

研究指抑制劑阻腦細胞受攻擊 助研小腦萎縮症新藥

[TVB News, 醫療, 2019-05-06]

小腦萎縮症患者由於腦部細胞衰退，身體機能會逐漸受影響，至今未有根治的藥物。中大的研究證實，一種抑制劑可阻止有毒分子攻擊腦部細胞，有望研發新藥。

25 歲的錦源八年前入院檢查時，醫生發現他的小腦萎縮，後來活動能力受影響，行路都有困難。

錦源說：「經常跌倒，坐輪椅會較安全。其實都很難接受，這個病要坐輪椅一輩子的，暫時醫學上都沒有藥物可治療。」

小腦萎縮症患者一般在約二十歲起，小腦的神經細胞出現萎縮甚至死亡。由於小腦負責身體的平衡力和肌肉協調，患者病發後會出現行動、說話、吞嚥困難，到晚期肢體會乏力。

中大早年研究發現，患者細胞中出現有毒的 RNA 分子，會攻擊小腦內的蛋白質，令細胞死亡。他們在三年前模仿蛋白質，合成出一種多肽分子，在細胞實驗中成功阻止 RNA 攻擊正常蛋白質。

研究團隊去年把多肽分子轉成藥物，用於患病的老鼠身上，在測試平衡力的實驗中，發現牠們的情況好轉。

中大生命科學學院教授陳浩然表示：「不是完全回復至正常的水平，但亦比沒有吃藥而患病的老鼠，活動能力提升很多，增加四至五成。見到小鼠在實驗過程中停頓、完全不動的時間是少了。」

他說下一步將會尋找藥廠合作，製藥做臨床試驗。

預計何時會研製出臨床測試的藥物？

預計最快五年後，可以有首批的病人試藥。中大在實驗中發現，老鼠由鼻孔吸入藥物，效果比靜脈注射好，相信是由於鼻較接近腦部，可減少藥物在血液中降解的機會，日後會以這個方向去研製藥物。

小腦萎縮症病發率多少？

小腦萎縮症是罕見病，按人口推算，估計本港有二百多名患者，大多是遺傳。若父母患病，子女有五成機會患病。部分遺傳的患者，腦內的有毒分子 RNA 會較父母多，會更早出現病徵。