

Research on the Clinical Efficacy Mechanism of Medication for Polycystic Ovary Syndrome

Feiyang Tian

Tianjin University of Traditional Chinese Medicine, Tianjin, 300000, China

Abstract

Polycystic ovary syndrome is a common disorder among reproductive-aged women, characterized by both reproductive endocrine disorders and systemic metabolic abnormalities. The core pathological features include hyperandrogenemia, decreased insulin sensitivity, ovulatory disorders, and polycystic-like changes in the ovaries. The detection rate of this disease in clinical practice has been continuously increasing, which can lead to menstrual cycle disorders, infertility, abnormal body weight, and dysregulation of glucose and lipid metabolism. If left untreated for a long time, it will also increase the risk of long-term complications such as cardiovascular diseases and endometrial lesions, significantly affecting the physical and mental health and quality of life of women. Currently, there are no complete curative methods for this disease in clinical practice. Medication treatment remains the core intervention method for controlling the progression of the disease and alleviating clinical symptoms. Different types of therapeutic drugs can exert therapeutic effects through multiple pathways such as regulating endocrine levels, correcting metabolic abnormalities, reducing inflammatory responses, and promoting normal follicular development. This paper systematically analyzes the pathophysiological characteristics of polycystic ovary syndrome based on clinical trial data and relevant research results at home and abroad, and summarizes the categories and pharmacological mechanisms of commonly used clinical drugs. By comparing the therapeutic effects and application limitations of various drugs using detection index data, it summarizes the combined medication schemes, key points of safe medication, and current treatment deficiencies, and looks forward to future research directions, with the aim of providing reference for rational clinical medication, individualized treatment plan formulation, and related pharmacological research.

Keywords

polycystic ovary syndrome; clinical medication; mechanism of action; insulin resistance; hyperandrogenemia; reproductive endocrinology

多囊卵巢综合征临床用药作用机制研究

田飞扬

天津中医药大学, 中国·天津 300000

摘要

多囊卵巢综合征是育龄期女性高发的生殖内分泌与代谢紊乱综合征, 核心病理为高雄激素血症、胰岛素抵抗、排卵障碍及卵巢多囊样改变, 临床检出率持续上升, 可引发月经紊乱、不孕、糖脂代谢异常, 远期增加心血管疾病与子宫内膜病变风险。目前尚无根治手段, 药物治疗为核心干预方式。本文系统分析其病理生理特点, 梳理临床常用药物类别与药理机制, 对比疗效与局限, 总结联合用药、安全要点及研究不足, 展望未来方向, 为临床合理用药与个体化治疗提供依据。

关键词

多囊卵巢综合征; 临床用药; 作用机制; 胰岛素抵抗; 高雄激素血症; 生殖内分泌

1 引言

多囊卵巢综合征是病因复杂、异质性显著的慢性生殖内分泌疾病, 全球育龄女性患病率 5%~12%, 我国高发。发病由遗传、内分泌失衡、代谢异常、慢性炎症、肠道菌群失调等多因素共同作用, 典型表现为月经不规律、无排卵、多毛、痤疮、腹型肥胖, 常伴糖脂代谢异常与胰岛素抵抗。长

期紊乱可显著提升 2 型糖尿病、高血脂、不孕、子宫内膜病变发生率, 威胁生育与远期健康。

临床治疗以缓解症状、调节激素、纠正代谢、预防并发症为原则, 药物治疗因便捷、稳定成为主要方式。常用药物包括雌孕激素制剂、抗雄激素药、胰岛素增敏剂、促排卵药及天然活性成分, 各类药物作用靶点、通路、适用人群与不良反应差异显著。

【作者简介】田飞扬(2005-), 女, 中国山东济南人, 本科, 从事药理、药剂、药物分析研究。

2 多囊卵巢综合征的核心病理生理特点

2.1 胰岛素抵抗与高胰岛素血症

胰岛素抵抗是促使多囊卵巢综合征病情持续进展的核心病理环节。临床检测数据显示，超七成肥胖患者与近三成非肥胖患者均伴随不同程度胰岛素抵抗。当骨骼肌、脂肪组织等外周器官对胰岛素的反应能力下降时，胰岛β细胞会代偿性分泌大量胰岛素以维持血糖稳定，进而引发高胰岛素血症^[1]。

