

Fundação de Pesquisa Progeria

Ficha técnica

MISSÃO: *Descobrir a cura e tratamento efetivo para a Progeria e suas desordens relacionadas ao envelhecimento.*

Número de crianças conhecidas vivendo com Progeria: 52 crianças em 29 países

Número de crianças testadas pelo Programa de Diagnóstico da Fundação de Pesquisa Progeria: 73

Número de financiamentos cedidos desde a fundação da Fundação de Pesquisa Progeria: 24

Número de linhas celulares no Banco de Células e Tecidos da Fundação de Pesquisa Progeria: 111

Número de crianças na base de dados médicos de pesquisa da Fundação de Pesquisa Progeria: 77

Total de dólares arrecadado:

1999 a dezembro de 2008: **\$ 6,634,144**

Normalmente, perto de 90% das doações para a Fundação de Pesquisa Progeria vão diretamente para apoiar nossos programas e serviços.

A ajuda que temos recebido viabilizou a descoberta do gene da Progeria, os testes clínicos e todo o extraordinário progresso possível. Com a ajuda contínua de nossos apoiadores, nós vamos vencer essa corrida contra o tempo e encontrar tratamentos e cura para essas crianças especiais – e talvez para milhões que sofrem de doenças do coração e outras doenças relacionadas ao envelhecimento.

O que é Progeria?

Progeria, também conhecida como Síndrome de Hutchinson-Gilford é uma rara e fatal condição genética caracterizada pelo envelhecimento acelerado em crianças. Todas as crianças com Progeria morrem da mesma doença do coração que afeta milhões de adultos em idade avançada (arteriosclerose), mas em vez de serem acometidas aos 60 ou 70 anos de idade, essas crianças podem sofrer enfartos e ataques do coração aos 5 ou 6 anos de idade. Notavelmente, o intelecto das crianças com Progeria não é afetado, e apesar das chocantes mudanças físicas em seus corpos (ex. Doenças do coração, osteoporose) essas crianças extraordinárias são inteligentes, corajosas e cheias de vida.

O que é a Fundação de Pesquisa Progeria?

A Fundação foi estabelecida em 1999 por pais de uma criança com Progeria, os drs. Leslie Gordon e Scott Berns, que enxergaram a necessidade de recursos médicos para profissionais, pacientes e famílias de portadores de Progeria, e também de financiamento da pesquisa sobre a doença. Desde então, a Fundação foi a força motriz por trás da descoberta do gene da Progeria, desenvolveu um teste de diagnóstico, banco de células e tecidos, banco de dados médicos e financiamento para pesquisa básica sobre a doença para auxiliar crianças afetadas e os pesquisadores que querem conduzir a pesquisa sobre Progeria. Atualmente, a Fundação de Pesquisa Progeria é a única organização sem fins lucrativos dedicada unicamente a encontrar tratamentos e a cura para a Progeria.

PROGRAMAS E SERVIÇOS

Primeiros testes clínicos com medicamentos para Progeria: A Fundação de Pesquisa Progeria está financiando e co-coordenando o primeiro teste clínico com medicamentos para a Progeria, sediado pelo Children's Hospital em Boston. A droga que está sendo testada é chamada inibidor de farnesyltransferase, ou FTI, uma droga que tem se mostrado uma grande promessa em testes de laboratório e com camundongos. O teste começou em sete de maio de 2007, e tem duração prevista de dois anos e meio. A Fundação de Pesquisa Progeria arrecadou entre 1,8 e 2 milhões de dólares necessários para financiar estes testes.

Banco de células e tecidos: O Banco de células e tecidos fornece aos médicos pesquisadores material

genético e biológico para pacientes de Progeria e seus familiares, para que a pesquisa sobre Progeria e outras doenças relacionadas ao envelhecimento possam ser realizadas para nos colocar perto da cura. A Fundação de Pesquisa Progeria já coletou 71 linhas de células de crianças afetadas ao redor do globo (com idades variando entre 8 meses a 17 anos), e 40 linhas de seus pais.

Base de dados médica de pesquisa: O banco de dados é uma coleção de registros médicos de pacientes com Progeria de todas as partes do mundo. Os dados são analisados rigorosamente para determinar os melhores tratamentos que aumentem a qualidade de vida do paciente. Essas informações são valiosas para os cientistas guiarem a família na melhor trilha de ação. Até a data, a Fundação de Pesquisa Progeria tem 77 crianças inscritas no programa, e publicou três recomendações médicas formais: cuidados cardíacos, nutrição e terapia ocupacional/fisioterapia. O banco de dados foi fundamental para determinar o primeiro parâmetro para os testes clínicos inéditos de Progeria.

