Rencontrez [nom de l'enfant]

Nous vous invitons à partager quelques mots qui vous tiennent à cœur.

Quel est le nom et l'âge de votre enfant ? Quelles sont les choses qu'il aime, comme ses chansons préférées, ses jouets, les animaux ou les routines spéciales qui lui apportent réconfort et joie ?

Quels sont les plus grands défis auxquels il est confronté dans sa vie quotidienne en raison du syndrome CTNNB1 ? Quelles sont ses plus grandes difficultés ?

Enfin, partagez vos espoirs pour l'avenir. Quels sont vos rêves pour votre enfant s'il bénéficiait d'une thérapie génique ? Comment sa vie pourrait-elle changer, ainsi que la vôtre et celle de votre famille dans son ensemble ? À quoi ressemblerait un changement significatif ?

Thérapie génique pour CTNNB1

La thérapie génique est une approche révolutionnaire qui vise à **traiter les maladies génétiques à leur source** en ajoutant une copie fonctionnelle d'un gène manquant ou défectueux.

Dans le syndrome CTNNB1, les principaux problèmes proviennent du cerveau, où **le gène CTNNB1 ne produit pas suffisamment d'une protéine appelée bêta-caténine.** Cette protéine est essentielle au développement du cerveau, au mouvement, à l'apprentissage et à la communication.

URBAGEN est **une thérapie génique unique** spécialement conçue pour le syndrome CTNNB1. Elle utilise un virus modifié sûr (AAV9) pour **introduire une copie saine du gène CTNNB1** directement dans le liquide qui entoure le cerveau. Une fois à l'intérieur, le nouveau gène aide le cerveau à **produire davantage de bêta-caténine.**

Nous espérons que grâce à la thérapie génique, nous pourrons non seulement ralentir la maladie, mais aussi permettre aux **enfants d'acquérir de nouvelles compétences**, telles que marcher et parler, et surtout atteindre une plus grande indépendance. Nous espérons que les familles pourront profiter d'une **meilleure qualité de vie**.

THÉRAPIE GÉNIQUE CTNNB1 : LA DERNIÈRE LIGNE DROITE

CTNNB1 FOUNDATION
Bringing hope to children

Pourquoi nous avons besoin de votre soutien

Au cours de l'année écoulée, nous avons franchi des étapes incroyables, notamment l'obtention de la désignation de médicament orphelin (numéro EU/3/25/3101) pour notre thérapie génique, l'achèvement du développement préclinique et la soumission réussie de notre demande d'essai clinique chez l'homme à l'Agence européenne des médicaments.

Mais nous ne sommes pas encore arrivés au bout.

Nous sommes désormais à quelques mois seulement du traitement du premier enfant, et nous avons besoin de votre soutien pour y parvenir.
À ce stade critique de la préparation du lancement de notre essai clinique, nous avons un besoin urgent de financement pour couvrir les coûts essentiels restants.

Vos dons serviront directement à couvrir les derniers coûts restants pour :

- L'achèvement de la fabrication du produit de thérapie génique
- Les études de biodistribution
- Les activités réglementaires et cliniques permettant la réalisation des essais cliniques

C'est la dernière ligne droite, et nous avons besoin de vous à nos côtés.

Comment faire un don

Givebutter

Vous pouvez faire un don via notre site de collecte de fonds de confiance, **Givebutter**: www.givebutter.com/ctnnb1genetherapy

Vous pouvez également scanner ce code QR !

Dons sur le lieu de travail

Si votre lieu de travail propose des plateformes de dons telles que Benevity ou des programmes de dons jumelés, vous pouvez faire un don par leur intermédiaire et peut-être **doubler ou tripler votre impact**!
www.benevity.com

Visitez notre site web

Vous ne savez pas quelle option de don vous convient le mieux ? Visitez notre site Web pour découvrir toutes les façons dont vous pouvez nous soutenir :
www.ctnnb1-foundation.org/support-us/

Contact

La **Fondation CTNNB1** est une organisation mondiale à but non lucratif axée sur la recherche qui se consacre au développement de thérapies géniques susceptibles de changer la vie des enfants atteints du syndrome CTNNB1.

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/