



## TATSACHEN BIS ZU SEPTEMBER 2012

**ZIEL: Erforschung von Behandlung und Heilung von Hutchinson-Gilford Progeria Syndrom und dessen altersbedingten Krankheiten**

### **PRF DURCH DIE ZAHLEN:**

- ✂ Identifizierte Kinder lebend mit Progeria: 96 in 35 Ländern
- ✂ PRF-sponsored Progeria klinischer Arzneimitteltest: 3
- ✂ Bewilligungen finanziert: 43, in Höhe von über 3.5 Millionen
- ✂ Zellenlinien in der PRF Cell & Tissue Bank: 184
- ✂ Kinder in PRF's Medical & Research Database: 117
- ✂ Internationale wissenschaftliche Werkstätten für Progeria: 7
- ✂ Anzahl der Sprachen in die das PRF Programm und die Materialien der ärztlichen Behandlung übersetzt werden: 20
- ✂ Zunahme in wissenschaftlichen Veröffentlichungen seit der Progeria Genentdeckung: 1,500%

### **Summe in Dollars eingenommen:**

*1999 bis Juni 2012: \$12,662,111*

85 % der jährlichen Ausgaben der PRF sind konsequent auf ihre Programme und Dienste gewidmet.

Die Unterstützung, die wir erhalten haben, machte die Progeria Genentdeckung, die Progeria klinischen Proben und unsere anderen außergewöhnlichen Fortschritte möglich. Mit der Hilfe von gegenwärtigen und neuen Unterstützern werden wir diesen Wettlauf mit der Zeit gewinnen und sowohl Behandlungen als auch ein Heilmittel für diese speziellen Kinder finden. Außerdem unterrichten Progeria Entdeckungen uns über die Herzkrankheit und das Altern, das uns alle betrifft.

### **Was ist Progeria?**

Progeria, auch bekannt als Hutchinson-Gilford Progeria Syndrom (HGPS), ist eine seltene, tödliche, genetische Krankheit die das Altern in Kindern beschleunigt. Alle Kinder mit Progeria sterben an derselben Herzkrankheit, die Millionen von normalen Alterserwachsenen (Arterienverkalkung) betrifft, aber anstatt mit 60 oder 70 Jahren, können sie Schlaganfälle und Herzinfarkte sogar vor dem Alter von 10 Jahren ertragen. Bemerkenswert ist der Intellekt von Kindern mit Progeria, und trotz erschreckender physischer Änderungen in ihren jungen Körpern sind diese außergewöhnlichen Kinder intelligent, mutig, und stehen voll im Leben.

### **Was ist PRF?**

Die Progeria Research Foundation (PRF) wurde 1999 von den Eltern eines Kindes mit Progeria gegründet Drs. Leslie Gordon und Scott Berns, und viele hingebungsvolle Freunde und Familie, die das Bedürfnis nach einer medizinischen Forschungsquelle für die Ärzte, Patienten, und Familien von denjenigen mit Progeria suchten. Seit dieser Zeit ist die PRF die treibende Kraft hinter der Progeria Genentdeckung und der allerersten Progeria-Arzneimittelbehandlung gewesen. PRF hat Programme und Dienstleistungen entwickelt, um denjenigen zu helfen, die Progeria haben und die Wissenschaftler, die Progeria erforschen. Heute ist PRF die einzige gemeinnützige Organisation allein gewidmet dem Fund von Behandlungen und dem Heilmittel für Progeria. PRF wird als ein Hauptbeispiel einer erfolgreichen Übersetzungsforschungsorganisation zugejubelt, von der Entwicklung zur Genentdeckung zur allerersten Arzneimittelbehandlung in gerade mal 13 Jahren.

