

כיווני מחקר בתחום מחלת הנטינגטון

בעשור האחרון חלו התפתחויות חשובות בתחום חקר מחלת הנטינגטון וברמה הבינלאומית יש גיוס נרחב של משאבים לצורך מימון מחקרים בנושא. נכון לכעת ניתן להצביע על מספר מסלולי מחקר המתפתחים במקביל ובו זמנית:

1. חיפוש אחר מוצר או טכנולוגיה שיביאו להאטה או הנמכה של רמת החלבון המוטנטי במוח. מספר חברות תרופות ומכוני מחקר, מנסים בטכנולוגיות שונות להפחית את ייצור החלבון המוטנטי במוח של החולים ועל ידי כך להאט את הנזק לתאי המוח ולהפחית את ההשפעה שיש לנזק שכזה על תפקודיו ויכולותיו של החולה.

2. טיפול גני-קיימות גישות שונות בתחום זה אך המשותף להן היא החתירה למצוא מנגנון שיאפשר עריכה מחדש של החומר הגנטי בגן המוטנטי.

3. המשך פיתוח תרופות שיקלו על הביטויים הסימפטומטיים של המחלה בתחום המוטורי, הנפשי והקוגניטיבי.

4. מחקרי מעקב ארוכי טווח, אחר מדגמים גדולים של בני משפחה בסיכון כך שתתאפשר הבנה עמוקה יותר של התפתחות המהלך הטבעי של מחלת הנטינגטון. זה כולל גם איתור ביו מרקרים שישמשו כמדדים במחקרי עתיד.

5. טכנולוגיות לא תרופתיות, לעיתים קרובות שכוללות טיפול פולשני במוח כמו: השתלת תאי גזע, גירוי מוחי עמוק, גירוי מגנטי.

חלק גדול מהמחקרים במסלולים השונים כוללים שיתופי פעולה בינלאומיים וגיוס משאבים מחברות פארמה גדולות ומקרנות פרטיות. במחקרים אילו מגויסים משתתפים (חולים ו/או בני משפחה בסיכון) מארצות רבות, שמגיעים למחקר דרך מרכזי מצוינות מקצועיים ואקדמאיים שהתמחו בטיפול בחולי הנטינגטון בגישה רב תחומית.