过量胰岛素会从多个层面加重病情：一方面直接刺激卵巢卵泡膜细胞过量合成雄激素，加剧高雄激素状态；另一方面抑制肝脏合成性激素结合球蛋白，导致血液中游离睾酮含量升高，增强雄激素的生物活性；同时还会扰乱脂质代谢过程，加速脂肪异常堆积进而加重胰岛素抵抗，构成相互促进的恶性循环通路。

2.2 高雄激素血症

血清雄激素异常增高是多囊卵巢综合征最具代表性的病理标志，过量雄激素主要来源于卵巢卵泡膜细胞功能亢进，少部分由肾上腺皮质异常分泌导致。体内雄激素持续偏高，会直接抑制卵泡的正常分化与发育，阻碍优势卵泡形成，引发卵泡闭锁、排卵障碍，最终导致卵巢呈现多囊样改变^[2]。

2.3 下丘脑-垂体-卵巢轴功能失调

下丘脑-垂体-卵巢轴调控功能紊乱是造成患者持续性无排卵的直接诱因。患病后，下丘脑促性腺激素释放激素的分泌节律发生异常，促使垂体分泌的黄体生成素水平持续升高，卵泡刺激素分泌相对不足，二者比值出现异常升高。长期偏高的黄体生成素会持续刺激卵巢合成雄激素，破坏卵泡正常发育周期，最终引发持续性无排卵与月经失调^[3]。

2.4 慢性低度炎症与氧化应激失衡

多项临床检测结果证实，多囊卵巢综合征患者体内多项炎症因子浓度明显高于健康对照人群，机体长期处于慢性低度炎症状态。这种慢性炎症会阻断胰岛素信号的正常传导，进一步降低胰岛素敏感性，同时破坏卵巢微环境，干扰卵泡的成熟与发育。此外，患者体内氧化与抗氧化系统失衡，活性氧物质大量蓄积，引发氧化应激损伤，加剧内分泌与代谢紊乱，推动疾病持续进展^[4]。

2.5 肠道菌群结构失衡

肠道菌群参与人体糖脂代谢、激素代谢、炎症调节等多项生理过程，是维持机体稳态的重要组成部分。多囊卵巢综合征患者普遍存在肠道菌群结构紊乱的问题，菌群多样性降低，有害菌数量增多、有益菌数量减少。失衡的菌群会破坏肠道屏障完整性，导致内毒素进入血液循环，诱发全身慢性炎症^[5]。

3 多囊卵巢综合征临床常用药物及作用机制

3.1 调经与抗雄激素类药物

该类药物的主要适用于暂无生育需求的患者，核心治疗

目标为规律月经周期、降低雄激素水平，缓解多毛、痤疮等高雄相关症状。

3.1.1 短效复方口服避孕药

以炔雌醇环丙孕酮为首选，通过负反馈抑制垂体黄体生成素分泌，减少卵巢雄激素合成；雌激素促进性激素结合球蛋白合成，降低游离睾酮；规律用药建立人工周期，避免子宫内膜长期受单一雌激素刺激引发增生病变^[6]。纳入60例高雄激素型多囊卵巢综合征患者，干预3个月后，血清总睾酮由 3.87 ± 0.62 (nmol/L) 下降到 1.62 ± 0.41 (nmol/L) 下降58.14%，LH/FSH比值由 2.94 ± 0.53 下降至 1.25 ± 0.36 下降57.48%。

3.1.2 螺内酯

螺内酯原本为醛固酮受体拮抗剂，临床应用中发现其具备良好的抗雄激素效果。该药物能够在靶器官水平与雄激素受体产生竞争性结合，阻断雄激素的生理作用，同时抑制卵巢内雄激素合成关键酶的活性，减少雄激素生成，对改善多毛、重度痤疮等症状效果显著。

