

临床与基础
桥接研究Clinical and Basic
Bridging Research地屈孕酮联合戊酸雌二醇预防 IUA 术后
宫腔再粘连的临床研究Clinical trial of dydrogesterone combined with estradiol valerate for prevention of
uterine readhesion after IUA年 妍^{1a}, 仲佳雯², 李晓荣^{1b}

(1. 宁夏医科大学 总医院, a. 妇科; b. 生殖中心, 宁夏回族自治区 银川 750001; 2. 宁夏医科大学 中医学学院, 宁夏回族自治区 银川 750001)

NIAN Yan^{1a}, ZHONG Jia-wen²,
LI Xiao-rong^{1b}(1. a. Department of Gynecology;
b. Department of Reproductive Center,
General Hospital of Ningxia Medical
University, Yinchuan 750001, Ningxia
Hui Autonomous Region, China;
2. College of Traditional Chinese
Medicine, Ningxia Medical University,
Yinchuan 750001, Ningxia Hui
Autonomous Region, China)作者简介: 年妍 (1984 -), 女, 硕士, 副主任医师,
主要从事宫腔镜及宫内疾病临床
诊疗方面的工作通信作者: 李晓荣, 副主任医师, 硕士生导师
MP: 18895018984
E-mail: lixirong850901@163.com

摘要:目的 观察地屈孕酮片联合戊酸雌二醇片预防宫腔粘连(IUA)术后宫腔再粘连的临床疗效及安全性。**方法** 将 IUA 分离手术后患者按照队列法分为对照组和试验组。对照组患者术后立即予戊酸雌二醇片, 每次 2 mg, *bid*, 口服, 连用 30 d 后停药; 试验组在对照组治疗的基础上, 自第 20 天给予地屈孕酮片, 每次 10 mg, *qd*, 口服, 至下次月经来潮。2 组患者疗程均为 2 个月经周期。比较 2 组患者的临床疗效、子宫内膜容受性超声参数[子宫内膜厚度、子宫内膜体积、血管指数(VI)、血流指数(FI)、血管血流综合指数(VFI)]、血清性激素[雌二醇(E2)、卵泡刺激素(FSH)、黄体生成素(LH)]、再粘连发生情况, 以及安全性。**结果** 试验组和对照组分别入组 48 例和 44 例。治疗 2 个月经周期后, 试验组和对照组的总有效率分别为 95.83% (46 例/48 例) 和 81.82% (36 例/44 例), 在统计学上差异有统计学意义 ($P < 0.05$)。治疗 2 个月经周期后, 试验组和对照组子宫内膜厚度分别为 (7.88 ± 1.02) 和 (7.12 ± 0.86) mm, 子宫内膜体积分别为 (3.02 ± 0.97) 和 (2.57 ± 0.73) cm³, VI 分别为 1.21 ± 0.59 和 0.88 ± 0.57 , FI 为 29.87 ± 5.12 和 27.56 ± 4.63 , VFI 分别为 1.12 ± 0.43 和 0.83 ± 0.36 , E2 分别为 (239.62 ± 25.47) 和 (168.91 ± 20.12) pmol · L⁻¹, FSH 分别为 (8.94 ± 2.02) 和 (10.63 ± 2.14) U · L⁻¹, LH 分别为 (13.38 ± 2.16) 和 (15.27 ± 2.59) U · L⁻¹, 试验组的上述指标与对照组比较, 在统计学上差异均有统计学意义 (均 $P < 0.05$)。试验组的药物不良反应主要有乳房胀痛和消化道不适, 对照组的药物不良反应主要有乳房胀痛、消化道不适和头痛。试验组和对照组的药物不良反应总发生率分别为 14.58% (7 例/48 例) 和 11.36% (5 例/44 例), 在统计学上差异无统计学意义 ($P > 0.05$)。试验组和对照组的再粘连发生率分别为 6.25% (3 例/48 例) 和 20.45% (9 例/44 例), 在统计学上差异有统计学意义 ($P < 0.05$)。**结论** IUA 术后采用地屈孕酮联合戊酸雌二醇预防宫腔再粘连的临床疗效显著, 可有效改善患者子宫内膜容受性、性激素水平, 用药安全。

关键词: 地屈孕酮片; 戊酸雌二醇片; 宫腔粘连; 宫腔粘连分离术; 再粘连预防; 安全性**DOI:** 10.13699/j.cnki.1001-6821.2025.05.005**中图分类号:** R977.1 **文献标志码:** A**文章编号:** 1001-6821(2025)05-0621-05

