



NAJVAŽNIJE ČINJENICE, januar 2011.

Naša misija: da otkrijemo uzrok, terapiju i lek za Hatčinson-Gilfordov progerija sindrom i poremećaj prevremenog starenja koji ga prati.

FIP U BROJKAMA:

Deca koja žive sa progerijom : 78 u 31 zemlji

Deca testirana u Dijagnostičkom program FIP-a: 88

Odobrenih donacija od osnivanja FIP-a: 33

Ćelijskih linija u FIP-ovoj Banci ćelija i tkiva: 151

Dece u FIP-ovoj Medicinskoj i istraživačkoj bazi podataka: 97

Ukupno prikupljeno novca

od 1999. do 2010: \$9.738.084

85-90% godišnjih troškova FIP-a se troši na njegove programe i usluge.

Podrška koju dobijamo omogućila je otkrivanje gena progerije, kliničke studije o progeriji i sva naša dostignuća. Uz stalnu podršku naših prijatelja, dobićemo ovu trku s vremenom i pronaći terapiju i lek za ovu posebnu decu i možda pomoći i milionima ljudi koji pate od bolesti srca i drugih bolesti povezanih sa starenjem.

Šta je progerija?

Hatčinson-Gilfordov sindrom, "Progerija" ili "HGPS" je redak, smrtonosni, genetski poremećaj koga karakteriše pojava ubrzanog starenja kod dece. Sva deca obolela od progerije umiru od iste bolesti srca koja pogađa milione starih, normalnih ljudi (arterioskleroza), ali umesto od nje obole sa 60 ili 70 godina, ova deca doživljavaju srčane udare čak i pre desete godine. Neobično je to što progerija ne utiče na um obolele dece i uprkos zapanjujućim fizičkim promenama, ova izuzetna deca su pametna, hrabra i puna života.

Šta je FIP?

Fondaciju za istraživanje progerije (FIP) su 1999. godine osnovali roditelji deteta sa progerijom, dr Lesli Gordon i Skot Berns, kao i mnogi prijatelji i članovi porodice koji su uvideli da postoji potreba za medicinskim resursima za doktore, pacijente i članove porodice obolelih, kao i za finansiranjem istraživanja progerije. Od tada je FIP pokretačka sila iza otkrića gena progerije, i razvio je programe i usluge za pružanje pomoći obolelima od HGPS-a, kao i naučnicima koji sprovode istraživanja o progeriji. Danas je FIP jedina neprofitna organizacija posvećena isključivo nalaženju terapije i leka za progeriju. FIP se smatra uzorom organizacijama za istraživanje bolesti i pravim primerom translacionog istraživanja, koje je napredovalo od početka, preko otkrića gena do kliničkih studija za samo 10 godina.

Programi i usluge FIP-a

- ❖ **Prva klinička studija o progeriji:** FIP je finansirala i upravljala prvom kliničkom studijom o progeriji 2 miliona dolara, održanom u Bostonu, u saradnji sa Bostonskom dečijom bolnicom (CHB), Institutom Dejna-Farber i and Brigam bolnicom. Lek koji se proučava se zove inhibitor farnesiltransferaza, ili FTI, i dobro se pokazao u laboratorijskim ispitivanjima i ispitivanjima na životinjama. U studiju je uključeno 28 dece iz 16 zemalja, uzrasta od 3 do 15 godina. Ukoliko se lek pokaže efikasnim, biće to značajan korak ka izlečenju.

Od početka prve studije, naučnici su otkrili dva dodatna leka koji, u kombinaciji sa FTI, mogu pružiti efikasniju terapiju dece sa progerijom nego jedan lek. FIP je brzo krenuo u istraživanje tih novih mogućnosti, i sa CHB započeo drugu kliničku studiju u avgustu 2009. "Studija tri leka" je mnogo većeg obima nego prva i uključuje 45 dece iz 27 zemalja koja govore 17 različitih jezika.

- ❖ **FIP-ov Internacionalni registar progerije** sadrži podatke o porodicama i deci sa progerijom iz. To nam omogućava brzu razmenu novih informacija koje mogu pomoći deci. .

