

年度盘点—神经病学

2025 年, 神经病学迈向精准医学与全程管理新阶段

● 郁金泰 夏妍玥

2025 年, 神经病学在基础研究与临床实践层面均迎来重大突破, 多个亚专科步入精准医疗与全病程管理的快车道。本文将围绕神经退行性疾病、脑血管病、神经免疫与感染等重点领域, 系统梳理 2025 年具有代表性的研究与实践成果。

一、神经退行性疾病

在帕金森病与运动障碍领域, 多模态脑 MRI 已被证明能够区分不同的早期神经退行性模式, 为预后评估和患者分层管理提供关键支持; 而基于智能手机采集的语音、点击与步态等多模态特征的机器学习方法, 则进一步提升了早期筛查的可及性与判别能力。

在治疗方面, 我们团队在 2025 年 2 月发表于 *Science* 的研究首次发现了帕金森病全新治疗靶点 FAM171A2, 并找到了具有潜在治疗作用的小分子化合物, 有望从疾病早期对帕金森病进行干预, 延缓疾病进展。神经调控技术持续优化, 包括自适应脑深部电刺激、非侵入性经颅超声刺激等新策略逐步积累临床证据。此外, *Nature* 发表的 I-II 期临床试验显示, 诱导多能干细胞来源的多巴胺能祖细胞移植展现出良好安全性与潜在疗效。

神经肌肉疾病方面, 真实世界研究促使治疗策略进一步前移。一项发表于 *NEJM* 的研究显示, 利司扑兰用于无症状脊髓性肌萎缩症 (SMA) 新生儿, 可在随访期内维持正常运动发育, 并在探索性病例中首次实现子宫内给药; 同时, 针对已出现症状、不能行走的患者, 在运动神经元存活基因 (SMN) 上调疗法基础上的抗肌生长抑制素单抗联合治疗在关键性 III 期 SAPPHIRE 试验中改善了运动功能轨迹。重症肌无力治疗在 2025 年进一步走向靶向化, 多项针对 B 细胞及补体通路的随机对照试验证实了新型生物制剂在改善患者功能方面的有效性。

在痴呆与认知障碍领域, 2025 年阿尔茨海默病 (AD) 诊疗正式迈入以生物标志物为导向的精准医疗新纪元。2025 年 5 月, 美国 FDA 批准首个用于



郁金泰



夏妍玥

诊断阿尔茨海默病的血液检测——Lumipulse G pTau217/ β -淀粉样蛋白 1-42 血浆比率检测, 该检测的敏感性和特异性均超过 90%。新型血浆标志物层出不穷, 如 eMTBR-tau243 被证实能够准确反映大脑 tau 蛋白缠结的病理负荷, 并与疾病阶段的严重程度密切相关; 同年 7 月, 阿尔茨海默病协会发布了首份关于血液生物标志物 (BBM) 检测的临床实践指南, 为 AD 的诊断、治疗与护理提供了系统化指导; 同年 12 月, 首个用于 AD 临床诊断的脑脊液 (CSF) 系列检测试剂盒获国家药品监督管理局批准在我国正式上市, 进一步推动了生物学确诊在临床中的落地。

在治疗实践中, 由我们团队完成的全球迄今最大规模仑卡奈单抗真实世界研究显示, 中国人群对该药物耐受性良好, 仅 1% 出现症状性淀粉样蛋白相关影像学异常 (ARIA), 并伴随生物学指标的积极改善; 此外, 具有快速、深度淀粉样斑块清除能力且 ARIA 风险较低的 Trontinemab, 其 III 期全球临床试验亦已在复旦大学附属华山医院启动。

二、脑血管病与急性脑损伤

2025 年缺血性卒中的循证证据进一步丰富, 再灌注治疗的策略优化取得关键进展。针对急性椎基底动脉闭塞, VERITAS 荟萃分析整合四项 RCT 数据发现, 卒中发作 24 小时内出现中重度症状者接受血管内治疗可显著提高良好功能结局, 从而确立了其标准治疗地位; 而血管内治疗在急性中等血管闭塞 (MeVO) 中的临床获益尚无定论,

