doi：10.7499/j.issn.1008-8830.2508046

病例报告

乌帕替尼治疗儿童克罗恩病1例

潘桂贤[1]　杨秋萍[1]　杨喜媚[1]　蔡尧[1]　李思涛[1,2]

（1.中山大学附属第六医院儿科，广东广州　510655；
2.广州市黄埔区中六生物医学创新研究院，广东广州　510655）

［摘要］患儿，男，12岁，反复腹痛5月余，肛周肿块10 d。胃肠镜检查显示回肠末端、结肠多发溃疡，结合组织病理学结果，该患儿诊断为克罗恩病。患儿合并特应性皮炎，既往已使用乌帕替尼治疗，诊断克罗恩病后，继续使用乌帕替尼治疗，共随访100周。随访期间，患儿维持临床缓解，未见严重不良反应。该病例为国内首次关于乌帕替尼治疗儿童克罗恩病的报道，对乌帕替尼治疗儿童克罗恩病具有指导意义。

［中国当代儿科杂志，2026，28（3）：342-345］

［关键词］克罗恩病；乌帕替尼；长期随访；儿童

A case report of Crohn's disease in a child treated with upadacitinib

PAN Gui-Xian, YANG Qiu-Ping, YANG Xi-Mei, CAI Yao, LI Si-Tao. Department of Pediatrics, Sixth Affiliated Hospital, Sun Yat-sen University, Guangzhou 510655, China (Email: pangx8@mail.sysu.edu.cn)

Abstract: A 12-year-old boy presented with recurrent abdominal pain for more than 5 months and a perianal mass for 10 days. Gastrointestinal endoscopy revealed multiple ulcers in the terminal ileum and colon, and Crohn's disease was diagnosed based on histopathology. The patient had atopic dermatitis and had previously received upadacitinib; after the diagnosis of Crohn's disease, upadacitinib was continued. During a total follow-up of 100 weeks, the patient maintained clinical remission without serious adverse reactions. This is the first report from China on upadacitinib treatment for pediatric Crohn's disease and provides guidance for its use in this population.

[Chinese Journal of Contemporary Pediatrics, 2026, 28(3): 342-345]

Key words: Crohn's disease; Upadacitinib; Long-term follow-up; Child

患儿，男，12岁，因反复腹痛5月余，发现肛周肿块10 d入院。患儿5个月前开始出现腹痛，以下腹部疼痛为主，进食后加重，外院胃镜结果显示慢性浅表性胃炎，^{13}C呼气试验阳性。给予抗感染、抑酸护胃治疗后，症状可暂时缓解，但仍反复发作。10 d前患儿肛周出现一黄豆大小肿块，伴疼痛，外院行肛周脓肿根治术及肛瘘切除术。术后患儿腹痛加重，并出现高热，伴口腔溃疡。外院电子肠镜结果显示回肠末端、结肠多发溃疡。自起病以来，患儿无腹泻、关节疼痛及生殖器溃疡，大便2~3 d 1次，为成形便；近半年体重下降约2 kg。既往史：患儿入院前1个月，外院诊断“特应性皮炎”，予地奈德软膏、乌帕替尼（15 mg，每天1次）治疗后皮疹逐渐消退，无新发皮疹。个人史及家族史无特殊。

体格检查：体温36.9℃，心率108次/min，呼吸20次/min，血压95/71 mmHg。身高161 cm，体重43.5 kg，体重指数16.78 kg/m^2。口腔黏膜可见数枚2~3 mm大小溃疡。腹软，脐周下压痛，无反跳痛，无肌紧张，肠鸣音正常。肛门术后伤口肉芽组织新鲜，创面干洁。心肺体格检查无特殊。

辅助检查：白蛋白36.57 g/L（参考值：40~55 g/L）；C-反应蛋白22.28 mg/L（参考值：0~10 mg/L）；粪钙卫蛋白>3 600 μg/g（参考值：0~50 μg/g）。血常规、红细胞沉降率正常。小肠计算机断层扫描造影检查（图1）：第5~6组部分小肠

