

出國報告（出國類別：開會）

歐洲血液病學會 2025 年會

服務機關：臺中榮民總醫院 兒童醫學中心 血液腫瘤科

姓名職稱：陳其延 主治醫師

派赴國家/地區：義大利/米蘭

出國期間：2025 年 06 月 11 日至 2025 年 06 月 21 日

報告日期：2025 年 07 月 16 日

摘要

The European Hematology Association (EHA) 是目前全球領先的國際血液學專業組織之一，自 1992 年成立以來，致力於推動血液學領域的科學研究、臨床實務、教育訓練以及政策倡導。每年 6 月舉辦的歐洲血液學年會（EHA Congress）是全球規模最大的血液學盛會之一，吸引來自百餘國的臨床醫師、研究人員及產業代表，共同分享最新研究成果、治療進展與臨床試驗數據。

本次能在王建得主任及黃芳亮主任的鼓勵及指導下參與 2025 年 EHA 年會，投稿並展示研究成果，深感榮幸。透過會議不僅能吸收國際最新知識，更有機會認識來自世界各地的學者，拓展專業視野與人脈資源。會議為期四天，規模盛大，最多同時有多達 13 個場地同時進行會議。我共參加近 20 場講座或專題討論，並完成海報展示，收穫豐碩。

關鍵字：(至少一組)

歐洲血液病學會、EHA、Protein C deficiency

目次

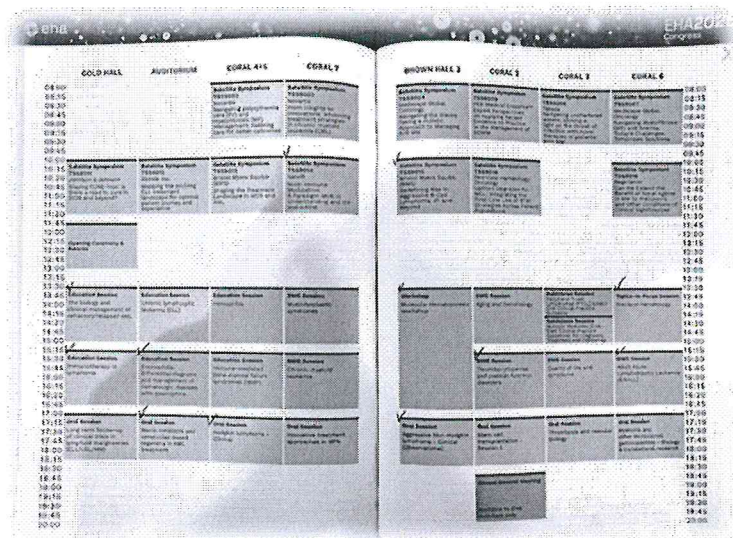
一、 目的	1
二、 過程	1
三、 心得	5
四、 建議事項	6
(至少四項，包括改進作法)	
(一) 鼓勵年輕醫師積極參與國際會議	
(二) 強化藥物治療監測	
(三) 加強與精準醫學中心的合作	
(四) 提升造血幹細胞移植能力與資源完整性	
五、 附錄	7

一、 目的

The European Hematology Association (EHA) 是目前全球領先的國際血液學專業組織之一，成立於 1992 年，致力於促進血液學領域的科學研究、臨床實務、教育訓練以及政策倡導，每年 6 月舉辦的歐洲血液學年會（EHA Congress）是全球最大規模的血液學盛會之一，吸引來自百餘國的臨床醫師、研究人員和業界代表，分享最新研究、治療進展與臨床試驗成果。因兒醫中心王建得主任及黃芳亮主任鼓勵年輕醫師多投稿並參與國際會議，除吸收新知外也能認識國際學者，增進自己的視野與人脈。此次，在王建得主任指導下投稿並參與此次 2025 年會。

二、 過程

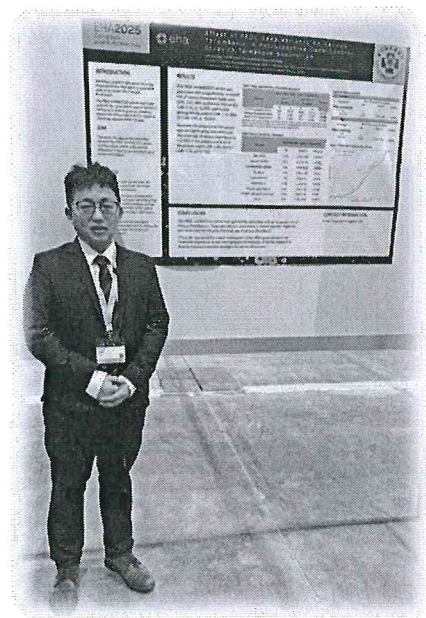
本次會議為期四天，規模盛大，最多有多達 13 個場地同時進行學術會議。我共參與近 20 場講座或專題討論，並完成海報展示。



