

香港
小腦萎縮症協會

HKSCAA

結伴同行

會訊

第45期

2018年7月

地址：九龍橫頭磡邨宏禮樓地下
電話：2794 3010 傳真：2338 4820

網址：<http://www.hkscaa.org>
電郵：scaa.hk@gmail.com



第九屆 SRCA

世界小腦及運動失調症研討會



小腦與運動失調研究學會 Society for Research on the Cerebellum and Ataxias (SRCA) 是小腦研究領域的重要國際學術組織，長期以來以促進和小腦生物醫學相關的研究為宗旨。第九屆世界小腦及運動失調研討會於本年 5 月 16-19 日在臺灣召開，由「臺灣神經罕見疾病學會」與「中華小腦萎縮症病友協會」合辦。臺灣副總統陳建仁親臨主持開幕典禮，以示對小腦萎縮症及神經罕見疾病研究及醫療的重視。

本會副主席曹雯聯同 2 名執委馮斌、鄭挺健及 2 名家屬挺健太太、馮斌姐姐，與義工郭鳳琴，一行六人聯袂參加。是次研討會分七大部份，共有 30 位醫生或科研人員發表研究報告。他們來自荷蘭、美國、英國、澳洲、加拿大、中國、德國、義大利、日本、臺灣 10 個國家。此外尚有 50 名專家學者在海報上刊登研究成果，香港學者陳浩然教授也有參與發表，題目為：平面細胞極性基因 FUZ 觸發神經退行性疾病的細胞死亡 (Planar cell polarity gene Fuz triggers apoptosis in neurodegeneration diseases)。除以上各專家外，參與者尚來自比利時、法國、以色列、新加坡、南韓、西班牙、瑞士。

在芸芸匯報中，第一天及第二天的大半天是醫生及科研學者發表他們對小腦的研究發現：如它的功能、運作、細胞組織等，較學術性及理論性。第二天下午的後段及第三日早上的部分發表內容則與小腦相關疾病的治療較有關聯。所以協會在日前 6 月 23 日的匯報中，選了三項作主要報告：

- A. 德國醫生 Strupp Michael 的試藥
- B. 台灣團隊的幹細胞治療試驗
- C. 除了用 SARA test, 日本團隊正在研發一部用來測試身體活動能力的儀器

A. 德國慕尼黑大學 Prof. Strupp Michael 的試藥：他強調隨機分配、雙盲、安慰劑對照臨床試驗是新藥發展必須經過的標準步驟。然而在小腦脊髓萎縮症，即使有相同基因突變的病人的臨床表現可能也有不同，這是神經退化性疾病常見的臨床異質性。太過顯著的臨床異質性可能會造成新藥在隨機雙盲研究的困難，因此這些新藥研究可能需要較大的個案數才能看到成效，甚至可能無法觀察到顯著的成效。然而針對某些特定症狀的病人，給予適當的藥物可能就能得到相當的成效，也就是如果我們可以了解某些特定藥物對具有某些症狀的病人有幫助，我們只需較小的個案數就能達成目標。

因此，他發表了一篇論文：小腦頭暈和小腦眼運動障礙：診斷和目前的藥物治療

(Cerebellar dizziness and cerebellar ocular motor disorders: diagnosis and current pharmacotherapy) 他的研究方法是於 2011 年至 2015 年在德國眩暈中心診斷為小腦疾病的患者的病歷進行審查。研究結論：小腦功能障礙是眩暈和頭暈相對常見的原因。因此，從臨床角度來看，仔細檢查眼球運動和震顫往往是診斷的關鍵。



現時他正使用一種藥物來治療 SCA 患者的眼球運動和震顫引致的暈眩，正在進行第三期的研究。這是舊藥新用，從 1957 年至今，在法國一直用來治療急性眩暈。他現正廣納試藥者，但按香港及台灣方面的顧問醫生意見，我們必須注意：

1. 這藥並非治愈小腦萎縮，而是針治療暈眩症狀。
2. 正如報導所說，對一某些特定型有效果，對其他型則功效並不明顯，要多留意。
3. 雖說副作用很輕微，很少機會有皮膚癢或/及胃腸副作用;極少機會有眩暈或/及疲。但仍須留心。
4. 不要自行服用，要由醫生診斷，決定是否開立處方。
5. 病友中若有人願意自行做「白老鼠」的話，那就是病友與研究者之間的關係，病友需責任自負。

