Poznaj [imię dziecka]

Zapraszamy do podzielenia się kilkoma słowami prosto z serca.

Jak ma na imię i ile lat ma Twoje dziecko? Jakie są jego ulubione rzeczy, np. piosenki, zabawki, zwierzęta lub specjalne rytuały, które sprawiają mu radość i przynoszą ukojenie?

Jakie są największe wyzwania, przed którymi staje w codziennym życiu z powodu zespołu CTNNB1? Jakie są jego największe trudności?

Na koniec podziel się swoimi nadziejami na przyszłość. Jakie są Twoje marzenia dotyczące dziecka, gdyby otrzymało terapię genową? Jak zmieniłoby się życie dziecka, Twoje życie i życie całej rodziny? Jak wyglądałaby znacząca zmiana?

Terapia genowa dla CTNNB1

Terapia genowa to **przełomowa metoda leczenia chorób genetycznych**, polegająca na dodaniu sprawnej kopii brakującego lub wadliwego genu.

W przypadku zespołu CTNNB1 główne problemy wynikają z nieprawidłowego funkcjonowania mózgu, w którym **gen CTNNB1 nie wytwarza wystarczającej ilości białka zwanego beta-kateniną**. Białko to jest niezbędne do rozwoju mózgu, ruchu, uczenia się i komunikacji.

URBAGEN to **jednorazowa terapia genowa** opracowana specjalnie dla zespołu CTNNB1. Wykorzystuje ona bezpiecznego, zmodyfikowanego wirusa (AAV9) do **dostarczenia zdrowej kopii genu CTNNB1** bezpośrednio do płynu otaczającego mózg. Po dostaniu się do mózgu nowy gen pomaga mu **wytwarzać więcej beta-kateniny.**

Mamy nadzieję, że dzięki terapii genowej nie tylko spowolnimy postęp choroby, ale także **dzieci będą mogły nabyć nowe umiejętności**, takie jak chodzenie i mówienie, a przede wszystkim osiągnąć większą niezależność. Mamy nadzieję, że rodziny będą mogły cieszyć się **lepszą jakością życia.**

TERAPIA GENOWA CTNNB1: OSTATNI KROK

CTNNB1 FOUNDATION
Bringing hope to children

Dlaczego potrzebujemy Państwa pomocy

W ciągu ostatniego roku osiągnęliśmy niesamowite sukcesy, w tym otrzymaliśmy status leku sierocego (numer EU/3/25/3101) dla naszej terapii genowej, zakończyliśmy badania przedkliniczne i z powodzeniem złożyliśmy wniosek o przeprowadzenie pierwszych badań klinicznych na ludziach do Europejskiej Agencji Leków.

Ale nie jesteśmy jeszcze na mecie.

Zostało już tylko kilka miesięcy do rozpoczęcia leczenia pierwszego dziecka i potrzebujemy Państwa wsparcia, aby było to możliwe. Na tym krytycznym etapie przygotowań do rozpoczęcia badań klinicznych pilnie potrzebujemy zapewnić finansowanie niezbędne do pokrycia pozostałych kosztów.

Państwa darowizny zostaną przeznaczone bezpośrednio na pokrycie ostatnich zaległych kosztów związanych z:
Zakończeniem produkcji produktu do terapii genowej
Badaniami biodystrybucji
Działaniami regulacyjnymi i umożliwiającymi przeprowadzenie badań klinicznych

To ostatnia prosta i potrzebujemy waszego wsparcia.

Jak przekazać darowiznę

Givebutter

Możesz przekazać darowiznę za pośrednictwem naszej zaufanej strony internetowej służącej do zbier, **Givebutter**:
www.givebutter.com/ctnnb1genetherapy

Możesz również zeskanować ten kod QR!

Darowizny w miejscu pracy

Jeśli Twoje miejsce pracy oferuje platformy darowizn, takie jak Benevity lub program dopasowania darowizn przez pracodawcę, możesz przekazać darowiznę za ich pośrednictwem i potencjalnie **podwoić lub potroić jej wpływ**!
www.benevity.com

Odwiedź naszą stronę internetową

Nie wiesz, która opcja darowizny jest dla Ciebie odpowiednia? Odwiedź naszą stronę internetową, aby zapoznać się ze wszystkimi sposobami wsparcia naszej działalności:
www.ctnnb1-foundation.org/support-us/

Kontakt

Fundacja CTNNB1 jest globalną organizacją non-profit zajmującą się badaniami naukowymi, której celem jest opracowywanie zmieniających życie terapii genowych dla dzieci z zespołem 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/