

## 改良版丁苯那嗪的积极研究成果

由重氢改良的丁苯那嗪看起来对舞蹈症安全有效



Dr Jeff Carroll撰写

2015年1月19日

Professor Ed Wild编辑

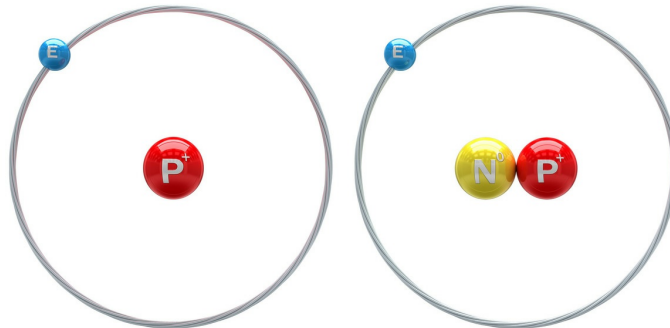
Xi Cao译制

最早发布于2014年12月22日

**A**uspex医药公司刚刚宣布了First-HD, Arc-HD 两项临床试验的结果. 这些试验的目的是测试改良版的亨廷顿舞蹈症药物丁苯那嗪, 该药物被用于减少不必要的动作。测试结果表明, Auspex的药物比丁苯那嗪在治疗运动过度方面更有优势。

### 丁苯那嗪

丁苯那嗪在1950年代由霍夫曼-罗氏公司研发。自从60年代开始, 医生们发现这种药物在处理过度运动方面看起来有效, 这种所谓的舞蹈症状在很多亨廷顿舞蹈症患者身上都出现过。



*SD-809 包含氘 (右) 而不是普通的氢 (左)。氘比较重因为它有一个多余的中子, 图中黄色的就是。产生的结果就是药物在身体里代谢的速度减缓。*

基于这些结果, 丁苯那嗪在1971年在英国被批准用于治疗亨廷顿舞蹈症。其他国家也在接下来的40年里逐渐赶上, 终于在2008年美国批准了丁苯那嗪。 这些批准给HD患者和治疗医生提供了更多选择权。

丁苯那嗪现在被广泛地用于治疗亨廷顿舞蹈症的特殊症状。这不能完全治愈亨廷顿舞蹈症, 也不能减缓疾病的进程, 但对有些病人是很有帮助的。

### 重氢

既然丁苯那嗪已经有这么久的历史了，Auspex医药公司还能出什么新花样呢？基本上，他们让改良丁苯那嗪变成了有趣的化学把戏。

丁苯那嗪的一个主要问题是它会从血流里很快地被排出。医药研究人员称之为短半衰期。也就是很多病人需要每天服用3次甚至4次药。血液里的药物浓度会在服药的时候快速升高，然后随着身体排除药物，浓度降低。

较高的血液药物浓度会导致副作用，低的浓度又无法有效地控制舞蹈症状。而且每天多次服用也会很麻烦。

如果我们可以减缓身体排出药物的速度，人们就不用每天吃好多次药，血液里的药物浓度也会更稳定。这可不是只图方便，血液里的药物浓度稳定让病人吃更少剂量的药，效果更好。

“简单地说，SD-809有效，它降低亨廷顿舞蹈症患者的过度运动，这是很重要的一步。”

但是要怎样才能减缓药物代谢的速度呢？我们的身体很擅长处理吸收的化学物质，保护我们不受饮食中的有毒物质的伤害。但是现在，我们想说服我们的身体让丁苯那嗪待久一点。

Auspex制药正在测试一个有趣的解决办法。他们将丁苯那嗪里的氢替换成另一种稍重一点的氢。这个叫氘的重氢在自然中有少量的存在，大概一万个氢原子有一个重氢。氘和氢很类似。丁苯那嗪依然会在大脑中发挥作用，但由于重氢，化学反应被稍稍减缓了，所以药物在身体里的时间就被延长了。

简单地说，Auspex医药通过让身体里的垃圾处理系统更难抓住丁苯那嗪，来稍稍调整丁苯那嗪，给它更多时间来帮助大脑。

## 两个实验和结果

在这个新方法的鼓励下，Auspex医药和亨廷顿舞蹈症研究集团开展了新版本丁苯那嗪的实验，命名为SD-809。

First-HD的研究目标是SD-809是否对目前没有服用丁苯那嗪的病人的过度运动有效。来自美国和加拿大的90名病人，45位病人接收了药物治疗，另外45位服用了安慰剂。研究人员花了8个星期找出对每个病人最有效的药物剂量，之后病人持续用药四个星期。这个实验的剂量是每天两次，而不是像丁苯那嗪一天三到四次。

