

FDA批准治疗HD运动症状的药物

FDA批准治疗HD运动症状的药物

Dr Leora Fox 和 Dr Rachel Harding 撰写 | 2023年8月25日 | Dr Rachel Harding 编辑

Xi Cao 译制 | 最早发布于2023年8月22日

绝 大多数患有亨廷顿舞蹈病的人都会出现被称为舞蹈病的动作症状。药物缙苯那嗪 (Valbenazine)，商品名INGREZZA，最近被美国食品和药物管理局(FDA)批准上市，允许美国医生用这种药物治疗亨廷顿舞蹈病(HD)。在本文中，我们将介绍这个消息的重点以及它对HD患者社群的意义。

Velbenazine(缙苯那嗪)的背景

INGREZZA是Velbenazine(缙苯那嗪)的商品名，这是一种由叫Neurocrine的药企开发的药物。它的作用类似于丁苯那嗪和氘代丁苯那嗪(Austedo)，这两种药物通常用于帮助缓解HD患者的不自主运动症状。



美国食品药品监督管理局 (FDA) 负责批准对人体安全且能有效治疗不同疾病的药物。

用这些药物治疗会阻断一种叫做VMAT2的蛋白质，这种蛋白质会包裹住脑细胞用来交流的某些化学物质。VMAT2有助于将化学信使多巴胺(以及其他物质)从一个细胞放入到另一个细胞的气泡中。多巴胺在我们大脑的运动回路中起着重要作用，人们认为阻断VMAT2可以平息这种交流。这种药物改善不规则和不自主运动的确切原因尚不清楚，但这些药物对许多有舞蹈样动作的HD患者有效果。

自2017年以来，Velbenazine(缙苯那嗪)已在美国被批准、用于治疗一种叫迟发性运动障碍(简称TD)的症状，这是一种由使用精神安定剂或抗精神病类药引起的不自主运动。世界上许多人服用抗精神病药物来治疗双相情感障碍、精神分裂症和其他疾病(包括HD)的精神和行为症状。在长期使用这

些药物后，有些人会出现TD这种症状，通常包括口腔和面部肌肉的抽搐。Velbenazine(缛苯那嗪)可以帮助控制这些不自主的运动，所以Neurocrine药企开始研究它是否对亨廷顿舞蹈病引起的舞蹈样动作症状也有效果。

缛苯那嗪对HD患者的临床研究与获批

因为缛苯那嗪已经在患有TD症状的人身上进行了测试，医生也已经开了好几年的处方，我们已经知道它对人类是安全的。然而，仍然需要进行临床试验来了解它是否能有效治疗亨廷顿舞蹈病。

Neurocrine药企和美国的亨廷顿研究小组合作，从2020年开始进行了一项名为KINECT-HD的三期临床试验。128人参与了该实验。其中一半人每天服用一次缛苯那嗪胶囊，持续12周，另一半人服用安慰剂(一种不含有效药物的糖丸)。参与者被邀请继续进行一项名为KINECT-HD2的更长时间的持续试验，其中每个人都接受服用缛苯那嗪。

[KINECT-HD临床试验是成功的，达到了研究的主要目的，这意味着与安慰剂相比，缛苯那嗪缓解HD的舞蹈样动作症状。它提高了患者的TMC评分，TMC评分是临床医生用来监测舞蹈样动作症状的指标。这一结果于2021年公布，自那以后，Neurocrine一直在继续研究，分析、呈现和准备缛苯那嗪两项HD试验的数据。他们于2022年12月将其提交给美国药监局审批，并于2023年8月18日宣布INGREZZA已获得FDA批准，这意味着在美国它现在可以正式开处方给HD患者试验。

“KINECT-HD是成功的，达到了其主要终点，这意味着与安慰剂相比，缛那嗪降低了HD舞蹈病的严重程度”

