

---

# 新药可减少亨廷顿病患者毒性蛋白

作者：徐绍亮 来源：科学报

本文原地址：<https://www.iikx.com/news/progress/5132.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！**

新药可减少亨廷顿病患者毒性蛋白。亨廷顿病是一种致命遗传性神经疾病。5月6日，一种有望治疗亨廷顿病的药物试验数据发表在《新英格兰医学杂志》上，该药物可阻断导致亨廷顿患者脑损伤的蛋白质突变。

研究结果最初于2017年12月发表，同期社论称该试验为开创性突破。新发表的论文称，这种名为HTTRx的合成短链DNA药物可以阻止变异亨廷顿蛋白的产生。参与试验的46名受试者均无严重不良事件报告，表明该药物对人体是安全的。

论文还提供了试验背后令人兴奋的细节：HTTRx降低了脑脊液中变异亨廷顿蛋白的水平，可逆转小白鼠亨廷顿病式的运动和认知症状。患者脑脊液中突变蛋白的减少呈剂量依赖性：在一定剂量范围内，剂量越大，突变蛋白减少越多。

然而，作者报告说，对接受不同剂量治疗的5组患者的数据加以考虑，该疾病的症状总体上没有变化，而且在接受安慰剂治疗的患者和接受HTTRx治疗的患者之间，无论剂量水平如何，都没有发现有意义的区别。

现在，所有的目光都集中在一项关键的临床试验上，该试验旨在招募660名亨廷顿病患者。第一例患者于1月登记，最后一例患者数据预计将于2022年3月收集。这项研究有足够的规模和时间，足以让科学家测量该药物对亨廷顿病的影响，同时表明这种药物是否减缓或停止亨廷顿病的发展。

相关论文信息:DOI: 10.1056/NEJMoa1900907

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