(一) Poster presentation

此次投稿主題為「PROC 基因變異對靜脈血栓的影響：台灣人口的回顧性病例對照研究」，此研究在王建得主任指導下，與精準醫學中心陳一銘主任、蕭志宏博士及陳怡潔博士合作完成。研究透過 TPMI (Taiwan Precision Medicine Initiative) 資料庫，分析共 805 位帶有 PROC 基因變異的病患，為目前針對單一基因位點進行人數最多的研究。

研究結果顯示，此基因變異與靜脈血栓發生率在統計上具有顯著差異，尤其在女性病人族群中差異更為明顯；然而，靜脈血栓的發病年齡與對照組相比則



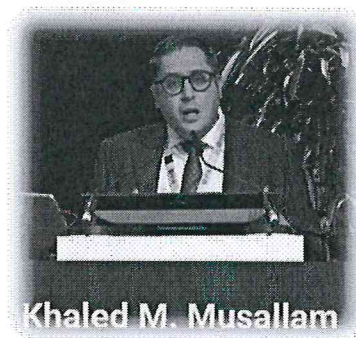
未呈現統計差異。

本研究結果以海報形式於 6 月 18 日晚間在會場進行張貼展示，期間與與會者在海報旁討論與經驗交流，另大會亦透過官方 APP 提供所有海報之線上查詢與觀看功能，讓更多專家能便利瀏覽及回饋。

The screenshot displays the EHA2025 Abstract book app interface. At the top, it states 'EHA2025 Abstract book available as of June 13, 2025'. Below this, there are navigation options: 'Overview', 'Search', and 'My Program'. A 'Share' section includes 'Share', 'Share', and 'Share Link' buttons. The main content area shows a poster session entry for 'EFFECT OF PROC GENE VARIANTS ON VENOUS THROMBOSIS: A RETROSPECTIVE CASE-CONTROL STUDY IN TAIWANESE POPULATION'. The entry includes the following details: 'Poster Session', 'Poster Hall', 'Saturday, 14 June, 18:30 - 18:30 CEST', and 'Thrombosis and vascular biology'. There are also interactive buttons: 'Remove from my program' and 'Save calendar file (.ics)'. A 'Speakers' section lists 'Mr. Chi-yen Chen (Taichung, Taiwan)' with a 'Remove from my program' button.

(二) EHA Clinical Excellence Award: Beta thalassemia

1. 今年 EHA Clinical Excellence Award 由 Professor Khaled Musallam 獲得，其研究是關於非輸血依賴型的地中海型貧血。地中海型貧血病人在我們臨床上不少見，但主要是針對輸血依賴型病人做治療，包括新藥等。然而，Professor Khaled Musallam 提到，在他們長期的研究中發現，13.8% 的病人會有所謂的 pheonconversion，也就是由非輸血依賴型轉變為輸血依賴型。



2. 早在 2006 年 Taher 研究就發現非輸血依賴型與輸血依賴型病人造成的病發症有所不同。為了應證這件事情，Professor Khaled Musallam 發起了一個多國的研究 The OPTIMAL CARE Study (Overview on Practices in b-Thalassemia Intermedia Management Aiming for Lowering Complication Rates Across a Region of Endemicity)，包含義大利、埃及、黎巴嫩、伊朗、阿曼以及阿拉伯聯合大公國，共 584 名病人。此研究發現有較高比例病人有併發症，包含骨質酥鬆、性腺功能低下症、血栓等，且風險隨著年齡增加而上升。

3. 因此，Professor Khaled Musallam 針對三個方向著手，包含 iron overload、chronic anemia 以及 hypercoagulability status。

(1) Iron overload: 這些非輸血依賴型病人雖沒有規則輸血，但仍會鐵質沈積，原因為無效造血，導致 hepcidin 下降，進而增加鐵質的回收，而造成鐵質沈積。

鐵質沈積後續會造成肺高壓、骨質疏鬆、腎臟病以及內分泌疾病。其研究也發現年齡超過 10 歲、Ferritin 大於 800ng/ml 或 LIC > 5mg/g，會提高併發症的機會，因此需開始降鐵(iron chelation)。也發起了 THALASSA study，針對非輸血依賴型病人使用排鐵劑，最終也獲得 FDA 及 EMA 核可使用在非輸血依賴型的病人。

