、血小板輸注 (避免 HLA-immunization)、感染預防、嗜中性低下時隔離。

免疫抑制治療 (IST) : RACE 試驗

RACE trial (NEJM 2022) : 嚴重 AA 一線。

組別	3 個月反應率	6 個月
Horse ATG + cyclosporine	41%	58%
Horse ATG + cyclosporine + eltrombopag	68%	74%

eltrombopag (口服 thrombopoietin receptor agonist) 已成 IST 標準合併用藥。

IST 後追蹤

- 反應評估在 3、6 個月
- 部分反應者持續追蹤至 12 個月
- 復發者考慮再次 IST 或移植

異體幹細胞移植 (allo-SCT)

來源	適合
Matched sibling donor	首選；< 40 歲、有兄弟姊妹 HLA 相符
Matched unrelated donor (MUD)	IST 失效後二線
Haploidentical	無 MUD 時的選項
Umbilical cord blood	兒童或無其他來源

移植前處置：低強度 conditioning (fludarabine + cyclophosphamide ± ATG) ，減少毒性。**全身放療**避免在 AA（增加第二原發癌）。

長期監測：3 個進展風險

進展	累積風險	監測
MDS / AML	10 年 ~10%	每 3–6 個月 CBC、抹片；異常時骨髓 + 染色體 + NGS
PNH	10–20% 病人出現 PNH clone	每 6–12 個月 PNH flow cytometry
AA 復發	IST 後 30–40%	持續追蹤 CBC

適用對象 / 不適用對象

本文適用

- 剛診斷 AA 的病友與家屬
- 想了解 AA / MDS / PNH 鑑別的同業
- 第一線住院醫師、家醫科衛教

本文不適用

- 取代血液腫瘤科專科醫師個案決策
- 兒童 AA 詳細處置（遺傳性疾病需獨立評估）
- 罕見遺傳性 AA 詳細管理

副作用 / 風險揭露

IST 主要副作用

- **ATG：**血清病、發燒、皮疹、過敏反應
- **Cyclosporine：**腎毒性、高血壓、神經毒性、牙齦增生、感染風險

- **Eltrombopag**：肝酵素升、骨髓纖維化（罕見）

Allo-SCT 主要副作用

- 移植物抗宿主病（GVHD）
- 感染（CMV、PJP、黴菌）
- 不孕（多數）
- 第二原發癌長期風險

主要禁忌

- 嚴重共病、ECOG 3–4 不適合 SCT
- 嚴重感染未控制
- ATG 過敏史
- 懷孕（多數藥物）

帶去診間的問題清單

我是 AA 還是 MDS / PNH / 其他？

確認染色體、NGS、PNH flow 都做了。

我屬 SAA、vSAA 還是 NSAA？

決定治療強度。

我有 HLA 相符的兄弟姐妹嗎？

決定 IST vs. 移植順序。

IST 反應評估在第幾個月？

多在 3、6 個月。

我的重大傷病可以申請嗎？

AA 在範圍內。

長期 MDS / AML / PNH 風險如何監測？

定期 CBC、抹片、PNH flow、必要時骨髓檢查。



參考文獻

1. Peffault de Latour R, et al. **Eltrombopag Added to Immunosuppression in Severe Aplastic Anemia (RACE).** *N Engl J Med.* 2022;386(1):11–23. [doi:10.1056/NEJMoa2109965](https://doi.org/10.1056/NEJMoa2109965)

2. Townsley DM, et al. **Eltrombopag Added to Standard Immunosuppression for Aplastic Anemia.** *N Engl J Med.* 2017;376(16):1540–1550. [doi:10.1056/NEJMoa1613878](https://doi.org/10.1056/NEJMoa1613878)
3. Bacigalupo A. **How I treat acquired aplastic anemia.** *Blood.* 2017;129(11):1428–1436. [doi:10.1182/blood-2016-08-693481](https://doi.org/10.1182/blood-2016-08-693481)
4. Killick SB, et al. **Guidelines for the diagnosis and management of adult aplastic anaemia.** *Br J Haematol.* 2016;172(2):187–207. [doi:10.1111/bjh.13853](https://doi.org/10.1111/bjh.13853)
5. Young NS. **Aplastic Anemia.** *N Engl J Med.* 2018;379(17):1643–1656. [doi:10.1056/NEJMra1413485](https://doi.org/10.1056/NEJMra1413485)
6. Hill A, et al. **Paroxysmal nocturnal haemoglobinuria.** *Nat Rev Dis Primers.* 2017;3:17028. [doi:10.1038/nrdp.2017.28](https://doi.org/10.1038/nrdp.2017.28)

引用整理協力：NCCN AA 2026、RACE NEJM 2022、Bacigalupo 2017 Blood、BSH 2016 guidelines、Young 2018 NEJM review (2026/05/12)。

SOURCE <https://lin.hsiehting.com/posts/2026/aplastic-anemia-vs-leukemia/>

CITATION 林協霆. 再生不良性貧血 (Aplastic Anemia) 跟血癌一樣嗎?. 林協霆 · 臨床筆記. 2026/05/12.
[doi:10.5281/zenodo.20131190](https://doi.org/10.5281/zenodo.20131190)

LICENSE CC BY-NC-ND 4.0 — 文章內容依 [Creative Commons 姓名標示-非商業性-禁止改作 4.0 國際](https://creativecommons.org/licenses/by-nc-nd/4.0/) 授權公開使用。

DISCLAIMER 本文整理公開發表之臨床試驗結果與 NCCN/ASCO/ESMO 治療指引，僅供醫學新知與病人衛生教育參考，不構成個別醫療建議，亦不取代主治醫師之診療判斷。實際治療決策請與您的主治團隊面對面討論。