సెప్టెంబర్, 2012 నాటికి కొన్ని వాస్తవాలు

లక్ష్యం: హచిన్సన్-గిల్ఫోర్డ్ ప్రోజేరియా సిండ్రోమ్ మరియు దాని వయస్సుకు సంబంధించిన వ్యాధుల కోసం చికిత్సలు కనుగొనడం మరియు వ్యాధి నయం చేయడం

పి.ఆర్.ఎఫ్ సంస్థ - సంఖ్యలో:

- ప్రోజేరియా తో జీవిస్తున్న పిల్లలను గుర్తించింది: 35 దేశాలలో 96
- పి.ఆర్.ఎఫ్ ప్రాయోజితం చేస్తున్న క్లినికల్ ఔషధ ప్రయోగాలు: 3
- మంజూరు అయిన నిధులు: 43, మొత్తం $ 3.5 మిలియన్లు పైగా
- పి.ఆర్.ఎఫ్ సెల్ & టిష్యూ బ్యాంకు లో కణ తంతువులు: 184
- పి.ఆర్.ఎఫ్ వైద్య మరియు పరిశోధన డేటాబేస్ లో పిల్లలు: 117
- ప్రోజేరియా మీద అంతర్జాతీయ శాస్త్ర కార్ఖానాలు (వర్క్ షాప్‌లు): 7
- పి.ఆర్.ఎఫ్ కార్యక్రమం మరియు వైద్య సంరక్షణ పదార్థాలు అనువాదం చేస్తూన్న భాషల సంఖ్య: 20
- ప్రోజేరియా జన్యువు ఆవిష్కరించినపట్టి నుండి శాస్త్రీయ ప్రచురణల పెరుగుదల: 1,500%

మొత్తం వెచ్చించిన డాలర్లు

1999 *నుంచి* జూన్ 2012 *వరకి:* **$12,662,111**

పి.ఆర్.ఎఫ్ యొక్క 85% వార్షిక ఖర్చులు నిరంతరంగా దాని కార్యక్రమాలు మరియు సేవలకు అంకితం చేయబడుతున్నాయి.

మాకు అందిన మద్దతు వల్ల ప్రోజేరియా జన్యువు ఆవిష్కరణ, ప్రోజేరియా క్లినికల్ ట్రయల్స్ మరియు మా ఇతర అసాధారణ పురోగతి సాధ్యమయ్యాయి. ప్రస్తుత మరియు కొత్త మద్దతుదారులు యొక్క సహాయంతో, మేము సమయానికి వ్యతిరేకంగా ఈ పోటిలలో గెలుస్తాం. ఈ ప్రత్యేక పిల్లల స్వస్థత కోసం చికిత్సలు మరియు ఉపశమనాలు కనుగొంటాము. అంతేకాకుండా, ప్రోజేరియా ఆవిష్కరణలు గుండె వ్యాధి మరియు మనందరినీ ప్రభావితం చేసే వృద్ధాప్యం గురించి నేర్పుతుంది.

ప్రోజేరియా అనగా ఏమిటి?

ప్రోజేరియాని హచిన్సన్- గిల్ఫోర్డ్ ప్రోజేరియా సిండ్రోమ్ (హెచ్ జి పి ఎస్) అని కూడా పిలుస్తారు. ప్రోజేరియా అనేది ఒక అరుదైన ప్రాణాంతకమైన జన్యు పరిస్థితి. దీని వలన పిల్లల్లో వేగవంతమైన వృద్ధాప్యం కనిపిస్తుంది. లక్షలాది సాధారణ పెద్దలు గుండె జబ్బుకు (అర్తెరిఒస్క్లెరొసిస్) ప్రభావితం అవుతారు. అదే గుండె జబ్బు వల్ల ఈ ప్రోజేరియాతో బాధపడే పిల్లలందరూ మరణిస్తారు. కానీ 60 లేదా 70 సంవత్సరాలకు సంభవించే బదులు ఈ గుండె జబ్బు 10 సంవత్సరాల కంటే తక్కువ వయసు పిల్లలో కనిపిస్తుంది.

