

## Terugblik op 2024

Terwijl we 2025 beginnen, kijken we terug op al het nieuws en de vooruitgang op het gebied van Huntington-onderzoek die het afgelopen jaar is geboekt.



Geschreven door [Dr Rachel Harding](#) 28 januari 2025

Bewerkt door [Dr Sarah Hernandez](#)

Vertaald door [Nadine van de Zande](#) en [Vik Hendrickx](#)

Origineel gepubliceerd op 2 januari 2025

**T**erwijl we afscheid nemen van 2024, kijkt het HDBuzz-team terug op een jaar dat werd gekenmerkt door aanzienlijke vooruitgang, uitdagingen en hoop. Van doorbraken in laboratoria en vorderingen in medicijnontwikkeling tot zowel tegenslagen als triomfen in klinische onderzoeken. We hebben nieuwe inzichten verworven in de werking van de ziekte van Huntington (ZvH). Ook hebben we grote stappen gezet richting het vinden van medicijnen die deze ziekte kunnen vertragen of stoppen. Naast deze ontwikkelingen heeft de ZvH-gemeenschap de kracht van samenwerking, belangenbehartiging en innovatie gezien in het bevorderen van onderzoek en het verbeteren van zorg. Dit jaaroverzicht belicht de belangrijkste momenten en mijlpalen die 2024 hebben gevormd voor ZvH-onderzoek.

## Een nieuwe generatie stemmen bij HDBuzz

HDBuzz is al meer dan 14 jaar een vertrouwde bron van objectieve en toegankelijke informatie over ZvH-onderzoek en klinische onderzoeken. Het helpt ZvH-families die op zoek zijn naar antwoorden en meer willen leren over de nieuwste wetenschappelijke ontwikkelingen. Dit jaar hebben HDBuzz-oprichters Ed Wild en Jeff Carroll het stokje overgedragen aan een nieuwe generatie redacteurs, geleid door Rachel Harding en Sarah Hernandez. Zij zullen HDBuzz door dit spannende nieuwe tijdperk van klinische onderzoeken en ander onderzoek in de ZvH loodsen.

Naast ons nieuwe redactieteam hebben we veel nieuwe stemmen verwelkomd in ons schrijversteam, afkomstig uit verschillende geografische gebieden, achtergronden, wetenschappelijke opleidingen en carrièrestadia. Deze diversiteit aan gezichtspunten onder onze schrijvers zorgt ervoor dat ZvH-families inhoud ontvangen die een breed scala aan ideeën en gedachten binnen het ZvH-veld bestrijkt. Dit schrijversteam van omvat ook onze geweldige winnaars van schrijfwedstrijden, waaronder [Zanna Voysey](#), [Molly Gracey](#), [Jenny Lange](#), en [AJ Keefe](#).



*Het HDBuzz-team is dit jaar druk bezig geweest met verslag doen van verschillende onderzoeksconferenties over de ziekte van Huntington, om jullie de nieuwste onderzoeksupdates te brengen.*

*Foto of beeldvorming: Meghan Donaldson, HDF*

## Updates van wereldexperts op ZvH-conferenties

Het HDBuzz-team heeft dit jaar grote afstanden afgelegd om verschillende conferenties en bijeenkomsten bij te wonen, waar de nieuwste updates over ZvH-onderzoek en de voortgang van verschillende klinische onderzoeken werden gepresenteerd door wereldexperts uit zowel de academische wereld als de industrie. Veel van de updates die op deze bijeenkomsten worden gepresenteerd, zijn nog niet formeel gepubliceerd in wetenschappelijke tijdschriften, wat betekent dat we u het meest geavanceerde en nieuwste onderzoek en data over de ZvH kunnen brengen.

In 2024 waren er onder andere de CHDI Huntington's Disease Therapeutics Conference in Palm Springs, het Hereditary Disease Foundation Milton Wexler Biennial Symposium in Boston en de Huntington Study Group Meeting in Cincinnati. Al deze bijeenkomsten hadden indrukwekkende programma's met meer dan 100 presentaties, panels en discussies over de meest actuele onderwerpen binnen het onderzoek naar de ZvH. We kijken ernaar uit om u begin 2025 meer updates te brengen tijdens de volgende CHDI-bijeenkomst.