(2) Chronic anemia: 研究發現，Hb <10g/dL 會增加併發症的風險，與 iron overload 有加成作用，若同時符合 Hb<10 且 Ferritin 大於 800ng/ml 的病人，預後是最差的。治療上輸血能改善 chronic anemia 但卻造成鐵質的沈積。因此 Professor Khaled Musallam 團隊分別將目前應用在輸血依賴型的兩種藥物(Luspatercept、Mitapivat)使用在非輸血依賴型的病人，發起了 BEYOND trial 以及 ENERGIZE trial，最終也分獲得 EMA 核可使用。

(3) Hypercoagulability: 此部分已知有關聯性，但尚未有介入性的研究。

4. Professor Khaled Musallam 也藉由這一系列的研究，發表了屬於非輸血依賴型地中海型貧血的治療準則。

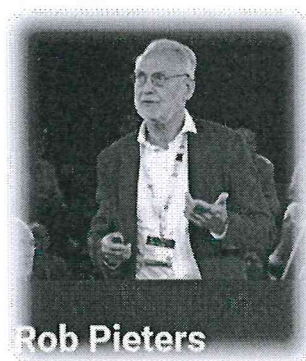
(三) ALL

1. 這場會議很特別，是在一個環形舞台，講者分別有兒科以及成人科醫師，一起討論急性淋巴性白血病(ALL)。ALL 是兒童癌症中佔比最高的疾病，但在成人科卻比較少見，兩者治療的預後也有所不同。據研究統計，隨著年齡的上升，預後越差。



2. 第一位是來自荷蘭的講者 Rob Pieters，討論有關兒童 ALL 治療中 Asparaginase (ASP)的使用。

(1) 目前國外療程均以 Pegylated (PEG) ASP 做治療。講者一再強調檢測藥物活性的重要性，除了能抓到本身對藥物沒效的人(silent inactivator)，也能在臨床上有過敏症狀時，決定是否能持續使用藥物。也提醒若濃度偏低，也有可能是其他干擾因素，如感染導致。也提醒藥物切勿中斷，中斷使用的人在 2020 年的研究中發現，預後比沒中斷



人差了 10%。

(2) 在 2022 年的研究中發現，過敏反應跟藥物劑量或給藥次數不是最相關，反而跟療程設計有關，若使用藥物後，沒使用藥物的間隔比較久，產生過敏反應的機會就比較高。這與我們臨床上遇到的狀況能夠相符合，第一階段給藥都沒問題，後續給藥反而有過敏的反應。

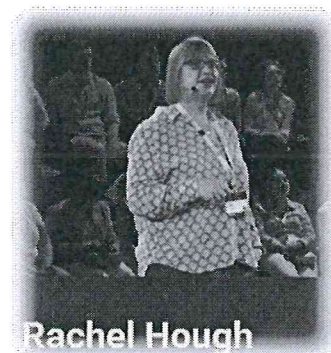
(3) Rob Pieters 更因此設計了臨床試驗，將病人區分成連續給藥跟不連續給藥，研究發現，連續給藥的病人副作用明顯下降(10.8% vs 2.6%, $p=0.007$)。且在研究中發現，藥物活性不是太高就是太低，太低的病人是原本就對藥物反應不好。太高的那群病人則意謂著藥物其實劑量不用那麼高，就能夠達到治療有效的濃度。

(4) 因次，他們做了另一個臨床試驗，一開始用高濃度給予 3 次劑量後，後續根據藥物活性去調整給藥劑量。研究發現，後續劑量約給予原本 1/3 就能夠維持穩定的治療濃度。

3. 第二位是來自英國的講者 Rachel Hough，討論有關 young adult ALL 的治療。

(1) 在 2016 年研究發現，年紀跟治療中副作用的產生有關聯，大於 10 歲的病人明顯比小於 10 歲病人。大於 10 歲病人，在 Methotrexate neurotoxicity、Pancreatitis 以及 Hyperglycemia 比例都較高。除此之外，Avascular necrosis、thrombosis、psychosis 比例也都比較高。

(2) 會議中也討論到，若產生嚴重副作用，例如血栓造成栓塞，後續是否能繼續使用 ASP。在英國自己的研究中，認為後續使用是安全的，沒有人再產生栓塞。而在美國的研究，有三分之一的人有栓塞的復發，尤其是成人。



