Vi presento [nome del bambino]

Vi invitiamo a condividere alcune parole che vi vengono dal cuore.

Qual è il nome e l'età di vostro figlio? Quali sono alcune delle cose che ama, come le sue canzoni preferite, i giocattoli, gli animali o le routine speciali che gli danno conforto e gioia?

Quali sono le sfide più grandi che deve affrontare nella vita quotidiana a causa della sindrome CTNNB1? Quali sono le sue difficoltà maggiori?

Infine, condividi le tue speranze per il futuro. Quali sono i tuoi sogni per tuo figlio se potesse ricevere la terapia genica? Come potrebbe cambiare la vita per lui, per te e per tutta la tua famiglia? Come sarebbe un cambiamento significativo?

Terapia genica per CTNNB1

La terapia genica è un approccio innovativo che mira **a trattare le malattie genetiche alla loro causa principale** aggiungendo una copia funzionante di un gene mancante o difettoso.

Nella sindrome CTNNB1, i problemi principali provengono dal cervello, dove il **gene CTNNB1 non produce una quantità sufficiente di una proteina chiamata beta-catenina**. Questa proteina è essenziale per lo sviluppo del cervello, il movimento, l'apprendimento e la comunicazione.

URBAGEN è **una terapia genica monodose** progettata specificamente per la sindrome CTNNB1. Utilizza un virus modificato sicuro (AAV9) per **trasportare una copia sana del gene CTNNB1** direttamente nel liquido che circonda il cervello. Una volta all'interno, il nuovo gene aiuta il cervello **a produrre più beta-catenina.**

Speriamo che con la terapia genica non solo riusciremo a rallentare la malattia, ma anche che i **bambini possano acquisire nuove abilità**, come camminare e parlare, e soprattutto raggiungere una maggiore indipendenza. Speriamo che le famiglie possano godere di una **migliore qualità di vita**.

TERAPIA GENICA CTNNB1: L'ULTIMO SFORZO

CTNNB1 FOUNDATION
Bringing hope to children

Perché abbiamo bisogno del tuo sostegno

Nell'ultimo anno abbiamo raggiunto traguardi incredibili, tra cui l'ottenimento della designazione di farmaco orfano (numero EU/3/25/3101) per la nostra terapia genica, il completamento dello sviluppo preclinico e la presentazione con esito positivo della nostra domanda di sperimentazione clinica sull'uomo all'Agenzia europea per i medicinali.

Ma non siamo ancora al traguardo.

Mancano ormai solo pochi mesi al trattamento del primo bambino e abbiamo bisogno del vostro sostegno per rendere possibile tutto questo.
In questa fase cruciale della preparazione al lancio della nostra sperimentazione clinica, abbiamo urgente bisogno di garantire i finanziamenti necessari a coprire i costi essenziali ancora da sostenere.

Le vostre donazioni copriranno direttamente gli ultimi costi ancora da sostenere per:

- Completamento della produzione del prodotto per la terapia genica
- Studi di biodistribuzione
- Attività normative e di sperimentazione clinica

Questo è il momento decisivo e abbiamo bisogno del tuo aiuto.

Come effettuare una donazione

Givebutter

Puoi effettuare una donazione tramite il nostro sito di raccolta fondi di fiducia, **Givebutter**:
www.givebutter.com/ctnnb1genetherapy

Puoi anche scansionare questo codice QR!

Donazioni sul posto di lavoro

Se il tuo posto di lavoro offre piattaforme di donazione come Benevity o programmi di corporate matching, puoi donare attraverso di esse e **possibilmente raddoppiare o triplicare il tuo impatto**!
www.benevity.com

Visita il nostro sito web

Non sai quale opzione di donazione è più adatta a te? Visita il nostro sito web per scoprire tutti i modi in cui puoi sostenerci:
www.ctnnb1-foundation.org/support-us/

Contact

La **Fondazione CTNNB1** è un'organizzazione globale senza scopo di lucro orientata alla ricerca, dedicata allo sviluppo di terapie geniche in grado di cambiare la vita dei bambini affetti dalla sindrome 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/