B · 台灣團隊的幹細胞治療試驗方面，由於藥物研發需要漫長的過程，最初以小鼠作試驗，目的是看看有沒有效；然後再在大動物，如猴子作測試，進而才到人體測試。而人體臨床試驗也分四個階段，現時負責此項研究的宋秉文醫生謂研究已進行至第二階段。過程如下：

第一階段：主要測檢是否安全。由 7 名患者作測試。臨床試驗的主要任務是觀察這樣的幹細胞治療方法是否是「安全」的。自 2012 年 5 月開始，兩年間總共招募了 7 名患者，以靜脈點滴輸注的方式給予定量的幹細胞，患者定期回診追蹤及接受多項檢測評量，觀察立即和長期（一年）的安全性。2014 年 1 月完成了所有患者的治療追蹤，初步並沒有發現和幹細胞治療相關的副作用。（即已過關）



第二階段：主要測檢是否有效，進一步確認幹細胞治療的安全性。人數增至 60，主要是 SCA2 和 SCA3。且安排對照組。與第一期劑量相同，但注射次數增加。自 2015 年開始進行，至本年 12 月結束。

第三階段：倘第二期測驗成功，則可推出市場銷售，接觸人數更多更廣，可更清楚治療效能和相關副作用。

第四階段：依據第三期的結果，把藥物更優化。

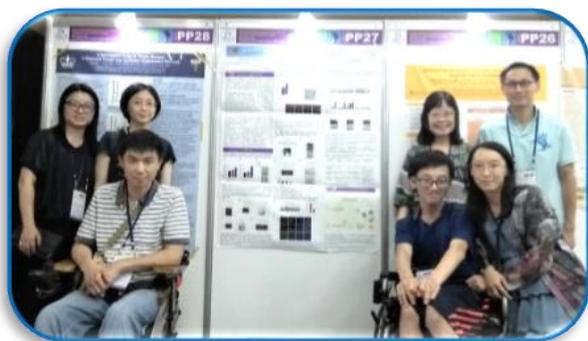
❖❖我們期盼台灣團隊的幹細胞治療試驗，能為小腦運動失調症患者的治療帶來新契機，現時協會與宋醫生緊密聯絡，有進一步消息時，定當第一時間告知大家，並爭取試藥機會。

C·日本團隊正在研發一部用來測試身體活動能力的儀器：現時測試患者的活動能力狀況，一般使用共濟失調等級量表 SARA (Scale for the Assessment and Rating of Ataxia)，進行測試的項目繁多，且要做不同的動作以供測試，過程令人勞累。現日本團隊正在研發一部用來測試身體活動能力的儀器，只要患者用手撥動儀器，便能準確測試他的活動能力，方便安全。



此外，日本名古屋大學的 Masahisa Katsuno 教授以自己在脊髓腦幹肌肉萎縮症研究的經驗分享從「基礎研究」到「藥物臨床試驗」時所遇到的挑戰。轉譯醫學的困難往往來自於從基礎研究到臨床研究間的鴻溝，即使藥物在動物實驗可以延緩神經退化疾病病程，這樣的成效在人類可能需要相對更長的觀察才能看出差異。藥物的臨床試驗往往持續一至三年的期間，如何在如此「短」的期間看出藥物治療的成效，可能需要有敏感度更高的評估工具，甚至需要在病人開始出現功能損失前就給予治療，因此若能「儘早開始治療」並「利用更敏感的評估方式」是非常重要的。

♥協會團隊參加者中，挺健太太說見識到醫學會議的嚴謹，令她獲益良多。馮斌的姐姐也坦言讓她增加了有關小腦、小腦疾病、以及對小腦疾病治療方面的許多認識。馮斌說有幸能夠認識德國的神經科醫生，他主動走過來說 SCA3 有希望被藥物醫治時，馮斌說心裡十分高興，雖然回港深入了解後知道未必如此，但增添了他有信心：隨著科學技術的發展，小腦萎縮症這個病很快就有藥物醫治了！正如他姐姐和挺健夫婦都異口同聲說：有那麼多醫生努力研究，使我們感到有希望，儘管要治療好小腦萎縮疾病是非常困難，但現代科技一日千里，科學家及醫生已探索到可行的治療方向及方法，為小腦萎縮疾病的醫治帶來了曙光。會友鄭挺健更感動地說：我會努力面對此病！馮斌在這個研討會上更碰見了他昔日在美國診治他小腦萎縮症的醫生 Doctor Schumannman. 他們在晚宴時相認了，實屬難得，這個世界真細小！



於陳浩然教授張貼研究成果海報前合照



在本會攤位前合照



演講室內



陳教授與台灣 SCAA 會友交談



意大利講者向我們垂詢