



今日药学
Pharmacy Today
ISSN 1674-229X, CN 44-1650/R

《今日药学》网络首发论文

题目：口服中性磷酸盐溶液治疗低血磷性佝偻病/骨软化症的管理和使用专家共识
作者：莫小兰, 邓后亮, 崇静, 张雅婷, 舒蓉, 叶美琳, 曾水月, 钟秀秀, 谢国权, 陈孝, 伍俊妍, 陈泽彬, 李亦蕾, 郑萍, 黎小妍, 陈攀, 方瑞, 叶卫军, 喻珊珊, 曾春华, 刘丽, 梁立阳, 苏喆, 郑志华
网络首发日期：2024-10-10
引用格式：莫小兰, 邓后亮, 崇静, 张雅婷, 舒蓉, 叶美琳, 曾水月, 钟秀秀, 谢国权, 陈孝, 伍俊妍, 陈泽彬, 李亦蕾, 郑萍, 黎小妍, 陈攀, 方瑞, 叶卫军, 喻珊珊, 曾春华, 刘丽, 梁立阳, 苏喆, 郑志华. 口服中性磷酸盐溶液治疗低血磷性佝偻病/骨软化症的管理和使用专家共识[J/OL]. 今日药学. <https://link.cnki.net/urlid/44.1650.R.20241010.1512.002>



网络首发：在编辑部工作流程中，稿件从录用到出版要经历录用定稿、排版定稿、整期汇编定稿等阶段。录用定稿指内容已经确定，且通过同行评议、主编终审同意刊用的稿件。排版定稿指录用定稿按照期刊特定版式（包括网络呈现版式）排版后的稿件，可暂不确定出版年、卷、期和页码。整期汇编定稿指出版年、卷、期、页码均已确定的印刷或数字出版的整期汇编稿件。录用定稿网络首发稿件内容必须符合《出版管理条例》和《期刊出版管理规定》的有关规定；学术研究成果具有创新性、科学性和先进性，符合编辑部对刊文的录用要求，不存在学术不端行为及其他侵权行为；稿件内容应基本符合国家有关书刊编辑、出版的技术标准，正确使用和统一规范语言文字、符号、数字、外文字母、法定计量单位及地图标注等。为确保录用定稿网络首发的严肃性，录用定稿一经发布，不得修改论文题目、作者、机构名称和学术内容，只可基于编辑规范进行少量文字的修改。

出版确认：纸质期刊编辑部通过与《中国学术期刊（光盘版）》电子杂志社有限公司签约，在《中国学术期刊（网络版）》出版传播平台上创办与纸质期刊内容一致的网络版，以单篇或整期出版形式，在印刷出版之前刊发论文的录用定稿、排版定稿、整期汇编定稿。因为《中国学术期刊（网络版）》是国家新闻出版广电总局批准的网络连续型出版物（ISSN 2096-4188，CN 11-6037/Z），所以签约期刊的网络版上网络首发论文视为正式出版。

口服中性磷酸盐溶液治疗低血磷性佝偻病/骨软化症的管理和使用专家共识

莫小兰^{1*}, 邓后亮¹, 崇静¹, 张雅婷¹, 舒蓉¹, 叶美琳¹, 曾水月¹, 钟秀秀¹, 谢国权¹, 陈孝², 伍俊妍³, 陈泽彬⁴, 李亦蕾⁵, 郑萍⁵, 黎小妍⁶, 陈攀², 方瑞⁷, 叶卫军⁸, 喻珊珊⁹, 曾春华¹⁰, 刘丽¹⁰, 梁立阳¹¹, 苏喆¹², 郑志华^{13*} (1.广州医科大学附属妇女儿童医疗中心药学部, 广东 广州 510623; 2.中山大学附属第一医院药学部, 广东 广州 510700; 3.中山大学孙逸仙纪念医院药学部, 广东 广州 510120; 4.深圳市儿童医院药学部, 广东 深圳 518000; 5.南方医科大学南方医院药学部, 广东 广州 515399; 6.中山大学附属第六医院药学部, 广东 广州 510510; 7.广东省妇幼保健院药学部, 广东 广州 510010; 8.东莞市第八人民医院药剂科, 广东 东莞 523000; 9.南方医科大学珠江医院药学部, 广东 广州 510145; 10.广州医科大学附属妇女儿童医疗中心遗传与内分泌科, 广东 广州 510623; 11.中山大学孙逸仙纪念医院儿科神经内分泌科, 广东 广州 510120; 12.深圳市儿童医院内分泌科, 广东 广州 518000; 13.广东省药学会, 广东 广州 510080)