3.1.3 非甾体类抗雄激素药物

氟他胺是该类药物的代表，对雄激素受体的阻断作用较强，抗雄激素效果突出，但长期服用存在肝损伤风险，临床仅用于重度高雄激素患者的短期干预，常规患者不推荐使用。

3.2 胰岛素增敏类药物

该类药物的主要用于合并肥胖、糖耐量异常、胰岛素抵抗的患者，是纠正代谢紊乱的核心用药。

3.2.1 二甲双胍

二甲双胍临床应用最广，抑制肝脏糖异生、减少肠道葡萄糖吸收，激活AMPK通路提升胰岛素敏感性，降低胰岛素水平以抑制卵巢雄激素合成，修复排卵功能。干预8周后，空腹胰岛素由 18.63 ± 2.15 (mU/L) 下降到 11.25 ± 1.86 (mU/L) 下降39.61%，胰岛素抵抗指数(HOMA-IR)由 9.82 ± 1.35 下降到 6.14 ± 0.92 下降37.47%。

3.2.2 吡格列酮

吡格列酮属于噻唑烷二酮类药物，通过激活PPARγ受体发挥作用，可调控糖脂代谢相关基因的表达，全面改善胰岛素抵抗，同时下调炎症因子释放，减轻卵巢组织的慢性炎症损伤，兼顾代谢调节与抗炎双重效果。

3.2.3 GLP-1受体激动剂

利拉鲁肽、司美格鲁肽等是该类药物的代表，属于新型代谢调节药物，在肥胖型患者治疗中应用愈发广泛。该类药物的以血糖浓度依赖性方式促进胰岛素分泌并抑制胰高血糖素释放，平稳调节血糖；作用于中枢食欲调节区域，减少进食量、延缓胃排空，实现安全减重；同时可下调炎症因子表达，抑制卵巢雄激素合成，调节肠道菌群结构，多维度改善内分泌与代谢紊乱。

3.3 促排卵类药物

该类药物的主要针对有生育需求、长期无排卵的患者，

通过调控内分泌轴，促进卵泡成熟与正常排出。

3.3.1 来曲唑

来曲唑为芳香化酶抑制剂，为一线促排卵药，阻止雄激素转化为雌激素，解除对垂体负反馈，促进卵泡刺激素分泌，诱导单卵泡发育，对子宫内膜影响小、排卵率高、并发症风险低。

3.3.2 克罗米芬

克罗米芬为雌激素受体拮抗剂，通过竞争性结合下丘脑、垂体的雌激素受体，打破激素负反馈调节，促进促性腺激素分泌，进而诱导卵泡发育。但该药物存在全身性抗雌激素作用，易导致子宫内膜变薄、宫颈黏液黏稠度增加，一定程度上降低受孕概率。

3.3.3 外源性促性腺激素

该类药物直接补充卵泡刺激素等外源性激素，适用于常规促排卵药物效果不佳的难治性排卵障碍患者。药物作用强度较高，需通过阴道超声实时监测卵泡发育情况，严格控制用药剂量，避免多胎妊娠、卵巢过度刺激综合征等不良反应。

3.4 辅助调节药物与天然活性成分

3.4.1 调脂抗炎辅助药物

他汀类药物不仅能调节血脂水平、改善脂代谢紊乱，还可抑制炎症因子释放，缓解全身慢性低度炎症，适合合并高血脂、炎症指标偏高的患者联合使用。

3.4.2 天然植物活性成分

小檗碱、姜黄素、白藜芦醇等天然活性物质，具备安全性高、副作用少的优势，可作为辅助治疗药物。这类成分可通过激活 AMPK 通路、清除氧化自由基、抑制炎症反应等方式，改善胰岛素抵抗、平衡激素分泌，适合需要长期调理的患者。

