International Journal of Psychiatry and Neurology 国际神经精神科学杂志, 2026, 15(4), 155-159
Published Online November 2026 in Hans. https://www.hanspub.org/journal/ijpn
https://doi.org/10.12677/ijpn.2026.154017

# 孤独症谱系障碍临床辅助药物应用进展

尹晓莉，蒲昭霞，徐　磊*，易　媛

成都西南康复医院发育行为科，四川 成都

收稿日期：2026年10月10日；录用日期：2026年11月3日；发布日期：2026年11月11日

## 摘　要

**孤独症谱系障碍(ASD)是一种复杂神经发育障碍，临床表现为社会交往、交流障碍和重复刻板行为、兴趣狭窄。目前孤独症谱系障碍暂无特效药物，其康复和预后仍以教育训练为主。然而，孤独症谱系障碍儿童除了核心症状外，在成长过程中也常会伴随注意力障碍、情绪障碍或睡眠障碍等问题，这些伴随的问题严重影响其成长发育和康复训练。因此，临床中也常采用一些药物来辅助治疗相关伴随问题。本文介绍临床中常用的辅助治疗药物，包括SSRIs类、注意缺陷多动障碍类、情绪稳定剂和AAPs药物在临床中的应用，为孤独症谱系障碍的临床管理提供参考。**

## 关键词

**孤独症谱系障碍，共病，药物，辅助治疗**

# Progress in the Application of Clinical Adjuvant Drugs in Autism Spectrum Disorder

**Xiaoli Yin, Zhaoxia Pu, Lei Xu*, Yuan Yi**

Developmental and Behavioral Department, Chengdu Southwest Rehabilitation Hospital, Chengdu Sichuan

Received: October 10, 2026; accepted: November 3, 2026; published: November 11, 2026

## Abstract

**Autism spectrum disorder (ASD) is a complex neurodevelopmental disorder with clinical manifestations of social interaction, communication disorder, repetitive stereotyped behavior and narrow interest. At present, there is no specific drug for autism spectrum disorder, and its rehabilitation and prognosis are still mainly based on education and training. However, in addition to the core symptoms,**

*通讯作者。

文章引用: 尹晓莉, 蒲昭霞, 徐磊, 易媛. 孤独症谱系障碍临床辅助药物应用进展[J]. 国际神经精神科学杂志, 2026, 15(4): 155-159. DOI: 10.12677/ijpn.2026.154017

**children with autism spectrum disorder often have problems such as attention disorder, emotional disorder or sleep disorder during their growth, which seriously affect their growth and development and rehabilitation training. Therefore, some drugs are often used in clinic to assist in the treatment of associated problems. This article introduces the clinical application of commonly used adjuvant drugs, including SSRIs, attention deficit hyperactivity disorder, mood stabilizers and AAPS drugs, so as to provide reference for the clinical management of autism spectrum disorder.**

## Keywords

**Autism Spectrum Disorder, Comorbidity, Drugs, Adjuvant Therapy**

Copyright © 2026 by author(s) and Hans Publishers Inc.
This work is licensed under the Creative Commons Attribution International License (CC BY 4.0).
http://creativecommons.org/licenses/by/4.0/
Open Access

## 1. 引言

孤独症谱系障碍(Autism Spectrum Disorder, ASD)是一种起病于发育早期的复杂神经发育障碍性疾病，以社会交往、交流障碍和重复刻板行为、兴趣狭窄为核心特征[1]。近年来，随着 ASD 临床诊断技术的完善以及对神经发育障碍的关注，全球范围内 ASD 的诊断率及患病率调查均呈现上升趋势，美国疾病预防与控制中心(CDC) 2023 年更新的美国 ASD 患病率为 l/36 [2]，国内 0~6 岁儿童 ASD 患病率调查为 1.8% (2023) [3]。ASD 不仅阻碍患儿的成长发育，损害其社会适应能力，也会给患儿家庭和社会医疗卫生系统带来了沉重的经济负担，有研究估算一名 ASD 患儿的终身治疗费用约为 200 万美元[4]，而在有些国家则高达 220~240 万美元[5]。目前，ASD 的病理机制并未完全清楚，暂无特效治疗药物，临床常采用一些其他药物辅助治疗或改善 ASD 儿童常伴随的相关行为与心理临床症状。