DISTAL/ESCAPE-MeVO 和 DISCOUNT 试验均未明确显示结局改善, 提示患者筛选与技术路径仍待优化。

在大血管闭塞 (LVO) 方面, 多项研究系统评估了成功取栓后辅助性动脉内溶栓的价值: 中国的 POST-UK、POST-TNK、ATTENTION-IA、ANGEL-TNK 和 PEARL 五项 RCT 在 CHOICE 研究基础上进一步验证该策略可改善功能结局; BRIDGE-TNK 与 ANGEL-REBOOT 等研究亦支持系统溶栓联合血管内治疗及补救干预在特定人群中的长期获益。

与此同时, 2025 年创伤性脑损伤 (TBI) 研究重点转向异质性损伤的系统刻画。美国 NIH-NINDS 发布的《TBI 分类与命名倡议》提出多维评估框架, 涵盖临床表现、生物标志物、神经影像与修正因子, 取代传统格拉斯哥昏迷评分 (GCS) 体系, 提升精准分型与治疗决策的标准化水平。研究还显示, 多种血液生物标志物在 TBI 后呈现持续动态变化, 其轨迹与损伤类型和严重程度密切相关, 为远期管理提供客观依据。

三、神经免疫与感染性疾病

在多发性硬化症 (MS) 领域, ECTRIMS 2025 发布新版 McDonald 诊断标准, 进一步拓展了早期甚至无症状期 MS 的识别范围: 新增视神经为空间播散的第五解剖部位, 引入光学相干断层扫描、视觉诱发电位及眼眶 MRI 作为支持性检查; 提出中央静脉征与顺磁性边缘病灶等高特异性 MRI 标志物在特定情境下可替代时间播散证据, 而 κ 游离轻链指数作为寡克隆带的替代

指标被正式引入脑脊液诊断体系。在治疗方面, 2025 年发布了多项奥法妥木单抗的真实世界研究数据, 进一步验证了其在临床实际应用中的疗效与安全性; 此外, III 期 HERCULES 试验证实布鲁顿酪氨酸激酶抑制剂 tolebrutinib 可延缓非复发型继发进展型 MS 的残疾进展, 为进展型 MS 的治疗提供了新的可能性。

神经系统感染方面, 梅毒再次成为全球公共卫生关注点, 其神经系统并发症虽不常见但具有明确可治疗性, 临床识别尤为关键。研究发现, 即便外周 HIV 病毒被抗逆转录病毒治疗有效抑制, 中枢神经毒性过程仍可能持续, 为 HIV 相关认知障碍提供了新的病理学解释。此外, 奥罗普切病毒等新兴节肢动物传播病原体在多地地区扩散, 并可累及中枢或周围神经系统, 提示对神经嗜性病原体的持续监测仍具有重要意义。

四、其他神经病学领域进展

在头痛领域, PRODROME 试验探索性分析提示, 在前驱期使用 CGRP 拮抗剂乌布吉泮可降低中重度发作风险并缓解前驱症状, 扩展了偏头痛治疗窗口; UNITE 试验证实 CGRP 单抗 fremanezumab 不仅减少偏头痛发作, 也改善抑郁共病。机制研究进一步明确垂体腺苷酸环化酶激活肽 (PACAP) 在偏头痛病理生理中的作用独立于 CGRP, 相关单抗也显示出预防潜力。

癫痫猝死 (SUDEP) 仍是癫痫相关早逝的首要原因, 识别高风险患者始终是一大挑战。2025 年, 一项前瞻性多中心研究首次发现发作期及发作后中枢性呼吸暂停的持续时间延长, 是 SUDEP 的重要预测指标, 为其作为临床可评估的风险生物标志物提供了前瞻性证据。同期, 国际抗癫痫联盟 (ILAE) 发布新发作分类标准, 在局灶性癫痫中, 将反应能力与意识觉察一并纳入评价体系, 用以从操作层面界定“意识”; 并将症状学的时间序列纳入癫痫发作描述。这对术前评估尤其具有价值。

(下转第 9 版)