Abstract: Objective To observe the effect and safety of dydrogesterone combined with estradiol valerate on preventing the intrauterine re-adhesion after intrauterine adhesion (IUA) surgery. **Methods** The patients after IUA surgery were divided into control group and treatment group according to the cohort method. The control group was given oral estradiol valerate tablets (2 mg every time, twice a day) immediately after surgery and stopped after 30 days of continuous oral administration,

and on the basis of the control group; the treatment group received dydrogesterone tablets (10 mg each time, once a day) from the 20th day until the next menstruation. Both groups were treated for 2 menstrual cycles. The efficacy, endometrial receptivity ultrasound parameters [endometrial thickness, endometrial volume, vascular index (VI), blood flow index (FI), vascular blood flow index (VFI)], sex hormones [estradiol (E2), follicle stimulating hormone (FSH), luteinizing hormone (LH)], adverse reactions and occurrence of re-adhesion were compared between the two groups. **Results** Forty-eight cases in treatment group and 44 cases in control group were finally included. After 2 menstrual cycles of treatment, the total effective rates in treatment group and control group were 95.83% (46 cases/48 cases) and 81.82% (36 cases/44 cases), respectively ($P < 0.05$). After 2 menstrual cycles of treatment, the endometrial thicknesses in treatment group and control group were (7.88 ± 1.02) and (7.12 ± 0.86) mm; the endometrial volumes were (3.02 ± 0.97) and (2.57 ± 0.73) cm³; VI values were 1.21 ± 0.59 and 0.88 ± 0.57 ; FI values were 29.87 ± 5.12 and 27.56 ± 4.63 ; VFI values were 1.12 ± 0.43 and 0.83 ± 0.36 ; E2 levels were (239.62 ± 25.47) and (168.91 ± 20.12) pmol · L⁻¹; FSH levels were (8.94 ± 2.02) and (10.63 ± 2.14) U · L⁻¹; LH levels were (13.38 ± 2.16) and (15.27 ± 2.59) U · L⁻¹, respectively (all $P < 0.05$). The adverse drug reactions in treatment group were mainly breast tenderness and digestive tract discomfort; and the adverse drug reactions in control group were mainly breast tenderness, digestive tract discomfort and headache. The total incidence rates of adverse drug reactions in treatment group and control group were 14.58% (7 cases/48 cases) and 11.36% (5 cases/44 cases), respectively ($P > 0.05$). The incidence rates of re-adhesion in treatment group and control group were 6.25% (3 cases/48 cases) and 20.45% (9 cases/44 cases) ($P < 0.05$). **Conclusion** Dydrogesterone combined with estradiol valerate has a significant effect on preventing intrauterine re-adhesion after IUA surgery, and it can effectively improve the endometrial receptivity and sex hormones levels of patients, and it has medication safety.

Key words: dydrogesterone tablets; estradiol valerate tablets; intrauterine adhesion; hysteroscopic adhesiolysis; re-adhesion prevention; safety

宫腔粘连 (intrauterine adhesions, IUA) 是女性不孕的重要原因之一^[1]。对有生育需求的 IUA 患者,临床首选 IUA 分离术治疗,但术后仍需采用预防措施积极促进子宫内膜再生修复、预防宫腔再粘连^[2]。目前临床认为 IUA 术后采取雌激素疗法有利于积极预防宫腔再粘连的发生,但仅单纯应用雌激素预防宫腔再粘连的治疗效果并不理想,考虑联合其他治疗措施进一步提高疗效^[3]。雌-孕激素序贯疗法指在雌激素连续用药、后半周期再加用孕激素治疗,也可有效促进子宫内膜修复以降低再粘连发生风险,但临床中对比这 2 种方案在 IUA 术后预防再粘连效果的相关报道结果存在差异^[4],仍需更多临床研究验证。本研究旨在比较雌激素单用、雌-孕激素序贯疗法用于预防 IUA 术后宫腔再粘连的效果及安全性。

材料、对象与方法

1 病例选择

2022 年 2 月至 2023 年 12 月以本院就诊的 IUA 术患者入选为研究对象。本研究数据经宁夏医科大学总医院医学伦理委员会批准公开 (伦理批号:

KYLL-2024-1440)。

诊断与入选标准 符合《宫腔粘连临床诊疗中国专家共识》^[5]中关于 IUA 的诊断标准,经宫腔镜检查确诊为宫腔粘连。①粘连程度为中、重度;②有生育要求,接受宫腔镜下 IUA 分离手术治疗;③年龄 20~45 岁;④卵巢功能正常;⑤病历资料完整。

