Progeria:

Progrès vers un remède

Qu'est-ce que la progeria?

(SHG)

La progeria, que l'on appelle aussi syndrome d'Hutchinson-Gilford, est une maladie génétique rare et mortelle d'accélération du vieillissement chez les enfants.

Sans traitement, les enfants qui en souffrent meurent de maladie cardiaque à l'âge moyen de 14,5 ans.

Bien qu'il n'existe pas de remède en ce moment, il existe un traitement prolongeant la vie.

Caractéristiques

Quelles sont les causes de la progeria?

Une mutation dans le gène LMNA crée une protéine, appelée **progerine**, qui rend le noyau des cellules instable et provoque un vieillissement prématuré.

Noyau de cellule en santé

Noyau de cellule avec la progeria

1 personne sur **18 millions** souffre de progeria.

La FRP estime à **400** enfants et jeunes adultes qui en souffrent à travers le monde.

La FRP a recensé moins de **moitié** enfants répartis dans 50 pays qui en sont atteints.

Copyright © 2024 The Progeria Research Foundation

Ensemble, nous découvrirons un remède!

Pour en apprendre plus, visitez www.progeriaresearch.org
info@progeriaresearch.org
Call +1 (978) 535-2594

À PROPOS DE LA FONDATION DE RECHERCHE SUR LA PROGERIA (FRP)

Mission

Découvrir des traitements et un remède contre la progeria et les troubles liés au vieillissement, y compris les maladies cardiaques.

Programmes et services de la FRP

Essais Cliniques

La FRP travaille avec l'hôpital pour enfants de Boston pour tester les traitements les plus prometteurs.

Tests Diagnostiques

La FRP offre des tests génétiques gratuits aux enfants soupçonnés d'avoir la progeria.

Financement de la Recherche

La FRP a financé pour plus de 9M\$ de nouvelles voies de recherche vers des traitements et la guérison.

Banque de Tissus et de Cellules

La FRP a distribué plus de 1200 échantillons pour faire progresser la recherche sur la progeria.

Ateliers Scientifiques Internationaux

La FRP a tenu des conférences pour des chercheurs de renommée mondiale afin qu'ils puissent collaborer et partager leurs découvertes révolutionnaires.

Registre International de Patients

Le registre de patients de la FRP permet aux enfants atteints de progeria et leurs familles de rester connectés à toutes les activités de la FRP.

Guide des Directives de Traitement

La FRP a développé des directives cliniques pour aider les soignants et les médecins à soigner les enfants et les jeunes adultes qui souffrent de progeria.

Sensibilisation du Public

La FRP a atteint des dizaines de millions de personnes grâce à ses infolettres, son site Internet, les médias et ses événements.

Découverte d'un traitement et approbation par la FDA

En **2020**, après **13 années** d'essais cliniques financés par le PRF, nous avons célébré la **toute première approbation** du lonafarnib par la FDA. Avec une utilisation à long terme, ce traitement prolonge la durée de vie de **4,5 ans** en moyenne, soit **30%**. Le médicament est également désormais approuvé en **Europe** et au **Japon**.

Progrès vers un remède

La FRP a fait **d'énormes progrès** grâce au financement de la **recherche révolutionnaire** alors que nous poursuivons le travail pour trouver un remède pour la progeria.

Des études sur les souris **d'édition génétique, thérapie par l'ARN et thérapies par petites molécules** ont montré des résultats encourageants qui, nous l'espérons, aboutiront des traitements encore meilleurs et un futur remède.

Ensemble, nous découvrirons un remède!