
阿尔茨海默病可预防？科学家启动一项持续六年的试验

作者：writer 来源：科学网

本文原地址：<https://www.iikx.com/news/progress/31595.html>

本文仅供学习交流之用，版权归原作者所有，请勿用于商业用途！

阿尔茨海默病可预防？科学家启动一项持续六年的试验

。“在过去的几年里，我们看到了阿尔茨海默病治疗的巨大进展，两种淀粉样蛋白靶向药物被证明可以减缓疾病的症状，现已被美国FDA批准用于治疗阿尔茨海默病引起的轻度认知障碍或轻度痴呆患者。这为我们的假设提供了强有力的支持，即在 β 淀粉样蛋白斑块处于最早阶段时进行干预，早在症状出现之前，就可以从一开始就防止症状的出现。”

当地时间2025年2月4日，美国华盛顿大学医学院（Washington University School of Medicine in St. Louis）公告称，该院的研究人员正在招募携带遗传性阿尔茨海默病基因的人——这些人在未来11到25年内不会出现症状，使用跨国药企礼来（LLY.US）研发的实验性药物remternetug，来确定阻止早期分子变化是否可以防止阿尔茨海默病进展。

据生物医药行业媒体EndpointsNews报道，主持这项研究的神经学教授埃里克·麦克戴德（Eric McDade）说：“淀粉样蛋白病理学可以在症状出现前一到二十年确定，我们试图做的实际上是表明我们可以阻止淀粉样蛋白病理的发展。”

阿尔茨海默病是痴呆症的主要类型之一，它会剥夺患者的记忆和自主能力，给他们的生活带来沉重打击。它也一直被认为是“研发黑洞”。近年来，阿尔茨海默病药物的研发主要集中于“疾病修饰疗法”，靶向 β 淀粉样蛋白（ $A\beta$ ）和Tau蛋白，其核心在于对阿尔茨海默病的疾病发病机制进行干预，靶向清除患者大脑中过多的 $A\beta$ 原纤维和 $A\beta$ 斑块。

Eric McDade介绍：“在过去的几年里，我们看到阿尔茨海默病治疗的巨大进展，两种淀粉样蛋白靶向药物已被证明可以减缓疾病的症状，现已被美国食品药品监督管理局（FDA）批准用于治疗阿尔茨海默病引起的轻度认知障碍或轻度痴呆患者。这为我们的假设提供了强有力的支持，即在 β 淀粉样蛋白斑块处于最早阶段时进行干预，早在症状出现之前，就可以从一开始就防止症状的出现。”

该试验预计将持续至少六年，耗资超过1.3亿美元。美国国立卫生研究院（NIH）捐赠了大部分资金，约9830万美元。据华盛顿大学医学院公告，试验将招募约240名参与者，这些参与者来自携带导致早发性阿尔茨海默病的三个关键基因之一突变的家庭。参与者必须比根据家族史预期的症状发作年龄小11至25岁，并且没有认知障碍的迹象，大脑中没有或只有很少的淀粉样蛋白沉积。在实验期结束时，作为研究开放标签扩展的一部分，携带突变的参与者将有资格再接受四年的药

物。

McDade及其同事主要研究remternetug能否阻止淀粉样蛋白斑块在大脑中积聚。他们还将测量该药物对血液和脑脊液中阿尔茨海默病分子体征的影响。由于参与者非常年轻，研究人员预计在试验期间不会看到认知功能发生任何变化。研究团队将在临床试验后继续对参与者进行长期随访，以评估对认知的潜在影响。

remternetug是礼来旗下一款IgG1单克隆抗体，靶向仅存在于脑淀粉样蛋白斑块中的淀粉样 β 肽第三个氨基酸的焦谷氨酸修饰。根据2023年阿尔茨海默病和帕金森病国际会议上发布的I期临床试验结果，remternetug可快速且稳定地减少阿尔茨海默病患者的淀粉样斑块，但会引发淀粉样蛋白相关成像异常（ARIA）。华盛顿大学医学院称，remternetug对淀粉样蛋白的清除程度与礼来已上市的阿尔茨海默病新药donanemab（商品名：Kisunla）相当。

与两种已上市的新药相比，remternetug的区别在于，它可以通过皮下注射给药，比静脉输注（目前批准的新药给药途径都是静脉输注）更快、侵入性更小。此外，参与者将每3个月注射一次remternetug或安慰剂，给药频率更低。

更重要的是，这项研究旨在更早地治疗患者，研究人员认为该药物也许能够预防，而不仅仅是减缓阿尔茨海默病。

24岁的汉娜·理查森（Hannah Richardson）参与了这项试验，她的妈妈和叔叔都是阿尔茨海默病患者，一直在参与临床试验。她的叔叔在42岁时因阿尔茨海默病死亡，妈妈如今也42岁了，处于疾病中度阶段。追溯其家族史，她的祖父也死于阿尔茨海默病。

上周，研究团队采集了理查森的血液和脊髓液，并扫描了她的大脑。这些测试将为医生在未来几年跟踪她的疾病进展提供基础。

理查森希望这种药物对她的未来“有好处”，“但即使结果并非如此，仅仅收集这些数据对于帮助人们免受现在的痛苦也非常重要，这对我来说真的很重要。”

参考资料：

1.<https://medicine.washu.edu/news/international-alzheimers-prevention-trial-in-young-adults-begins/>

2.<https://endpts.com/study-will-try-to-stop-alzheimers-decades-before-it-begins/>

作者：曹年润 来源：澎湃新闻

更多 科学进展 请访问 <https://www.iikx.com/news/progress/>

本文版权归作者所有，请勿用于商业用途，[爱科学iikx.com](http://iikx.com)转发