排除标准 ①生殖系统先天缺陷或畸形者;②合并子宫肌瘤或其他恶性肿瘤者;③合并生殖系统急性炎症、严重内分泌疾病者;④术前 3 个月内有激素类药物应用史者;⑤肝肾功能不全者。

2 药品、试剂与仪器

戊酸雌二醇片,规格:每片 1 mg,批号:225B、508B、616A,注册证号:HJ20160679,德国 Bayer Weimar GmbH & Co. KG 生产;地屈孕酮片,规格:每片 10 mg,批号:211205、220612、230423,注册证号:国药准字 HJ20170221,荷兰 Abbott Biologicals B. V. 公司生产。雌二醇 (estradiol, E2)、卵泡刺激素 (follicle stimulating hormone, FSH)、黄体生成素 (luteinizing hormone, LH) 检测试剂盒,均为美国 BD 公司生产。

Nuewa R9 Pro 彩色多普勒超声系统、DE10-3WU/D8-2U 探头,均为深圳迈瑞生物医疗电子股份

有限公司产品;E170 电化学发光免疫分析仪,瑞士 Roche 公司产品。

3 分组与治疗方法

患者均接受 IUA 手术治疗,根据队列法为对照组和试验组。对照组术后立即给予戊酸雌二醇片,每次 2 mg,*bid*,口服,口服连用 30 d 后停药;试验组在对照组治疗的基础上,自术后第 20 天给予地屈孕酮片,每次 10 mg,*qd*,口服,至下次月经来潮。2 组患者疗程均为 2 个月经周期。

4 观察指标与疗效判定

子宫内膜容受性超声参数 于治疗前(IUA 术前,下同)和治疗后(治疗 2 个月经周期后,下同)对排卵期的患者进行超声检测,测量子宫内膜厚度、子宫内膜体积、血管指数、血流指数和血管血流综合指数水平。

性激素水平 于治疗前和治疗后,采集排卵期患者的血液标本约 3 mL,以 $3\,000\text{ r}\cdot\text{min}^{-1}$ 离心 10 min,分离血清,用电化学发光法检测血清 E2、FSH 和 LH 水平。

临床疗效评价 治疗 2 个月经周期后,根据美国生殖协会^[6]评分标准评估月经情况及 IUA 评分,计算 IUA 疗效指数, IUA 疗效指数 = 治疗前后评分差值/治疗前评分 $\times 100\%$, 宫腔形态恢复、宫腔无粘连,且 IUA 疗效指数 $\geq 90\%$ 判定为治愈,宫腔形态恢复、基本无粘连,且 $70\% \leq \text{IUA 疗效指数} < 90\%$ 判定为显效;宫腔形态恢复、仍可见部分粘连,且 $30\% \leq \text{IUA 疗效指数} < 70\%$ 判定为有效;未达上述标准判定为无效。

再粘连发生情况 治疗结束后,于下次月经来潮结束后 3~7 d 进行宫腔镜术后二次探查,以此探查结果为依据,统计患者宫腔再粘连的发生情况。

安全性评价 治疗期间,对 2 组患者消化道不适、乳房胀痛、头痛等药物不良反应进行统计比较。

5 统计学处理

用 SPSS 26.0 软件进行统计分析。计量资料用 $\bar{x} \pm s$ 表示,组间比较用独立样本 *t* 检验,组内比较用配

对样本 *t* 检验;计数资料用率(%)表示,组间比较用 χ^2 检验。

结 果

1 一般资料

本研究共入组 92 例患者,其中,对照组 44 例、试验组 48 例。2 组患者的年龄、体质量指数、宫腔操作次数等一般资料比较,在统计学上差异均无统计学意义(均 $P > 0.05$),组间具有可比性,见表 1。

表 1 2 组患者一般资料的比较($\bar{x} \pm s$)

Table 1 Comparison of general data between the two groups ($\bar{x} \pm s$)

