舞蹈症药物SD809-氘代丁苯那嗪：积极的试验结果、但是FDA不批准？不是这样的哦....

新科技文章&很多关于氘代丁苯那嗪的头条,治疗亨廷顿舞蹈症的改良版

Dr Peter McColgan撰写 | **2016年8月18日** | **Professor Ed Wild编辑** | **Xi Cao译制**
最早发布于2016年8月17日

最近的一篇科技论文宣布了亨廷顿舞蹈症药物-氘代丁苯那嗪试验的积极结果，但新闻头条报道FDA拒绝了这种药物。这也太混乱了！事实上这种新药物治疗舞蹈动作的试验是乐观的，但是需要耐心等待药物上市。

什么是舞蹈样动作？

一个在亨廷顿舞蹈症中最常见的症状是舞蹈样动作，从烦躁不安到腿部、头部、身体的不由自主的动作。这些会影响喝茶或绑鞋带等等日常活动，医生称这种症状**舞蹈样动作（chorea）**。chorea”这个词来自希腊语，意思是“舞蹈”。

我们来看看丁苯那嗪是什么？

一种慢作用的丁苯那嗪可能更有用

很久以来，一种叫**丁苯那嗪**的药物已被用于治疗舞蹈症。它在美国和欧洲的使用其实是相当广泛的，丁苯那嗪是唯一收到特别授权治疗亨廷顿舞蹈症的药物。然而，与许多药物一样，丁苯那嗪是不完美的。一旦它在身体里，它会很快被代谢。这意味着一些人需要每天服用三次药物。这可能会非常不方便，特别是如果患者有吞咽或思考的问题，而这些症状在亨廷顿舞蹈症中都很常见。

丁苯那嗪也有副作用。包括嗜睡和恶心、焦虑和抑郁。这些副作用可能会在服用药物不久后发生，这时候药物量在体内呈最高水平。等过了一会，当药物消退，舞蹈病的症状就会回来。所有这些症状起伏有点像坐过山车一样。

那氘代丁苯那嗪呢？

Auspex药企的研究人员，设计了一个巧妙的方法来解决这个问题。他们对丁苯那嗪的化学结构做了细微的变化、对使其部分氢原子要重一点（重氢，也就是氘）。通过巧妙地改变药物与人体相互作用的方式，他们希望把药物的剂量降低到一天2次，但同时仍然能改善舞蹈症。

他们将这个新版本命名为** 氘代**丁苯那嗪，也被称为** SD809 **。最近，制药巨头梯瓦制药收购了Auspex药企，继续这种新药物的患者测试。

进入测试

为了看氘代丁苯那嗪是否解决了丁苯那嗪相关的一些问题，梯瓦进行了安慰剂对照的双盲随机对照试验。这是是最好的方法来测试一个药物是否有效。**安慰剂控制**意味着一些人得到了真的药物，而另一些人得到了“假”药丸。这有助于区分药物的作用和来自于试验本身的安慰效果。**双盲**意味着病人志愿者和试验工作人员都不知道谁在服用真正的药物。**随机**意味着药物或安慰剂的分配是随机的。

> **“安慰剂有助于区分药物的作用和来自于试验本身的安慰效果。 ”**

这个叫**First-HD**的试验，在美国和加拿大34家医院进行了试验。每个志愿者都参与了为期13个星期的试验。在前8周，药物的剂量逐渐增加到最大值。患者然后保持最大剂量4周，并在不同的时间进行了评估。最后一次评估是在停药一周后完成的。总共有45例患者被给予了“假”药丸和45个给定的真正的药物。病人服药一天两次，早上一次，晚上一次。

除了测量舞蹈症程度以外，试验也查看了其他方面的改善，比如吞咽和平衡。病人被问到他们是否在服用过药物以后感觉更好了，他们的医生也被问到是否认为他们的病人有改善。

它有用吗？

试验结果是积极的- 和安慰剂相比，氘代丁苯那嗪更能减少舞蹈症状。这是个好消息，虽然也许不是很惊人的消息，因为我们已经知道它和丁苯那嗪的相似度很高。这些试验结果是2014年第一次宣布过了，我们也进行了报道。