## Fundamenteel onderzoek

### Somatische instabiliteit

Een belangrijk onderwerp in ZvH-onderzoek de afgelopen jaren is somatische instabiliteit, en 2024 bleek een jaar waarin veel doorbraken in ons begrip van dit fenomeen werden geboekt. Somatische instabiliteit verwijst naar de neiging van de CAG-herhalingssequentie in het ZvH-gen om verder te verlengen in bepaalde cellen van het lichaam na verloop van tijd. Veel ZvH-onderzoekers verkennen de theorie dat hersencellen met meer expansies

mogelijk eerder ziek worden, en dat somatische instabiliteit dus de ziekte zou kunnen aandrijven. Het vertragen of zelfs omkeren van CAG-expansies door de manier waarop DNA wordt verwerkt en onderhouden te manipuleren, zou de sleutel kunnen zijn om deze theorie naar de kliniek te brengen.

2024 begon met fascinerende studies waarin werd onderzocht hoe het CAG-aantal verandert in verschillende soorten cellen in de hersenen van overleden mensen met de ZvH. Met behulp van deze waardevolle monsters konden wetenschappers precies bepalen welke cellen worden beïnvloed door somatische instabiliteit en hoe dit samenhangt met welke cellen ziek worden en afsterven in de hersenen van mensen met de ZvH in de loop van de tijd. Dit gedetailleerde inzicht helpt ons precies te begrijpen wat er gebeurt bij de ZvH en is alleen mogelijk dankzij de onbaatzuchtige beslissing van mensen met de ZvH om hun hersenen na hun overlijden aan onderzoek te doneren.

CAG-expansie is niet alleen een kenmerk van HD, maar ook van een hele groep ziektebeelden, genaamd CAG-herhalingsziekten, waaronder spinale en bulbaire musculaire atrofie en sommige soorten spinocerebellaire ataxieën. Gezien de parallellen in de genetische basis van deze ziekten, hebben we dit jaar veel over de ZvH geleerd door lopend onderzoek naar ataxieën.

**“2024 bleek een jaar waarin veel doorbraken werden bereikt in ons begrip van somatische instabiliteit. ”**

Andere onderzoeksteams hebben dit jaar onderzocht wat de exacte moleculaire gevolgen zijn van somatische expansie in verschillende ZvH-modellen. Een team ontdekte dat veranderingen in het CAG-aantal door somatische expansie de manier waarop genetische boodschappen worden geknipt en geherorganiseerd kan veranderen. Men noemt dit splicing. Een andere groep onderzocht hoe lang een CAG-aantal moet zijn in muismodellen van de ZvH voordat hersencellen ziek worden.

### **Cellulaire inzichten**

Naast somatische instabiliteit hebben onderzoeksteams over de hele wereld andere aspecten van het ziektemechanisme van de ZvH verkend. Een aantal teams heeft onderzoek gedaan naar de bloed-hersenbarrière, een beschermende laag die de hersenen veilig houdt, maar het ook lastig kan maken om medicijnen naar de hersenen te brengen om aandoeningen zoals de ZvH te kunnen behandelen. Dankzij vooruitgang in stamcelonderzoek kunnen wetenschappers nu modellen van deze barrière maken door middel van cellen in een schaalte.

Naast het maken van deze barrièrestucturen in een schaalte, kunnen wetenschappers ook complexe driedimensionale structuren van menselijke zenuwcellen maken, genaamd mini-hersenen. Deze structuren, die zijn afgeleid van stamcellen, bieden veelbelovende mogelijkheden om de ZvH te begrijpen in levende mensachtige hersenorganen en kunnen mogelijk de weg wijzen naar celvervangende therapieën.

We hebben dit jaar ook veel geleerd over stervormige zenuwcellen, genaamd astrocyten. Deze cellen zijn belangrijk voor de gezondheid van de hersenen en lijken een rol te spelen in het proces waarbij cellen verloren gaan in de hersenen van mensen met de ZvH. Ook dit onderzoek was mogelijk dankzij hersendonaties.