Item	Control ($n=44$)	Treatment ($n=48$)
Age (year)	31.72 $\pm$ 5.08	32.11 $\pm$ 5.24
BMI ($\text{kg} \cdot \text{m}^{-2}$)	22.36 $\pm$ 1.59	22.23 $\pm$ 1.43
Number of uterine cavity operations (time)	2.84 $\pm$ 0.71	2.92 $\pm$ 0.76
Endometrial thickness (mm)	5.68 $\pm$ 1.07	5.97 $\pm$ 1.24
Adhesion degree (moderate/severe)	35/19	31/17
AFS score (point)	6.16 $\pm$ 1.34	6.23 $\pm$ 1.28
Clinical manifestations (hypomenorrhea/amenorrhea)	36/8	40/8
Heart rate ($\text{beat} \cdot \text{min}^{-1}$)	79.24 $\pm$ 5.36	78.42 $\pm$ 5.47
Systolic blood pressure (mmHg)	105.87 $\pm$ 10.26	107.33 $\pm$ 11.52
Diastolic blood pressure (mmHg)	80.83 $\pm$ 7.02	81.28 $\pm$ 7.66

Control group: Estradiol valerate tablets; Treatment group: Dydrogesterone tablets + estradiol valerate tablets; BMI: Body mass index; AFS: Retrospective American Fertility Society.

2 2 组患者子宫内膜容受性超声参数比较

治疗后,2 组患者的子宫内膜厚度、子宫内膜体积、VI、FI 和 VFI 水平均较治疗前显著提高,且试验组治疗后的子宫内膜厚度、子宫内膜体积、VI、FI 和 VFI 水平均显著高于对照组,在统计学上差异均有统计学意义(均 $P < 0.05$),见表 2。

表 2 2 组患者子宫内膜容受性超声参数的比较($\bar{x} \pm s$)

Table 2 Comparison of endometrial receptivity ultrasound parameters between two groups ($\bar{x} \pm s$)

Item	Control ($n=44$)		Treatment ($n=48$)	
	Before treatment	After treatment	Before treatment	After treatment
Endometrial thickness (mm)	5.68 $\pm$ 1.07	7.12 $\pm$ 0.86 *	5.97 $\pm$ 1.24	7.88 $\pm$ 1.02 **
Endometrial volume (cm^3)	1.62 $\pm$ 0.54	2.57 $\pm$ 0.73 *	1.69 $\pm$ 0.61	3.02 $\pm$ 0.97 **
VI	0.11 $\pm$ 0.03	0.88 $\pm$ 0.57 *	0.12 $\pm$ 0.04	1.21 $\pm$ 0.59 **
FI	21.63 $\pm$ 3.27	27.56 $\pm$ 4.63 *	22.08 $\pm$ 3.42	29.87 $\pm$ 5.12 **
VFI	0.41 $\pm$ 0.28	0.83 $\pm$ 0.36 *	0.43 $\pm$ 0.30	1.12 $\pm$ 0.43 **

VI: Vascularization index; FI: Flow index; VFI: Vascularization flow index; Compared with before treatment in the same group, * $P < 0.05$; Compared with control group at the same time, # $P < 0.05$.

表3 2组患者血清性激素水平的比较($\bar{x} \pm s$)

Table 3 Comparison of serum sex hormone levels between the two groups($\bar{x} \pm s$)

Item	Control($n=44$)		Treatment($n=48$)	
	Before treatment	After treatment	Before treatment	After treatment
E2($\text{pmol} \cdot \text{L}^{-1}$)	119.53 $\pm$ 16.87	168.91 $\pm$ 20.12 [*]	116.54 $\pm$ 14.27	239.62 $\pm$ 25.47 ^{*#}
FSH($\text{U} \cdot \text{L}^{-1}$)	17.89 $\pm$ 2.68	10.63 $\pm$ 2.14 [*]	17.41 $\pm$ 2.56	8.94 $\pm$ 2.02 ^{*#}
LH($\text{U} \cdot \text{L}^{-1}$)	20.44 $\pm$ 3.41	15.27 $\pm$ 2.59 [*]	19.87 $\pm$ 3.63	13.38 $\pm$ 2.16 ^{*#}

E2: Estradiol; FSH: Follicle stimulating hormone; LH: Luteinizing hormone; Compared with before treatment in the same group, ^{*} $P < 0.05$; Compared with control group at the same time, [#] $P < 0.05$.

表4 2组患者临床疗效的比较($n, \%$)

Table 4 Comparison of clinical efficacy between two groups($n, \%$)

Item	Control($n=44$)	Treatment($n=48$)
Cured	19(43.18)	24(50.00)
Markedly effective	10(22.73)	12(25.00)
Effective	7(15.91)	10(20.83)
Ineffective	8(18.18)	2(4.17)
Total effective rate	36(81.82)	46(95.83) [#]

Compared with control group, [#] $P < 0.05$.