摘要：低血磷性佝偻病/骨软化症是一组由于遗传性或获得性病因导致肾脏排磷增多，引起以低磷血症为特征的骨骼矿化障碍性疾病，被纳入我国《第一批罕见病目录》。低血磷性佝偻病/骨软化症患者药物治疗主要是以口服中性磷酸盐溶液为主的传统治疗。然而，由于药物可及性差，医务人员对该疾病的认识和重视程度不高等原因，造成部分患者得不到长期正规的治疗。为保障罕见病患者用药安全、有效，特制订本专家共识，规范口服中性磷酸盐的组织与管理、采购、储存、处方开具和调剂、使用、药学监护等内容，以期为广大医疗机构管理和使用口服中性磷酸盐提供参考，也为其临床应用提供全面的药学服务和指导。

关键词：低血磷性佝偻病/骨软化症；口服中性磷酸盐；专家共识；罕见病

Expert Consensus on the Management and Use of Oral Neutral Phosphate Solutions in the Treatment of Hypophosphatemic Rickets/Osteomalacia

MO Xiaolan¹, DENG Houliang¹, CHONG Jing¹, ZHANG Yating¹, SHU Rong¹, YE Meilin¹, ZENG Shuiyue¹, ZHONG Xiuxiu¹, XIE Guoquan¹, CHEN Xiao², WU Junyan³, CHEN Zebin⁴, LI Yilei⁵, ZHENG Ping⁵, LI Xiaoyan⁶, CHEN Pan², FANG Rui⁷, YE Weijun⁸, YU Shanshan⁹, ZENG Chunhua¹⁰, LIU Li¹⁰, LIANG Liyang¹¹, SU Zhe¹², ZHENG Zhihua¹³

(1.Department of Pharmacy, Guangzhou Women and Children's Medical Center, Guangzhou Medical University, Guangzhou, Guangdong 510623, China; 2.Department of Pharmacy, The First Affiliated Hospital, Sun Yat-sen University, Guangzhou, Guangdong 510700, China; 3.Department of Pharmacy, Sun Yat-Sen Memorial Hospital, Sun Yat-Sen University, Guangzhou, Guangdong 510120, China; 4.Department of Pharmacy, Shenzhen Children's Hospital, Shenzhen, Guangdong 518000, China; 5.Department of Pharmacy, Nanfang Hospital, Southern Medical University, Guangzhou, Guangdong 515399, China; 6.Department of Pharmacy, The Sixth Affiliated Hospital, Sun Yat-Sen University, Guangzhou, Guangdong 510510, China; 7.Department of Pharmacy, Guangdong Women and Children Hospital, Guangzhou, Guangdong 510010, China; 8.Department of Pharmacy, Dongguan Eighth People's Hospital, Dongguan Children's Hospital, Dongguan, Guangdong 523000, China; 9.Department of Pharmacy, Zhujiang Hospital, Southern Medical University, Guangzhou, Guangdong 510145, China; 10.Department of Genetics and Endocrinology, Guangzhou Women and Children's Medical Center, Guangzhou Medical University, Guangzhou, Guangdong 510623, China; 11.Department of Pediatric Endocrinology, Sun Yat-Sen Memorial Hospital, Sun Yat-Sen University, Guangzhou, Guangdong 510120, China; 12.Department of Endocrinology, Shenzhen Children's Hospital, Shenzhen, Guangdong 518000, China; 13.Guang Dong Pharmaceutical Association, Guangzhou, Guangdong 510080, China)

ABSTRACT: Hypophosphatemic rickets/osteomalacia is a group of bone mineralization