ప్రోజేరియా పిల్లల యొక్క తెలివి చెక్కుచెదరదు, వారి యువ విభాగాలలో ఆశ్చర్య కరమైన భౌతిక మార్పులు ఉన్నప్పటికీ, ఈ అసాధారణ పిల్లలు తెలివి, ధైర్యం, మరియు సంపూర్ణ జీవితం కలిగి ఉంటారు.

పి.ఆర్.ఎఫ్ అంటే ఏమిటి?

ప్రోజేరియాతో బాధపడుతున్న ఒక బిడ్డ యొక్క తల్లిదండ్రులు- లెస్లీ గోర్డాన్ మరియు స్కాట్ బెర్న్స్, మరియు అనేక ప్రత్యేక స్నేహితులు మరియు కుటుంబం, 1999 లో ఈ ప్రోజేరియా రీసెర్చ్ ఫౌండేషన్ (పి. ఆర్. ఎఫ్ -PRF) ని స్థాపించారు. వైద్యులకు, రోగులకు మరియు ప్రోజేరియాతో బాధపడుతున్న కుటుంబాలకు వైద్య పరిశోధన వనరుల అవసరాన్ని వీళ్ళు చూసారు. అప్పటి

నుంచి ప్రోజేరియా జన్యువు ఆవిష్కరణ మరియు మొట్టమొదటి ప్రోజేరియా మందు కనుగొనుట వెనుక పి. ఆర్. ఎఫ్ ఒక చోదక శక్తిగా నిలిచింది. ప్రోజేరియా బారినపడ్డ పిల్లలకు మరియు ప్రోజేరియా పరిశోధన శాస్త్రవేత్తలకు సహాయంగా పి. ఆర్. ఎఫ్ అనేక కార్యక్రమాలు మరియు సేవలు అభివృద్ధి చేసింది. నేడు పి. ఆర్. ఎఫ్ మాత్రమే చికిత్సలు మరియు ప్రోజేరియా కోసం నివారణ కనుగొనడంలో అంకితమైన ఒకే ఒక్క లాభాపేక్ష లేని సంస్థ. విజయవంతమైన అనువాద పరిశోధన సంస్థకు ఒక ప్రధాన ఉదాహరణంగా పి. ఆర్. ఎఫ్ నిలిచింది. కేవలం 13 సంవత్సరాలలో సృష్టి నుండి, జన్యు ఆవిష్కరణ వరకి మరియు మొట్టమొదటి మందు కనుగనడం వరకి వెళ్ళింది.

పి. ఆర్. ఎఫ్ యొక్క కార్యక్రమాలు మరియు సేవలు:

- **మొట్టమొదటి ప్రోజేరియా వైద్యసంబంధ ఔషధ ప్రయోగాలు మరియు చికిత్స:** పి.ఆర్.ఎఫ్ ప్రాయోజిత క్లినికల్ ఔషధ ప్రయోగాలు ప్రపంచవ్యాప్తంగా ప్రోజేరియా పిల్లలని తీసుకొచ్చి వారి చికిత్సలకు తోడ్పద్తుంది. దీని వలన వారి వ్యాధి మెరుగు పడవచ్చు లేదా వారి ఆయువు పెరగవచ్చు. ***2012 లో, ఫర్నేస్య్ల ట్రాన్స్ఫ్ రేసే ఇన్హిబిటోర్ (ఎఫ్ టి ఐ- FTI) కనుగొనుట వలన ఒక చరిత్ర సృష్టింపబడింది. ఇది ప్రోజేరియా కోసం మొట్టమొదటి చికిత్స. వ్యాధి నయం చేసే దిశలో ఇది ఒక చెప్పుకోదగిన అడుగు.*** పి.ఆర్.ఎఫ్ ఇతర హామీయుత మందులు అన్వేషించడం కొనసాగిస్తుంది. ప్రస్తుతం "ట్రిపుల్ డ్రగ్ ట్రయల్" సహా నిధులు మరియు సమన్వయం కోసం తోడ్పడుతుంది. "ట్రిపుల్ డ్రగ్ ట్రయల్" - 2 ఇతర ఔషధాలతో ఎఫ్ టి ఐ (FTIs) పరీక్ష చేయుట. మొత్తంగా, పి.ఆర్.ఎఫ్ చికిత్స పరీక్షల కోసం 24 దేశాల నుంచి 47 పిల్లలను బోస్టన్ కు తెచ్చింది