## In de pijplijn



*Somatische instabiliteit, oftewel hoe een CAG-herhaling in sommige cellen in de loop van de tijd kan veranderen, was dit jaar een belangrijk onderwerp in het onderzoek naar de ZvH. Wetenschappers zijn druk bezig geweest om te begrijpen hoe dit proces plaatsvindt en hoe ze medicijnen kunnen ontwikkelen om dit proces te beïnvloeden.*

ZvH-wetenschappers zoeken voortdurend naar innovatieve manieren om te volgen hoe de symptomen van iemand met de ZvH zich ontwikkelen. In 2024 hoorden we over een team wetenschappers dat keek naar huntingtine-eiwitniveaus in tranen. Hoewel dit misschien vreemd klinkt, is deze aanpak niet-invasief, in tegenstelling tot het afnemen van hersenvocht door een ruggenprik, of bloedafname, en zou het kunnen helpen ZvH-progressie te volgen of zelfs kunnen meten hoe goed huntingtine-verlagende medicijnen werken.

Meer verrassende wendingen in huntingtine-verlaging kwamen voort uit een studie naar splice-modulatoren, een klasse geneesmiddelen die de verwerking van het 'huntingtine-berichter' molecuul verandert en ervoor zorgt dat de niveaus van het eiwit dalen. Het blijkt dat sommige splice-modulatoren ook een ander eiwit, PMS1 genaamd, beïnvloeden dat betrokken is bij somatische expansie. Door cellen in een schaalte te behandelen, lijken sommige splice-modulatoren zowel somatische expansie te veranderen **ALS** huntingtine te verlagen. Dit zou kunnen betekenen dat deze medicijnen een dubbel effect kunnen hebben!

CRISPR-gebaseerde technologieën komen steeds dichterbij de kliniek voor de ZvH. CRISPR is een slim hulpmiddel dat de DNA-code nauwkeurig kan bewerken. Een van de grootste uitdagingen op dit moment is het binnenbrengen van het CRISPR-mechanisme in de juiste cellen om deze wijzigingen door te voeren. In 2024 werd een CRISPR-therapie goedgekeurd voor sikkelcelziekte. Zij losten het probleem van levering op door cellen uit

beenmerg te verwijderen, ze in een laboratorium te bewerken en ze daarna terug te plaatsen. Veel onderzoekers willen deze technologie toepassen bij de ZvH, waaronder een team dat tools ontwikkelt om de CAG's te onderbreken.

## Updates uit de kliniek

### Hobbels op de weg

**“Het was een spannend jaar met nieuwe bedrijven in de zoektocht naar medicijnen tegen de Ziekte van Huntington, die zijn begonnen met klinische onderzoeken.”**

Hoewel we altijd hopen dat klinische studies de positieve resultaten opleveren die we willen, is dat helaas niet altijd het geval. Klinische studies zijn enkele van de meest complexe, dure en risicovolle experimenten die wetenschappers kunnen uitvoeren, en helaas faalt 90% in het algemeen. Ondanks deze teleurstellingen kan de gemeenschap altijd veel leren van een studie, ongeacht de uitkomst, dankzij de grote hoeveelheid verzamelde data en verschillende geteste hypothesen. Dit betekent ook niet per se het einde van de weg voor de onderzochte medicijnen.

Pridopidine is een medicijn met een complexe geschiedenis binnen de ZvH-gemeenschap. Nu eigendom van het bedrijf Prilenia, werd het oorspronkelijk ontworpen om bewegingssymptomen van de ZvH te verbeteren en later gedacht mogelijk de progressie van de ziekte te vertragen. Ondanks de negatieve resultaten van de fase 3 PROOF-HD klinische studie, gaat Prilenia verder met pogingen om goedkeuring te krijgen voor het medicijn in Europa. We zouden in 2025 meer moeten horen over het besluit van de regelgevende instantie.