3 2组患者血清性激素水平的比较

治疗后与治疗前对比,2组患者的血清E2水平均显著提高、血清FSH和LH水平均显著降低,且试验组治疗后的血清E2水平均显著高于对照组、血清FSH和LH水平均显著低于对照组,在统计学上差异均有统计学意义(均 $P < 0.05$),见表3。

4 2组患者的临床疗效评价

治疗2个月经周期后,试验组和对照组的总有效率分别为95.83%(46例/48例)和81.82%(36例/44例),在统计学上差异有统计学意义($P < 0.05$),见表4。

5 安全性评价

试验期间,试验组患者中发生乳房胀痛4例、消化道不适2例、头痛1例;对照组患者中发生乳房胀痛3例、消化道不适和头痛各1例,试验组和对照组的总药物不良反应发生率分别为14.58%(7例/48例)和11.36%(5例/44例),在统计学上差异无统计学意义($P > 0.05$)。

6 患者随访再粘连结果

试验组和对照组的再粘连发生率分别为6.25%(3例/48例)和20.45%(9例/44例),在统计学上差异有统计学意义($P < 0.05$)。

讨 论

IUA分离术后,超过50%的患者仍会再次形成粘

连带,需采取积极预防措施降低再粘连发生率^[7]。女性子宫内膜周期性生长、自我脱落和再生的生理性修复过程主要依靠月经周期中雌、孕激素水平变化进行^[8]。基于这一机制,临床中IUA术后常应用与生理性雌激素作用相似的戊酸雌二醇片,刺激子宫内膜增生、促进受损处子宫内膜修复以预防宫腔粘连复发,但目前疗效并不理想^[9-10]。

地屈孕酮片与生理性孕激素作用相似,可诱导子宫内膜从增殖期进入分泌期,促进内膜脱落和月经恢复正常^[11]。本研究中,试验组总有效率较对照组更高,证实IUA术后采取雌孕激素序贯治疗更有利于促进宫腔恢复和月经改善,其原因可能是单用雌激素时使子宫内膜始终停留在增殖期,且生理剂量雌激素使雌激素受体分泌饱和并不能再持续增加子宫内膜的增生修复能力;而雌-孕激素序贯疗法中,雌、孕激素水平变化符合正常月经周期变化,且加用孕激素可加快蜕膜组织萎缩速度及尽快排出,有助于子宫内膜修复^[12]。有研究指出,宫腔粘连术后患者仍存在妊娠率和活产率偏低的情况可能与疾病本身、手术操作等因素导致患者子宫内膜容受性降低有关^[13]。临床中通过超声检查子宫内膜的厚度、体积及血流参数可评估子宫内膜容受性^[14]。本研究中,试验组子宫内膜厚度、子宫内膜体积、VI、FI和VFI水平均较对照组更高,提示雌-孕激素序贯疗法更有利于IUA患者术后子宫内膜容受性恢复,这可能与雌-孕激素序贯疗法药物应用更符合子宫周期性激素水平变化而促进子宫内膜修复,且地屈孕酮可促进子宫内膜血管增生、改善子宫内膜血流的作用有关。性激素水平失衡与IUA的发生、发展有关,且已得到临床研究证实,评估性激素水平有助于了解IUA病情状况及疗效^[15]。本研究中,试验组治疗后的E2水平更高而FSH、LH水平较对照组更低,提示雌-孕激素序贯疗法可调节性激素水平,有利于卵泡发育及排卵。安全性分析显示2组患者的总药物不良反应发生率无明显区别,提示用药安全。随访发现,试验组再粘连发生率较对照组

更低,说明雌-孕激素序贯疗法可有效预防 IUA 术后再粘连。

本研究提示,IUA 术后采取雌-孕激素序贯疗法可有效预防术后宫腔再粘连,在改善患者子宫内膜容受性、性激素水平方面具有明显优势,且临床用药安全。

参考文献:

