

Fatos da PRF a partir de Setembro 2012

Missão: descobrir a causa, tratamento e cura para a síndrome de Hutchinson-Gilford Progeria e seus transtornos decorrentes em envelhecimento.

Box 1

PRF EM NÚMEROS:

Crianças conhecidas que vivem com Progeria: 96 em 35 países

PRF – patrocinados com Progeria Ensaio Clínicos de Drogas : 3

Subsídios financiados: 43, num total de \$ 3.5 milhões.

Linhas de células na PRF Células & Banco de Tecidos: 184

Crianças em PRF Médico & Pesquisa de banco de dados: 117

Oficina Científica Internacional sobre Progeria: 7

Numero de línguas em que PRF programas e materiais médicos são traduzidos : 20\

Aumento de publicações científicas desde Progeria descoberta do gene: 1,500%

Box 2

Total em dólares adquirido

1990 até Junho de 2012: \$12,662,111

85% das despesas anuais da PRF são constantemente dedicadas aos seus programas e serviços.

O apoio que temos recebido, fez a descoberta do gene Progeria, e dos experimentos clínicos da Progeria e de todos os nossos progressos, extraordinariamente possíveis. Com a ajuda contínua dos nossos conceitos adeptos, vamos vencer esta corrida contra o tempo e encontrar tratamentos para a cura destas crianças especiais - e podemos talvez também ajudar milhões de pessoas que sofrem de doenças cardíacas e outras condições associadas ao envelhecimento.

O que é Progeria?

Progeria, também conhecida como Síndrome Progeria Hutchinson-Gilford (HGPS), é uma condição genética rara e fatal caracterizada por uma aparência de envelhecimento acelerado em crianças. Todas as crianças com Progeria morrem da mesma doença cardíaca que afeta milhões de adultos normais com envelhecimento (arteriosclerose), mas ao invés de ocorrer durante os 60 ou 70 anos de idade, essas crianças podem sofrer derrames e ataques cardíacos antes dos 10 anos. Notavelmente, o intelecto das crianças com Progeria é afetado, e apesar de surpreendentes mudanças físicas nos seus corpos jovens, essas crianças extraordinárias são inteligentes, corajosas, e cheias de vida.

Quem e o que é a PRF?

A Progeria Research Foundation (PRF) foi criada em 1999 pelos pais de uma das crianças com Progeria, os Drs. Leslie Gordon Scott e Berns, e muitos amigos e familiares dedicados que viram a necessidade de um recurso médico para os médicos, pacientes e famílias de pessoas com Progeria para com que o financiamento da investigação Progeria permaneça!! Desde aquela época, a PRF foi a força matriz por trás da descoberta do gene da Progeria, e tem desenvolvido programas e serviços para ajudar as pessoas afetadas pelo gene HGPS e os cientistas que conduzem pesquisas Progeria. Hoje, a PRF é a única organização sem fins lucrativos, dedicada exclusivamente ao tratamento em encontrar a cura para a Progeria. PRF é saudada como um modelo para as organizações de investigação da doença e um exemplo de investigação de translação de sucesso, da descoberta do gene, aos tratamentos em apenas 13 anos.

PROGRAMAS & SERVIÇOS DA PRF'S

- A primeira clínica ou First-Ever Clínica Drug Trials da Progeria: PRF patrocinados ensaios clínicos de drogas trazem crianças de todo o mundo para tratamentos promissores quem podem ajudar a melhorar a doença, e podem até aumentar a vida de muitas crianças com Progeria. Em 2012, história foi feita com a descoberta de um inibidor Farnesyltransferase, ou FTI, é o primeiro tratamento descoberto para a cura de Progeria. PRF continua procurando por outras drogas promissoras, e atualmente é co-

financiadora e coordenadora do “Teste de Droga Triplo”(Triple Drug Trial), testando FTI com mais 2 drogas. Em total, PRF trouxe 47 crianças de 24 países para Boston em busca de tratamentos.

Internacional • A secretaria da PRF mantém informações e relatórios sobre as crianças e famílias que vivem com Progeria. Isto assegura uma rápida distribuição de novas informações que possam beneficiar as crianças.

- Cell & Tissue Bank: The Cell Tissue Bank (ou banco de células) da PRF fornece aos pesquisadores médicos material genético e biológico de pacientes com Progeria e suas famílias para investigação sobre Progeria e outras doenças relacionadas ao envelhecimento que podem ser realizados para trazer-nos mais perto de encontrar a cura. A PRF recolheu impressionadamente 113 linhas de células de crianças afetadas em todo o mundo (com idades variando de 2 meses a 17 anos), e 71 linhas de seus parentes imediatos.