［收稿日期］2025-08-06；［接受日期］2026-01-20

［作者简介］潘桂贤，女，硕士，住院医师。Email：pangx8@mail.sysu.edu.cn。

（中远段回肠）、回盲部、直肠下段节段性增厚，考虑克罗恩病（Crohn's disease, CD）活动期可能性大，未见狭窄、肠瘘或腹腔脓肿等并发症。肛管磁共振成像平扫增强检查（图2）：肛管后方括约肌间型肛瘘并脓肿形成，肛管黏膜下括约肌间隙多发炎症并瘘管形成，肛管前方一会阴部皮下不强化区，注意炎性改变或局部坏死，盆腔小肠扩张、肠壁炎性改变。考虑CD并肛周病变可能。组织病理学结果（图3）：回肠末端黏膜局部糜烂，伴炎性肉芽组织形成，绒毛萎缩，符合慢性活动性炎伴溃疡；盲肠黏膜局部糜烂，伴炎性肉芽组织形成，炎症分布不均匀，局部隐窝扭曲，符合慢性活动性炎伴溃疡；结肠黏膜内见少许淋巴细胞、浆细胞及中性粒细胞浸润，炎症分布不均匀，可见上皮样肉芽肿。综合以上各点，考虑为CD。

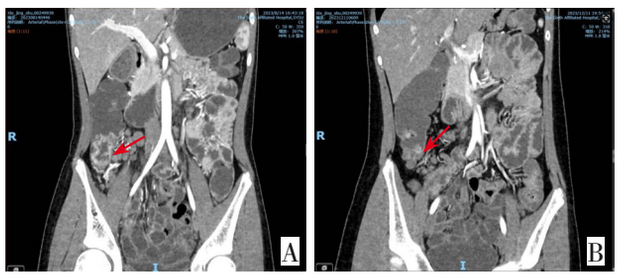


图1　乌帕替尼治疗前后小肠计算机断层扫描造影检查结果对比　A（起病时）：第5~6组部分小肠、回盲部、直肠下段节段性增厚，考虑克罗恩病活动期可能性大，未见狭窄、肠瘘或腹腔脓肿等并发症。B（治疗16周）：原病变小肠现均未见明显肠壁增厚，提示炎症缓解。箭头所示为病变位置。

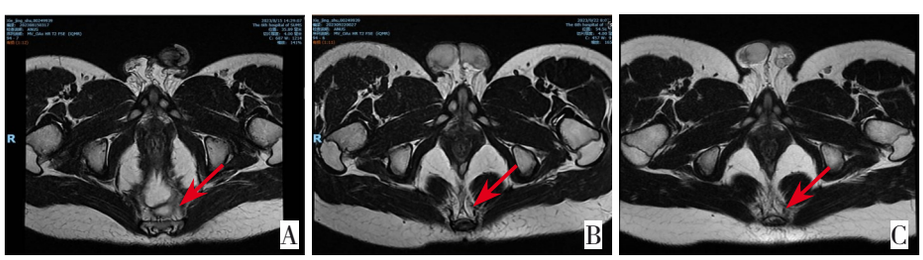


图2　乌帕替尼治疗前后肛管磁共振成像结果对比　A（起病时，外院术后）：肛管后方括约肌间型肛瘘并脓肿形成。B（治疗5周）：肛管后方括约肌间型肛瘘，瘘管较前局限，其内未见脓肿形成。C（治疗16周）：肛管、括约肌间隙未见积脓。箭头所示为病变位置。