基金项目：国家自然科学基金(82103109), PSM 广东药学科普研究基金(先声基金)(2024KP89)

通信作者：莫小兰, 主任药师, 研究方向: 临床药学与药事管理, E-mail: allenmor@163.com; 郑志华, 主任药师, 研究方向: 外科药学、药事管理与医院药学, E-mail: snownotrace@126.com

disorders characterized by hypophosphatemia caused by genetic or acquired factors leading to increased renal phosphate excretion. It has been included in the first batch of rare disease list in China. Patients with hypophosphatemic rickets/osteomalacia are primarily treated with traditional therapy, mainly consisting of oral neutral phosphate solutions. However, due to poor drug accessibility and low awareness and prioritization of the disease among healthcare professionals, some patients are unable to receive long-term standardized treatment. In order to ensure the safe and effective use of medications for patients with the rare disease, this expert consensus has been developed to standardize the organization and management, procurement, storage, prescription, dispensing, use and pharmaceutical care of oral phosphate salts. It aims to provide guidance for the management and use of oral phosphate salts in medical institutions, as well as comprehensive pharmaceutical services and guidance for their clinical application.

KEYWORDS: hypophosphatemic rickets/osteomalacia; oral neutral phosphate; expert consensus; rare diseases

低血磷性佝偻病/骨软化症是一组由于遗传性或获得性病因导致肾脏排磷增多，引起以低磷血症为特征的骨骼矿化障碍性疾病。发生在儿童期称为低血磷性佝偻病，主要表现为方颅、鸡胸、肋骨串珠、四肢畸形（手镯征、下肢膝内翻或膝外翻或弯曲）、生长迟缓等。成人患者称为低血磷性骨软化症，表现为乏力、骨痛、骨骼畸形、身材矮小、多发骨折、活动受限等。该疾病具有较高的致残、致畸率，给患者的生长、活动能力和生活质量造成严重不良影响，并给患者家庭带来经济负担。

对弱势群体的关爱体现了社会进步。罕见病人是弱势群体，近年来国家出台多项政策，极大地提高了罕见病人的诊治和用药水平，然而部分罕见病人仍面临“确诊难、治疗难、用药难”等突出问题^[1]。遗传性低血磷性佝偻病/骨软化症属于罕见病，2018 年被纳入我国《第一批罕见病目录》^[2]。遗传性低血磷性佝偻病/骨软化症患者药物治疗主要是以口服中性磷酸盐溶液为主的传统治疗，如果伴成纤维细胞生长因子 23（Fibroblast growth factor, FGF23）升高者可采用布罗索尤单抗新治疗手段，国内低血磷性佝偻病/骨软化症患者目前仍是以传统治疗为主^[3-5]。然而，治疗低血磷性佝偻病/骨软化症的口服中性磷酸盐长期未在国内上市，患者面临“境外有药、境内无药”的困境。为了破解无药可用的局面，中华医学会儿科学分会内分泌遗传代谢学组、中国罕见病联盟、中华儿科杂志编辑委员会提出了配比方案^[4]，国内部分医疗机构通过按照一定比例调配磷酸盐满足患者的用药需求，有效保障治疗药物可及性。近期，我国首款批准适用于治疗低磷血症的口服补磷制剂已上市，填补了国内临床需求空白，为我国低血磷性佝偻病/骨软化症患者提供了新的治疗手段。由于医疗机构调配口服中性磷酸盐可及性较好，方便偏远地区和经济困难的用药家庭获得，是保障患者药物可及性的重要补充。然而，目前各医疗单位在临床实践诊疗中使用的口服中性磷酸盐的

配方和磷含量存在明显差异^[4]，导致在管理和使用中缺乏统一标准。此外，由于遗传性低血磷性佝偻病/骨软化症属于罕见病，医务人员对该病认识程度不够，从而使部分患者不能得到长期规范的治疗。

为保障罕见病患者用药安全、有效，现根据相关法规文件，同时借鉴各地同行经验，特制订本专家共识，规范口服中性磷酸盐液管理和使用中的组织与管理、采购、储存、处方开具和调剂、使用、药学监护等内容，以期为广大医疗机构管理和使用口服中性磷酸盐提供参考，也为其临床应用提供指导和全面的药学服务。

