

## 辉瑞的磷酸二酯酶抑制剂试验在失望中结束： PDE10-抑制剂未能改善亨廷顿舞蹈症症状

辉瑞阿玛丽利斯试验：PDE10-抑制剂未能改善亨廷顿舞蹈症症状



Professor Ed Wild撰写

2016年12月17日

Dr Jeff Carroll编辑

Xi Cao译制

最早发布于2016年12月16日

# 辉

瑞药企宣布了一项名为“阿玛丽利斯”的亨廷顿舞蹈症临床试验结果，该试验测试了磷酸二酯酶抑制剂（PDE-10抑制剂）药物，试验结果显示该药物不能改善亨廷顿舞蹈症症状。这不是我们一直期待的结果，但在研究的过程中，我们也学到了很多关于亨廷顿舞蹈症的新知识。

# 症状无改善

药物公司辉瑞昨天宣布阿玛丽利斯试验的首次分析结果。不幸的是，试验药物未能显示对运动功能有任何改善，对思维能力，行为问题和日常生活活动的这些方面也未产生显著改善。



*阿玛丽利斯试验是全球HD社区的象征，会有人将继续奋斗！*

因此，该公司决定终止仍在运行的开放标签延伸研究，这项试验目前有多名患者参与。

阿玛丽利斯试验正在测试的实验药物代码名为**PF-02545920**，作用于脑细胞内的信号化学物质。科学家希望它将改善神经元之间的沟通，这是HD大脑中的主要问题之一。PF-02545920降低分子再

循环机—磷酸二酯酶10的活性，因此被称为**PDE10-抑制剂**。

试验包括来自五个国家271名亨廷顿舞蹈病患者。在试验结束时，参与者被邀请参与开放标签延伸研究，每个人以他们可以耐受的最高剂量、接受这种活性试验药物。现在该延长研究中的参与者们将获知试验失败的消息，并接收关于如何减少和停止服用药物的指示。参与者应等待试验工作人员的联系，或与研究网站联系，但不应该立即停止药物。

# 为什么药物显示无效？

人体测试实验性药物是非常困难的，特别是对于像亨廷顿舞蹈病那样难以治疗的疾病。有时，试验药物被证明不安全，会对服用它的患者造成某种意外的伤害。非常重要的一点是，就我们目前所知，阿玛丽利斯试验没有出现重大安全问题。

另一个风险是，一种实验性药物可能不会像预期的那样有效。尽管通常我们只测试看起来有前景的HD药物，但是人类大脑是非常复杂的。而HD大脑就更加复杂了，因为它在不断变化。我们无法预测实验药物是否会表现得像我们预期的一样。

“尽管结果是消极的，我们发现了关于HD和PDE10的很多新信息”

# 一个消极结果并不代表试验是失败的

这无疑是一个坏消息。我们一直对这个药物和试验很热心，辉瑞和HD科学家们以及HD社区一起彻底研究了PDE10，这也是一个计划周密计划并得到了良好执行的试验。

带领辉瑞的阿玛丽利斯研究的Marielle Delnomdedieu告诉我们：“我们都非常失望，研究药物没有达到改善HD运动功能的目标，也不能改善亨廷顿舞蹈症的其他症状。但是我们也发现了很多关于亨廷顿舞蹈症和PDE10的新信息，本次的试验数据将为其他的研究人员带来丰富的研究资源。我们很高兴本次试验的开展，并非常感谢参与试验的患者及其亲属。”

这些科研人员和HD患者家属们的工作没有被浪费。得益于辉瑞及其合作者，我们现在对HD的病程进展以及PDE10酶在疾病中的作用有了更好的了解。科学家将继续梳理试验中产生的数据，以试图找出为什么药物没有如预期的那样改善症状。也会有其他人将继续研究PDE10，并试图找出改善亨廷顿舞蹈症的新方法。

---

*Wild医生编辑了本文，他也是阿玛丽利斯试验在UCL的一名调查员，但和辉瑞及本次试验没有利益冲突。想了解更多关于本站公开制度的信息，请看常见问题解答。*

---

HDBuzz2011-2021. 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](https://hdbuzz.net)

于2021年3月07日打印 — 从<https://zh.hdbuzz.net/229>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。