Spoznajte [ime otroka]

Vabimo vas, da delite nekaj besed iz srca. Kako je ime vašemu otroku in koliko je star_a? Katere stvari ima rad, na primer najljubše pesmi, igrače, živali ali posebne rutine, ki ga_jo veselijo?

Kateri so največji izzivi, s katerimi se sooča v vsakdanjem življenju zaradi sindroma CTNNB1? Katere so njegove_njene največje težave?

Na koncu delite še svoja upanja za prihodnost. Kakšne so vaše sanje za vašega otroka, če bi prejel_a gensko terapijo? Kako bi se lahko spremenilo življenje zanj_o, za vas in za vašo družino kot celoto?

Genska terapija za CTNNB1

Genska terapija je prelomni pristop, katerega cilj je **zdravljenje samega vzroka genetskih bolezni** z dodajanjem delujoče kopije manjkajočega ali okvarjenega gena.

Pri sindromu CTNNB1 glavne težave izvirajo iz možganov, kjer **gen CTNNB1 ne proizvaja dovolj beljakovine, imenovane beta-katenin**. Ta je bistvena za razvoj možganov, motoriko, učenje in komunikacijo.

URBAGEN je **enkratna genska terapija**, zasnovana posebej za sindrom CTNNB1. Uporablja varen, spremenjen virus (AAV9) za **dostavo zdrave kopije gena CTNNB1** neposredno v tekočino okoli možganov. Ko otrok prejme terapijo, novi gen pomaga možganom **proizvajati več beta-katenina**.

Upamo, da bomo z gensko terapijo ne le upočasnili bolezen, ampak tudi, da bodo **otroci lahko pridobili nove spretnosti,** kot sta hoja in govor, ter predvsem dosegli večjo neodvisnost. Upamo, da bomo s tem **družinam omogočili boljšo kakovost življenja.**

CTNNB1 GENSKA TERAPIJA: ZADNJI KORAK

CTNNB1 FOUNDATION
Bringing hope to children

Zakaj potrebujemo vašo pomoč

V zadnjem letu smo dosegli neverjetne mejnike, vključno s pridobitvijo oznake Zdravila sirote (številka EU/3/25/3101) za našo gensko terapijo, zaključkom predkliničnega razvoja in uspešno oddajo vloge za klinično študijo pri Evropski agenciji za zdravila.

Vendar še vedno nismo dosegli končnega cilja.

Le nekaj mesecev nas loči od zdravljenja prvega otroka in za to potrebujemo vašo podporo. V tej ključni fazi priprav na začetek našega kliničnega preskušanja moramo nujno zagotoviti sredstva za kritje bistvenih neporavnanih stroškov.

Vaše donacije bodo neposredno pokrile zadnje neporavnane stroške za:

- Dokončanje proizvodnje izdelka za gensko terapijo
- Biodistribucijske študije
- Dejavnosti, ki omogočajo regulativne in klinične preizkuse

To je zadnji korak - skupaj nam lahko uspe.

Kako prispevati

Givebutter

Donirate lahko prek naše primarne strani za zbiranje sredstev, **Givebutter**:
www.givebutter.com/ctnnb1genetherapy

Lahko pa skenirate tudi to QR kodo!

Doniranje na delovnem mestu

Če vaše delovno mesto omogoča donacije prek platform, kot je Benevity, ali izenačevanje doniranih zneskov, izkoristite to možnost – **svoj prispevek lahko tako podvojite ali celo potrojite**!
www.benevity.com

Obiščite našo spletno stran

Niste prepričani, katera opcija je prava za vas? Obiščite našo spletno stran in raziščite vse načine, kako nas lahko podprete:
www.ctnnb1-foundation.org/support-us/

Kontakt

Fundacija CTNNB1 je globalna, raziskovalno usmerjena neprofitna organizacija, ki je posvečena razvoju genskih terapij, ki spreminjajo življenja otrok s sindromom 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/