

プロジェリア

治療への前進



プロジェリアとは？

(HGPS)

プロジェリアはハッチンソン-ギルフォード
プロジェリア症候群(HGPS)としても知ら
れ、稀な病気で子供の老化を加速させる遺
伝的な病気です。



プロジェリアに特化した治療が
施されない場合、プロジェリア
にかかった子供は心臓病などの
疾患が原因の為、平均年齢14.5
歳で亡くなります。



現在、プロジェリアを治療
する薬がない代わりに、寿
命を延ばす為の治療法が存
在します。

特徴



プロジェリアが発症する原因は？

プロジェリアは「プロジェリン」と呼
ばれるタンパク質を作る遺伝子 LMNA
の突然変異によって引き起こされます。
このプロジェリンが細胞の核を不安
定にし、通常よりも早い速度で老化
が進行する原因になっています。



健康な細胞核



プロジェリアの細胞核

1800 万人に1人がプロ
ジェリアを発症します。

PRFは、全世界で**400人**の子
供がプロジェリアを発症してい
ると推定しています。

PRF (プロジェリア研究財団) が支援し
ているのは、現在 **50** か国に住む子供
たちの半数にも満たないことです。



Copyright © 2024 The Progeria Research Foundation

一緒に治療への道筋を探し
ましょう。



詳しくはwww.ProgeriaResearch.orgへ
メールアドレス info@progeriaresearch.org
電話番号 +1 (978) 535-2594

プロジェリア研究財団 (PRF) について

財団の使命

プロジェリアやプロジェリアが引き起こす老化や心臓疾患などの治療法や治療薬を発見する事です。



PRFが提供するプログラムやサービス

臨床実験



ボストンチルドレンズホスピタルと提携して、もっとも有益な治療法を探す検査をしています。

診断検査



プロジェリアの疑いのある子供の遺伝子検査を無料で提供しています。

研究資金



プロジェリアの治療法や治療薬などの特異な研究進歩の為に、これまで11億円以上の基金を調達しました。

細胞と細胞組織の保存



プロジェリアの更なる研究の為に1,200の細胞と細胞組織のサンプルを提供しました。

国際間の科学的なワークショップ



世界レベルの研究者達の為に会議を主催し、これまでの貴重な研究結果を提供しています。

国際患者登録



PRFへ患者登録する事によって、PRFがどのような活動を行なっているのか、患者本人や家族の皆さんとの繋がりを持つ事が出来ます。

治療法のガイドラインハンドブック



PRFは、プロジェリアの患者を世話する介護者や医師の為に臨床ガイドラインのハンドブックを作成しました。

社会への認識



PRFは今までにニュースレター、ウェブサイト、メディア、イベントなどを通して、プロジェリアへの理解を広めてきました。

治療薬の発見とアメリカ食品医薬品局 (FDA) の承認

PRFの資金による13年間にわたる臨床試験を経て、**2020**年に当社はロナファルニブ初のFDA承認を祝いました。
この治療法を長期間使用すると、寿命が平均**4.5**年、または**30%**延びることが示されています。この薬は現在、日本とヨーロッパでも承認されています。



治療への進歩

PRFは常に前進する事で**躍進的な研究**への基金を供給し、**素晴らしい進歩**を遂げました。

ネズミを使った**遺伝子編集**実験で、**リボ核酸 (RNA)**や**小分子に関連した治療**で劇的な結果が見られ、近い将来、この治療を臨床試験に導入出来る事を期待しています。

一緒に治療への道筋を探しましょう。



詳しくはwww.ProgeriaResearch.orgへ
メールアドレス info@progeriaresearch.org
電話番号 +1 (978) 535-2594