



## La Fundación para la Investigación de la Progeria DATOS BÁSICOS

**MISIÓN:** *Para descubrir la curación y tratamiento eficaz de la Progeria y otros desórdenes relacionados al envejecimiento.*

### Total de Fondos Recaudados (En Dólares)

En el año 2006: **\$1,604,000**  
1999 a Dic. 2006: **\$3,973,842**

88% de donaciones hechas a la PRF van directamente a apoyar nuestros programas y servicios.

El apoyo que hemos recibido hizo posible el descubrimiento del gene de la Progeria y todo el gran progreso hecho desde ese momento posible. Con la ayuda continua de nuestros auspiciadores, ganaremos esta carrera contra el tiempo y hallaremos la cura para estos niños tan especiales – y tal vez ayudemos a millones mas quienes sufren de enfermedades cardíacas y otras enfermedades relacionadas al envejecimiento.

- ❖ Número de casos conocidos de Progeria en los Estados Unidos: 11
- ❖ Número de casos conocidos de Progeria por todo el mundo: 45 niños en 23 países
- ❖ Número de los niños examinados con programa de diagnóstico del PRF: 56
- ❖ Número de los niños examinados quiénes fueron diagnosticadas con Progeria: 37
- ❖ Número de las concesiones financiadas por el PRF desde descubrimiento del gene de la Progeria: 15
- ❖ Número de las concesiones financiadas desde el establecimiento de PRF: 21
- ❖ Número de líneas celulares experimentales en el Banco de Células y Tejido Fino de niños con Progeria: 61

### ¿Qué es la Progeria?

Progeria, también conocido como el síndrome de Progeria Hutchinson-Gilford (HGPS por sus siglas en inglés), es una condición genética rara y fatal, caracterizada por la apariencia del envejecimiento acelerado en niños. **Todos los niños con el diagnóstico de Progeria mueren de la misma enfermedad de corazón que afecta a millones de adultos normales los cuales envejecen normalmente (arteroesclerosis)**, pero en lugar de sufrir esta condición a los 60 o 70 años de la edad, estos niños pueden sufrir apoplejías/derrames y ataques del corazón a los 5 ó 6 años de edad. Notablemente, la intelecto de niños con Progeria no es afectado, y a pesar de cambios físicos alarmantes en sus cuerpos jóvenes, estos niños extraordinarios son inteligentes, divertidos, y llenos de vida.

### ¿Qué es la Fundación para la Investigación de Progeria (PRF por sus siglas en inglés)?

La Fundación para la Investigación de Progeria (PRF) fué establecida en 1999 por los padres de un niño con Progeria, los doctores Leslie Gordon y Scott Berns, y muchos amigos dedicados y familia los cuáles vieron la necesidad de un recurso médico para los médicos, pacientes, y familias de aquellas personas afectadas por la Progeria, y para financiar la investigación de la Progeria. Desde ese momento, la PRF se ha convertido en la fuerza impulsora detrás del descubrimiento del gene de la Progeria, y ha desarrollado una prueba de diagnóstico, célula y banco de célula y tejido fino, comités para recaudar donaciones, y base de datos médica para ayudar a éstos afectados por HGPS y esos investigadores que desean formar parte y conducir la investigación de la Progeria. Hoy, la PRF es la única organización sin fines de lucro dedicada exclusivamente a encontrar tratamientos y la cura para la Progeria.