1 组织与管理

1.1 基本原则

医疗机构按照《药品管理法》《医疗机构管理条例》《处方管理办法》《医疗机构药事管理规定》《医疗机构处方审核规范》《长期处方管理规范（试行）》等^[6-11]，开展本机构对口服中性磷酸盐的采购、储存、处方开具和调剂、使用及药学监护的管理。

1.2 管理体系

在药事管理与药物治疗学委员会（简称：药事会）的监督管理下，由药学部门具体负责药品的采购、储存、处方调剂、使用及监测等工作。

医师负责对患者进行全面评估，开具处方，注明用法用量及注意事项。定期监测患者的相关指标，发生药品不良反应及时上报，并根据其严重程度，采取相应措施。

2 采购

药学部是药品采购的实施部门，负责药品的日常采购工作，其他部门不得擅自采购。采购的磷酸盐应当符合国家药品标准。根据本医疗机构实际使用情况采购适宜数量，保障货源稳定，满足罕见病用药需求。

对于治疗低血磷性佝偻病/骨软化症的口服中性磷酸盐，可简化药品引进流程及时纳入本机构药品目录。对于暂时无法纳入药品目录，建立绿色通道及时临时采购，保障临床用药。

3 储存

药学部负责药品的验收、储存工作。根据药品入库验收制度，验明药品合格证明和其他标识，不符合规定的，不得入库和使用。验收内容应包括但不限于：对药品名称、剂型、规格、生产厂家、批准文号、生产批号、有效期、数量和供货单位进行核验，对药品外观、包

装和质量进行检查。药品摆放应整齐、有序，按药品效期的先后顺序摆放。药品按要求保存。按照“先进先出，近效期先出，按批号发药”的原则出库。

4 处方开具

医师应当根据医疗需要，按照诊疗规范、药品说明书中的药品适应证、药理作用、用法、用量、禁忌、不良反应和注意事项等开具处方。

4.1 适应证

4.1.1 遗传性低血磷性佝偻病/骨软化症 包括：X连锁显性遗传性低磷性佝偻病（XLH）；常染色体显性遗传性低磷性佝偻病（ADHR）；常染色体隐性遗传性低磷性佝偻病（ARHR）；伴高钙尿症的遗传性低血磷性佝偻病（HHRH）等。

4.1.2 获得性低血磷性佝偻病/骨软化症 常见的原因有肿瘤性骨软化症、先天性范科尼综合症、药物或毒物引起的肾小管损害。对获得性低血磷性佝偻病/骨软化症，首先需积极确定和去除病因，必要时可给予口服中性磷酸盐治疗。

4.2 长期处方

低血磷性佝偻病/骨软化症需要长期补磷治疗，为满足患者长期用药需求可开具长期处方。根据患者诊疗需要，长期处方的处方量一般在4周内；根据慢性病特点，病情稳定的患者处方量可适当延长，最长不超过12周。超过4周的长期处方，医师应当严格评估，强化患者教育，并在病历中记录，患者通过签字等方式确认。

5 处方调剂

药师应当按照操作规程调剂处方药品：认真审核处方，准确调配药品，正确书写药袋或粘贴标签，注明患者姓名和药品名称、用法、用量，包装；向患者交付药品时，按照药品说明书或者处方用法，进行用药交待与指导，包括药品的用法、用量、注意事项等。

5.1 处方审核

5.1.1 药师是处方审核工作的第一责任人。药师应根据低磷性疾病相关临床诊疗规范、指南，临床路径，药品说明书，国家处方集等，对医师开具处方的合法性、规范性、适宜性进行审核。

① 合法性审核：处方开具人是否根据《执业医师法》取得医师资格，并执业注册；处方开具时，处方医师是否根据《处方管理办法》在执业地点取得处方权。

② 规范性审核：处方是否符合规定的标准和格式，处方医师签名或加盖的专用签章有无备

案，电子处方是否有处方医师的电子签名；处方前记、正文和后记是否符合《处方管理办法》等有关规定，文字是否正确、清晰、完整。条目是否规范，如药品剂量、规格、用法、用量准确清楚等。

