
首个治疗发作性睡病的药物获批

作者：writer 来源：科学网

本文原地址：<https://www.iikx.com/news/progress/41642.html>

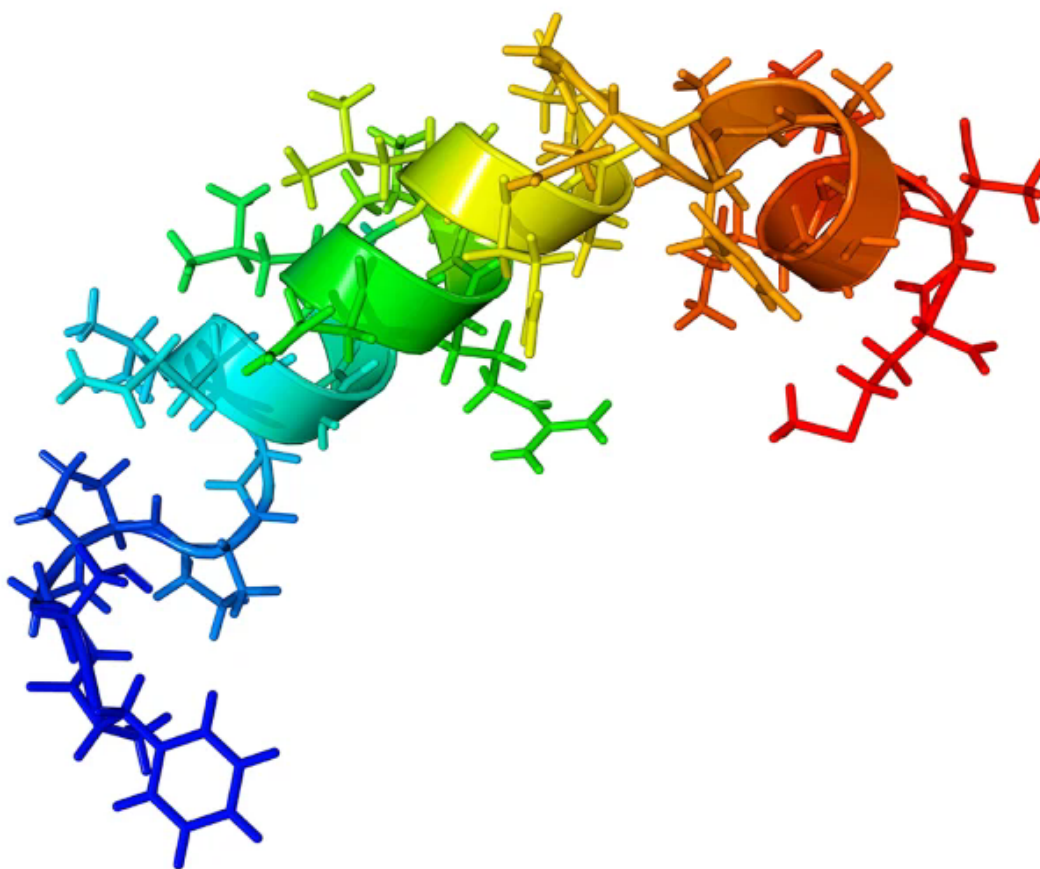
本文仅供学习交流之用，版权归原作者所有，请勿用于商业用途！

首个治疗发作性睡病的药物获批

。近日，美国食品药品监督管理局（FDA）批准了首款针对发作性睡病根源进行治疗的药物。这款药物名为奥维普雷克斯顿（oveporexton），商品名为奥泽弗。发作性睡病是一种慢性神经系统疾病，饱受折磨的患者为此欢欣鼓舞。研究人员也对其寄予厚望，认为它只是未来一批睡眠障碍治疗药物的开端。

据《自然》报道，这类新兴疗法被称为食欲素激动剂，不仅能够缓解发作性睡病的各类症状，还可以直击该病的生物学发病根源，甚至有望用于其他神经精神类疾病的治疗。依托这一全新治疗思路，各大制药企业纷纷布局该赛道。预计到21世纪30年代初，相关市场的年规模将突破64亿美元。

“对于患者、临床医生以及为之耕耘多年的科研人员而言，这是一个无比振奋的时刻。”爱尔兰制药公司Alkermes的医学事务副总裁Barry Lubarsky表示，该企业也在自研发作性睡病治疗药物。



新一代发作性睡病药物可以模拟神经肽食欲素。图中展示了由28个氨基酸构成的其中一种食欲素。图片来源：Laguna Design

全球约有300万人受发作性睡病困扰。1型、2型两种亚型都会造成日间嗜睡、夜间清醒、睡眠瘫痪以及入睡前幻觉。1型发作性睡病还会伴随猝倒症状。

很长一段时间里，发作性睡病的发病机制始终是谜团。20世纪90年代末，研究人员发现，1型发作性睡病患者大脑中往往缺失一种名为食欲素（下丘脑泌素）的肽类物质。食欲素由下丘脑内约7万个神经元合成。1型患者体内这类神经元会发生凋亡，而缺少食欲素，大脑便无法调控睡眠-觉醒周期。2型发作性睡病与食欲素缺乏并不相关，科学家仍在探索它的病因。

掌握这一分子层面的发病机制后，日本武田制药美国公司的科研人员扫描了海量化合物数据库，筛选出一种可以模拟食欲素的分子。在大脑中，该分子可以激活食欲素对应的受体，以此稳定人体的觉醒与睡眠神经环路。团队在2011年首次发现候选分子，又耗费数年时间，将其开发成口服药片并完成各类试验。

两项3期临床试验共纳入273名1型受试者，分别服用每日两次的口服试验药或安慰剂。结果显示

，服用药物的受试者白天可以维持清醒，夜晚能够顺利入睡并保持睡眠状态。服用奥泽弗的受试者还报告称，猝倒、睡眠瘫痪、入睡前幻觉等症状均得到改善。

美国斯坦福大学的Emmanuel Mignot表示：“用药之后，患者基本可以回归正常人的状态。他们终于真切体会到什么是清醒。”他主导了后期临床试验，也是揭示食欲素与发作性睡病关联的核心研究者。

尽管药物获批令人振奋，但人类对于发作性睡病及食欲素在大脑中的全部作用仍有大量未知。有研究表明，蓝斑核神经元的丢失，同样会参与1型发作性睡病的发病过程。这意味着还可以开发其他治疗思路。

已有研究证实，食欲素除调控睡眠之外，还参与人体多条生理通路，包括食欲、焦虑、成瘾相关通路。研究人员还在探索食欲素激动剂更广阔的应用前景，类比司美格鲁肽这类药物的发展路径。

作者：王方 来源：中国科学报

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

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