

首个渐冻症精准治疗药物在武汉注射

黑子网报道2025年8月7日，武汉传来了振奋人心的消息，全球首个针对渐冻症的精准治疗药物托夫生注射液在武汉大学人民医院成功完成了华中地区的首针注射。这一天，61岁的周先生化姓成为首位接受这一创新药物的患者，他的病情有望因此得到控制，不再恶化。这不仅标志着武汉成为中部地区第一个使用该药物的城市，也为无数饱受渐冻症折磨的患者点燃了希望之光。渐冻症，学名肌萎缩侧索硬化症ALS，是一种残酷的神经退行性疾病。

患者会逐渐失去肌肉控制能力，从最初的四肢无力到无法行走、说话，甚至呼吸，最终因吞咽困难或呼吸衰竭离世，生存期通常只有3到5年。十年前，“冰桶挑战”活动让这种罕见病走进了大众视野，但长期以来，渐冻症的治疗仅限于缓解症状，无法从根本上阻止病情恶化。托夫生注射液的出现，彻底改变了这一局面，它是全球首个针对病因的“对因治疗”药物，专门为携带SOD1基因突变的ALS患者设计。据武汉大学人民医院神经内科教授卢祖能介绍，SOD1是渐冻症中最常见的致病基因之一，尤其在中国患者群体中较为普遍。

这款药物通过抑制SOD1蛋白的合成，减少毒性蛋白的积累，从而保护运动神经元，减缓疾病进展。德国的临床研究显示，接受托夫生治疗至少6个月的患者，疾病进展明显放缓，许多人甚至报告了症状的改善。这虽然无法逆转病情，但能让患者尽可能维持现有状态，延长有质量的生活时间。周先生的经历让人动容。他最初只是感到舌头发麻、手脚无力，后来逐渐丧失说话和书写能力，只能拄拐艰难行走。8月7日，他在医院接受了腰椎穿刺鞘内给药，医生小心翼翼地将托夫生注射液注入他的体内。

这一针不仅承载了周先生对生命的期望，也代表了医学界在对抗渐冻症道路上的重大突破。卢祖能教授感慨地说，这款药物开启了渐冻症精准诊疗的新时代，为患者带来了实实在在的希望。然而，托夫生的价格却让不少人望而却步。据报道，该药物海外定价为每剂14230美元，患者首年需注射14剂，总费用高达140万元人民币。好在“解冻曙光-SOD1肌萎缩侧索硬化”患者援助项目大幅降低了成本，首年自费费用不到海外定价的一半。尽管如此，10万元左右一针的费用仍然是一笔不小的开支。

专家呼吁，希望托夫生能尽快纳入国家商业健康保险的创新药目录，让更多患者用得起这救命的药。值得一提的是，这款药物并非对所有渐冻症患者都适用。北京大学第三医院神经内科主任樊东升指出，托夫生仅针对SOD1基因突变的患者，而这类患者仅占ALS群体的2左右。像知名渐冻症抗争者、京东原副总裁蔡磊，因属于散发型患者，基因型不匹配，无法使用这款药物。这也提醒我们，渐冻症的复杂性需要更多针对不同基因突变的治疗方案。

专家们一致强调，早期诊断和治疗对渐冻症患者至关重要。如果出现不明原因的肌肉无力、肌肉跳动或萎缩等症状，应尽早前往神经内科就诊，通过基因检测明确病因，争取治疗的黄金窗口期。托夫生的成功注射，不仅是武汉医疗界的一大步，也是全球罕见病治疗领域的重要里程碑。未来，我们期待更多创新药物问世，让“渐冻人”不再被疾病冰封，重新拥抱生活的温暖。

原文链接：<https://hz.one/baijia/首个渐冻症精准治疗药物武汉注射-2508.html>

PDF链接：<https://hz.one/pdf/首个渐冻症精准治疗药物在武汉注射.pdf>

官方网站：<https://hz.one/>