那么创新在哪里？！

氘代丁苯那嗪目前还没有获得许可上市，那么我们为什么写它呢？最近的一些事情发展给了我们更好的答案。

First-HD的试验结果刚刚发表在主要科学杂志JAMA上（美国医学协会杂志）。这就给了我们一点比之前更详细的信息。

First-HD的研究已完成，对照了氘代丁苯那嗪和安慰剂小组。ARC-HD 正在进行，希望检测患者从丁苯那嗪转换到氘代丁苯那嗪后的状况。

照片提供：Huntington Study Group

有几个有趣的地方；首先，除了减少舞蹈蒸的严重程度，患者们报告说，当他们服用药物而不是安慰剂的时候，他们总的**感觉更良好**一些，他们的医生也同意这个看法。这是很重要的，因为如果药物不能让患者感觉更好的话，治疗症状也是没有意义的。

第二，有一个大会患者**吞咽**的改进，这是使用问卷调查评估的。该研究小组建议，这种明显的对患者吞咽的改善可能用来解释另一个发现，药物治疗的患者的体重都增加了，而那些服用安慰剂的患者的体重下降了。在亨廷顿舞蹈症中，患者往往会出现体重下降，这可能也是由吞咽困难导致的。

改善吞咽这一点听起来很棒，因为并没有类似的报道说丁苯那嗪可以改善吞咽症状。但我们对这个看起来很棒的药物持谨慎的态度，这显然是令人鼓舞的功能的药物。吞咽和体重等测量手段在试验过程中都进行了评估。如果你不停地随机投篮，偶尔运气好，一个球会投中。药物试验结果在这方面也是相似的：如果你测量很多指标，偶尔有一项指标会出来看起来很好。所以在我们宣布氘代丁苯那嗪能改善吞咽和体重问题之前，我们需要更多的证据。

接下来会发生什么？

First-HD 试验后，梯瓦公司迅速提交申请到美国药监局（FDA）、申请批准作为亨廷顿舞蹈症的处方药物销售。FDA的反应已被广泛报道。

FDA回复了梯瓦公司一封所谓的**完整回应函**。有时，这封信只会说“可以”，来授权药物上市；有的时候是否定的回复，公司自动放弃。FDA要求梯瓦提供该药物在体内分解的更多信息。

包括《华尔街日报》在内的许多新闻机构将这封信称为“拒绝信”。事实上，FDA**没有**拒绝梯瓦的申请。在亨廷顿舞蹈症美国协会六月的会议上，梯瓦公司的David Stamler告诉大家：“FDA并没有拒绝申请-他们要求初步信息和分析。这个经常发生，FDA的职责是要小心和完整地核查，再去批准一个新的药物，并广泛使用。FDA并没有提出安全问题，他们也没有要求新的临床试验。这是一个正常的过程的一部分，我想向你保证，Teva尽其所能尽快将该药推向市场。”

> **“我向你保证，梯瓦将尽其所能尽快将该药推向市场 ”**

氘代丁苯那嗪还是丁苯那嗪？

如果是氘代丁苯那嗪得到上市许可，它将如何使用呢？你会注意到，First-HD试验对比了新药物与安慰剂，也就是说，使用氘代丁苯那嗪是不是比什么都没有要好。这**不能**证明新的药物否比它的旧版本-丁苯那嗪要好。

另一个正在进行的试验，**ARC-HD**，是直接比较病人从服用丁苯那嗪切换到氘代丁苯那嗪后的状况。这将给我们一些有用的线索，但这个试验并没有包括安慰剂组，试验结果可能会受到安慰剂效果的影响。

最终氘代丁苯那嗪的效果还是取决于服用患者的个人体验，无论是作为治疗舞蹈症的第一选择或者取代丁苯那嗪。 药物的价格也将会是一个重要的因素。

现在呢？

First-HD试验的结果是积极的，看起来梯瓦也在给FDA提供更多的信息。这些进程通常是比较缓慢的，但在一个月后将会有更多的进展。同时ARC-HD试验正在进行，这将提供关于氘代丁苯那嗪的更多信息。我们也会随时更新最新消息。

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。

HDBuzz2011-2024. 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
于2024年1月07日打印 — 从https://zh.hdbuzz.net/224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。