- **అంతర్జాతీయ ప్రోజేరియా రిజిస్ట్రీ:** ప్రోజేరియా తో జీవిస్తున్న పిల్లలు మరియు కుటుంబాల కేంద్రీకృత సమాచారం నిర్వహిస్తుంది. పిల్లల ప్రయోజనం కొరకు ఏవైనా కొత్త సమాచారం ఉంటే వాటిని వేగంగా పంపిణీ చేయడానికి ఇది హామీ ఇస్తుంది.

- **కణం & కణజాలం బ్యాంకు:** ప్రోజేరియా పిల్లల మరియు వారి కుటుంబాల యొక్క జన్యు మరియు జీవ పదార్థాన్ని పి.ఆర్.ఎఫ్ బ్యాంకు పరిశోధకులు అందిస్తుంది, తద్వారా ప్రోజేరియా మరియు ఇతర వృద్ధాప్య సంబంధ వ్యాధుల పైన పరిశోధన నిర్వహించవచ్చు. పి.ఆర్.ఎఫ్ ప్రపంచవ్యాప్తంగా సంక్రమిత పిల్లల నుండి ఒక 113 కణ తంతువులు సేకరించింది (వయస్సు- 2 నెలల నుండి 17 సంవత్సరాలు) మరియు వారి దగ్గరి బంధువులకు నుండి 71 కణ తంతువులు, ఇంకా 9 ఇండ్యుసడ్ ప్లురిపోటేంట్ స్టెమ్ సెల్ (ఐ పి ఎస్ సి- IPSC) కణ తంతువులను కూడా సేకరించింది.

- **వైద్య & పరిశోధన డేటాబేస్:** డేటాబేస్ ప్రపంచవ్యాప్తంగా ప్రోజేరియా రోగుల వైద్య సమాచార సేకరణ కేంద్రం. డేటా ఖచ్చితంగా విశ్లేషించబడుతుంది. ఇది మాకు ప్రోజేరియా గురించి మరింత అర్థం చేసుకోవడానికి మరియు చికిత్స సిఫార్సులకు తోడ్పడుతుంది. 2010 లో ఈ విశ్లేషణ పి.ఆర్.ఎఫ్ యొక్క సమగ్ర ఆరోగ్య హ్యాండ్ బుక్ కు దోహదపడింది. ప్రోజేరియా జీవితం యొక్క నాణ్యత పెరుగుదల లక్ష్యంగా దీనిని రచించారు. ఈ హ్యాండ్ బుక్ ఆంగ్లం, స్పానిష్ మరియు పోర్చుగీస్ లో అందుబాటులో ఉంది.

- **వ్యాధి నిర్ధారణ పరీక్ష:** పిల్లలు, వారి కుటుంబాలు మరియు వైద్య సంరక్షకులు ఒక నిశ్చయాత్మక, శాస్త్రీయ నిర్ధారణ పొందవచ్చు కనుక ఈ కార్యక్రమం 2003 జన్యు ఆవిష్కరణ నేపథ్యంలో అభివృద్ధి చేయబడింది. ప్రారంభలోనే వ్యాధి నిర్ధారణ,

ఫోన్ నంబర్: (978) 535-2594 * info@progeriaresearch.org * www.progeriaresearch.org (సెప్టెంబరు 24, 2012, నవీకరించబడింది)

తక్కువ తప్పు నిర్ధారణలు మరియు మొదట్లోనే వైద్య ప్రమేయం వల్ల పిల్లలకు నాణ్యతమైన జీవితం అందించడం సాధ్యమవుతుంది

- **ప్రొజేరియా మీద శాస్త్రీయ కార్ఖానాలు/వర్క్ షాప్:** పి.ఆర్.ఎఫ్ 7 శాస్త్రీయ సమావేశాలను నిర్వహించింది. ఈ విధ్వంసకర వ్యాధి పోరాటంలో వారి నైపుణ్యంతో పాటు అత్యాధునికమైన శాస్త్రీయ డేటా, మరియు సహకారం పంచుకునేందుకు ప్రపంచవ్యాప్తంగా శాస్త్రవేత్తలను మరియు వైద్యులను ఈ సమావేశాలు దగ్గరకి తీసుకువచ్చాయి .

