

自闭症治疗倡议引入验证不足的维生素疗法

美国食品药品监督管理局拟批准亚叶酸,适用人群疗效未明

文/Gretchen Vogel

2025年9月22日,美国总统特朗普在一项备受关注的公告中,公布了其政府针对所谓“自闭症危机”的应对措施。记者会期间,特朗普将大量时间用于劝导家长将儿童疫苗接种时间拉长,于数月或数年内完成,并避免在孕期服用或让幼童使用任何对乙酰氨基酚,然而科学家指出,此类建议缺乏证据支撑。但联邦官员同时宣称,美国食品药品监督管理局将批准一种名为“亚叶酸”的药物,将其列为“首个获美国食品药品监督管理局认可的自闭症治疗路径”——对于一种仅经过为数不多的小型研究验证的药片而言,此举实属非常。

相关研究确实表明,该药物或对某些具有自闭症症状的儿童存在潜在益处。然而,许多专家认为此项批准过于仓促。曾研究孕期补充叶酸能否降低子女自闭症风险的加利福尼亚大学戴维斯分校流行病学家Rebecca Schmidt表示:“我们认为目前尚未达到获得美国食品药品监督管理局批准的常规标准”。作为公告的一部分,美国政府还公布了投入5000万美元资助项目的受助方,这些项目旨在探寻影响自闭症患病率与预后的各类因素。值得注意的是,对亚叶酸的进一步研究并未在列。

亚叶酸在临床上常用于缓解

某些干扰叶酸代谢的化疗方法所产生的副作用。该药物也曾针对一种名为脑叶酸缺乏症(CFD)的罕见遗传病进行过临床试验——此病在儿童中的发病率约为百万分之一。脑叶酸缺乏症表现为:尽管患儿血液中的整体叶酸水平正常,但其大脑无法获得足够的叶酸。患病儿童在出生初期发育正常,然而在5个月至2岁期间,会开始出现能力倒退,并表现出类似自闭症的症状,包括语言发展迟滞和运动控制能力缺失。

部分科学家已识别出一种特定抗体,推测其可能通过阻碍大脑对叶酸的吸收而诱发某些脑叶酸缺乏症病例。目前尚无以比较方式探讨此类自身免疫型脑叶酸缺乏症在自闭症儿童与正常儿童中发病率的确切研究。不过,若干小型研究显示,亚叶酸治疗或能改善自闭症儿童的口头沟通能力,对携带上述抗体的患儿亚群可能尤为有益。然而,所有针对亚叶酸治疗自闭症的研究,其受试者规模均未超过几十人,且时间不超过6个月。

埃默里大学儿科学教授Lawrence Scahill专精于自闭症儿童临床试验的设计与执行。他指出,其中数项研究的研究方法存在缺陷,例如未按年龄组对语言技能测试的分数进行恰当校正。

“可能存在一部分自闭症病例确实伴有此类叶酸缺乏症,但我对任何单一的病理解释或治疗方案都持保留态度”,德雷塞尔大学流行病学家Kristen Lyall表示。Lyall主持9月22日行政部门所公布的13项研究中的一项,重点探讨饮食、遗传背景与环境暴露在自闭症风险中的交互作用。

尽管证据尚不充分,美国食品药品监督管理局专员Martin Makary仍宣布,该机构已提交《Federal Register》通知,计划修改一种名为处方亚叶酸的药物标签,使其能够用于治疗自闭症儿童。在一份附带的事实说明中,政府进一步澄清,该药实为获批用于治疗脑叶酸缺乏症,而非广义的自闭症,并承认“尚需更多研究”以明确亚叶酸对自身免疫性脑叶酸缺乏症患者是否确有疗效。但Makary在新闻发布会上对此限制却只字未提,反而声称“在我看来,将有数十万儿童从中受益”。

Scahill强调,在医生普遍采用亚叶酸之前,科学家必须开展更具规模的研究,聚焦特定年龄段并使用恰当的评估工具——而此类工作执行难度颇高,需数年。Scahill还补充道,即便药物有效,目前仍不清楚患儿需持续用药多久才能显现变化,也不清楚他们是否需终身服药。

他表示,儿科医生在开具亚叶酸处方时根本无据可依,并进一步表示,美国食品药品监督管理局的这一决定“令我极为震惊,甚至恕我直言,这一决定非常不负责任”。

(译自《Science》,2025,389(6767))

(科技新闻栏目编辑 黄文光)