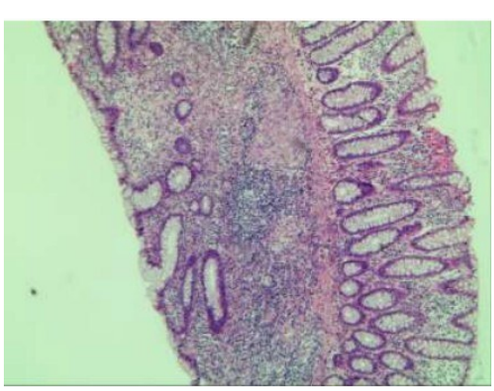


图3　结肠镜术后病理检查结果　（回肠末端）黏膜局部糜烂，伴炎性肉芽组织形成，绒毛萎缩，符合慢性活动性炎伴溃疡。

患儿入院前因患特应性皮炎，已口服乌帕替尼（15 mg，每天1次）1个多月，CD诊断明确后，将乌帕替尼剂量增加至每天30 mg。治疗5周后复查，患儿C-反应蛋白降至正常，且肛瘘切口愈合，肛管磁共振成像平扫增强检查显示肛管后方括约肌间型肛瘘，瘘管较前局限，其内未见脓肿形成，盆腔小肠扩张、肠壁炎性改变，较前好转。治疗16周后，患儿儿童CD活动指数由入院前的20分降至0分，肠镜提示黏膜处于愈合状态（图4），小肠计算机断层扫描造影检查显示肠道炎症缓解。此时患儿出现了严重的毛囊炎，遂将乌帕替尼减量至每天15 mg，2周后毛囊炎缓解（图5）。患儿乌帕替尼每天15 mg维持治疗长达约100周，复查胃肠镜显示胃肠道黏膜基本正常，儿童CD活动指数0分；C-反应蛋白、血清白蛋白水平正常，小肠计算机断层扫描造影检查提示肠道炎症缓解（图1），肛管磁共振成像平扫增强检查显示肛管、括约肌间隙未见脓肿，双侧会阴部皮下炎症较前明显减轻（图2）。

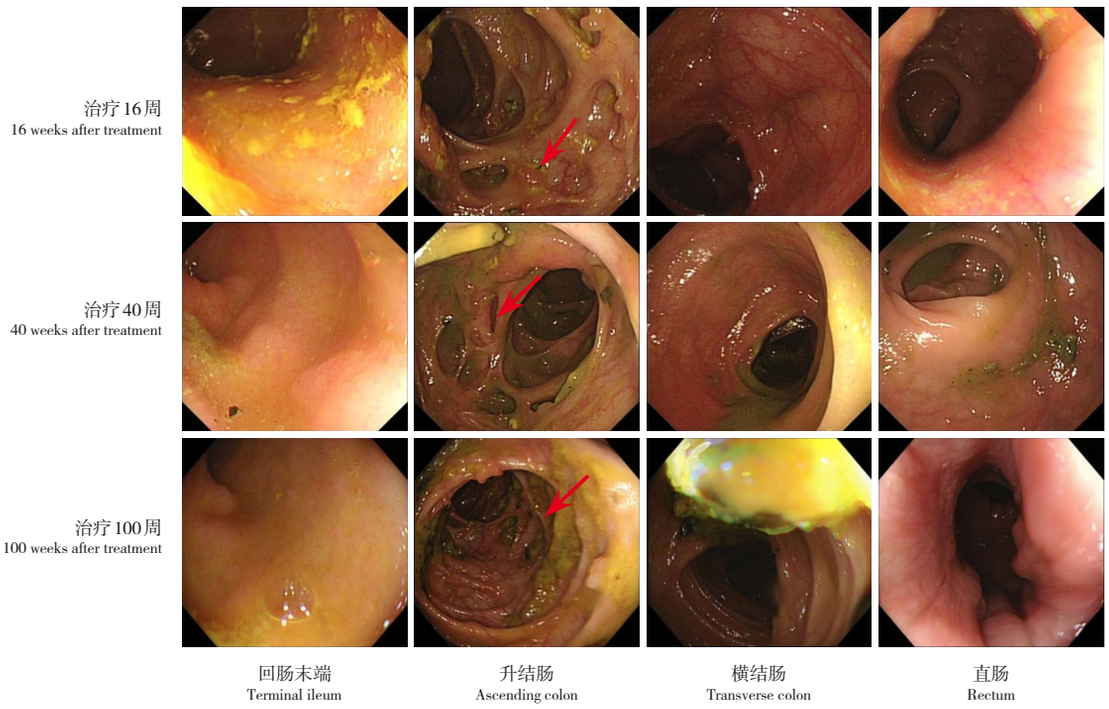


图 4　治疗后回肠末端肠镜下结果　治疗 16 周：回盲部–回肠末端见多发结节息肉样增生，伴白色瘢痕形成，回盲部变形。余肠道黏膜未见异常。治疗 40 周：回盲部–回肠末端变形，见多发结节息肉样增生，部分表面充血，另见瘢痕改变及假憩室及黏膜桥样结构。余肠道黏膜未见异常。治疗 100 周：盲肠–直肠可见散在多发结节样增生。余肠道黏膜未见异常。箭头所示为病变位置。