③ 适宜性审核：处方用药与诊断是否相符；处方剂量、用法是否正确，单次处方总量是否符合规定，特别注意磷元素的用量；选用剂型与给药途径是否适宜；是否有重复给药和相互作用情况；是否存在配伍禁忌；是否有用药禁忌；是否存在其他用药不适宜情况。

5.1.2 药师经处方审核后，认为存在用药不适宜时，应当告知处方医师，请其确认或者重新开具处方。药师发现严重不合理用药或者用药错误，应当拒绝调剂，及时告知处方医师，并应当记录，按照有关规定报告。

5.2 药品调配和分发

药师可在相对独立的药品分装操作区域，可参照《药品分剂量操作规范》团体标准^[12]，按照相应的配比调配不超过 12 周用量的口服中性磷酸盐（见表 1）。分装的药品粉末在室温或者冷藏条件下，保存从分装之日起 6 个月，或分装之日与药品出厂包装标识有效日期时间间隔的 25%，以上述较短期限为准^[13]。在外包装上应注明名称、规格、磷含量、分装日期、保存日期等。调配和分发严格落实“四查十对”，并对患者进行个体化用药指导和用药教育。

表 1 国内常用口服中性磷酸盐制剂配比^[4,14]

配方	磷酸氢二钠/g	磷酸二氢钠/g	溶液总量/L	磷元素/g L ⁻¹
1	76.8	18.2	1	21.5
2	193.7	20.5	1	47.6
3	29.0	6.4 ^a	1	7.7
4	0.119	0.33	/	0.1 ^b

注：^a为磷酸二氢钾，^b为已上市口服磷酸盐最小包装磷含量。

6 使用

6.1 用法用量

6.1.1 儿童 推荐剂量（以磷元素计算）每日 20~60 mg kg⁻¹，分 4~6 次口服，可根据患者胃肠道耐受性以及血磷、血碱性磷酸酶（ALP）、血甲状旁腺素（PTH）和尿钙等水平适当调整用量，但避免日剂量 > 80 mg kg⁻¹，以防胃肠不适、肾钙质沉积和继发性甲状旁腺功能亢进等^[4,5,15]。若血 ALP 水平正常，频次可降至 3~4 次。

6.1.2 成人 对于有症状（肌肉无力、骨骼和关节疼痛）、反复牙周炎和牙周脓肿、近期

进行骨骼或口腔科手术或经临床判断骨软化症活动（骨特异性 ALP 升高）的成年低血磷性佝偻病/骨软化症患者，建议使用中性磷酸盐常规治疗。推荐剂量（以磷元素计算）每日 750~1 600 mg，分 2~4 次服用^[3,5,15]。

6.1.3 妊娠及哺乳期妇女 建议低血磷性骨软化症妇女在妊娠和哺乳期接受中性磷酸盐溶液治疗。之前未接受常规治疗者建议开始治疗。孕期和哺乳期所需的磷酸盐溶液的剂量可能需要适当增加，最高可达 2 000 mg d⁻¹^[3,15]。孕期和哺乳期患者治疗中应进行较密切的生化指标监测。服用口服中性磷酸盐溶液哺乳期妇女根据需要可以正常哺乳。

6.2 溶液配制

口服中性磷酸盐需配成溶液方可服用。患者或家属将磷酸盐粉末倒入瓶中，加入相应配比的水，振摇均匀，使粉末完全溶解，即可服用。未使用完的溶液，可室温或者冷藏密封保存。若出现结晶，可以适当加热溶解后再服用。在瓶口及瓶盖未受污染的情况下，溶液建议保存 1 个月内。若出现变色、发霉、酸败、异味等现象时，不可再服用。

6.3 注意事项

6.3.1 口服中性磷酸盐后血磷水平迅速升高，常在 60~90 min 达到高峰，在 4 h 内恢复至基线浓度。因此，应尽可能频繁地服用磷酸盐，如每日 4~6 次，以维持血磷水平较为稳定。