Een andere teleurstelling voor velen was het stopzetten van de ontwikkeling van dalzanemdor, eerder bekend als SAGE-718, door SAGE Therapeutics. Sage had gehoopt dat dalzanemdor zou werken om denk- en geheugenproblemen bij mensen met de ZvH te verbeteren. Helaas had het medicijn tegenslagen in klinische studies voor andere neurologische ziekten en slaagde het er niet in cognitieve verbeteringen te tonen in de DIMENSION-proef waar het medicijn werd getest bij mensen met de ZvH.

In beide gevallen weten we dat veel deelnemers uit de ZvH-gemeenschap, vonden dat de medicijnen hen hielpen, en die ervaring is volledig geldig. Het zou kunnen dat mensen in een bepaalde leeftijdsgroep, met een specifiek aantal CAG-herhalingen, of in een bepaald stadium van de ZvH beter reageren. Echter, de algehele data over de gehele groep bewezen in beide gevallen niet dat het innemen van het medicijn significant verschilde van een placebo.

### Op de goede weg



*Soms voelt het alsof het met bakken uit de lucht komt! We hebben dit jaar ontzettend veel spannende updates ontvangen van verschillende klinische studies naar de ziekte van Huntington.*

Ondanks deze tegenslagen bracht 2024 een *overvloed* aan positieve en hoopvolle berichten van andere bedrijven met lopende klinische studies. PTC Therapeutics, dat PTC-518 ontwikkelde, een pil die via de mond kan worden ingenomen om de niveaus van het huntingtine-eiwit te verlagen, deelde een update met gegevens die de veiligheid van hun medicijn ondersteunen en zelfs enige aanwijzingen dat bepaalde klinische scores leken te verbeteren.

Kort daarna kregen we een update over een andere huntingtine-verlagende klinische studie, deze keer van Wave Life Sciences, dat WVE-003 heeft ontwikkeld, toegediend via een ruggenprik. In deze update leerden we dat hun medicijn over het algemeen veilig leek te zijn in een bepaalde dosering, hoewel er zorgen waren over hun NfL-gegevens. Wave meldde ook dat het medicijn selectief de schadelijke vorm van huntingtine leek aan te vallen, niet de gezonde versie. Bovendien gaven zeer voorlopige gegevens van MRI-hersenscans aan dat mensen in de proef die het medicijn gebruikten minder hersenweefselverlies hadden in vergelijking met degenen die een placebo gebruikten.

Een andere update kwam slechts een paar weken later van uniQure, over hun huntingtine-verlagende studie met hun genterapie AMT-130, toegediend als een enkele dosis door middel van hersenchirurgie. Hoewel we in deze update niets leerden over of het medicijn daadwerkelijk huntingtine verlaagt, lazen we in hun bijgewerkte protocol dat het medicijn grotendeels veilig lijkt te zijn en mogelijk de progressie van symptomen vertraagt op basis van enkele klinische metingen.

Al met al was dit een overvloed aan positieve berichten! Niet om een HDBuzz-killer te zijn, maar het is belangrijk op te merken dat al deze studie-updates tussentijds zijn - niet de definitieve resultaten. Ook zijn deze tussentijdse resultaten afkomstig van relatief weinig mensen, dus er is nog een lange weg te gaan om te zien hoe elk medicijn uitpakt bij grotere groepen mensen met de ZvG.

Hoewel we dit jaar geen grote doorbraakupdate kregen van de GENERATION-HD2-studie met tominersen, een huntingtine-verlagend medicijn toegediend via een ruggenprik ontwikkeld door Roche, leerden we onlangs dat de proef nu de werving heeft afgerond. De wetenschappers van Roche blijven de gegevens analyseren van de vorige GENERATION-HD1-proef, en verzamelen inzichten over wat zou kunnen werken en wat niet, om tominersen de beste kans te geven in de volgende fase van zijn ontwikkeling.