### PROGRAMAS Y SERVICIOS DE LA FUNDACIÓN PARA LA INVESTIGACIÓN DE LA PROGERIA

- ❖ **Primer estudio clínico de la droga de Progeria:** Los estudios recientes han pavimentado la manera para que la **Fundación para la Investigación de la Progeria** financie un estudio clínico para los niños con Progeria, usando una droga llamada el inhibidor del farnesyltransferase (FTI). En julio del 2006, lanzamos una campaña para recautar \$2 millones de dólares para financiar este estudio de la droga, y al presente hemos recaudado un poco mas de la mitad de ésta meta.
- ❖ **Banco de Células y de Tejido Fino:** El Banco de Células y de Tejido Fino de la PRF provee a los investigadores médicos el material genético y biológico de pacientes de Progeria y de sus familiares, con el fin de realizar estudios investigativos sobre la Progeria y otras enfermedades relacionadas al envejecimiento prematuro a fin de traernos más cerca a su curación. La PRF ha colectado y establecido un impresionante 61 líneas celulares experimentales de niños afectados alrededor del mundo (con las edades extendiéndose de los 8 meses a 17 años), y otras 38 líneas de los parientes inmediatos de estos niños.

¿PREGUNTAS? LLÁMENOS: (978) 535-2594 \* [info@progeriaresearch.org](mailto:info@progeriaresearch.org) \* [www.progeriaresearch.org](http://www.progeriaresearch.org)

(Revisado Enero 2007)

- ❖ **Base de Datos Médicos y de Investigación:** La base de datos es un archivo de expedientes médicos de los pacientes de Progeria de todas partes del mundo. Los datos son analizados rigurosamente para determinar el mejor curso de tratamientos a fin de mejorar la calidad de vida del paciente. Esta información es inestimable para que el médico que atiende dirija a familia hacia el mejor tratamiento. Hasta la fecha, la PRF ha enlistado a 62 niños en el programa, y ha publicado tres recomendaciones formales de salud: Cuidado cardíaco, Nutrición, y Terapia Ocupacional/Terapia Física.
- ❖ **Prueba del Diagnóstico:** La PRF desarrolló una prueba de diagnóstico para Progeria como consecuencia del descubrimiento en el año 2003 del gene causante de la Progeria para poder dar por primera vez niños, sus familias y asistentes médicos un diagnóstico definitivo, científico. Esto se puede traducir a diagnósticos más tempranos, menos errores en diagnósticos y la intervención médica temprana para asegurar una mejor calidad de la vida para los niños.
- ❖ **Talleres Científicos sobre la Progeria:** La PRF ha organizado cuatro conferencias científicas las cuáles han reunido a científicos y a clínicos de todas partes del mundo para compartir sus experiencias y los más recientes avances científicos, a fin de fomentar la colaboración en la lucha contra esta devastadora enfermedad mortal.
- ❖ **Publicaciones e Investigación:** Una meta importante de la PRF es promover el conocimiento de la Progeria y del progreso que se ha hecho en el campo de la investigación de Progeria. Las docenas de publicaciones en Progeria, muchas de el cual reconocen la ayuda de la concesiones de la PRF o la ayuda de la PRF al proporcionar células se han publicado en diarios científicos reconocidos, respetados, los cuáles son leídos por millares de investigadores alrededor del mundo. ¡Desde el año 2002, aproximadamente 60 publicaciones científicas han aparecido, comparado a menos de 2 por el año por los 50 años anteriores, dando por resultado un aumento en las publicaciones de Progeria de el 550%!
- ❖ **Concesiones Investigativas:** La PRF ha hecho 21 concesiones investigativas con la revisión de par por nuestro Comité de Investigación Médico Voluntario. Las concesiones de hasta \$100,000.00, por hasta dos años, han permitido que investigaciones innovadoras en la Progeria prosperen.
- ❖ **Web site/conciencia pública:** ProgeriaResearch.org provee a sus visitantes el acceso a la información más reciente en la investigación, el apoyo, y la educación de Progeria para las familias y los asistentes médicos. El Web site de la PRF goza de un promedio de aproximadamente 15,000 visitantes por mes, y los boletines de noticias de la PRF alcanzan a 8,000 personas en 49 países. Desde el descubrimiento del gene, la historia de la PRF ha aparecido en la cadena noticiosa de *CNN*, *Primetime Live*, *Dateline*, *The Today Show*, la revista *Time*, la revista *People*, *The New York Times*, y docenas de otros medios noticiosos los cuales tienen un gran interés en Progeria y el trabajo de la PRF. En el verano del año 2006, la PRF lanzó un diseño nuevo de nuestra conciencia pública electrónica, y dió pie a una campaña de conciencia pública nacional que ofreció las voces de Ted Danson y de Maria Steenburgen. El Anuncio de Servicio al Público fue endosado por el Consejo de Publicidad, y fué mostrado en el Astrovision en Times Square en Noviembre del 2006. Visite por favor ProgeriaResearch.org para ver las versiones de television, imprenta, y radio del anuncio de servicio público.
- ❖ **La familia de Progeria Outreach-The- el tablero del mensaje de la familia del PRF Progeria y charla el sitio:** En armonía con nuestra misión de la continuación proporcionar los recursos valiosos para las familias de niños de Progeria, el PRF ha creado un Web site privado del tablero del mensaje. Esta herramienta en línea ayuda a las familias a familiarizarse con, y desarrolla una red de la ayuda de la gente con quien pueden compartir preocupaciones e ideas en cómo lo más mejor posible al cuidado para sus niños. Se anima a los padres pueden también hacer preguntas y recibir respuestas a las ediciones médicas del Dr. Leslie Gordon, director médico del PRF, y que discutan ediciones médicas entre sí mismos. El tablero del mensaje es libre y confidencial.

