



美國 FDA 於 2013 年 2 月發表「阿茲海默疾病早期治療藥品開發」指引草案

發表單位： 美國 FDA
發表時間： 2013/02/07
類 別： 指引草案

摘要整理： 黃齡慧
內容歸類： 臨床試驗
關 鍵 字： Alzheimer's disease

資料來源：[Alzheimer's Disease: Developing Drugs for the Treatment of Early Stage Disease](#)

- 重點內容：
1. 美國 FDA 發布此指引之目的為：針對阿茲海默疾病患者在完全失智之前，研發各個病程階段之治療藥物；尤其是選擇早期的阿茲海默疾病患者或可能罹患阿茲海默疾病的高風險患者納入臨床試驗。
 2. 指引中說明了診斷早期阿茲海默疾病的標準，以及如何設定這群病患的試驗指標(endpoint)與描述疾病變化情形。
 3. 在臨床指標(outcome)的選擇：指引中建議阿茲海默疾病的試驗設計應使用共同主要指標(co-primary outcome)，以同時表現藥品對知能、功能或國際評估量表之療效。
 4. 結合知能及功能的評估方式：阿茲海默疾病患者在逐漸失智的病程中，亦會遭遇到日常生活功能的減退，因此藥品除了表現出增進知能之外，重要的是展現其對改善日常功能的幫助，更能展現其在臨床治療的價值；例如 Clinical Dementia Rating – Sum of Boxes(CDR-SB) score 即為一適合的綜合評估量表。
 5. 此外，單獨的認知測量、自發病至診斷為失智的間隔時間之存活分析，皆可做為臨床結果測量的選擇。
 6. 疾病變化描述：目前許多廠商所尋求的新藥開發，是希望藉由直接作用於阿茲海默疾病的病理變化而改變疾病的進展，考量此藥理上的可逆性作用，需要有意義的證據佐證如：生物標記(biomarker)伴隨臨床效益，或是藉由試驗設計來表現藥品可延緩疾病的惡化，因此，在指引中亦說明了生物標記的角色以及各種試驗設計的可行性。