

早衰症： 朝着治愈的方向前进



什么是早衰症？

(HGPS)

早衰症，也被称为哈钦森-吉尔福德早衰症综合征（HGPS），是一种罕见的、致命的儿童加速衰老遗传病。

若未经治疗，患有早衰症的儿童死于心脏病的平均年龄为14.5岁。

虽然目前无法治愈，但有一种延长生命的治疗方法。



特征

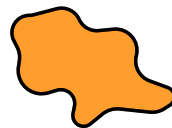


导致早衰症的原因是什么？

LMNA基因的突变会产生一种称为**早老素**的蛋白质，它会使细胞核变得不稳定并导致过早衰老。



健康的细胞核



早衰症细胞核

1800 万人中有**1**人患有早衰症。

PRF估计全世界有**400**名儿童和年轻人患有早衰症。

早衰症研究基金会的项目覆

盖了全球**50**个国家不到一半的儿童。



Copyright © 2024 The Progeria Research Foundation

团结一致，我们终将找到治愈方法。



欲了解更多信息，
请访问www.ProgeriaResearch.org
发送电子邮件至info@progeriaresearch.org
请致电 +1 (978) 535-2594

关于早衰症研究基金会 (PRF)

使命

探索早衰症及其与衰老相关的疾病（包括心脏病）的治疗及治愈方法。



PRF的项目和服务

临床实验



PRF与波士顿儿童医院合作测试最有希望的治疗方法。

诊断测试



PRF为疑似儿童提供免费基因检测。

研究经费



PRF已资助近900万美元用于治疗及治愈方法的新研究途径。

细胞和组织库



PRF已分配1200多个样本以推进早衰症研究。

国际科学研讨会



PRF为世界级研究人员举办会议以合作和分享突破性发现。

国际患者登记处



PRF的患者登记处确保早衰症儿童及其家人知晓所有PRF活动。

治疗指南手册



PRF制定了临床指南以帮助看护人和医生照顾患有早衰症的儿童和年轻人。

公众意识



PRF已通过其通讯、网站、媒体和活动接触到数千万人。

治疗发现和FDA的批准

2020年，PRF与艾格生物制药公司合作，获得了FDA对lonafarnib (Zokinvy) 的批准，这是FDA批准的首个治疗早衰症的药物。这一历史性里程碑是PRF资助的13年临床试验的结果。

Zokinvy平均延长寿命至少4.3年。



朝着治愈的方向前进

PRF在资助突破性研究方面取得了巨大进展，因为我们正朝着治愈早衰症的方向前进。

基因编辑、RNA 疗法和小分子疗法的小鼠研究已经显示出显著成果，我们希望这些成果它将很快用于临床试验以寻找未来的治疗方法。

团结一致，我们终将找到治愈方法。



欲了解更多信息，
请访问 www.ProgeriaResearch.org
发送电子邮件至 info@progeriaresearch.org
请致电 +1 (978) 535-2594