## 2. 药物辅助治疗

康复训练和行为疗法仍然是孤独症谱系障碍综合干预策略中的基础方案，但对于症状严重或伴随一些情绪及行为障碍的患儿，临床上也常会增加一些额外的辅助药物治疗来控制或减轻行为与精神症状[6]-[8]。以往临床试验研究中常用的辅助治疗药物主要有：选择性 5-羟色胺再摄取抑制剂(SSRIs)、注意缺陷多动障碍治疗药物、情绪稳定剂以及非典型抗精神病药物(AAPs)等[6] [9]。但 ASD 患儿对药物的敏感度及药物不良反应的易感性通常异于普通个体，在临床治疗中需要更加关注药物的疗效与安全性[6] [10]。

### 2.1. SSRI 类药物

选择性 5-羟色胺再摄取抑制剂(SSRIs)是焦虑、抑郁、强迫症状及睡眠障碍等精神疾病的治疗药物，在 ASD 临床治疗和干预中也常被用来治疗或改善相关精神症状，目前临床常用的 SSRIs 类药物有西酞普兰、氟西汀、舍曲林和艾司西酞普兰等[9]。SSRIs 类药物的药理机制主要是通过抑制突触前膜的 5-羟色胺转运体，阻断 5-羟色胺的再摄取，从而特异性的提高突触间隙内的 5-羟色胺浓度，并通过与其受体(如 5-HT2A 等)结合发挥抗焦虑和调节情绪的作用[6]。不同的 SSRIs 药代动力学及对不同转运体的亲和力会有所差异，这主要与药物分子的化学结构有关，艾司西酞普兰及舍曲林就是在抑制再摄取方面具有更强的效力[6]。

SSRIs 治疗 ASD 核心症状及共病焦虑的改善疗效，在不同的临床试验中具有一定的差异性。一项针对 5 至 17 岁伴随中重度焦虑的 ASD 患儿进行的为期 12 周的多中心随机双盲安慰剂对照试验中，每日给予西酞普兰(平均剂量 18.5 mg)与安慰剂进行对比，结果显示西酞普兰组和安慰剂组的临床总体印象量表

－改善度(CGI-I)评分均有所下降，但两组间的差异并未达到统计学上的显著性水平[11]。采用艾司西酞普兰治疗 ASD 的高质量随机对照试验目前还较少，缺乏有效临床证据[6]。系统性综述表明，SSRIs 在改善儿童抑郁或强迫性核心行为方面的疗效并不理想，与安慰剂差异不大，并且 ASD 患儿对 SSRIs 的耐受性普遍异于一般个体[12]。因此，在将 SSRIs 应用于 ASD 患儿时，临床医生应对其潜在的微弱疗效与潜在的激活效应或胃肠道不良反应进行仔细的权衡[6] [12]。

### 2.2. ADHD 类药物

注意缺陷多动障碍(attention deficit/hyperactivity disorder, ADHD)也是一种儿童期常见的神经发育障碍，大约有 70%的 ASD 患儿同时满足 ADHD 的诊断标准，因此 ADHD 治疗药物也常在临床中用于 ASD 的临床多学科辅助治疗策略中[9] [10]。ADHD 治疗药物在临床中的使用主要用于缓解多动、冲动及注意力不集中等共病行为，而不是针对 ASD 社交缺陷的核心症状[9] [10]。ADHD 治疗药物可分为中枢兴奋剂(哌甲酯、苯丙胺等)和非兴奋剂(托莫西汀、$\alpha$2 受体激动剂、胍法辛、可乐定等) [9] [10]。中枢兴奋剂通常是 ADHD 临床症状的一线治疗药物，非兴奋剂则多用于无法耐受兴奋剂副作用或对兴奋剂无效的患儿[12]。兴奋剂的药理作用在于抑制囊尾单胺转运体 2 (VMAT-2)，从而抑制多巴胺和去甲肾上腺素的再摄取，并促进两种单胺类递质在突触间隙的浓度积聚，除此之外苯丙胺还具有单胺氧化酶(MAO)抑制作用，而哌甲酯则也是 5-HT1A 受体的激动剂[7]。