这种双盲实验是测试药物的最好方法。并且经测试SD-809有效。像丁苯那嗪一样，SD-809减少亨廷顿舞蹈症病人的过度运动，这是非常重要的第一步。



*Auspex医药希望 SD-809会顺利进行因为长期有效的药物意味着每天更少的剂量。或许提供对过度运动的更好控制和更少的副作用。*

Auspex医药希望 SD-809会顺利进行因为长期有效的药物意味着每天更少的剂量。或许提供对过度运动的更好控制和更少的副作用。

由于很多病人都已经在服用丁苯那嗪，他们也许想在SD-809批准之后换药，另一个叫 Arc-HD的实验也开始了。这个实验的目的是测试从丁苯那嗪换成 SD-809是不是安全的,并且新药是否会在病人换药之后持续有效。

Arc-HD 的研究结果也是很积极的，从服用丁苯那嗪转换成 SD-809的病人没有严重的不良反应，并且新药持续有效. 这意味着如果新药物上市后，病人可以安全地由服用丁苯那嗪转化成服用 SD-809。

研究人员对SD-809的安全性能也很感兴趣。服用丁苯那嗪的病人通常会经历嗜睡，躁动不安，焦虑和抑郁。抑郁症是亨廷顿舞蹈症里的一个让人特别关心的问题，因为亨廷顿舞蹈症病人会有较高的患抑郁症的比率。如果新药让这个情况恶化，问题就严重了。

在 First-HD和 Arc-HD 研究的较短期结果中, 只观察到了相对较少的副作用. SD-809没有增加抑郁和焦虑，然而嗜睡发生地更频繁了。这些结果的有限性在于测试病人的人数较少（81人），治疗的周期也只有几个星期。

为了解决长期安全的问题，Auspex医药和亨廷顿舞蹈症研究集团目前正在进行一个长达一年的安全学习，实验对象 First-HD 和 Arc-HD 研究的病人. 我们将会看到SD-809的副作用是否是持续的。

## 现在呢？

“一经批准，SD-809 就可以为亨廷顿舞蹈症的医生和患者提供更多的选择。”

Auspex医药宣布他们将会在2015年给食品药品监督管理局提交一份新的药物申请。这将会迎来这种药物在亨廷顿舞蹈症患者身上的使用，Auspex医药希望尽快完成这个过程。

与此同时，还有很多来自First-HD 和Arc-HD 研究的数据需要进一步分析，现在我们只有一份新闻发布。Auspex医药和亨廷顿舞蹈症研究集团都将会以不同的方式研究这些数据，试图更好地理解SD-809 是如何对病人起作用的。敬请关注HDBuzz,我们还会有更多的更新。

# 结论是什么？

ARC-HD 和FIRST-HD t的研究结果证明SD-809可以成为控制亨廷顿舞蹈症过度运动的有用工具。值得记住的是研制这个药是为了控制症状而不是彻底治愈。一经批准，SD-809 就可以为亨廷顿舞蹈症的医生和患者提供更多的选择。

这些研究不说明SD-809比丁苯那嗪总体上要好,或者有更少的副作用。 目前我们只能说在重要的方面，它不比丁苯那嗪差。

如果这个新药被许可，另外的未知因素会是成本。 额外的方便和可能的药物稳定性优势让药物的价格上升吗？这些都还有待进一步观察， 劝服医疗组织成本是公正的也不是件容易的事。

这些实验的另外一个重要结果是，它再一次证明了亨廷顿舞蹈症社区能接受新的疗法。我们对将来很乐观，因为病人，他们的家庭，医生以及制药公司都能在一起通力合作。

---

*作者没有利益冲突需要申明 想了解更多关于本站公开制度的信息，请看常见问题解答。*

---

---

HDBuzz2011-2020. HDBuzz内容在创作共享许可证下免费共享。

HDBuzz不提供医疗建议。 了解更多请访问[hdbuzz.net](http://hdbuzz.net)

于2020年10月27日打印 — 从<https://zh.hdbuzz.net/184>下载

此文还没有被翻译，它是以原文发表的语言刊登的，我们正在尽快翻译所有内容。