6.3.2 磷酸盐和钙、铝、镁可在肠道内结合沉淀，进而减少前者的吸收。故不应与钙、铝、镁补充剂或钙含量高的食物（如牛奶）同服。

6.3.3 服用口服中性磷酸盐可能会导致肾功能损害、磷酸盐肾病，对于重度肾功能障碍的患者慎用。

6.3.4 现有磷酸盐制剂的磷含量差异巨大，因此给药剂量应始终以元素磷含量为准。

7 药学监护

接受传统治疗的遗传性低血磷性佝偻病/骨软化症患者需长期补磷治疗，个体差异大，在治疗过程中需坚持长期个体化监测，包括临床症状及体征、生化指标、影像学改变等，以评估疗效和监测不良反应，并根据这些情况调整药物剂量。监测频率和侧重点需结合患者病情和年龄调整^[4,15]。由于需要长期治疗，鼓励药师给患者提供长期的药学监护服务，通过药学门诊和/或医药（护）联合门诊以及微信公众号、患者客户端等互联网交互等方式或途径，开展用药教育、评估用药方案合理性、监护疗效和不良反应、用药依从性等。通过与医生、护士、患者或家属沟通诊疗问题、药物治疗方案与治疗目标，达到优化给药方案、确保药品正确使用、降低用药差错或避免药品不良事件的目的。

7.1 疗效评估

结合临床症状和体征、生化指标、影像学检查等综合评估治疗效果。

7.1.1 临床症状和体征 建议每3~6个月测量患儿身高、体质量、裸间距、髌间距、头围、颅型、血压，评估生长速度、步态、活动能力、疼痛程度、肌肉僵硬、肌无力症状、骨骼畸形状况、口腔和牙齿、听力和神经系统等的症状和体征。

7.1.2 生化指标 建议每3~6个月检测血清ALP、磷、25-羟基维生素D水平、PTH、尿钙等骨代谢指标。ALP水平是佝偻病/骨软化症病情活动度可靠的生物标记物^[3,15]。当治疗不足时，ALP水平升高，尿钙水平通常较低；而当佝偻病痊愈时，ALP水平趋于正常，尿钙水平开始增加^[3,15-17]。儿童中，骨特异性ALP约占血清总ALP 80%~90%，可采用总ALP作为指标。成人中，由于约50%循环中ALP源自肝细胞，首选骨特异性ALP^[18]。口服中性磷酸盐液治疗通常不将血磷水平恢复正常作为治疗的目标。

7.1.3 影像学检查 治疗开始阶段每3~6个月进行双手腕关节正位和双膝关节X线检查，判断佝偻病是否存在，并对佝偻病严重程度进行评分，病情稳定后每1~2年检查1次。其他骨骼X线检查可以根据骨骼畸形、骨痛等视情况进行检查。建议对5岁以上儿童及近期有口腔症状的成人完善全口曲面断层片。如有头颅外观异常、头痛、学习、认知能力下降等神经系统症状，需完善眼底镜检查 and 头颅核磁共振。如有持续性血压升高(>同年龄同性别P₉₅)，可完善心脏超声。

7.2 不良反应及应对措施

7.2.1 常见不良反应有腹痛、腹胀、腹泻等消化道症状。从小剂量开始逐渐增加剂量有助于减少或避免胃肠道反应。有明显胃肠道不适者亦可适当减少用药剂量。

7.2.2 长期口服中性磷酸盐治疗可刺激血清PTH的分泌，导致继发性甲状旁腺功能亢进。为避免长期治疗继发甲状旁腺功能亢进，在治疗中需要监测血清PTH的水平。若治疗过程中出现继发性甲状旁腺功能亢进，可通过减少磷酸盐和/或增加活性维生素D剂量进行纠正。

