# Das ist [Name des Kindes]

Wir laden Sie ein, ein paar Worte aus dem Herzen zu sagen.

Wie heißt Ihr Kind und wie alt ist es? Was sind einige der Dinge, die es liebt, wie seine Lieblingslieder, Spielzeuge, Tiere oder besondere Routinen, die ihm Trost und Freude bereiten?

Was sind die größten Herausforderungen, denen es aufgrund des CTNNB1-Syndroms im Alltag gegenübersteht? Was sind seine größten Schwierigkeiten?

Teilen Sie uns abschließend Ihre Hoffnungen für die Zukunft mit. Was sind Ihre Träume für Ihr Kind, wenn es eine Gentherapie erhalten würde? Wie könnte sich das Leben für Ihr Kind, für Sie und für Ihre Familie insgesamt verändern? Wie würde eine bedeutende Veränderung aussehen?

# Gentherapie für CTNNB1

Die Gentherapie ist ein bahnbrechender Ansatz, der darauf abzielt, genetische Erkrankungen an ihrer Ursache zu behandeln, indem eine funktionierende Kopie eines fehlenden oder fehlerhaften Gens hinzugefügt wird.

Beim CTNNB1-Syndrom liegen die Hauptprobleme im Gehirn, wo **das CTNNB1-Gen nicht genügend von einem Protein namens Beta-Catenin produziert.** Dieses Protein ist für die Entwicklung des Gehirns, die Bewegung, das Lernen und die Kommunikation unerlässlich.

**URBAGEN ist eine einmalige Gentherapie**, die speziell für das CTNNB1-Syndrom entwickelt wurde. Dabei wird ein sicherer, modifizierter Virus (AAV9) verwendet, um **eine gesunde Kopie des CTNNB1-Gens** direkt in die Flüssigkeit um das Gehirn herum zu transportieren. Einmal dort angekommen, hilft das neue Gen dem Gehirn, **mehr Beta-Catenin zu produzieren.**

Wir hoffen, dass wir mit der Gentherapie nicht nur das Fortschreiten der Krankheit verlangsamen können, sondern dass **die Kinder auch neue Fähigkeiten wie Laufen und Sprechen erlernen und vor allem mehr Unabhängigkeit erlangen können.** Wir hoffen, dass die Familien eine bessere Lebensqualität genießen können.

# CTNNB1-GENTHERAPIE: DER LETZTE SCHRITT

CTNNB1 FOUNDATION
Bringing hope to children

# Warum wir Ihre Unterstützung brauchen

Im vergangenen Jahr haben wir unglaubliche Meilensteine erreicht, darunter die Erteilung der Orphan-Drug-Designation (Nummer EU/3/25/3101) für unsere Gentherapie, den Abschluss der präklinischen Entwicklung und die erfolgreiche Einreichung unseres Antrags für die erste klinische Studie am Menschen bei der Europäischen Arzneimittelagentur.

**Aber wir sind noch nicht am Ziel.**

Wir sind nun nur noch wenige Monate davon entfernt, das erste Kind zu behandeln, und wir brauchen Ihre Unterstützung, um dies zu ermöglichen.
In dieser entscheidenden Phase der Vorbereitung unserer klinischen Studie müssen wir dringend Finanzmittel sichern, um die noch ausstehenden Kosten zu decken.

Ihre Spenden werden direkt zur Deckung der letzten ausstehenden Kosten für folgende Maßnahmen verwendet:

- Fertigstellung der Herstellung des Gentherapieprodukts
- Biodistributionsstudien
- Maßnahmen zur Ermöglichung von Zulassungsverfahren und klinischen Studien

**Dies ist der letzte Anlauf, und wir brauchen Sie an unserer Seite.**

# How to donate

## Givebutter

Sie können über unsere vertrauenswürdige Fundraising-Website spenden, **Givebutter**:
www.givebutter.com/ctnnb1genetherapy

Sie können auch diesen QR-Code scannen!

## Spenden am Arbeitsplatz

Wenn Ihr Arbeitgeber Spendenplattformen wie Benevity oder Corporate Matching anbietet, können Sie über diese spenden und so **möglicherweise Ihre Wirkung verdoppeln oder verdreifachen**!
www.benevity.com

## Besuchen Sie unsere Website

Sie sind sich nicht sicher, welche Spendenoption für Sie die richtige ist? Besuchen Sie unsere Website und entdecken Sie alle Möglichkeiten, wie Sie uns unterstützen können:
www.ctnnb1-foundation.org/support-us/

# Contact

Die **CTNNB1 Foundation** ist eine globale, forschungsorientierte gemeinnützige Organisation, die sich der Entwicklung lebensverändernder Gentherapien für Kinder mit CTNNB1-Syndrom widmet.


lavra@ctnnb1-foundation.org
spela@ctnnb1-foundation.org

+386 31 457 138 (Whatsapp)
+386 31 731 269 (Whatsapp)

www.ctnnb1-foundation.org

Dalmatinova ulica 5
1000 Ljubljana, Slovenia

@ctnnb1foundation

www.facebook.com/ctnnb1foundation.org/

www.linkedin.com/company/ctnnb1-foundation/