尽管中枢兴奋剂已广泛应用于 ADHD 的临床治疗，但在低年龄群体中临床试验研究和系统性综述评估对安全性的研究结果还存在差异。Sugaya 等人开展的一项针对兴奋剂类药物治疗 3 至 5 岁低龄儿童进行的系统评价与元分析，研究共纳入五项 RCT 研究，研究表明哌甲酯(剂量范围 3.75 至 22.5 mg/d)相比安慰剂在控制临床症状方面具有显著的疗效，同时研究也发现约有超过 10%的患儿因出现易激惹、情绪易波动、食欲减退及失眠等不良反应而最终终止治疗[13]。针对不同年龄段药物疗效与安全性的元分析研究发现，在儿童和青少年中哌甲酯是控制多动症状的最佳药物选择，而苯丙胺对成年患者疗效更好[14]。针对哌甲酯与非兴奋剂托莫西汀疗效和安全性对比的元分析表明，哌甲酯相比托莫西汀在改善多动、冲动症状方面临床疗效更好，整体不良反应发生率也相对较低，但小于 8 岁的儿童使用哌甲酯后可能更容易出现与剂量相关的不良反应，低年龄群体使用更需要关注剂量调控[15]。

### 2.3. 情绪稳定剂

ASD 儿童常会伴有激越行为、自伤行为或攻击性情绪暴发等破坏性行为，当这些行为较为频繁发生且难以安抚时，临床上也会采用情绪稳定剂常作为辅助治疗药物[6]。临床上常用的情绪稳定剂有碳酸锂、丙戊酸钠、卡马西平及拉莫三嗪等[6] [9]。情绪稳定剂机制较为复杂，如碳酸锂主要是通过激活磷脂酰肌醇-3 激酶/蛋白激酶 B (PI3K/Akt)信号通路、增加脑源性神经营养因子(BDNF)及环腺苷酸反应元件结合蛋白(CREB)的作用、以及抑制糖原合酶激酶-3$\beta$ (GSK-3$\beta$)的活性来发挥中枢神经保护及情绪稳定作用[6]。

情绪稳定剂的药代动力学及药效学结构具备干预潜力，但用于 ASD 儿童的高质量循证医学证据还较少[16]。以往研究中情绪稳定剂主要用于 ASD 共病癫痫的治疗，随机双盲试验和开放标签试验中均表明左乙拉西坦在一定程度上能够控制 ASD 儿童的癫痫发作和激越行为，但可能会引发攻击性行为等其他不良反应[17] [18]。丙戊酸钠或拉莫三嗪在部分研究中表现出控制易激惹性或脾气暴躁等方面的效果，但系统性综述分析表明效果与安全性仍存在差异，并不能作为高质量的临床询证证据[6] [16]。目前这一类别的药物在主流指南和专家共识中仍属超说明书用药范畴，通常仅在难治性或合并癫痫的临床案例中被审慎启用[6] [16]。

### 2.4. AAPs 药物

非典型抗精神病药物(AAPs)是目前针对改善 ASD 患儿共病情绪和行为症状最有效的干预药物，也是

获得监管机构官方批准的药理大类[6]。这类药物的药理学机制涉及对脑内多巴胺 D2 受体和 5-羟色胺 5-HT2A 等受体的多元受体结合分布，不同非典型抗精神病药物由于其化学性质不同表现出不同的受体亲和力，影响其临床疗效和副反应差异[19]。临床中常用的 AAPs 有利培酮、阿立哌唑、奥氮平、喹硫平、鲁拉西酮以及齐拉西酮等[6] [19]。部分国家中，利培酮及阿立哌唑已被批准用于 5 至 17 岁 ASD 患者情绪不稳定和攻击性症状的辅助临床控制[6]。

ASD 核心症状干预的以往研究表明，AAPs 相较于其他治疗药物具有独特的优势效果。有研究表明，AAPs 在改善 ASD 核心社交缺陷严重程度的综合效应方面优于抗抑郁类药物和 ADHD 治疗用药[20] [21]。元分析研究还发现，在所有的候选 AAPs 中利培酮和阿立哌唑对核心症状的改善效果相对较好，而鲁拉西酮组的效果则并不明显[21]。

在药物安全性相关研究中，AAPs 伴随的不良反应(ADRs)受到了高度的临床关注，尤其是代谢紊乱和内分泌副作用，也是长期以来制约着临床用药的剂量与疗效[22]。以往研究发现，使用非典型抗精神病药物的 ASD 患儿会在短时间内出现体重异常增加、血脂异常及糖耐量受损，CYP2D6 基因的多态性遗传差异被认为是 AAPs 影响患儿体重过度增加等代谢变化的重要预测因素之一[6] [19] [23]。长期大剂量维持使用 AAPs 也会给 ASD 儿童家庭带来了巨大的经济压力，还可能增加成年后患 2 型糖尿病和心脑血管疾病的风险[22] [24]。