- Investigação Médica e Banco de Dados: O banco de dados mantém uma coleção de informações médicas dos pacientes com progeria em todo o mundo. Os dados são rigorosamente analisados para nos ajudar a entender mais sobre Progeria e elaborar recomendações de tratamento. Em 2010, contribuíram para esta análise do abrangente PRF's Handbook (ou jornal da Progeria), assim que essas recomendações de saúde sobre Progeria destinadas podem até otimizar a qualidade de vida. O Handbook esta disponível em Inglês, Espanhol e Português.

- Testes de diagnóstico: A PRF desenvolveu um programa de testes de diagnóstico para Progeria na seqüência da descoberta do gene em 2003, de modo que as crianças, suas famílias e médico possam obter um diagnóstico definitivo, mais científico. Isto pode traduzir-se em um diagnóstico mais precoce, menor número de diagnósticos equivocados e intervenção médica precoce para assegurar uma melhor qualidade de vida para as crianças.

- Conferencias Científicas sobre Progeria: PRF organizou 7 conferências científicas que reuniu cientistas e médicos de todo o mundo para compartilhar seus conhecimentos e dados científicos de ultima qualidade, para promover a colaboração na luta contra esta doença devastadora.

- Bolsas de Investigação: PRF já concedeu 43 bolsas de pesquisa, totalizando mais de

US\$ 3,5 milhões com revisão por nossos voluntários de investigação médica no nosso comitê. Prêmios de até US \$ 100.000, por ano, para mais de 3 anos, permitiram que novas pesquisas inovadoras em Progeria prosperar.

- Publicações e Pesquisas: Tanto os cientistas clínicos e básicos têm acessado o banco da PRF, em termos de células, tecidos e banco de dados. Suas descobertas são publicadas nas melhores revistas científicas. O número médio anual de publicações científicas sobre Progeria desde 2002 é superior a 15 vezes maior do que nos 50 anos anteriores.

- Programa de tradução PRF: Em contato com o mundo. Com um alcance de destaque mundial, a PRF elimina barreiras de comunicação para pacientes e suas famílias ao redor do mundo. Esta iniciativa tem conseguido manter esse programa e traduzir termos de atendimento médico em mais de 20 línguas diferentes.

- Website / sensibilização: ProgeriaResearch.org fornece acesso às últimas informações sobre pesquisa, apoio, e educação para as famílias e amigos de pacientes com Progeria. Boletins da PRF chegam a mais de 30.000 pessoas em 61 países. A estória da PRF tem aparecido na CNN, Dr. Oz Show, Live Primetime, Dateline, e The Today Show, e em revistas Time e People, The New York Times, The Wall Street Journal e dezenas de outros amplamente meios de comunicação. PRF tem parceria com GlobalHealthPR também administrado por uma campanha chamada **Find the Other 150** (www.findtheother150.org), para ajudar PRF a encontrar outras crianças no mundo.

Quem é quem no PRF?

Audrey Gordon, esq., presidente e diretora executiva, co-fundadora

Audrey Gordon, esq. supervisiona todos os aspectos administrativos da Progeria Research Foundation, incluindo o Conselho de Administração das atividades, captação de recursos, pedidos de subvenção, médico pesquisa em administração de projetos e programas de voluntariado.

Leslie Gordon B., MD, Diretor Médico PhD, co-fundador

Dra. Gordon co-fundou o The Progeria Research Foundation com amigos e família depois que seu filho Sam foi diagnosticado com Progeria. Dra. Gordon supervisiona o Programa de Teste Diagnóstico, células & banco de tecidos e banco de dados e

pesquisa médica, e é uma co-presidência para os ensaios clínicos de drogas da Progeria. Ela é Professora Associada com a Pediatria da pesquisa no Warren Alpert Medical School da universidade Brown e no Hospital Infantil Hasbro em Providence, RI, e uma cientista da equipe do Children's Hospital Boston e da Universidade Harvard Medical School.

Berns Scott D., MD, MPH, FAAP, presidente da câmara, co-fundador da PRF

Berns, o pai do Sam, é co-fundador da The Progeria Research Foundation, e serve como presidente do conselho. Ele é um pediatra certificado (Board Certified) e professor clínico da pediatria na Faculdade de Medicina de Alpert na universidade Brown. Ele também é vice-presidente sênior do Chapter Program do March Of Dimes.

Tina, Brittany Brandon, e Zach Pickard, embaixadores das famílias

Em janeiro de 2010, a família do Zach Pickard de três anos, foi nomeada como embaixadores de Família da PRF. Os Pickards vivem em Lexington, Kentucky, e fazem uma parte integrante dos esforços na PRF, como sensibilizar a opinião pública, envolver outras famílias em nossos programas, e arrecadar fundos para a investigação. Agradecemos o tempo e esforço que colocam a estas atividades importantes.