图 5　乌帕替尼药物不良反应导致的毛囊炎　A：患儿每天口服乌帕替尼 30 mg，16 周后出现毛囊炎。B：乌帕替尼减量至每天 15 mg，2 周后毛囊炎好转。

讨论：CD 是一种不明原因的慢性肠道炎症性疾病，可能引发肠腔狭窄、瘘管及消化道出血等并发症。与成人患者相比，儿童患者更易出现上述并发症，而并发症的发生会显著影响儿童的生活质量。现有的治疗方法（如糖皮质激素、生物制剂等）对于儿童患者而言，存在影响生长发育、增加感染等不良反应和产生药物抗性的风险。因此，儿童 CD 患者迫切需要一种既能快速诱导缓解，又能长期维持缓解状态的治疗方法。

近年来，Janus 激酶抑制剂（如乌帕替尼）的出现为 CD 的治疗带来了新的希望。目前乌帕替尼已批准用于治疗对一种或多种肿瘤坏死因子抑制剂应答不佳、不耐受，或存在使用禁忌的中度至重度活动性 CD 成人患者。2023 年发表在《新英格兰医学杂志》的 2 项Ⅲ期诱导治疗临床试验（针对乌帕替尼治疗中度至重度 CD）结果显示，乌帕替尼可有效实现并维持中重度 CD 患者的临床缓解和内镜反应，且该效果不受患者既往接受其他生物制剂治疗是否失败的影响[1]。同时，多项Ⅱ期临床研究表明，对于既往治疗失败的难治性 CD 患者，乌帕替尼可使其实现持续的临床缓解及内镜下改善[2-3]。乌帕替尼为口服小分子药物，具有达峰浓度时间短、不受食物影响的优势，这不仅提高了患者的治疗依从性，还能减少治疗对儿童患者学习和生活的干扰。

在使用乌帕替尼治疗成人 CD 患者时，常见的不良反应包括严重感染、CD 恶化、痤疮、头痛、贫血和中性粒细胞减少等[4]。目前，乌帕替尼在儿童 CD 应用安全性的相关研究较少。多项关于乌帕替尼治疗儿童特应性皮炎的研究报道表明，青

少年中最常见的不良反应是痤疮，其中头痛、上呼吸道感染等不良反应与成人相似，且这些不良反应在药物停用或减量后症状多可好转；而消化道穿孔、恶性肿瘤等严重并发症则较为少见[5-6]。总体而言，在乌帕替尼已获批适应证（成人CD及儿童特应性皮炎）的患者中，其致命性不良反应的发生率极低，且多数不良反应不会因症状严重而导致治疗中断。因此，我们认为乌帕替尼对于儿童CD患者的治疗可能大有裨益。

国外已有乌帕替尼治疗儿童CD的相关报道，但国内尚未见报道。共检索到4篇儿童CD使用乌帕替尼的相关报道[7-10]。共详细报道了12例儿童CD使用乌帕替尼的随访结果及不良反应。12例患儿年龄均大于12岁，均为难治性CD。3例患儿在使用乌帕替尼数天至2周时，临床症状明显改善。12例患儿中，最长随访时间为128周，其中不良反应2例，1例表现为轻度白细胞下降，另1例表现为躯干及阴囊部皮疹，均未观察到严重并发症。