药物从批准到上市再到普通处方可能需要一些时间，尤其是治疗罕见疾病的药物。一旦获得批准，公司就可以投入更多精力，向医疗专业人员和团体宣传这种新疗法。

目前关于缛苯那嗪的一些信息

值得注意的是，缛苯那嗪(INGREZZA)不会减缓或停止HD的疾病进展。然而，服用药物来改善不自主运动和其他HD症状会对生活质量产生重大影响。对于一些HD患者和他们的亲人来说，舞蹈样动作症状可能没有很大的影响，但对其他人来说，这个症状会干扰日常活动甚至安全，治疗可能会对这方面的改善产生影响。

INGREZZA是一粒胶囊，每天吞服一次。这是这种药物的一个优点，因为对于许多患有HD的人来说，记住在一天中服用一系列复杂的药片是很困难的。不过剂量也可能随着时间的推移而改变，这取决于人们对药物的反应以及患者可能经历的任何副作用。Neurocrine希望与其他针对VMAT2的药物相比，缛苯那嗪的出现可以使更多的人在服用这类药物的时候，副作用更容易得到控制。

平衡副作用、成本和其他因素



INGREZZA是一粒药丸，每天一次，这可以让HD患者更容易控制药物

照片提供：[Rodrigo Senna](#)

像所有的药物一样，缛苯那嗪也有一些缺点。VMAT2抑制剂有常见的副作用，比如嗜睡。它们也可能有非常严重的副作用，包括抑郁以及自杀的想法或行为。因此，考虑服用缛苯那嗪的HD患者必须准确地将他们过去的病史告诉医护人员或者照看人员，并在出现任何副作用时尽快提醒他们。

除了VMAT2抑制剂外，医生还开了多种药物来治疗舞蹈病和其他症状。例如，一些用于治疗HD患者心理健康和行为的抗精神病药物也能起到缓解舞蹈样运动症状的作用。还有成本方面的考虑，特别是在美国这样的国家，由于缺乏全民医疗保健，商业保险覆盖的范围可能会有所不同或完全没有。像Neurocrine这样在市场上推出新药的公司旨在通过包括药品援助计划在内的不同渠道缓解这一问题。

值得注意的是，Teva今年5月在美国推出了每日一次的氘代丁苯那嗪 (Austedo XR)，这可能不是巧合——拥有治疗同一疾病的药物的公司通常会根据公众的知识来调整他们的研发策略，另一家公司即将获得FDA的批准通常会能给到企业竞争的动力。开哪种处方，或者服用哪种药物的原因因医生和患者而异。每个人对药物的反应也都是不一样的，各地区的覆盖范围以及批准也是大不相同的。

要点整理

“HD舞蹈病多种治疗方法的可用性提高了公众对HD的认识。。。并增加HD家庭成员在医疗保健决策中的选择”

在我们等待可以减缓疾病进展的治疗方法时，像INGREZZA这样的药物可以改善生活质量，这是我们对抗HD的工具库中一个受欢迎的补充。Velbenazine(缛苯那嗪)在美国的批准对HD社群来说是个好消息。它提高了公众对亨廷顿舞蹈病的认识，并创造了良性竞争来控制成本。最重要的是，舞蹈病的多种治疗方法的可用性无疑增加了HD家庭成员在医疗保健决策方面的选择。

也就是说，在美国以外，只有KINECT-HD试验的研究参与者才能获得这种药物，而且Neurocrine尚未确认他们在其他国家寻求监管批准的意向以及决定。但是，他们确实计划在不久的将来通过针对HD家庭成员的线上网络研讨会直接向相关组织和社群发表讲话。HDBuzz希望所有开发HD治疗的公司都能致力于全球范围内获得能够改善HD患者生活质量的药物。

Leora Fox 在美国亨廷顿舞蹈症协会工作，该协会与包括Neurocrine Biosciences在内的HD 药物研究公司有关系并签订保密协议。这篇文章是根据公开信息写的。雷切尔·哈丁没有任何矛盾需要声明。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19日打印 — 从<https://zh.hdbuzz.net/348>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。