



עמותת הנטינגטון בישראל (ע.ר.)

4 מרץ, 2024

האם ממכון ויצמן תבוא הבשורה? (*)

ב-26.2.24, פרסם מכון ויצמן שפרופ' רבקה דיקשטין וצוות החוקרים שלה, זיהו 2 מולקולות זעירות, שהצליחו לחדור את מחסום הדם במוח של עכברים " חולי הנטינגטון ". לאחר שהמולקולות חדרו למוח של העכברים, נמצא שהן גרמו להנמכת רמת החלבון המוטנטי הנטינגטין שגורם למחלת הנטינגטון, מבלי לפגוע בחלבון הנטינגטין התקין. הניסוי מראה שלא רק שרמת החלבון המוטנטי פחתה והתקדמות המחלה הואטה, אלא שבמספר תסמינים נצפתה תוצאה של היפוך מגמה = הטבה בביטוי הקליני של חלק מהסימפטומים.

המולקולות הניסיוניות ניתנו לעכברים בעירוי ישיר לחלק הפגוע במוחם וזאת במשך 4 שבועות.

השיפור בתפקוד נצפה בשני גנים ספציפיים והתבטא בשימור ושיפור מצבם. מדובר בשני גנים שבמהלך הטבעי של המחלה נפגעים ככל שהמחלה מתקדמת.

גן אחד קשור למרכיב של גורם צמיחה (growth factor) שחיוני להישרדות של תאי המוח. השני הוא חלק מתהליכי המיטוכונדריה.

היה שיפור גם במדדים תפקודיים אצל העכברים כמו ירידה ברמת החרדה ושיפור במדדים של שיווי משקל וקואורדינציה.

החוקרים היו מודעים לכך שמתן החומר דרך עירוי ישירות לחלק הפגוע במוח כרוך בפרוצדורה ניתוחית ובכאבים. לכן בדקו אם ניתן יהיה להחדיר את החומר למוח על ידי כדור לבליעה או זריקה תת עורית. לכן נערך שלב שני למחקר ובו ראו שהמולקולות הניסיוניות מצליחות לחדור את מחסום הדם במוח גם אם התרופה ניתנת דרך הפה או בזריקה.

הפרסום של מכון ויצמן לא כולל התייחסות להמשך המחקרים והאם יש צפי למעבר לניסויים קליניים בחולי הנטינגטון.

(*) מקור: Toward a Treatment for Huntington Disease. Life Sciences. 26/2/2024