Testes de diagnóstico: A Fundação de Pesquisa Progeria desenvolveu um teste de diagnóstico para a doença durante 2003, com a descoberta do gene da Progeria. A partir de então crianças, suas famílias e cuidadores puderam receber pela primeira vez um diagnóstico definitivo e científico. Isso pode viabilizar diagnósticos precoces, poucas falhas de diagnósticos e intervenção médica adiantada para garantir uma melhor qualidade de vida para as crianças.

Workshops científicos: A Fundação de Pesquisa Progeria organizou cinco conferências científicas que uniram especialistas e clínicos de todo o mundo para dividir conhecimento e apurar dados científicos e futuras colaborações na luta contra essa doença devastante e letal.

Pesquisa e publicações: O grande objetivo da Fundação de Pesquisa Progeria é promover conhecimento sobre a doença e o progresso que tem sido alcançado no campo de pesquisa. Das dúzias de publicações sobre Progeria, muitas reconhecem o suporte financeiro da Fundação ou o apoio disponibilizando células. O assunto tem sido publicado em diários científicos conhecidos e respeitados e lido por milhares de pesquisadores ao redor do mundo. A média de publicações científicas sobre Progeria desde 2002 é 10 vezes maior do que nos 50 anos anteriores.

Concessões de pesquisa: A Fundação de Pesquisa Progeria ganhou 24 concessões de pesquisa totalizando 1,7 milhões de dólares através da revisão de pares de nosso voluntário Comitê de Pesquisa Médica. Cotas de mais de 100 mil dólares por mais de dois anos tem permitido pesquisas inovadoras sobre a Progeria.

Web site/divulgação pública: ProgeriaResearch.org permite ao visitante acesso às últimas informações sobre a pesquisa, apoio e educação para as famílias e os cuidadores. O web site possui uma média de 15 mil visitas por mês, e a newsletter da Fundação de Pesquisa Progeria chega à 10 mil pessoas em 49 países. Desde a descoberta do gene, a Fundação teve espaço na CNN, Primetime Live, Dateline, The Today Show, na revista *Time*, *People* e *The New York Times*, além de outros veículos que tem interesse na doença e no trabalho da Fundação. Em 2006, a Fundação lançou uma campanha de conhecimento público com as vozes de Ted Danson e Mary Steenburgen. A campanha foi aprovada pelo Conselho de Publicidade e transmitida pelo Astrovision na Times Square em novembro de 2006. Em janeiro de 2007, a Fundação e os testes clínicos da Progeria apareceram na primeira página do *The Wall Street Journal*, alcançando milhões de leitores no mundo inteiro.

Solidariedade com os familiares – Fundação de Pesquisa Progeria fórum e chat para as famílias: Para manter nossa missão de continuar oferecendo recursos valiosos para as famílias das crianças com Progeria, a Fundação criou um fórum privado em seu web site. Essa ferramenta on-line ajuda as famílias a se conhecerem e desenvolver uma rede de suporte com pessoas as quais eles podem dividir as preocupações e idéias de como melhor cuidar de seus filhos.

QUEM É QUEM NA FUNDAÇÃO DE PESQUISA PROGERIA?

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

Audrey Gordon, Esq. supervisiona todos os aspectos administrativos da Fundação de Pesquisa Progeria, incluindo as atividades do corpo de diretores, eventos para arrecadação de fundos, documentos de concessão, administração dos projetos médicos de pesquisa e programas de voluntariado.

Leslie B. Gordon, MD, PhD, diretora médica, co-fundadora

Leslie B. Gordon, MD, PhD co-fundou a Fundação de Pesquisa Progeria com amigos e família após seu filho, Sam, ter sido diagnosticado com Progeria. Como diretora médica da Fundação, a dra. Gordon supervisiona o Programa de Diagnósticos, o Banco de Células e Tecidos, a base de dados Médicos e de Pesquisa, e é co-presidente dos testes clínicos de Progeria. Ela é professora assistente de pesquisa pediátrica da Warren Alpert Medical School da Brown University and Hasbro Children's Hospital em Providence, RI

Scott D. Berns, MD, MPH, FAAP, PRF, presidente do conselho, co-fundador

Dr. Berns, o pai do Sam, é o co-fundador da Fundação de Pesquisa Progeria e atua como presidente do conselho. Ele é pediatra certificado pelo conselho e VP senior dos Chapter Programs no March of Dimes. Em 2001, dr. Berns completou um ano de parceria com a Casa Branca onde ele atuou como assistente especial do Secretário dos Transportes Americano.

Steve, Sandy, Megan, Michaela e Josh Nighbor, família embaixadora da Fundação de Pesquisa Progeria.

Em abril de 2005, a família de Megan Nighbor, 8 anos, foi nomeada embaixadora da Fundação de Pesquisa Progeria. Os Nighbors vivem em Dalton, Wisconsin, e são parte integral dos esforços para aumentar o conhecimento público, envolver outras famílias em nossos programas e levantar fundos para a pesquisa. Nós agradecemos o tempo e esforço que eles colocaram nessas importantes atividades.