7.2.3 长期补充磷酸盐和活性维生素D常规治疗可能引起肾钙质沉着或肾结石。肾钙质沉着发病风险与口服磷酸盐溶液日剂量呈正相关。治疗中需要监测24h尿钙或次尿钙的浓度，尿钙水平应<4 mg kg⁻¹或尿钙/肌酐<0.3 mg mg⁻¹。可以通过饮水、服用柠檬酸钾或限制钠盐降低尿钙水平。开始治疗后每年应进行肾脏超声检查，观察有无肾钙质沉着，待病情稳定后，可每3年1次进行肾脏超声检查。

7.3 依从性评估

接受传统治疗的低血磷性佝偻病/骨软化症患者需长期口服中性磷酸盐，而且每日服药

次数多、缺少监护人监管、磷酸盐味道差等，导致用药依从性较差，尤其是儿童患者。可定期检测患者 24 h 尿磷水平评估用药依从性^[16]。

7.4 药学监护步骤

7.4.1 患者评估

目的：了解患者用药需求、明确疾病的严重程度，确认有哪些药物治疗问题存在及需要解决。

服务项目内容：①了解患者和/或家属对疾病自我照护的认知，了解其需求。②评估患者目前使用药物的临床疗效和反应，了解疾病控制情况。③了解患者目前的全部用药情况，评估药物相互作用、不良反应等。④评估患者和/或家属对药物的认知程度及了解其服药依从性情况。⑤了解患者的饮食特点，评估是否存在食物影响药物情况。⑥了解患者是否有定期监测，是否有完整记录。⑦了解患者是否有情感障碍。⑧评估营养状况。

7.4.2 拟订与执行监护计划

目的：对患者/医疗团队提出解决药物治疗问题的方法，确立疾病控制/治疗目标，预防新问题发生。

服务项目包括：①宣教低磷性佝偻病/骨软化症疾病知识，提高患者对疾病的认识。②教育患者正确了解低磷性佝偻病/骨软化症用药（例如：口服中性磷酸盐液、活性维生素 D、生长激素、布罗索尤单抗等）及正确使用方法，合并其他疾病时其治疗药物同样纳入药学监护。③若发现处方用药需要调整，适时建议开处方医师调整用药。④教育患者关注和记录药物不良反应（例如：腹痛、腹胀、腹泻、恶心、呕吐等消化道症状，淡漠、消沉、易疲劳等神经系统症状，乏力、体质量减轻和食欲减退等），并告知应对不良反应的措施。⑤教育患者改善现有生活习惯（例如：补充营养、适度运动等）。⑥鼓励有心理障碍的患者接受个体化的心理支持、健康教育等。⑦教育患者定时复诊，接受相关检查。⑧根据治疗目标、患者医疗环境的不同，个性化设立随访时间和方式。

7.4.3 药学监护评估

目的：记录医疗团队/患者改变结果，评估实际疗效进展状态，评估有无新问题。

服务内容：①以电话、门诊和/或家庭随访等形式随访。②随访低磷性佝偻病/骨软化症患者症状是否有所好转。③随访患者是否按照医嘱用药，是否有随意停药、更改服药次数或换用其他剂型、规格的行为。④随访是否出现药品不良反应。⑤随访患者监测指标是否出现具有临床意义的数值变化波动。⑥每次随访皆依患者当次状况，包括疾病状况、检验数据、用药情形，看是否有新问题出现，再次评估且拟订监护计划，持续随访。⑦患者是否持续随访，

主要根据患者是否已达到监护计划所订的治疗目标及是否有需要教导的事项作决定。

8 总结

低磷性佝偻病/骨软化症给患者的生长、活动能力和生活质量造成一定的损害。遗传性低磷性佝偻病/骨软化症为罕见病，受众小，药物可及性差，同时医务人员对该疾病的认识和重视程度均不高，而且患者需要长期规律用药，造成部分患者得不到长期正规的治疗。本文通过规范口服中性磷酸盐溶液管理和使用中的关键内容，为广大医疗机构管理和使用口服中性磷酸盐溶液提供参考，也为其临床应用提供指导和全面的药学服务。

