

一种口服药可治疗肌营养不良症

来源：科技日报 日期：2011-05-09

英国牛津大学 5 日发布公报说，该校研究人员发现一种可简单口服的药物能治疗杜氏肌营养不良症，动物实验显示这种药可提高实验鼠的肌肉强壮度。与以前一些疗法只对部分患者有效不同，这种药可能会对所有患者都有效。

杜氏肌营养不良症是一种主要影响男孩的遗传疾病，全球平均每 3500 名男婴中就有一人罹患此病。患者在两岁时就会出现肌肉无力症状，行走困难，一般到十多岁就会彻底丧失行走能力，需要坐轮椅，到二十多岁还可能会因心肌、肺肌无力而死亡。目前医学界尚无有效疗法。

过去研究显示其病因是基因缺陷导致肌肉中缺乏抗肌营养不良蛋白，因此现在一些疗法探索集中在基因手段上，试图修正这个基因缺陷，但由于每个人的基因组都不完全一样，每个具体的基因疗法往往只适用于部分患者。

牛津大学研究人员及其国际同行寻找了一个新思路，即探索用一种名为 utrophin 的蛋白质来替代抗肌营养不良蛋白。实验显示，对患有杜氏肌营养不良症的实验鼠而言，如果用药物提高这种蛋白质的含量，实验鼠的肌肉能力可得到明显改善，在行走测试中的成绩可提高 50%。

研究人员测试了大量的药物，发现一种名为 SMT C1100 的药物在这方面效果最好。来自牛津大学、意大利和美国的三个小组分别对其进行了测试，都得出了一致的结果。这些研究报告发表在网络学术期刊《科学公共图书馆综合卷》上。

领导研究的凯·戴维斯教授说，由于相关测试结果的支持，这项研究现已进入临床试验阶段，接下来将根据临床试验结果对这种药物的配方进行优化。重要的是，这种药物可能会对所有患者都有效，并且可以口服。