



Con tu **ayuda**,
encontraremos una **solución**
al Síndrome de **Sanfilippo**

¿Quiénes Somos?

Stop Sanfilippo



¿Quiénes Somos?

Ante la falta de soluciones que hemos encontrado al enfrentarnos al **Síndrome de Sanfilippo**, hemos decidido crear **Stop Sanfilippo**. Una Fundación de carácter privado dedicada al fomento de la investigación de esta enfermedad, y así poder encontrar una cura o tratamiento.

No estamos solos

Hemos contactado con **Asociaciones** establecidas por todo el mundo y trabajamos con ellos de forma coordinada para seleccionar los mejores proyectos con la ayuda de médicos especializados en enfermedades lisosomales.

Una Fundación de carácter privado dedicada al fomento de la investigación y a la atención de los pacientes afectados.



Contacta con nosotros

 www.stopsanfilippo.org

 [stopsanfilippo](https://www.facebook.com/stopsanfilippo)

 info@stopsanfilippo.org

 [@stopsanfilippo](https://twitter.com/stopsanfilippo)

 Avda. camino de santiago, 45
28050 - Madrid

 666 666 666



¿Qué es Sanfilippo?

¿Qué es Sanfilippo?

Es una enfermedad hereditaria de carácter recesivo que trastorna de forma gradual el **Sistema Nervioso Central**.

La Mucopolisacaridosis tipo III, más popularmente conocida como **Síndrome de Sanfilippo**, causa hiperactividad, retardo severo, demencia y finalmente la muerte prematura durante la adolescencia.

Y lo más importante, a día de hoy, no existe cura ni tratamiento.



El Síndrome de Sanfilippo se divide en cuatro subtipos en función de la enzima deficiente:
Sanfilippo A -> Heparán-N-Sulfatasa
Sanfilippo B -> N-Acetil-a-Glucosaminidasa
Sanfilippo C -> acetilCoA-a-glucosamina acetiltransferasa
Sanfilippo D -> N-actilglucosamina 6-sulfatasa

Una enfermedad que viene por sorpresa

Los niños al nacer son completamente normales, y es en la época escolar cuando comienzan a detectarse los primeros síntomas por la **dificultad en el aprendizaje, la incapacidad para concentrarse y las frecuentes infecciones respiratorias**.

La progresiva acumulación de sustrato en las células hace que los niños se deterioren lentamente, y poco a poco vayan perdiendo habilidades como el control del esfínter, el lenguaje, andar, comer...

Hay muchas formas de ayudarnos

En este proyecto, todos trabajamos sin cobrar ningún tipo de remuneración, alimentados por la esperanza de encontrar una cura para el **Síndrome de Sanfilippo**. Aunque sí necesitamos una financiación continua para pagar las investigaciones y los estudios que nos ayuden a encontrar una solución.

Hazte socio de Stop Sanfilippo

Si te haces socio, nos estarás **ayudando con una pequeña aportación periódica** que nos garantizará una estabilidad para afrontar los proyectos.

Y apóyanos como puedas

El Síndrome de Sanfilippo es una de las enfermedades denominadas raras, y es muy poco conocida por la sociedad. Por eso, cualquier ayuda que puedas prestarnos para difundir la situación de esta enfermedad, será más que valiosa para nosotros:

- Divulga nuestra causa en tus perfiles de **Facebook o Twitter**.
- Añade un banner que remita a **StopSanfilippo.org** en tu página web o blog.
- Ayúdanos a difundir este proyecto en **prensa, radio o TV**.
- Cuenta con nosotros para formar parte del **programa Social de tu empresa**.
- **Si eres una cara conocida**, nos encantaría que nos apadrinases y nos ayudases a comunicar nuestro objetivo.
- **Envía un SMS al 28001** con la palabra **STOPSF**. El coste, 1,20€, se destinará íntegramente a la Fundación.
- **Realiza una aportación** en nuestra cta. bancaria **2100 5839 75 0200141215**

Recuerda que algunas acciones realmente sencillas y pequeñas para ti, pueden suponer un gran progreso para nosotros.



Mapa de investigación



- 1** Universidad de Montreal. Sainte-Justine Research Center. Dr. A. Pshezhetsky. Chaperonas Sanfilippo C
- 2** Zacharon Pharmaceuticals. Dr. B. Crawford. Optimización del Sustrato
Texas Children's Hospital. Dr. M. Sardiello. Activación del Master Gen TFEB
Nationwide Children's Hospital. Dra. Haiyan Fu. Terapia Génica Sanfilippo B
The Los Angeles Biomedical Research Institute at Harbor-UCLA. Dra. P. Dickson
Synageva. Reemplazo enzimático Sanfilippo B
- 3** Universidad de Barcelona. Departamento de Genética. Dr. D. Grinberg y Dra. LL. Vilageliu. Diferentes aproximaciones para Sanfilippo C
Universidad de Barcelona. Centro de Biología Animal y Terapia Génica. Dra. F. Bosch. Terapia Génica
- 4** Instituto Pasteur y Amsterdam Molecular Therapeutics. Dr. J.M. Heard. Terapia Génica Sanfilippo B
Lysogene. Dr. O. Danos. Terapia Génica Sanfilippo A
Universidad Pierre et Marie Curie. Dr. M. Sollogoub. Chaperonas Sanfilippo B
- 5** Universidad de Nápoles Federico II- Departamento de Bioquímica y Biotecnología. Inhibidores de Sustrato Sanfilippo A y B. Dra. Di Natale y Dr. Parenti
- 6** Shire Human Genetics. P. Haslett. Reemplazo Enzimático Sanfilippo A
Universidad de Manchester. Dr. Ed. Wraith y Dr. B. Bigger. Células Madre y terapia
- 7** University of Gdansk Department of Molecular Biology. Prof. G. Wegrzyn. Derivados sintéticos de isoflavonas como Reducción del Sustrato
- 8** Women's and Children's Hospital. Adelaida. Prof. J. Hopwood. Su equipo trabaja en distintas alternativas terapéuticas. ERT