综上，儿童CD患者发病时间早，病程长，更容易出现严重的并发症，目前现有治疗方法能在一定程度上控制病情，但由于不良反应及长期效果有限，仍有很大的改进空间。因此，建议对于儿童CD患者，在获得监护人知情同意的前提下，可谨慎使用乌帕替尼进行治疗，并需严密观察患儿的病情变化及药物不良反应。但仍需要更多的研究来进一步证实乌帕替尼在治疗儿童CD中的长期疗效和安全性，并探索其在儿童CD治疗中的更广泛应用。

作者贡献声明：潘桂贤负责文章撰写；杨秋萍负责文章设计；杨喜媚负责数据分析；蔡尧负责研究指导；李思涛负责论文审阅。

利益冲突声明：所有作者声明无利益冲突。

［参　考　文　献］

[1] Loftus EV, Panés J, Lacerda AP, et al. Upadacitinib induction and maintenance therapy for Crohn's disease[J]. N Engl J Med, 2023, 388(21): 1966-1980. PMID: 37224198. DOI: 10.1056/NEJMoa2212728.

[2] Peyrin-Biroulet L, Louis E, Loftus EV, et al. Quality of life and work productivity improvements with upadacitinib: phase 2b evidence from patients with moderate to severe Crohn's disease [J]. Adv Ther, 2021, 38(5): 2339-2352. PMID: 33755884. PMCID: PMC8107073. DOI: 10.1007/s12325-021-01660-7.

[3] D'Haens G, Panés J, Louis E, et al. Upadacitinib was efficacious and well-tolerated over 30 months in patients with Crohn's disease in the CELEST extension study[J]. Clin Gastroenterol Hepatol, 2022, 20(10): 2337-2346.e3. PMID: 34968730. DOI: 10.1016/j.cgh.2021.12.030.

[4] Clement B, De Felice K, Afzali A. Indications and safety of newer IBD treatments in the older patient[J]. Curr Gastroenterol Rep, 2023, 25(7): 160-168. PMID: 37227615. PMCID: PMC10209934. DOI: 10.1007/s11894-023-00874-9.

[5] Paller AS, Ladizinski B, Mendes-Bastos P, et al. Efficacy and safety of upadacitinib treatment in adolescents with moderate-to-severe atopic dermatitis: analysis of the measure up 1, measure up 2, and AD up randomized clinical trials[J]. JAMA Dermatol, 2023, 159(5): 526-535. PMID: 37043227. PMCID: PMC10099102. DOI: 10.1001/jamadermatol.2023.0391.

[6] Patruno C, Lauletta G, Pezzolo E, et al. Effectiveness and safety of upadacitinib for adolescents with atopic dermatitis in a real-world setting[J]. Clin Drug Investig, 2024, 44(8): 629-634. PMID: 39012535. DOI: 10.1007/s40261-024-01382-y.

[7] Collen LV. Rapid clinical remission with upadacitinib in a pediatric patient with refractory Crohn's disease[J]. Inflamm Bowel Dis, 2023, 29(7): 1175-1176. PMID: 36933200. DOI: 10.1093/ibd/izad048.

[8] Spencer EA, Bergstein S, Dolinger M, et al. Single-center experience with upadacitinib for adolescents with refractory inflammatory bowel disease[J]. Inflamm Bowel Dis, 2024, 30 (11): 2057-2063. PMID: 38134405. PMCID: PMC12102471. DOI: 10.1093/ibd/izad300.

[9] Liu Y, Song X, Xiang L, et al. Rapid remission with upadacitinib in a child with refractory Crohn's disease and *ATM* mutation: a case report[J]. Curr Ther Res Clin Exp, 2024, 101: 100756. PMID: 39257480. PMCID: PMC11385748. DOI: 10.1016/j.curtheres.2024.100756.

[10] Bousvaros A, Schmidt BAR, Kurtz M. Treatment of genital Crohn's disease with upadacitinib in a male child: a case report [J]. Gastroenterol Hepatol (N Y), 2023, 19(7): 401-403. PMID: 37771618. PMCID: PMC10524414.

（本文编辑：王颖）

（©《中国当代儿科杂志》编辑部，开放获取CC BY-NC-ND 4.0协议）
（© Editorial Office of *Chinese Journal of Contemporary Pediatrics*. OA under CC BY-NC-ND 4.0 license）