- **పరిశోధన నిధులు:** మా స్వచ్ఛంద మెడికల్ రీసెర్చ్ సంఘం ద్వారా పి.ఆర్.ఎఫ్ 43 పరిశోధన నిధులను ప్రదానం చేసింది. వీటి విలువ మొత్తం $ 3.5 మిలియన్లు కు పైగా ఉంటుంది. మూడు సంవత్సరాలు, సంవత్సరానికి $ 100,000 వరకు అవార్డులు ప్రొజేరియా సృజనాత్మక కొత్త పరిశోధనల అభివృద్ధికి తోడ్పడుతుంది.

- **ప్రచురణలు మరియు పరిశోధన:** వైద్యసంబంధ మరియు ప్రాథమిక శాస్త్రవేత్తలు పి.ఆర్.ఎఫ్ యొక్క నిధులు, కణాలు, కణజాలాలు మరియు డేటాబేస్ ఉపయోగించారు. వారి ఆవిష్కరణలు ఉన్నతమైన శాస్త్రీయ పత్రికలలో ప్రచురితం అయ్యాయి. క్రితం 50 సంవత్సరాల కంటే 2002 నుంచి ప్రొజేరియా మీద శాస్త్రీయ ప్రచురణల వార్షిక సగటు సంఖ్య 15 కంటే ఎక్కువ సార్లు పెరిగింది.

- **పి.ఆర్.ఎఫ్ అనువాద కార్యక్రమం:** *ప్రపంచతో సన్నిహితంగా.* ప్రపంచవ్యాప్త ఉనికి చేత పి.ఆర్.ఎఫ్ ప్రపంచవ్యాప్తంగా రోగుల కోసం మరియు వారి కుటుంబాల కోసం సమాచార ప్రసారానికి అవరోధాలను తొలగిస్తుంది. 20 వివిధ భాషలలో పి.ఆర్.ఎఫ్ కార్యక్రమాలు మరియు వైద్య సంరక్షణ పదార్థాలు అనువదించటంలో ఈ ప్రయత్నం విజయం సాధించింది.

- **ప్రజా అవగాహన:** ProgeriaResearch.org - ప్రొజేరియా పరిశోధన మరియు కుటుంబాల మద్దతు కోసం తాజా సమాచారాన్ని అందిస్తుంది. పి.ఆర్.ఎఫ్ యొక్క వార్తాలేఖలు 61 దేశాల్లో 30,000 మందికి పైగా చేరుకుంటుంది. పి.ఆర్.ఎఫ్ యొక్క కథ సి ఎన్ ఎన్, డాక్టర్ ఒజ్ షో, ప్రైమ్ టైం, డేట్ లైన్ మరియు టుడే షో, టైమ్ అండ్ పీపుల్ మాగజైన్, న్యూ యార్క్ టైమ్స్, వాల్ స్ట్రీట్ జర్నల్ మరియు అనేక ఇతర విస్తృతంగా చదవబడే ప్రసార మాధ్యమాల్లో కనిపించింది. ప్రపంచవ్యాప్తంగా ప్రొజేరియా పిల్లలను కనుగొని వారికి అవసరమైన సహాయం అందించడానికి, పి.ఆర్.ఎఫ్ మరియు వారి భాగస్వామి GlobalHealthPR (గ్లోబల్ హెల్త్ పి ఆర్), " ఫైండ్ ది అథర్ 150" (www.findtheother150.org) అనే పేరుతో ఒక అంతర్జాతీయ అవగాహన ప్రచారం నిర్వహించింది.

ఎవరు ఎవరు?

