



DE FEITEN sinds September 2012

MISSIE: Behandelingen en een geneesmiddel vinden voor het Hutchinson-Gilford Progeria Syndroom en diens Verouderings-gerelateerde stoornissen

PRF IN CIJFERS:

- ✧ Geïdentificeerde kinderen met Progeria: 96 in 35 landen
- ✧ Klinische Progeria-drugtrials door PRF gesponsord: 3
- ✧ Uitgereikte beurzen: 43, voor meer dan \$3.5 miljoen
- ✧ Cel-lijnen in de PRF Cel- & Weefselbank: 184
- ✧ Kinderen in de PRF Medische & Onderzoeksdatabase: 117
- ✧ Internationale wetenschappelijke Progeria-workshops: 7
- ✧ Aantal talen waarin het PRF-programma en de medische zorgmaterialen zijn vertaald: 20
- ✧ Stijging van wetenschappelijke publicaties sinds de ontdekking van het Progeria-gen: 1,500%

Totaal aantal ingezamelde Dollars

Van 1999 tot Juni 2012: \$12,662,111

85% van de jaarlijkse uitgaven van PRF gaan consequent naar hun programma's en diensten.

De steun die we al ontvingen, maakte de ontdekking van het Progeria-gen mogelijk, alsook de klinische trials en al onze uitzonderlijke vooruitgang. Met de hulp van onze huidige en toekomstige donateurs, zullen we deze race tegen de tijd winnen en zullen we behandelingen en een genezing vinden voor deze bijzondere kinderen. Bovendien leren de ontdekkingen rond Progeria ons meer over hartziekten en veroudering, wat ons uiteindelijk allen aanbelangt.

Wat is Progeria?

Progeria, ook gekend als het Hutchinson-Gilford Progeria Syndroom (HGPS), is een zeldzame en dodelijke genetische ziekte die het verouderingsproces versneld bij kinderen. Alle kinderen met Progeria sterven aan dezelfde hartziekte die miljoenen, normaal-verouderende volwassenen treft (atherosclerose), met dit verschil dat het bij hen niet gebeurt rond hun 60^{ste} of 70^{ste}, maar beroertes en hartaanvallen treffen hen soms al voor hun 10^{de} levensjaar. Opvallend is dat de intelligentie bij kinderen met Progeria onaantastelijk blijft. Ondanks de opmerkelijke fysieke veranderingen in hun jonge lichamen, zijn deze bijzondere kinderen intelligent, moedig en vol levenslust.

Wat is het PRF?

Het Progeria Research Foundation (PRF) werd gesticht in 1999 door de ouders van een kind met Progeria, Drs. Leslie Gordon en Scott Berns, en vele toegewijde vrienden en familieleden die de noodzaak zagen van een bron voor medisch onderzoek voor artsen, patiënten en families van mensen met Progeria. Sindsdien is het PRF de drijvende kracht achter de ontdekking van het Progeria-gen en de eerste Progeria-behandeling ooit. Het PRF heeft programma's en diensten ontwikkeld om mensen die door Progeria getroffen zijn te helpen, alsook de wetenschappers die onderzoek voeren naar Progeria. Vandaag is het PRF de enige non-profit organisatie die als enige doel het vinden van behandelingen en de genezing voor Progeria beoogt. Het PRF is een voorbeeld voor onderzoeksorganisaties, gaande van creatie tot de ontdekking van het gen tot de eerste medicamenteuze behandeling ooit, en dit in slechts 13 jaar.

PROGRAMMA'S EN DIENSTEN VAN HET PRF

- ✧ **Eerste klinische drugtrials en behandeling voor Progeria:** Klinische drugtrials, gesponsord door PRF, halen kinderen van over de hele wereld voor veelbelovende behandelingen die het ziektebeeld zouden kunnen verbeteren, en die zelfs het leven van kinderen met Progeria zouden kunnen verlengen. *In 2012 werd geschiedenis geschreven door de ontdekking van een farnesyltransferase inhibitor (FTI) als eerste behandeling ooit van Progeria – een belangrijke stap voorwaarts in de zoektocht naar een geneesmiddel.* Het PRF blijft andere veelbelovende medicatie verder onderzoeken, en staat momenteel in voor de (co)subsidiëring en coördinatie van de "Triple Drug Trial", dat FTI's test met 2 andere drugs. In totaal heeft het PRF 47 kinderen uit 24 landen naar Boston gehaald voor testen met behandelingen.