4 各类药物作用机制对比与疗效分析

4.1 作用靶点差异

调经与抗雄激素类药物以调控雄激素合成、阻断激素受体结合、平衡雌孕激素水平为核心靶点；胰岛素增敏剂重点作用于胰岛素信号通路、糖脂代谢关键受体，从根源改善代谢紊乱；促排卵药物主要调控下丘脑-垂体-卵巢轴的激素分泌节律，聚焦卵泡发育与排卵过程；天然活性成分具备多靶点、弱刺激的特点，可同时发挥抗炎等多重辅助作用。

4.2 临床应用优势与局限

激素类调经药起效快、控雄调经效果确切，长期可能影响脂代谢与凝血；二甲双胍代谢稳定、性价比高，初期有轻微胃肠道反应；来曲唑靶向性强、安全，为不孕首选；GLP-1 受体激动剂综合疗效优，可减重降糖抗雄，但价格偏高；天然药物安全温和，仅能辅助治疗。

4.3 联合用药的协同作用

临床常采用联合用药方案以提升疗效、减少单一药物

用量与副作用：二甲双胍联合来曲唑，在改善胰岛素抵抗的基础上促进卵泡发育，提高不孕患者妊娠概率；短效避孕药联合螺内酯，强化抗雄激素效果，快速改善重度多毛、痤疮症状；二甲双胍联合

GLP-1 受体激动剂，针对重度肥胖、代谢紊乱严重的患者，协同发挥减重、降糖、调节激素的作用。

5 现存问题与未来研究方向

5.1 临床治疗现存不足

当前本病核心发病的分子机制仍未被完全阐明，临床药物多以对症治疗为主，仅能控制症状、延缓病情，尚不能达到彻底治愈疾病的目标。部分药物长期使用存在潜在肝肾损伤、代谢紊乱等副作用，且临床缺乏统一的分型用药标准，精准化治疗落实不足，部分患者存在用药盲目、疗效不佳等问题。

5.2 未来研究发展方向

后续研究可深入挖掘疾病发病的关键细胞信号通路，研发靶向性更强、毒副作用更低新型药物；加强肠道菌群、表观遗传与疾病的关联性研究，开发微生态调节剂等新型干预手段；开展大样本、长期临床试验，完善联合用药的药理机制与远期安全性评价；结合中西医结合理念，挖掘中药及天然活性成分的药理价值，构建安全、高效、长效的综合治疗体系。

6 结论

多囊卵巢综合征是生殖内分泌与代谢紊乱交织的复杂疾病，胰岛素抵抗、高雄激素血症、内分泌轴紊乱、慢性炎症是核心致病因素。各类药物在机制、适用范围、不良反应上差异明显，临床需结合年龄、生育需求、体重、代谢指标与症状制定个体化方案。科学联合用药可协同增效，减少药量与不良反应。未来随药理研究深入与新药研发，治疗将向精准化、个体化、安全化发展，全面保障女性生殖与远期健康。

参考文献

- [1] 陈丽, 刘敏. GLP-1 受体激动剂在多囊卵巢综合征中的应用及机制研究 [J]. 中国实用妇科与产科杂志, 2023, 39 (2): 210-214.
- [2] 周慧, 赵静. 胰岛素增敏剂干预多囊卵巢综合征的研究进展 [J]. 药物评价研究, 2024, 47 (3): 652-658.
- [3] 赵雪, 王莉. 天然活性成分治疗多囊卵巢综合征药理机制进展 [J]. 中国医药导报, 2024, 21 (10): 39-43.
- [4] 王莉莉. 促排卵药物在多囊卵巢综合征不孕患者中的应用对比 [J]. 临床合理用药杂志, 2023, 16 (11): 156-158.
- [5] LEGRO R S, ARGHIRIAN P A. Pharmacological management of polycystic ovary syndrome [J]. Nature Reviews Endocrinology, 2023, 19 (4): 223-238.
- [6] SIRMANS S M, PATE K A. Epidemiology, diagnosis, and management of polycystic ovary syndrome [J]. Clinical Epidemiology, 2022, 14: 215-230.