ఆడ్రీ గోర్డాన్, Esq., ప్రెసిడెంట్ మరియు ఎగ్జిక్యూటివ్ డైరెక్టర్, సహ వ్యవస్థాపకులు

శ్రీమతి గోర్డాన్ బోర్డ్ ఆఫ్ డైరెక్టర్స్ చర్యలు, నిధుల సమీకరణ, నిధుల సమర్పణలు, వైద్య పరిశోధన ప్రణాళికల పరిపాలన, ప్రజా అవగాహన కార్యక్రమాలు మరియు స్వచ్ఛంద కార్యక్రమాలు సహా ప్రోజేరియా రీసెర్చ్ ఫౌండేషన్ అన్ని నిర్వాహక అంశాలను పర్యవేక్షిస్తుంది.

లెస్లీ బి. గోర్డాన్, MD (ఎం డి), PhD (పి హెచ్ డి), మెడికల్ డైరెక్టర్, సహ వ్యవస్థాపకులు

ఆమె కుమారుడు సామ్, ప్రోజేరియా వ్యాధి నిర్ధారణ తరువాత డాక్టర్ లెస్లీ గోర్డాన్ తన స్నేహితులు మరియు కుటుంబంతో కలిసి పి ఆర్ ఎఫ్ సంస్థని స్థాపించారు. డాక్టర్ గోర్డాన్ పి ఆర్ ఎఫ్ యొక్క పరిశోధన సంబంధిత కార్యక్రమాలు పర్యవేక్షిస్తున్నారు మరియు ప్రోజేరియా క్లినికల్ ఔషధ ప్రయోగాలకు ఒక సహ అధ్యక్షులుగా ఉన్నారు. ఆమె వారెన్ అల్పెర్ట్ మెడికల్ స్కూల్ ఆఫ్ బ్రౌన్ యూనివర్సిటీ మరియు హాస్బ్రో చిల్డ్రన్స్ హాస్పిటల్ లో శిశు వైద్యచికిత్స పరిశోధన లో అసోసియేట్ ప్రొఫెసర్. అంతేకాకుండా బోస్టన్ చిల్డ్రన్స్ ఆస్పత్రి మరియు హార్వర్డ్ మెడికల్ స్కూల్ వద్ద ఒక స్టాఫ్ శాస్త్రవేత్త.

స్కాట్ డి బెర్న్స్, MD (ఎం డి), MPH (ఎం పి హెచ్), FAAP (ఎఫ్ ఎ ఎ పి), పి.ఆర్.ఎఫ్ బోర్డు ఛైర్మన్, సహ వ్యవస్థాపకులు

డాక్టర్ బెర్న్స్ (సామ్ యొక్క తండ్రి) ప్రోజేరియా రీసెర్చ్ ఫౌండేషన్ యొక్క సహ వ్యవస్థాపకుడు మరియు బోర్డు ఛైర్మన్ గా సేవలు అందిస్తున్నారు. వారు బ్రౌన్ యూనివర్సిటీ యొక్క అల్పెర్ట్ మెడికల్ స్కూల్ వద్ద ఒక సర్టిఫైడ్ బోర్డ్ శిశువైద్యుడు మరియు శిశు వైద్యచికిత్స యొక్క క్లినికల్ ప్రొఫెసర్. అతను డిప్యూటీ మెడికల్ డైరెక్టర్ మరియు మార్చి ఆఫ్ డైమ్స్ వద్ద చాప్టర్ ప్రోగ్రామ్స్ సీనియర్ వైస్ ప్రెసిడెంట్.

టీనా, బ్రాండన్, బ్రిటనీ మరియు జాచ్ పికార్డ్, పి ఆర్ ఎఫ్ సంస్థ యొక్క అంబాసిడర్ కుటుంబం

ఈ కుటుంబం లెక్సింగ్టన్, కెంటకీ (అమెరికా)లో నివసిస్తున్నారు. ప్రజా అవగాహన పెంచటానికి పి ఆర్ ఎఫ్ యొక్క ప్రయత్నాలలో వీరు ఒక అంతర్భాగం. మా కార్యక్రమాలలో ఇతర కుటుంబాలను చేర్చేందుకు మరియు పరిశోధన కోసం నిధులు సేకరించేందుకు వీరు సహాయపడుతున్నారు. ఈ ముఖ్యమైన కార్యకలాపాలలో అంకితం చేసే వారి సమయాన్ని మరియు ప్రయత్నాన్ని అభినందిస్తున్నాము