**“Geen van de vooruitgangen die we het afgelopen jaar hebben geboekt, zou mogelijk zijn geweest zonder *jullie* – de Huntington-gemeenschap. ”**

## **Nieuwkomers**

2024 was een spannend jaar met nieuwe bedrijven in de ZvH-medicijnontwikkeling die klinische studies zijn gestart. Alnylam Pharmaceuticals begon met hun klinische studie voor hun huntingtine-verlagend medicijn ALN-HTT02, waarbij de eerste deelnemer in december dit jaar het medicijn ontving. Skyhawk Therapeutics startte eerder dit jaar hun huntingtine-verlagende proef in Australië en heeft al een update gedeeld, waarin de veelbelovende veiligheidsresultaten en doelwitherkenning van hun medicijn, SKY-0515, worden beschreven.

Vico Therapeutics bracht de gemeenschap op de hoogte van hun CAG-herhalingsgerichte medicijn, VO659, dat huntingtine kan verlagen. Omdat het zich richt op CAG's, kan dit medicijn ook eiwitten verlagen die betrokken zijn bij andere CAG-gerelateerde ziekten, waaronder spinocerebellaire ataxieën (SCA) 1 en 3. Hun studie test het medicijn bij mensen met alle drie de ziekten - SCA1, SCA3 en ZvH. Er zijn enkele zorgen over de veiligheid die zijn toegeschreven aan hoge doseringen, wat Vico van plan is aan te passen in de volgende fase van hun klinische studies. Het medicijn verlaagt echter wel huntingtine en zou een nieuw behandelingspad kunnen bieden voor meerdere zeldzame ziekten.

## **Een snufje goedkeuringen**

2024 zag ook een nieuwe medicijngoedkeuring voor de ZvH-gemeenschap. Neurocrine Biosciences ontwikkelde INGREZZA, dat wordt gebruikt om de bewegingssymptomen van de ZvH te behandelen. INGREZZA is de commerciële naam voor Valbenazine, dat eerder was goedgekeurd voor de behandeling van de ZvH. Omdat sommige mensen met de ZvH echter moeite hebben met het slikken van tabletten, maakte Neurocrine het medicijn in een sprenkelvorm die over voedsel kan worden gestrooid, wat door de FDA is goedgekeurd.



*We komen steeds dichterbij het moment waarop er hopelijk medicijnen beschikbaar zullen zijn die de ziekte van Huntington kunnen vertragen of stoppen. In de tussentijd zijn er veel stappen die we kunnen nemen om voor onszelf en onze dierbaren te zorgen en onze hersenen zo gezond mogelijk te houden.*

## De weg naar goedkeuring

Naarmate we steeds meer stappen zetten richting het ontwikkelen van medicijnen komen die de progressie van de ZvH kunnen vertragen of stoppen, denkt het veld meer na over hoe deze medicijnen uiteindelijk kunnen worden goedgekeurd en toegankelijk worden gemaakt voor de bredere ZvH-gemeenschap. De verschillende regelgevende instanties die deze processen beheren, zijn complexe organisaties, en hun rol en processen voor medicijngoedkeuringen verschillen per geografische jurisdictie.

Aan het einde van 2024 kwam een groep uit de ZvH-gemeenschap samen met de FDA om de uitdagingen waarmee de gemeenschap wordt geconfronteerd, te bespreken en hun behoeften aan nieuwe medicijnen onder de aandacht te brengen. Vertegenwoordigers van de FDA luisterden naar de ervaring van mensen met de ZvH en hun familieleden om beter te begrijpen welke urgentie en behoeften er in de gemeenschap leven.

Gesprekken tussen bedrijven die medicijnen voor de ZvH ontwikkelen en de FDA gingen in 2024 ook vooruit. UniQure deelde dat, na discussies met de FDA, ze overeenstemming hebben bereikt over de belangrijkste elementen die nodig zijn voor de goedkeuring van een medicijn voor de ZvH. Deze spannende update over regelgeving is niet alleen belangrijk voor de uniQure klinische studie, maar biedt ook een routekaart voor andere potentiële ziekte-veranderende medicijnen in de kliniek die erop gericht zijn de symptomen van de ZvH te vertragen of te stoppen.