## 3. 小结

药物辅助治疗是目前 ASD 患儿综合管理中的关键辅助手段。虽然目前并没有针对 ASD 治疗的特效药物，但部分非典型抗精神病药物在控制患儿的攻击、易激惹等情绪和行为问题时具有良好的效果。SSRIs、ADHD 药物以及情绪稳定剂等在改善 ASD 儿童伴随的睡眠、强迫、注意力和多动等症状时也能够提供支持作用。但 ASD 儿童药物敏感性和耐受性可能异于常人，在临床用药时要关注药物疗效和不良反应，注意调整药物用量。未来研究也应结合基因组学探索精准化和个体化的给药方案，以提高治疗和干预的安全、有效性。

## 基金项目

成都市卫生健康委员会医学科研课题(2025351)；成都市高新区卫生健康局医学科研课题(2024020)；成都市高新区卫生健康局医学科研课题(2024021)；成都市高新区卫生健康局医学科研课题(2024022)。

## 参考文献

[1] 中华医学会儿科学分会发育行为学组, 中国医师协会儿科分会儿童保健学组. 中国低龄儿童孤独症谱系障碍早期诊断专家共识[J]. 中华儿科杂志, 2022, 60(7): 640-646.

[2] Maenner, M.J., *et al*. (2023) Prevalence and Characteristics of Autism Spectrum Disorder among Children Aged 8 Years—Autism and Developmental Disabilities Monitoring Network, 11 Sites, United States, 2020. *MMWR Surveillance Summaries*, **72**, 1-14. https://doi.org/10.15585/mmwr.ss7202a1

[3] 赵亚楠, 李智文, 李琳, 等. 中国 0~6 岁儿童孤独症谱系障碍筛查患病现状[J]. 中国生育健康杂志, 2023, 34(5): 423-428.

[4] Al-Dakroury, W.A., Alnemary, F.M. and Alnemary, F. (2022) Autism in the Kingdom of Saudi Arabia: Current Situation and Future Perspectives for Services and Research. *Perspectives of the ASHA Special Interest Groups*, **7**, 2104-2109. https://doi.org/10.1044/2022_persp-22-00087

[5] Buescher, A.V.S., Cidav, Z., Knapp, M. and Mandell, D.S. (2014) Costs of Autism Spectrum Disorders in the United Kingdom and the United States. *JAMA Pediatrics*, **168**, 721-728. https://doi.org/10.1001/jamapediatrics.2014.210

[6] Aljead, M., Qashta, A., Jalal, Z. and Jones, A.M. (2025) Review of Autism Spectrum Disorder (ASD): Epidemiology, Aetiology, Pathology, and Pharmacological Treatment. *Pharmaceuticals*, **18**, Article No. 1644. https://doi.org/10.3390/ph18111644

[7] Rezaei, M., Moradi, A., Tehrani-Doost, M., Hassanabadi, H. and Khosroabadi, R. (2018) Effects of Combining Medication and Pivotal Response Treatment on Aberrant Behavior in Children with Autism Spectrum Disorder. *Children*, **5**, Article No. 19. https://doi.org/10.3390/children5020019

[8] Alsayouf, H.A., Talo, H. and Biddappa, M.L. (2022) Core Signs and Symptoms in Children with Autism Spectrum Disorder Improved after Starting Risperidone and Aripiprazole in Combination with Standard Supportive Therapies: A Large, Single-Center, Retrospective Case Series. *Brain Sciences*, **12**, Article No. 618. https://doi.org/10.3390/brainsci12050618

[9] Manter, M.A., Birtwell, K.B., Bath, J., Friedman, N.D.B., Keary, C.J., Neumeyer, A.M., *et al*. (2025) Pharmacological Treatment in Autism: A Proposal for Guidelines on Common Co-Occurring Psychiatric Symptoms. *BMC Medicine*, **23**, Article No. 11. https://doi.org/10.1186/s12916-024-03814-0

[10] Aishworiya, R., Valica, T., Hagerman, R. and Restrepo, B. (2024) An Update on Psychopharmacological Treatment of Autism Spectrum Disorder. *Focus*, **22**, 198-211. https://doi.org/10.1176/appi.focus.24022006

[11] Simonoff, E., Mowlem, F., Pearson, O., Anagnostou, E., Donnelly, C., Hollander, E., *et al*. (2022) Citalopram Did Not Significantly Improve Anxiety in Children with Autism Spectrum Disorder Undergoing Treatment for Core Symptoms: Secondary Analysis of a Trial to Reduce Repetitive Behaviors. *Journal of Child and Adolescent Psychopharmacology*, **32**, 233-241. https://doi.org/10.1089/cap.2021.0137

[12] Davico, C., Secci, I., Vendrametto, V., *et al*. (2023) Pharmacological Treatments in Autism Spectrum Disorder: A Narrative Review. *Journal of Psychopathology*, **29**, 38-52.