- ❖ **FIP-ova banka ćelija i tkiva:** FIP-ova banka ćelija i tkiva obezbeđuje naučnicima genetski i biološki material pacijenata sa progerijom I njihovih porodica, omogućavajući tako istraživanje progerije i drugih bolesti povezanih sa starenjem koje nas može dovesti do pronalaska leka. FIP je prikupio neverovatnih 90 ćelijskih linija od obolele dece širom sveta (starosti od 2 meseca do 17 godina) i 61 liniju od njihovih najbližih rođaka.
- ❖ **Medicinska i istraživačka baza podataka:** U bazi podataka su prikupljeni svi medicinski podaci pacijenata širom sveta. Podaci se pažljivo analiziraju da bismo bolje razumeli progeriju i razvili strategiju lečenja. 2010. godine, te analize su pomogle u stvaranju priručnika sa preporukama za očuvanje zdravlja i poboljšanje kvaliteta života
- ❖ **Dijagnostičko testiranje:** Odmah nakon otkrića gena 2003. godine, FIP je razvio program dijagnostičkog testiranja na progeriju da bi deca, njihove porodice i lekari znali tačnu, naučno potvrđenu dijagnozu. To je dovelo do bržeg postavljanja dijagnoza, manje pogrešnih dijagnoza i brže medicinske intervencije koja je obezbedila bolji kvalitet života dece.
- ❖ **Naučne radionice o progeriji:** FIP je organizovao 6 naučnih konferencija koje su okupile naučnike i lekare iz celog sveta da bi razmenili znanja i najnovija naučna otkrića, i udružili snage u borbi protiv ove razorne bolesti.
- ❖ **Dotacije za istraživanja:** FIP je dodelio 33 dotacije ukupne vrednosti preko 2.500.000 dolara kroz ekspertsku proveru našeg Komiteta za medicinsko istraživanje. Stipendije u visini do 100.000 dolara u periodu od dve godine, omogućile su napredak inovativnih istraživanja progerije.
- ❖ **Publikacije i istraživanja:** I klinički i samostalni naučnici imaju pristup dotacijama, ćelijama i tkivima, i bazi podataka; njihova otkrića su objavljivana u uglednim naučnim žurnalima. Prosečan broj objavljenih radova o progeriji od 2002. godine je 12 puta veći nego u poslednjih 50 godina.
- ❖ **FIP-ov prevodilački program: *U dodiru sa svetom*** Uz istaknuti globalni opseg, FIP uklanja prepreke u komunikaciji među pacijentima i njihovim porodicama širom sveta. Uz pomoć ove inicijative program FIP-a i medicinski material uspešno su prevedeni na 20 različitih jezika.
- ❖ **Internet stranica/pažnja javnosti:** ProgeriaResearch.org nudi pristup najnovijim informacijama o istraživanju progerije, podršku i edukaciji porodica i negovatelja. FIP-ov bilten dobija 13.000 ljudi u preko 60 zemalja. Priča o FIP-u pojavila se na televiziji CNN, u emisijama *The Dr. Oz Show*, *Primetime Live*, *Dateline*, i *The Today Show*, kao i u magazinima *Time* i *People*, novinama *The New York Times*, *The Wall Street Journal* (na naslovnoj atrani!) i drugim komercijalnim medijima .

U oktobru 2009., FIP i njen partner GlobalHealthPR pokrenuli su globalnu kampanju podizanja svesti **Pronadimo preostalih 150**, da bi pronašli neotkrivenu decu sa progerijom širom sveta with Progeria worldwide. Uz pomoć kampanje, FIP je pronašao nove porodice dece sa progerijom kojima je potrebna naša pomoć.

KO JE KO U FIP-U?

Odri Gordon, predsednica i izvršna direktorka, suosnivač

Odri Gordon nadgleda sve administrativne aspekte Fondacije za istraživanje progerije, uključujući aktivnosti glavnog odbora, prikupljanje sredstava, odobravanje dotacija, upravljanje istraživačkim projektima i volonterske programe.

Dr med. Lesli B. Gordon, medicinski direktor, suosnivač

Dr Gordon je osnovala Fondaciju za istraživanje progerije sa svojom porodicom i prijateljima nakon što je njenom sinu Semu dijagnostikovana progerija. Dr Gordon nadgleda program dijagnostičkog testiranja, banku ćelija i tkiva i istraživačku bazu podataka, i takođe je jedan od voditelja kliničke studije o progerije. Ona je vanredni profesor istraživačke pedijatrije Medicinske škole Voren Alpert na univerzitetu Braun i u Hasbro dečijoj bolnici u Providensu, Roud Ajlend i stalno zaposleni naučnik u Bostonskoj dečijoj bolnici i Medicinskoj školi univerziteta Harvard.

Dr med. Skot D. Berns, predsednik odbora, suosnivač

Dr Berns, Semov otac, je suosnivač Fondacije za istraživanje progerije i predsednik njenog odbora. On je sertifikovani pedijatar i profesor pedijatrije u školi Alpert na univerzitetu Braun.

Tina, Brendon, Britani i Zek Pikard, FIP-ova ambadorska porodica

U januaru 2010. porodica trogodišnjeg Zeka Pikarda imenovana je ambadorskom porodicom FIP-a. Pikardovi žive u Leksingtonu, Kentaki, i igraju veliku ulogu u FIP-ovim naporima da se podigne nivo svesti u javnosti, da se u naše programe uključe i druge porodice i prikupi novac za istraživanja. Zahvalni smo im za vreme i trud koje ulažu u ove važne aktivnosti.