## Leren van observationele studies

**“2025 wordt een belangrijk jaar! Niet alleen voor HDBuzz, maar voor het ZvH-onderzoek in zijn geheel.”**

Naast de studies waarin verschillende medicijnen of interventies worden onderzocht, zijn er ook veel verschillende observationele studies voor de ZvH. Deze verzamelen biografische informatie, genetische gegevens en monitoren de ziekteprogressie in de tijd met



verschillende klinische onderzoeken en biomarker-studies. Dit helpt een rijke verzameling gegevens te creëren, zodat we beter kunnen begrijpen hoe de ZvH mensen op verschillende manieren gedurende hun leven beïnvloedt.

Een zeer interessante studie werd dit jaar gepubliceerd, gebaseerd op een schat aan genetische gegevens, waaruit bleek dat herhalingsexpansieziekten – een groep ziektebeelden veroorzaakt door DNA-expansies, waaronder de ZvH – veel vaker voorkomen dan eerder werd gedacht. Deze studie en andere hebben de veelgehoorde opvatting dat de ZvH vooral voorkomt bij mensen met een witte afkomst tegengesproken. In werkelijkheid heeft de ZvH een wereldwijde impact op verschillende bevolkingsgroepen. Belangrijke onderzoeken in de VS richten zich op de raciale ongelijkheid in toegang tot gezondheidszorg en de uitkomsten daarvan voor zwarte en Latijns-Amerikaanse individuen. Het identificeren van deze lacunes is de eerste kritische stap in het aanpakken van deze problemen.

Historisch gezien hebben veel observationele studies zich gericht op de voor de hand liggende symptomen van de ZvH, zoals oncontroleerbare spierbewegingen en moeite met slikken. Wetenschappers beginnen nu echter minder voor de hand liggende effecten van de ZvH te onderzoeken, zoals sociale problemen. Er is een groeiend bewustzijn van hoezeer deze minder bekende kenmerken van de ZvH het leven van een individu en hun kwaliteit van leven kunnen beïnvloeden.

Een andere studie keek naar welke medicijnen mensen met de ZvH al gebruiken en hoe deze samenhangen met de progressie van de ziekte. Uit de studie bleek dat het gebruik van de vaak voorgeschreven bètablokkers verband houdt met een vertraagd begin en een langzamere progressie van symptomen bij de ZvH. Deze geweldige bevinding was mogelijk dankzij alle fantastische mensen die deelnemen aan Enroll-HD, een bewijs van de kracht van de enorme dataset die door zoveel ZvH-familieleden is bijgedragen, en waarmee wetenschappers deze interessante ontdekkingen kunnen doen.

## Actie ondernemen



*HDBuzz heeft dit jaar veel veranderingen doorgemaakt met een nieuw redactieteam en een nieuwe financieringsstructuur, terwijl we verslag deden van een spectaculair jaar vol*

*opwindend onderzoek. We hadden het niet kunnen doen zonder jullie steun – bedankt!*

Het einde van 2024 heeft ons dichterbij gebracht tot het vinden van medicijnen die de symptomen van de ziekte kunnen vertragen of stoppen. Sommige van deze doorbraken lijken binnen handbereik, maar terwijl we de ZvH-wetenschappers en klinici aanmoedigen die deze ontwikkelingen voortstuwen, zijn er veel acties die we in de tussentijd kunnen ondernemen.

Veel leden van de ZvH-gemeenschap helpen deze wetenschap vooruit door deel te nemen aan klinische medicatiestudies, observationele studies en enquêtes. Geen van de vooruitgang die we het afgelopen jaar hebben geboekt, zou mogelijk zijn geweest zonder *jullie* – de ZvH-gemeenschap. Er zijn ook praktische stappen die we allemaal kunnen nemen om onze hersenen zo gezond mogelijk te houden, voorbereidingen treffen voor onze toekomstige zorgbehoeften en keuzes maken over gezinsplanning.

Eén ding dat dit jaar heel duidelijk werd, was de geweldige versnelling van ZvH-wetenschap door de onbaatzuchtige donatie van mensen die hun hersenen aan onderzoek schenken nadat ze zijn overleden. Veel van de verhalen die we dit jaar hebben besproken, laten doorbraken zien die alleen mogelijk zijn dankzij deze waardevolle donaties. Als we meer willen weten over de effecten van de ZvH in het menselijk brein om behandelingen vooruit te helpen, moeten we het menselijke brein bestuderen. Dankzij genereuze donoren zijn er nu meer studies dan ooit die dit soort experimenten uitvoeren.