## PRF'S PROGRAMME UND DIENSTLEISTUNGEN

- ❖ **Allererster Progeria klinischer Heilmittel- und Behandlungsprozess:** PRF-gesponserte klinische Heilmittelproben bringen Kindern aus der ganzen Welt vielversprechende Behandlungen, die helfen können, Krankheit zu verbessern, und sogar die Leben von Kindern mit Progeria zu verlaengern. *In 2012 wurde Geschichte mit der Entdeckung gemacht, dass ein farnesyltransferase Hemmstoff, oder FTI, die allererste Behandlung für Progeria - ein bemerkenswerter Schritt vorwärts in der Verfolgung eines Heilmittels.* PRF setzt fort, andere vielversprechende Heilmittel zu erforschen, und ist zurzeit Co-Finanzierer und das Koordinator der "Dreifachen Heilmittel-Probe", FTIs mit 2 anderen Heilmitteln. Insgesamt hat PRF 47 Kindern von 24 Ländern nach Boston für Behandlungsproben gebracht.
- ❖ **Internationale Progeria Registrierung** erhält zentralisierte Information über Kinder und Familien aufrecht, die mit Progeria leben. Das versichert schnellen Vertrieb jeder neuen Information, die den Kindern nützen kann.  
**Zellen und Gewebekbank:** die Bank von PRF versorgt Forscher mit dem genetischen und biologischen Material von Progeria Patienten und ihren Familien, so dass die Forschung über Progeria und andere Krankheiten des Alterns durchgeführt werden, um uns näher zu dem Heilmittel zu bringen. PRF hat eindrucksvolle 113 Zellenlinien von betroffenen Kindern weltweit (Alter 2 Monate zu 17 Jahren) und 71 Linien von ihren unmittelbaren Verwandten gesammelt, einschließlich 9 induzierte pluripotente Stammzellen (iPSC).
- ❖ **Medizinische und Forschungsdatenbank:** Die Datenbank ist eine zentralisierte Sammlung der medizinischen Information von Progeria Patienten weltweit. Die Daten werden streng analysiert, um uns zu helfen, mehr über Progeria zu verstehen und Behandlungsempfehlungen zu verstehenn. In 2010 trug diese Analyse zum umfassenden Gesundheitsfürsorge-Handbuch von PRF auf Progeria mit dem Ziel Lebensqualitaet zu optimieren. Das Handbuch ist auf Englisch, Spanisch und Portugiesisch verfügbar.
- ❖ **Diagnostische Prüfung:** Dieses Programm wurde im Gefolge der 2003 Genentdeckung entwickelt, so dass Kinder, ihre Familien und medizinische Betreuer eine endgültige, wissenschaftliche Diagnose bekommen können. Das kann zu einer fruehzeitigen Diagnose, weniger Misdiagnosen und sofortiges, medizinisches Eingreifen fuehren, um eine bessere Lebensqualität für die Kinder zu sichern.
- ❖ **Wissenschaftliche Werkstätten von Progeria:** PRF hat 7 wissenschaftliche Konferenzen organisiert, die Wissenschaftler und Kliniker aus aller Welt zusammengebracht haben, um dessen Gutachten und wissenschaftliche Daten, und Pflegekollaboration im Kampf gegen diese verheerende Krankheit auf den neusten wissenschaftlichen Stand zu bringen.
- ❖ **Forschungsbewilligungen:** PRF hat 43 Forschungsbewilligungen zuerkannt, die sich auf mehr als 3.5 Millionen \$ durch die Gleich-Rezension durch unsere freiwilligen medizinischen Forschungskomitees belaufen. Preise von bis zu 100,000 \$ pro Jahr, seit bis zu drei Jahren, haben innovative neue Forschung erlaubt in Progeria zu gedeihen.
- ❖ **Veröffentlichungen und Forschung:** Sowohl klinische als auch grundlegende Wissenschaftler haben die PRF-Bewilligungen, Zellen und Gewebe, und Datenbank verwertet; ihre Entdeckungen werden in wissenschaftlichen Spitzenzeitschriften veröffentlicht. Die durchschnittliche jährliche Zahl von wissenschaftlichen Veröffentlichungen von Progeria seit 2002 ist mehr als 15mal mehr als das von den vorherigen 50 Jahren.
- ❖ **PRF Uebersetzungsprogramm: *In touch with the world.*** Mit weltweiter Praesenz elminiert PRF Barrieren um mit Patienten und deren Familien in der ganzen Welt zu kommunizieren. Diese Initiative ist erfolgreich im Uebersetzen von PRF Programmen und medizinischer Vorsorgematerialien in 20 Sprachen.

- ❖ **Oeffentliches Bewusstsein:** ProgeriaResearch.org gibt Zugang zu den neuesten Informationen von Progeria und Unterstuetzung von Familien. provides access to the latest information on Progeria research and support for families. PRF's Rundschreiben erreicht ueber 30.000 Leute in 61 Laendern. PRF's Geschichte ist im Fernsehen auf CNN, Die Dr. Oz Show, Primetime, Dateline und The Today Show gezeigt worden, in TIME und People Magazine, The New York Times, The Wall Street Journal und anderen Medien berichtet worden. PRF und dessen Partner GlobalHealthPR finanzieren ausserdem einen weltweite Kampagne "Findet die restlichen 150 ([www.findtheother150.org](http://www.findtheother150.org)) so dass PRF alle Kinder mit Progeria weltweit finden wird, so dass ihnen geholfen werden kann.

### **WER IST WER BEI PRF?**

#### **Audrey Gordon, Esq., President and Executive Director, Co-Founder**

Frau Gordon beaufsichtigt alle Verwaltungsaspekte des Progeria-Forschungsprogramms, einschließlich des Ausschusses der Tätigkeiten von Direktoren, Kapitalbeschaffung, Bewilligungsvorlagen, medizinischen Forschungsprojektverwaltungen, öffentlichen Bewusstsein-Initiativen, und freiwilligen Programmen.

#### **Leslie B. Gordon, MD, PhD, Medical Director, Co-Founder**

Dr Gordon co-founded PRF mit Freunden und Familie nachdem ihr Sohn, Sam, mit Progeria diagnostiziert wurde. Dr Gordon beaufsichtigt die Programme über die Forschung von PRF, und ist ein Co-Sitz für die Progeria klinischen Heilmitteltests. Sie ist Assoziiertenprofessor der Kinderheilkunde-Forschung.

#### **Scott D. Berns, MD, MPH, FAAP, PRF Chairman of the Board, Co-Founder**

Dr Berns, der Vater von Sam, ist ein Mitbegründer des Progeria-Forschungsprogramms und dient als Vorsitzender des Ausschusses. Er ist auch ein Kinderarzt.

#### **Tina, Brandon, Brittany and Zach Pickard, PRF's Ambassador Family**

Die Familie von 5-jährigem Zach lebt in Lexington, Kentucky, und ist ein integraler Bestandteil der PRF.