

Yaklaşım	Nasıl Çalışır	Araştırmacılar	Avantajları	Potansiyel Kısıtlamalar
Gen tedavisi	Hücrelere sağlıklı bir MECP2 genini yerleştirme.	Gene Therapy Consortium (P) (Gail Mandel, Stuart Cobb, Steve Gray, Brian Kaspar) James Eubanks (P) Jean-Christophe Roux (P)	Rett'in sebebini hedef alır, bu nedenle semptomları derinlemesine etkileme potansiyeli vardır. Yayınlanmış hayvanlar üzerindeki bazı çalışmalar dişi farelerde bazı semptomların düzeldiğini göstermiştir.	Hücrelerde etkilenmiş çok fazla MECP2 oluşumu ile sonuçlanabilir. Gen terapisi beyne etki ediyor olmalı ve çok sayıda hücreyi hedef almalıdır. Henüz ABD'de FDA onaylı bir gen terapisi tedavisi mevcut değildir, bu nedenle çok zorlu bir regülasyon/izin süreci muhtemeldir
Etkin olmayan (inaktif) X Kromozomundaki (sağlıklı) MECP2'yi etkinleştirme	Mekanizma muhtemelen her bir bireye özgü olacak	Ben Philpot, Bryan Roth, Terry Magnuson (D) Toni Bedalov, Marisa Bartolomei (D) Jeannie Lee (D) Rudolf Jaenisch (D) Michael Green (D) (X Kromozomunun tamamını aktive etmeye çalışıyor)	Rett'in sebebini hedef alır, bu nedenle semptomları derinlemesine etkileme potansiyeli vardır. Çok fazla MECP2 ile sonuçlanmamalıdır, bu yüzden dozaj bir sorun olmayacaktır.	ilaç beyne etki ediyor olmalı ve çok sayıda hücreyi hedef almalıdır. X kromozomunda diğer genlerin artan ekspresyonu potansiyeli vardır. Henüz istekli bir araştırmacı mevcut değil.
TRID's (Translation Read-Through Drugs) (hedefe Yönelik ilaç)	Nonsense yada stop türü mutasyonlarda MECP2 çalışmasını sağlayabilir (X'de sona eren mutasyonlar)	Peter Huppke, Timor Baasov (P) Jeffrey Neul, Carolyn Schanen, Andrew Napper (P)	Rett'in sebebini hedef alır, bu nedenle semptomları derinlemesine etkileme potansiyeli vardır. Çok fazla MECP2 ile sonuçlanmamalıdır, bu yüzden dozaj bir sorun olmayacaktır.	İlaç semptomların şiddetini azaltabilir ancak mutasyonu ortadan kaldırmaz. İlaç beyne etki ediyor olmalı ve çok sayıda hücreyi hedef almalıdır. Sadece "nonsense" türü mutasyonlarda işe yarayacaktır (tüm MECP2 mutasyonlarının yaklaşık 1/3'ü) Bugüne kadar, bu yaklaşımın diğer hastalıklarda etkinliği nispeten zayıf olmuştur.