## Ondersteuning van HDBuzz

In 2024 heeft HDBuzz zijn financieringsmodel aangepast. Naast steun van verschillende geweldige stichtingen accepteren we nu rechtstreekse donaties van onze lezers om de duurzaamheid en groei van HDBuzz te waarborgen. Dit besluit werd met grote zorg genomen om de voortzetting van HDBuzz te verzekeren. Ondanks deze veranderingen heeft HDBuzz nooit financiering geaccepteerd van farmaceutische bedrijven om onze onpartijdigheid te behouden in de onderzoeksupdates en nieuws over klinische studies die we publiceren.

Donaties ondersteunen het onderhoud en de updates van de website, de vertaling van onze artikelen in verschillende talen, reizen naar conferenties om verslag te doen van het nieuwste onderzoek, reizen naar bijeenkomsten om presentaties te geven en direct in contact te komen met de ZvH-gemeenschap, evenals de tijd die onze schrijvers en redacteuren besteden aan het lezen, schrijven, ontwikkelen van inhoud, voorbereiden van presentaties en presenteren aan de ZvH-gemeenschap. Onze inhoud zal nooit achter een betaalmuur staan en zal altijd beschikbaar zijn voor iedereen, maar als je ons wilt steunen, zijn we dankbaar voor elke bijdrage. We zijn enthousiast om alle donaties goed te gebruiken en hebben spannende plannen in petto voor onze lezers in 2025!

## Vooruitkijken naar 2025

2025 wordt een belangrijk jaar! Niet alleen voor HDBuzz, maar voor onderzoek naar de ZvH als geheel. Verschillende grote klinische studies eindigen binnenkort, wat zal resulteren in doorslaggevende gegevens. Binnenkort zullen we definitieve antwoorden krijgen over bepaalde medicijnen die het verloop van de ZvH zouden kunnen veranderen! Dus zet je feesthoed op, gooi wat glitter in de lucht en maak je klaar om 2025 in te luiden met HDBuzz aan je zijde.

---

*De auteurs hebben geen belangenconflicten te verklaren. Voor meer informatie over het beleid rondom mogelijke belangenconflicten, zie FAQ...*

---

## GLOSSARIUM

**huntingtine-eiwit** Eiwit dat geproduceerd wordt door het huntington-gen  
**stamcellen** cellen die kunnen delen in cellen van verschillende soorten, een cel die in staat is om in een ander celtype te veranderen (differentiëren)

**therapieën** behandelingen

**biomarker** Elke test van welke aard dan ook - inclusief bloedtesten, denktesten en hersenscans - die de progressie van een ziekte zoals de ZvH kan meten of voorspellen. Biomarkers kunnen klinische onderzoeken met nieuwe medicijnen sneller en betrouwbaarder maken.

**beenmerg** De kleverige materie in het midden van de botten en dat bloedcellen produceert.

**placebo** Een namaakmedicijn zonder actieve ingrediënten. Het placebo-effect is een psychologisch effect waardoor mensen zich beter gaan voelen, zelfs als zij een pil innemen die niet werkt.

**CRISPR** systeem om DNA met grote nauwkeurigheid te bewerken

**SCA** spinocerebellaire ataxie, een andere neurodegeneratieve ziekte die wordt veroorzaakt door een toegenomen CAG-sequentie

**NfL** biomarker van gezondheid van hersencellen

---

© HDBuzz 2011-2025. De inhoud van HDBuzz mag vrij gedeeld worden met anderen, onder de Creative Commons Attribution-ShareAlike 3.0 Unported License.

HDBuzz is geen bron van medisch advies. Voor meer informatie ga naar [hdbuzz.net](https://hdbuzz.net)

Gegenereerd op 7 april 2025 — Gedownload van <https://nl.hdbuzz.net/402>