Sobre a criança

Convidamos você a compartilhar algumas palavras do coração.

Qual é o nome e a idade do seu filho? Quais são algumas das coisas que ele ama, como suas músicas favoritas, brinquedos, animais ou rotinas especiais que lhe trazem conforto e alegria?

Quais são os maiores desafios que eles enfrentam no dia a dia devido à síndrome CTNNB1? Quais são as suas maiores dificuldades?

Por fim, compartilhe suas esperanças para o futuro. Quais são seus sonhos para seu filho se ele receber terapia genética? Como a vida dele, sua e de sua família como um todo poderia mudar? Como seria uma mudança significativa?

Terapia genética para CTNNB1

A terapia genética é uma abordagem inovadora que visa tratar doenças genéticas na sua causa raiz, adicionando uma cópia funcional de um gene ausente ou defeituoso.

Na síndrome CTNNB1, os principais problemas vêm do cérebro, onde o gene CTNNB1 não produz uma quantidade suficiente de uma proteína chamada betacatenina. Essa proteína é essencial para o desenvolvimento cerebral, movimento, aprendizagem e comunicação.

URBAGEN é uma terapia genética de uso único desenvolvida especificamente para a síndrome CTNNB1. Ela utiliza um vírus modificado e seguro (AAV9) para injetar uma cópia saudável do gene CTNNB1 diretamente no fluido cerebral. Uma vez inserido, o novo gene ajuda o cérebro a produzir mais betacatenina.

Esperamos que, com a terapia genética, não apenas possamos retardar a doença, mas também que as crianças possam adquirir novas habilidades, como andar e falar, e, acima de tudo, alcançar maior independência. Esperamos que as famílias possam desfrutar de uma melhor qualidade de vida.

TERAPIA GENÉTICA CTNNB1: O EMPURRÃO FINAL

CTNNB1 FOUNDATION
Bringing hope to children

Por que precisamos do seu apoio

No ano passado, alcançamos marcos incríveis, incluindo o recebimento da Designação de Medicamento Órfão (número EU/3/25/3101) para nossa terapia genética, a conclusão do desenvolvimento pré-clínico e o envio bem-sucedido do nosso primeiro pedido de ensaio clínico em humanos para a Agência Europeia de Medicamentos.

Mas ainda não chegamos à linha de chegada.

Estamos a poucos meses de tratar a primeira criança e precisamos do seu apoio para tornar isso possível.
Nesta fase crítica de preparação para o lançamento do nosso ensaio clínico, precisamos urgentemente garantir financiamento para cobrir custos pendentes essenciais.

Suas doações cobrirão diretamente os últimos custos pendentes de:
Conclusão da fabricação do produto de terapia genética
Estudos de biodistribuição
Atividades regulatórias e facilitadoras de ensaios clínicos

Este é o empurrão final e precisamos de você conosco.

Como doar

Givebutter

Você pode doar através do nosso confiável site de arrecadação de fundos, Givebutter:
www.givebutter.com/ctnnb1genetherapy

Você também pode escanear este código QR!

Doações no local de trabalho

Se o seu local de trabalho oferece plataformas de doação como Benevity ou doações corporativas, você pode doar por meio delas e possivelmente dobrar ou triplicar seu impacto!
www.benevity.com

Visite nosso site

Não sabe qual opção de doação é a ideal para você? Visite nosso site para explorar todas as maneiras de nos apoiar:
www.ctnnb1-foundation.org/support-us/

Contato

A **Fundação CTNNB1** é uma organização global sem fins lucrativos, voltada para pesquisas, dedicada a desenvolver terapias genéticas transformadoras para crianças com a síndrome 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/