

Textentwurf | 05.10.09

Kurzübersicht: Die Progeria Research Foundation (PRF)

- Anzahl der Kinder mit Progeria-Diagnose: 52 (in 29 verschiedenen Ländern)
- Anzahl der Kinder, die mit dem PRF Diagnostik-Programm getestet wurden: 73
- Anzahl der Förderungen, die PRF seit der Gründung verliehen hat: 26
- Anzahl der Zelllinien in der PRF Zell- und Gewebe-Bank: 111
- Anzahl der Kinder, die in der PRF Forschungs-Datenbank vertreten sind: 77

Über die Progeria Research Foundation (PRF)

Die Progeria Research Foundation (PRF) wurde 1999 von Dr. Leslie Gordon und Dr. Scott Bernd gegründet, deren Kind selbst an Progeria litt. Seitdem war die PRF die treibende Kraft bei der Identifizierung des Progeria-Gens, hat Diagnosetests entwickelt, eine Zell- und Gewebe-Bank eröffnet, Basis-Förderung finanziert und eine medizinische Datenbank erstellt, um Betroffenen und Forschern zu helfen. Die PRF ist die einzige gemeinnützige Organisation, die sich ausschließlich mit der Erforschung von Behandlungs- und Heilungsmöglichkeiten für Progeria beschäftigt.

Angebot und Erfolge der Progeria Research Foundation

- **Erste klinische Progeria-Studie:** Die PRF finanziert und initiiert die weltweit erste klinische Studie zur Therapie von Progeria im Children's Hospital Boston. Getestet wird ein Farnesyltransferase-Inhibitor (FTI), ein Medikament, das bei Labor- und Tierversuchen viel versprechende Ergebnisse lieferte. Die Tests begannen im Mai 2007 und dauerten 2 ½ Jahre. Die Studie hat 2 Millionen US-Dollar gekostet, die die PRF durch Spenden finanziert hat.
- **Zell- und Gewebe-Bank:** In der PRF Zell- und Gewebe-Bank finden Forscher genetisches und biologisches Material von Progeria-Patienten und ihren Familien. Dadurch können Wissenschaftler an Heilungsmöglichkeiten für Progeria und anderen altersbedingten Krankheiten forschen. Die PRF verfügt mittlerweile über 71 Zelllinien von betroffenen Kindern (im Alter von acht Monaten bis 17 Jahren) und 40 Linien von direkten Verwandten.
- **Medizinische Datenbank:** Die Datenbank umfasst Krankenblätter von Progeria-Patienten aus der ganzen Welt. Die Daten werden kontinuierlich ausgewertet, um die besten Behandlungsmethoden zu entwickeln und die Lebensqualität der Patienten zu verbessern. Die Informationen aus der Datenbank unterstützen die Ärzte dabei, die richtigen Behandlungsentscheidungen zu treffen. Bis heute hat die PRF 77 Kinder in die Datenbank aufgenommen und drei offizielle Behandlungsempfehlungen

herausgegeben. Die Datenbank war ein entscheidender Faktor bei der Feststellung der primären klinischen Resultatsparameter für die oben genannte Progeria-Studie.

- **Diagnosetest:** Nach der Entdeckung des Progeria-Gens konnte die PRF einen Diagnosetest für Progeria entwickeln, sodass es erstmals möglich wurde eine definitive wissenschaftliche Diagnose zu stellen. Der Test ermöglicht eine frühere Diagnose, reduziert Falschdiagnosen und lässt ein früheres Eingreifen in den Krankheitsverlauf zu.
- **Wissenschaftliche Progeria-Workshops:** Die PRF hat insgesamt fünf wissenschaftliche Konferenzen ausgerichtet, auf denen Wissenschaftler und Ärzte aus der ganzen Welt ihre Erfahrungen und Ergebnisse austauschen und die Grundlagen einer weiteren Zusammenarbeit legen konnten.
- **Veröffentlichungen und Forschung:** Ein wesentliches Ziel der PRF ist es, den die Aufmerksamkeit für Progeria und die wissenschaftliche Fortschritte auf diesem Gebiete zu steigern. Deshalb hat die PRF zahlreiche Veröffentlichungen über Progeria finanziell oder mit Datenmaterial unterstützt, die in namhaften Wissenschaftsjournalen publiziert und somit tausende Wissenschaftler auf der ganzen Welt erreicht haben. Die Ergebnisse können sich sehen lassen: Die durchschnittliche Zahl an wissenschaftlichen Publikationen zu Progeria seit 2002 ist mehr als zehnmal so hoch wie die der 50 Jahre zuvor.
- **Forschungsförderung:** Die PRF hat bis heute 26 Forschungsstipendien von insgesamt 1,7 Millionen US-Dollar vergeben, die jeweils durch das ehrenamtliche medizinische Forschungs-Komitee der PRF geprüft wurden. Die Stipendien über jeweils bis zu 100.000 US-Dollar mit einer Laufzeit von bis zu zwei Jahren haben innovative Forschungsarbeit möglich gemacht.
- **Webseite/öffentliche Aufmerksamkeit:** Die Internetseite ProgeriaResearch.org bietet Besuchern neueste Erkenntnisse zur Progeria-Forschung und Informationen zu Unterstützungsmöglichkeiten und den Umgang mit der Krankheit. Die Website hat besuchen pro Monat circa 15.000 Nutzer, der PRF-Newsletter erreicht fast 10.000 Leser in 49 Ländern. Seit der Gen-Entdeckung berichteten unter anderem CNN, das Time Magazine, das Wall Street Journal und die New York Times über die Arbeit der PRF. Außerdem konnte PRF in den vergangenen Jahren durch spektakuläre Aktionen und die Zusammenarbeit mit Prominenten auf Progeria aufmerksam machen.
- **Progeria Familien-Beratung – Forum und Chat:** Die Online-Tools geben betroffenen Familien die Möglichkeit, miteinander in Kontakt zu treten, sich auszutauschen und gegenseitig zu unterstützen.

Die Köpfe der Progeria Research Foundation

- **Audrey Gordon, Präsidentin und Geschäftsführerin, Mitbegründerin:** Audrey Gordon betreut alle administrativen Vorgänge der Progeria Research Foundation, wie z.B. die Koordination von Aufsichtsrat-Aktivitäten, Spenden-

Veranstaltungen, Freiwilligen-Programme, Stipendienausschreibungen, medizinischer Forschungsprojekten etc.

- **Dr. Leslie B. Gordon, Medizinische Leiterin, Mitbegründerin:** Dr. Leslie B. Gordon gründete die Progeria Research Foundation zusammen mit Freunden und Familie, nachdem bei ihrem Sohn Sam Progeria diagnostiziert wurde. Als Medizinische Leiterin kontrolliert sie unter anderem das Diagnostest-Programm und die Zell- und Gewebedatenbank. Sie ist Junior-Professor für pädiatrische Forschung an der Warren Alpert Medical School of Brown University und am Hasbro Children's Hospital.
- **Dr. Scott D. Berns, Aufsichtsratsvorsitzender, Mitbegründer:** Dr. Scott D. Berns ist Sams Vater und dient der Organisation als Aufsichtsratsvorsitzender. Außerdem ist er ausgebildeter Pädiater.
- **Steve, Sandy, Megan, Michaela und John Nighbor, PRF Botschafter-Familie:** Seit April 2005 ist die Familie der achtjährigen Megan Nighbor Botschafter-Familie der PRF. Die Nighbors sind wichtiger Bestandteil der Bemühungen der PRF, die Öffentlichkeit für Progeria zu sensibilisieren und betroffene Familien in die Programme der PRF zu involvieren.