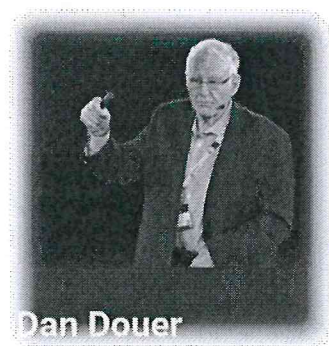
4. 第三位是來自美國的講者 Dan Douer，討論有關成人白血病的治療。

(1) 成人 ALL 原本是一個預後非常差的疾病，但在近期有明顯的進步，從早期的 10-20% 存活率，到目前 60-70% 存活率。主要是治療方式的改變，不管是使用兒童療程或是由兒童療程修改的治療方式，都有效提升成人 ALL 的成績。

(2) 在統計上，副作用的比例也比較高，尤其是肝毒性、血栓以及胰臟炎。肥胖的病人(BMI>30)的副作用比例更高、預後更差。

(3) 因成人副作用多，在臨床上常因此中斷治療，Dan Douer 嘗試將 ASP 劑量下調，並密集追蹤藥物濃度，發現從 2500 IU/m² 降至 2000 IU/m²，仍可維持穩定的有效治療濃度。以期能減少副作用產生。

(4) 兒童改良的治療方式可以用到幾歲的人？在法國跟義大利的研究中發現，55 歲以下的成人，使用上預後差不多，但大於 55 歲成人，則明顯預後比較差，因此講



者認為 55 歲以下都可使用此療程。

(5) 最後，講者也提醒，若出現嚴重胰臟炎，治療上就不能持續在使用 ASP，即使不同藥廠或是不同製作方式的藥物。後續必須調整療程，包含加入免疫治療等。

(四) AML

急性骨髓性白血病(AML)為兒童癌症中治療較為困難之疾病，整體預後不如急性淋巴性白血病 ALL，治療困難且容易復發。會議中討論復發之機轉可能性，包含 inter-tumor heterogeneity 以及 intra-tumor heterogeneity。研究也發現初診斷跟復發時基因變異與染色體變異的差別。包含較高比例的 DNMT3A, TP53, TET2, RUNX1 以及第五及第七對染色體的異常。會議中也討論到 IDH1, FLT-ITD, KMT2r 及 NPM1 等特定基因變異時的不同，對於標靶藥物的反應也會受到影響。這些結果一再強調基因檢測的重要性，除了初診斷時會對於標靶藥物使用有影響外，復發時對於原標靶藥物是否還有效，以及後續治療都有很高的關聯性，也反應了精準醫療的重要性。

(五) 移植

1. 今年移植相關最新的研究是關於 Post Transplant Cyclophosphamide (PTCy)的使用，在半相吻合移植時，PTCy 已被廣泛使用以減少嚴重移植排斥並提升存活率。然而，PTCy 目前臨床試驗除半相吻合外，都用於非親屬全合移植，且移植前的調理藥物 (condition regimen) 主要為非骨髓殲滅(Non myeloablative conditioning)，此次 Cutis 團隊在 CAST (Cyclophosphamide After Sibling Transplant) trial 中，針對全合親屬移植，且病人使用 MAC 作為調理治療。此研究於今年 6 月刊登於 NEJM。

2. 研究將 134 個病人分成兩組，一組採取傳統抗排斥的方法(使用 Cyclosporin+MTX)，另一組採去 PTCy+ Cyclosporin。追蹤 3 年後發現，PTCy 這組的嚴重排斥比例較低、復發及死亡比例沒有比較高。3-year GFRS 比例更高(49% vs 14%, $p < 0.001$)，不倫使用的調理藥物為 MAC or RIC，使用 PTCy 比起傳統抗排斥都能有更好的預後。後續追蹤的 Overall Survival 以及 Relapse Free survival 都比傳統藥物好。

3. 雖然研究裡最小年紀為 21 歲，但未來在兒科我相信也會有更多研究有所著墨，可以期待其在兒科的應用。

三、心得

(一) 衷心感謝院部長官與兒醫中心師長的支持與指導，也感謝櫻花文教基金會的補助，使本次能順利參加 EHA Congress 這項全球規模最大的血液學盛會之一。非常榮幸能有機會參與並分享本院的研究成果。透過會議中各國專家的經驗分享與發表，不僅能吸收新知、掌握最新醫療趨勢，更能與目前科內現況對照，找出未來努力的方向。