- ❖ **Het Internationaal Progeria Register** centraliseert en onderhoudt informatie over kinderen met Progeria en hun families. Dit verzekert een snelle verspreiding van eventuele nieuwe informatie die gunstig zou zijn voor de kinderen.
- ❖ **Cel & Weefselbank:** De Bank van het PRF voorziet onderzoekers van genetisch en biologisch materiaal van Progeria-patiënten en hun families, zodat het onderzoek naar Progeria en andere ziektes ten gevolge van het verouderingsproces, kan voortgezet worden om ons dichterbij een geneesmiddel te brengen. Het PRF heeft wereldwijd al maar liefst 113 cellijnen verzameld van kinderen met Progeria (leeftijd tussen 2 maanden en 17 jaar) en 71 lijnen van hun naaste familieleden, inclusief 9 “Induced Pluripotent Stem Cell”-lijnen (iPSC).
- ❖ **Medische & Onderzoeksdatabase:** De database is een gecentraliseerde verzameling van medische informatie van Progeria-patiënten over de hele wereld. Deze data worden grondig onderzocht om ons te helpen Progeria beter te begrijpen en om behandelvoorstellen te ontwikkelen. In 2010 heeft deze analyse bijgedragen tot een omvattend Handboek voor Progeria van het PRF, gericht op het optimaliseren van de levenskwaliteit. Het Handboek is beschikbaar in het Engels, het Spaans en het Portugees.
- ❖ **Diagnostische Testing:** Dit programma werd ontwikkeld in het kielzog van de ontdekking van het gen in 2003, opdat kinderen, hun families en hun medische zorgverleners een definitieve, wetenschappelijke diagnose kunnen krijgen. Dit vertaalt zich in een vroegere diagnose, minder foutieve diagnoses en vroege medische interventie om een betere levenskwaliteit te verkrijgen voor de kinderen.
- ❖ **Wetenschappelijke Progeria-Workshops:** Het PRF organiseerde 7 wetenschappelijke bijeenkomsten, die wetenschappers en klinisch personeel van over de hele wereld samenbrachten om hun expertise en data met elkaar te delen en om een samenwerking uit te bouwen in het gevecht tegen deze verwoestende ziekte.
- ❖ **Onderzoeksbeurzen:** Het PRF heeft 43 onderzoeksbeurzen uitgereikt, in totaal voor meer dan \$3.5 miljoen. Uitreikingen tot \$100,000 per jaar, voor een duurtijd tot 3 jaar, hebben ervoor gezorgd dat innovatief nieuw onderzoek naar Progeria in opmars is.
- ❖ **Publicaties en Onderzoek:** Zowel klinische als gewone wetenschappers hebben gebruik gemaakt van de PRF-beurzen, cel- en weefselmateriaal en de database; hun ontdekkingen zijn gepubliceerd in vooraanstaande wetenschappelijke tijdschriften. Het gemiddeld aantal wetenschappelijke publicaties over Progeria ligt sinds 2002, 15 maal hoger dan in de laatste 50 jaar.
- ❖ **Het PRF Vertaal-programma: “In touch with the world” (in contact met de wereld).** Door hun prominente wereldwijde aanwezigheid, elimineert het PRF communicatiebarrières voor patiënten en hun families. Dit initiatief is erin geslaagd het PRF-programma en materiaal voor medische zorg te vertalen in 20 verschillende talen.

- ❖ **Publieke Bekendheid:** ProgeriaResearch.org voorziet in de meest recente informatie over Progeria-onderzoek en steun voor de families. De nieuwsbrieven van PRF bereiken meer dan 30,000 mensen in 61 landen. Het verhaal van het PRF werd al getoond op CNN, The Dr. Oz Show, Primetime, Dateline en The Today Show, in *Time* en *People* magazines, *The New York Times*, *The Wall Street Journal* en vele andere bekende mediakanalen. Het PRF en haar partner GlobalHealthPR coördineren ook een wereldwijde campagne, genaamd “**Find the Other 150**” (**Vind de Andere 150**) (www.findtheother150.org), om het PRF te versterken in haar zoektocht naar kinderen met Progeria over de hele wereld, om hen de unieke hulp te bieden die ze nodig hebben.

WIE IS WIE BIJ HET PRF?

Audrey Gordon, Esq., President en Executive Director, Co-Stichter

Ms. Gordon beheert alle administratieve aspecten van het Progeria Research Foundation, inclusief de activiteiten van de Board of Directors, beneficiënten, beursaanvragen, administratie van medische onderzoeksprojecten, initiatieven tot publieke bekendheid, en vrijwilligersprogramma's.

Leslie B. Gordon, MD, PhD, Medical Director, Co-Stichter

Dr. Gordon stichtte het PRF samen met familie en vrienden, nadat bij haar zoon Sam Progeria werd vastgesteld. Dr. Gordon overziet de onderzoeks-gerelateerde programma's van het PRF en is mede-voorzitter van de klinische Progeria-trials. Ze is Associate Professor of Pediatrics Research aan de Warren Alpert Medical School van Brown University en Hasbro Children's Hospital in Providence, RI, en Staff Scientist in het Boston Children's Hospital en Harvard Medical School.

Scott D. Berns, MD, MPH, FAAP, PRF Chairman of the Board, Co-Stichter

Dr. Berns, de vader van Sam, is co-stichter van het Progeria Research Foundation en is Chairman of the Board. Hij is een Board Certified Pediatrician en Clinical Professor of Pediatrics aan de Alpert Medical School van Brown University. He is ook Deputy Medical Director en Senior Vice President van Chapter Programs bij March of Dimes.

Tina, Brandon, Brittany en Zach Pickard, Ambassadeur-Familie van het PRF

De familie van de 5 jaar oude Zach woont in Lexington, Kentucky, en maakt een integraal deel uit van de inspanningen van het PRF om publieke bekendheid te verwerven, om andere families te betrekken bij het programma en om geld in te zamelen voor onderzoek. We stellen de tijd en moeite die ze investeren in deze doelen erg op prijs.