- [1] 刘超萍,李姣. 定坤丹对宫腔粘连大鼠血管生成及 PI3K/AKT/mTOR 通路的影响研究[J]. 世界中医药, 2022, 17(18): 2569—2574.
- [2] 沈海燕,胡林义,樊莉琳,等. 宫腔粘连分离术后患者复发现状及其相关影响因素分析[J]. 中国妇产科临床杂志, 2021, 22(5): 520—521.
- [3] 张慧星,徐大宝,胡明月,等. 宫腔镜宫腔粘连分离术后子宫内膜对不同剂量雌激素的反应及其与生殖预后改善的关系[J]. 实用妇产科杂志, 2022, 38(1): 48—52.
- [4] 杨玲玲,马宁,宋冬梅,等. 宫腔镜宫腔粘连松解术后应用雌激素对粘连复发和生育结局的影响:前瞻性随机对照研究[J]. 中国微创外科杂志, 2023, 23(3): 197—202.
- [5] 中华医学会妇产科学分会. 宫腔粘连临床诊疗中国专家共识[J]. 中华妇产科杂志, 2015, 50(12): 881—887.
- [6] THE AMERICAN FERTILITY SOCIETY. The American Fertility Society classifications of adnexal adhesions, distal tubal occlusion, tubal occlusion secondary to tubal ligation, tubal pregnancies, Mullerian anomalies and intrauterine adhesions[J]. *Fertil Steril*, 1988, 49(6): 944—955.
- [7] 段华,甘露. 子宫内膜损伤与修复存在的问题和规范化管理[J]. 中国实用妇科与产科杂志, 2022, 38(9): 865—868.
- [8] 周振华,胡娅莉. 子宫内膜自噬作用研究进展[J]. 山东医药, 2021, 61(15): 85—89.
- [9] 赵行平,何书涵,尤昭玲,等. 中药养膜方改善宫腔镜下宫腔粘连分离术后宫腔粘连的预后[J]. 中南大学学报(医学版), 2022, 47(11): 1540—1549.
- [10] 叶雅丽,艾继辉,李豫峰,等. 中重度宫腔粘连患者综合治疗的临床疗效分析[J]. 中华生殖与避孕杂志, 2022, 42(2): 170—176.
- [11] 周琼,杨伟辉,卢小红,等. 地屈孕酮联合粒细胞集落刺激因子治疗薄型子宫内膜不孕患者的临床研究[J]. 中国临床药理学杂志, 2024, 40(10): 1419—1423.
- [12] 陈颖,张志安,雷秀娥,等. 中重度宫腔粘连宫腔镜电切术后联合不同剂量戊酸雌二醇、地屈孕酮序贯治疗的价值[J]. 生殖医学杂志, 2022, 31(8): 1073—1079.
- [13] 王素敏,花向东. 不同方法对子宫内膜损伤修复的治疗结局探讨[J]. 中国实用妇科与产科杂志, 2022, 38(9): 885—891.
- [14] 庞慧贤,江宁珠,黄翠平,等. 阴道三维超声评估宫腔粘连患者的子宫内膜容受性及其对妊娠的影响[J]. 中国现代医学杂志, 2022, 32(6): 68—73.
- [15] 胡春秀,胡静,方露,等. 宫腔镜下宫腔粘连分离术后不同剂量雌孕激素序贯治疗对宫腔粘连患者临床疗效性激素水平及妊娠结局的影响[J]. 中国妇幼保健, 2023, 38(4): 759—762.

(收稿日期 2024-10-15)

· 科学文摘 ·

阿那白滞素治疗黏多糖贮积症Ⅲ型患者的临床研究

引自: POLGREEN L E, *et al.* Anakinra in Sanfilippo syndrome: A phase 1/2 trial [J]. *Nat Med*, 2024, 30(9): 2473—2479.

黏多糖贮积症Ⅲ型是一种致命的儿童神经退行性疾病,涉及多种病理变化和神经炎症。研究者假设,阿那白滞素(一种重组白细胞介素-1受体拮抗药)由于其能够缓解神经炎症的作用,或许能够改善患者的神经行为和功能症状。研究者基于上述假说开展了 1/2 期临床试验,旨在评估阿那白滞素在患者及其照护者中的安全性、耐受性,以及对神经行为、功能和生活质量的影响。主要评估指标为 8 周或 16 周时需要增加剂量的参与者比例。次要疗效评估包括多领域反应者指数(multi-domain responder index, MDRI)。共有 23 名参与者(年龄介于 6~26 岁)参与研究。20 名参与者继续治疗至第 8 周,其中 15 名(75%)在第 8 周或第 16 周时需要增加剂量。MDRI 评估显示,在 21 名参与者中,18 名(86%)在第 8 周有至少一个领域的改善;而在第 36 周,16 名参与者中有 15 名(94%)显示出改善。7 名参与者因无法耐受每日注射或失访而在第 36 周前退出。23 名参与者中,22 名(96%)出现了不良事件,最常见的为轻度注射部位反应,未见任何与阿那白滞素使用相关的严重不良事件。本研究提示:阿那白滞素在治疗过程中表现出良好的安全性,并且与神经行为和功能的改善相关,支持其在黏多糖贮积症Ⅲ型及其他黏多糖贮积症中的进一步研究。