(二) 今年 EHA Clinical Excellence Award 的得主並非針對癌症或罕見疾病進行研究，而是聚焦於非輸血依賴型地中海型貧血的病人。Professor Khaled Musallam 從臨床觀察到問題，進而設計臨床試驗、完成收案，最終取得 FDA 與 EMA 的核可，使病人

能實際受惠、改善預後與生活品質。其堅持與成就令人敬佩，也讓這群長期容易被忽視的病人獲得重視，對我臨床工作帶來深刻啟發。

(三) 白血病治療日新月異，除了近年廣受關注的 CAR-T 細胞治療外，免疫藥物的使用觀念也持續更新。會議中多位講者特別強調，如何有效使用既有藥物、降低治療副作用同時維持療效，是當前重要課題；其中藥物濃度監測更被視為評估治療成效的重要依據。此外，臨床中 adult and young adult (AYA) 病人比例逐漸增加，如何針對 AYA 族群提供更適切且有效的治療，也是我們需要正視並持續改進的議題。

(四) 移植方面：

1. 科內病童對造血幹細胞移植的需求持續增加，除了血液疾病，也包含實體腫瘤與腦瘤。自體幹細胞移植雖是非血液疾病的首選，但因病童多接受高強度化療與放射治療，常出現自體幹細胞收集量不足的問題，無法符合移植標準。為追求最佳的長期預後，異體幹細胞移植的重要性日益顯現，雖移植後最大的挑戰是移植物抗宿主病 (GVHD)，但其 Graft versus tumor (GVT) 效應對腫瘤控制具關鍵價值。
2. 目前移植抗排斥治療趨勢以 PTCy 為主，國際上臨床研究持續增加，應用範圍不斷擴大，顯示 PTCy 有望成為主流抗排斥策略。我們兒科還在累積經驗，但過程中也面臨藥物資源不足的困境。先前一名接受半相合移植的病童，因缺乏移植後 VOD (veno-occlusive disease) 治療所需的 Defibrotide，最終雖移植成功卻因嚴重併發症而不幸死亡，令人遺憾。凸顯臨床經驗累積與藥物資源完備對移植成功與病人安全的重要性。

四、建議事項

- (一) **鼓勵年輕醫師積極參與國際會議**：建議院方持續支持並鼓勵年輕主治醫師與研究醫師參與國際學術會議，不僅能拓展國際視野，更能從與世界專家的交流中發現自身不足，進而找尋未來發展方向與目標。
- (二) **強化藥物治療監測**：在治療急性白血病病童時，應更加重視 Asparaginase 相關副作用的偵測以及藥物濃度監測，以在提高治療成功率的同時，有效降低併發症發生率，確保病童安全。
- (三) **加強與精準醫學中心的合作**：增加與精準醫學中心合作的機會，除目前在血液疾病方面的資料庫分析外，進一步延伸至兒童癌症領域，特別是針對復發或治療困難個案，藉由基因分析協助找出潛在的治療選擇與方向，以提升治療個別化與精準度。
- (四) **提升造血幹細胞移植能力與資源完整性**：持續累積造血幹細胞移植經驗，並計畫於今年報考移植專科醫師，期望進一步提升科內移植技術與照護能力。此外，建議院內常備移植治療中關鍵藥物 Defibrotide，該藥物為目前唯一實證可有效治療移植後嚴重併發症 Veno-occlusive disease (VOD) 的藥物。因本科先前一例半相合移植病童雖移植成功，但最終因 VOD 而不幸離世，期盼未來能透過完善的人力與藥物資源，提供病童更安全的移植治療環境。

五、附錄

The European Hematology Association certifies that:

Chi-yen Chen

has attended the EHA2025 Congress, the 30th Congress
of the European Hematology Association, June 12-15, 2025.

The congress platform will remain active until Friday, August 15, 2025 (23:59 CET).

Thank you for being part of the Hematology Community!

Prof Antonio Almeida
EHA President

Prof Martin Dreyling
Chair of Scientific Program Committee
EHA2025 Congress



The EHA2025 Congress has been accredited by the European Board for Accreditation in Hematology (EBAH)

Certificate of Participation

The European Hematology Association certifies that:

Chi-yen Chen

has contributed as a poster presenter at the EHA2025 Congress, the 30th Congress of the European Hematology Association, June 12-15, 2025.

The congress platform will remain active until Friday, August 15, 2025 (23:59 CET).

Thank you for being part of the Hematology Community!

Prof Antonio Almeida
EHA President

Prof Martin Dreyling
Chair of Scientific Program Committee
EHA2025 Congress



The EHA2025 Congress has been accredited by the European Board for Accreditation in Hematology (EBAH)