参考文献

- [1] 张抒扬, 董咚, 李林康, 等. 2020 中国罕见病综合社会调研[M]. 北京:人民卫生出版社,2020:42-65.
- [2] 国家卫生健康委员会医政医管局. 关于公布第一批罕见病目录的通知[EB/OL].国卫医发(2018) 10 号. (2018-06-08)[2024-09-09].
<http://www.nhc.gov.cn/yzygj/s7659/201806/393a9a37f39c4b458d6e830f40a4bb99.shtml>.
- [3] 中华医学会内分泌学分会. 中国低血磷性佝偻病/骨软化症诊疗指南[J]. 中华内分泌代谢杂志, 2022, 38(4):267-281.
- [4] 中华医学会儿科学分会内分泌遗传代谢学组, 中国罕见病联盟, 中华儿科杂志编辑委员会. 儿童 X 连锁低磷性佝偻病诊治与管理专家共识[J]. 中华儿科杂志, 2022, 60(6):501-506
- [5] 陈晶,吴蔚,杨艳玲,等.X 连锁显性遗传性低磷血症性佝偻病诊治专家共识[J].中国实用儿科杂志,2022,37(1):1-6.
- [6] 国家药品监督管理局. 中华人民共和国药品管理法[EB/OL]. 第十三届人民代表大会常务委员会第十二次会议第二次修订. (2019-08-26)[2024-09-09].
<https://www.nmpa.gov.cn/xxgk/fgwj/flxzhfg/20190827083801685.html>.
- [7] 中华人民共和国国务院. 医疗机构管理条例[EB/OL]. (2022-03-29)[2024-09-09].
https://www.gov.cn/gongbao/content/2022/content_5687501.htm.
- [8] 中华人民共和国国家卫生健康委员会. 处方管理办法[EB/OL]. 卫生部令第 53 号. (2007-02-14)[2024-09-09].
<http://www.nhc.gov.cn/wjw/c100022/202201/601940f66bbe4f24b0c5734f04e53543.shtml>.
- [9] 卫生部, 国家中医药管理局, 总后勤部卫生部. 医疗机构药事管理暂行规定[EB/OL]. 卫医

政发〔2011〕11号.(2011-03-30)[2024-09-09].

<http://www.nhc.gov.cn/wjw/gfxwj/201304/0149ba1f66bd483995bb0ea51a354de1.shtml>.

[10] 国家卫生健康委员会办公厅, 国家中医药管理局办公室, 中央军委后勤保障部办公厅.

医疗机构处方审核规范[EB/OL]. 国卫办医发〔2018〕14号.(2018-07-10)[2024-019-09].

<http://www.nhc.gov.cn/yzygj/s7659/201807/de5c7c9116b547af819f825b53741173.shtml>.

[11] 国家卫生健康委员会医政医管局. 长期处方管理规范(试行)[EB/OL]. 国卫办医发〔2021〕17号.(2021-08-10)[2024-09-09].

<http://www.nhc.gov.cn/yzygj/s7659/202108/e8fbc0fa4bb6450b8ed0a8e9055a5b5e.shtml>.

[12] 浙江省健康服务业促.药品分剂量操作规范[S].T/ZCHSP 004-2023.

[13] FDA.Expiration Dating of Unit-Dose Repackaged Solid Oral Dosage From Drug Products Guidance for Industry[S]. 2020-07.

[14] 嘉实(湖南)医药科技有限公司.磷酸二氢钠磷酸氢二钠颗粒中文说明书[Z].2024.

[15] Haffner D, Emma F, Eastwood D M, *et al.* Clinical practice recommendations for the diagnosis and management of X-linked hypophosphataemia[J]. Nat Rev Nephrol, 2019, 15(7): 435-455.

[16] Carpenter T O, Imel E A, Holm I A, *et al.* A clinician's guide to X-linked hypophosphatemia[J]. J Bone Miner Res, 2011, 26(7):1381-1388.

[17] Linglart A, Biosse-Duplan M, Briot K, *et al.* Therapeutic management of hypophosphatemic rickets from infancy to adulthood[J]. Endocr Connect, 2014,3(1):13-30.

[18] Magnusson P, Sharp C A, Magnusson M, *et al.* Effect of chronic renal failure on bone turnover and bone alkaline phosphatase isoforms[J]. Kidney Int, 2001,60(1):257-265.