## ¿QUIÉN ES QUIÉN EN LA PRF?

### **Lcda. Audrey Gordon, Presidente y Directora Ejecutiva, Co-Fundadora**

La Lcda. Audrey Gordon supervisa todos los aspectos administrativos de la Fundación para la Investigación de la Progeria, incluyendo actividades de la Junta de Directores, eventos para recaudar fondos, desarrollo de concesiones investigativas, administración de proyectos investigativos médicos, y programas voluntarios.

### **Dra. y Lcda. Leslie B. Gordon, Directora Médica, Co-Fundadora de la PRF**

Leslie B. Gordon, MD, PhD, es co-fundadora de la Fundación para la Investigación de Progeria junto a amistades y familiares luego de que su hijo, Sam, fué diagnosticado con la Progeria. Como directora médica de la PRF, la Dra. Gordon maneja el Programa de Diagnóstico y Pruebas, Banco de Células y Tejido Fino, y la Base de Datos Médicos y de Investigación. Una profesora asociada en el Departamento de Pediatría en la Universidad Brown (Brown University) Hasbro Children's Hospital (Hospital de Niños Hasbro) en Providence, RI, y co-coordinadora para el tratamiento de droga experimental que empieza pronto, la Dra. Gordon asistió en empanelar a los miembros del Consorcio de Genes de la PRF, el cual descubrió el defecto a nivel del gene en HGPS.

### **Scott D. Berns, MD, MPH, FAAP, Miembro del Panel de la PRF, Co-Fundador**

Dr. Berns, el padre de Sam, es co-fundador de la Fundación para la Investigación de Progeria. El sirve como el Presidente de la PRF y dirige el Comité para la Educación y Reconocimiento Público de la PRF. El es un Pediatra certificado por el panel medico, y es vice-presidente de Programas con la organización sin fines de lucro de "March of Dimes" la cual previene defectos de nacimiento en bebés. En el año 2001, el Dr. Berns terminó su período como Asistente Especial al Secretario de Transportación de los E.E.U.U. a la invitación expresa de la Casa Blanca.

### **Steve, Sandy, Megan, Michaela and Josh Nighbor, Familia Embajadora de la PRF**

En Abril del año 2005, la familia de la niña Megan Nighbor, de seis años de edad, fue nombrada la Familia Embajadora de la PRF. La familia Nighbor vive en Dalton, Wisconsin, y son una parte integral de los esfuerzos de la PRF en aumentar el reconocimiento publico de esta enfermedad, envolver a otras familias en nuestros programas, y recaudar fondos para la investigación de tratamientos nuevos. Apreciamos mucho a la familia Nighbor por el tiempo y esfuerzo que dedican a estas actividades tan importantes.