[13] Sugaya, L.S., Farhat, L.C., Califano, P. and Polanczyk, G.V. (2023) Efficacy of Stimulants for Preschool Attention-Deficit/Hyperactivity Disorder: A Systematic Review and Meta-Analysis. *JCPP Advances*, **3**, e12146. https://doi.org/10.1002/jcv2.12146

[14] Cortese, S., Adamo, N., Del Giovane, C., Mohr-Jensen, C., Hayes, A.J., Carucci, S., *et al*. (2018) Comparative Efficacy and Tolerability of Medications for Attention-Deficit Hyperactivity Disorder in Children, Adolescents, and Adults: A Systematic Review and Network Meta-Analysis. *The Lancet Psychiatry*, **5**, 727-738. https://doi.org/10.1016/s2215-0366(18)30269-4

[15] Zhang, Y., Yin, L., You, C., Liu, C., Dong, P., Xu, X., *et al*. (2023) Efficacy and Safety of Methylphenidate and Atomoxetine in Medication-Naive Children with Attention-Deficit Hyperactivity Disorder in a Real-World Setting. *Drugs in R&D*, **24**, 29-39. https://doi.org/10.1007/s40268-023-00445-3

[16] Hellings, J. (2023) Pharmacotherapy in Autism Spectrum Disorders, Including Promising Older Drugs Warranting Trials. *World Journal of Psychiatry*, **13**, 262-277. https://doi.org/10.5498/wjp.v13.i6.262

[17] Wasserman, S., Iyengar, R., Chaplin, W.F., Watner, D., Waldoks, S.E., Anagnostou, E., *et al*. (2006) Levetiracetam versus Placebo in Childhood and Adolescent Autism: A Double-Blind Placebo-Controlled Study. *International Clinical Psychopharmacology*, **21**, 363-367. https://doi.org/10.1097/01.yic.0000224787.13782.0f

[18] Rugino, T.A. and Samsock, T.C. (2002) Levetiracetam in Autistic Children: An Open-Label Study. *Journal of Developmental & Behavioral Pediatrics*, **23**, 225-230. https://doi.org/10.1097/00004703-200208000-00006

[19] Leucht, S., Priller, J. and Davis, J.M. (2024) Antipsychotic Drugs: A Concise Review of History, Classification, Indications, Mechanism, Efficacy, Side Effects, Dosing, and Clinical Application. *American Journal of Psychiatry*, **181**, 865-878. https://doi.org/10.1176/appi.ajp.20240738

[20] Zhou, M.S., Nasir, M., Farhat, L.C., Kook, M., Artukoglu, B.B. and Bloch, M.H. (2021) Meta-Analysis: Pharmacologic Treatment of Restricted and Repetitive Behaviors in Autism Spectrum Disorders. *Journal of the American Academy of Child & Adolescent Psychiatry*, **60**, 35-45. https://doi.org/10.1016/j.jaac.2020.03.007

[21] Meza, N., Franco, J.V., Sguassero, Y., Núñez, V., Escobar Liquitay, C.M., Rees, R., *et al*. (2025) Atypical Antipsychotics for Autism Spectrum Disorder: A Network Meta-Analysis. *Cochrane Database of Systematic Reviews*, **2025**, CD014965. https://doi.org/10.1002/14651858.cd014965.pub2

[22] Pringsheim, T., Panagiotopoulos, C., Davidson, J. and Ho, J. (2011) Evidence-Based Recommendations for Monitoring Safety of Second-Generation Antipsychotics in Children and Youth. *Paediatrics & Child Health*, **16**, 581-589. https://doi.org/10.1093/pch/16.9.581

[23] Yanisa, W., Ejdrup, S.A., *et al*. (2022) CYP2D6 Genetic Variation and Antipsychotic-Induced Weight Gain: A Systematic Review and Meta-Analysis. *Frontiers in Psychology*, **12**, Article ID: 768748.

[24] Lopes, L.P.N., Itria, A. and Lopes, L.C. (2023) Budget Impact Analysis of Risperidone Use and Adverse Event Monitoring in Autism Spectrum Disorder in Brazil: Assessment of Theoretical versus Real Data. *PharmacoEconomics—Open*, **7**, 951-961. https://doi.org/10.1007/s41669-023-00436-9