



# Notiziario **FFC** Fondazione Ricerca Fibrosi Cistica **Onlus**

N° 57 - AUTUNNO 2020

# Sommario



## Ricerca & Meeting

- 3 **Il nostro impegno per una cura per tutti**  
Editoriale
- 6 **La ricerca si confronta in streaming**  
Convention e Seminario
- 7 **Nuovi farmaci alla prova del tempo**  
Conferenza europea
- 8 **Aggiornamenti sul progetto strategico**  
Task Force for Cystic Fibrosis
- 9 **24 modi per cercare la cura**  
I nuovi progetti di ricerca FFC

## Campagne & Interviste

- 20 **2020: un Natale che non lascia indietro nessuno**  
Beatrice, Laura: testimonianze e voglia di cura
- 22 **Perché sostenere la ricerca**  
Istruzioni per partecipare
- 23 **Cosa si gusta quest'anno a Natale**  
Doni, tra novità e tradizione
- 25 **Le sfide inedite di FFC**  
Campagna Nazionale 2020
- 26 **Sul più bello arriva un nuovo film sulla FC**  
Fidal, campioni in corsa con FFC
- 27 **Non spezzare la vita. Sostieni la Ricerca**  
Investire in visibilità
- 28 **Dietro le quinte della Campagna VI-TA**  
Interviste ai protagonisti
- 29 **Ciclamini resilienti come la community FFC**  
Primi scatti nelle piazze
- 31 **Sport, arte, musica, foto e poesia**  
Gli eventi che accompagnano la Ricerca
- 36 **Vita sui social**  
Dall'incontro fisico agli eventi virtuali
- 38 **Eventi felici**  
Nuovi biglietti di auguri

### Bollettino della Fondazione Ricerca Fibrosi Cistica - Onlus

presso Ospedale Maggiore Piazzale Stefani, 1 - 37126 Verona

Redazione: Marina Zanolli, Giulia Bovi, Isabella Boarato, Stefania Chignola

Consulenza scientifica: Gianni Mastella, Graziella Borgo

Direttore Responsabile: Andrea Sambugaro Registrazione Tribunale di Verona n.

1533 del 13/3/2003

Grafica e impaginazione: Quamproject S.r.l.

Stampa: Gruppo Sinergia Srl





## EDITORIALE

# IL NOSTRO IMPEGNO PER LA CONQUISTA DI UNA CURA PER TUTTI

"Una cura per tutti" è il messaggio chiave della Campagna Natalizia 2020 di raccolta fondi per la ricerca FFC, ma è soprattutto la cornice entro cui FFC sta orientando parte dell'attività della Rete di Ricerca da essa promossa e sostenuta. Ci piacerebbe fosse capito nel suo complesso il senso di questo impegno per il futuro, che gli slogan promozionali vogliono evocare e che la ricerca da sola non può esaurire senza il contributo di chi condivide con Fondazione questa sfida vitale.

### La storia

Una cura possibile e adeguata per tutte le persone con FC è sempre stato l'imperativo guida di tutti gli operatori sanitari e dei ricercatori che da oltre 60 anni si sono occupati e si occupano di cura e ricerca, congiunte a interventi organizzativi e sociali, per la fibrosi cistica: non si dimentichi, in Italia in particolare, l'istituzione di Centri regionali specializzati, lo screening neonatale diffuso, la legge 548/93, che consente a tutti i malati FC di accedere, in misura totale e a carico dello Stato, a tutti i servizi, farmaci e presidi terapeutici indicati dai Centri specialistici. È stata questa sinergia di azioni che ha consentito di ottenere più salute e più vita nei malati FC: l'attesa media di vita, in quei tempi da pochi mesi a pochi anni, è progressivamente cresciuta e si proietta oggi oltre i 50 anni. Per lungo tempo, grazie alle indicazioni che venivano dalla ricerca, le terapie hanno avuto l'obiettivo di curare i sintomi e le complicanze della malattia, fino al trapianto polmonare.

### Terapie sintomatiche e terapie causali

Il terzo millennio ha aperto la strada a terapie non rivolte ai sintomi ma alla causa che sta alla base di questi: l'anomalia del gene CFTR e della proteina canale CFTR da esso generata. Dai molti contributi della ricerca internazionale, e tra i primi quelli di ricercatori italiani, sono venuti alla luce farmaci detti **modulatori della proteina CFTR**: da un lato i correttori di CFTR, molecole capaci di recuperare la proteina mutata, altrimenti destinata alla demolizione, generata dalla più diffusa mutazione del gene, la F508del; dall'altro, i potenziatori, molecole atte a sostenere l'apertura del canale CFTR difettoso.

Il terzo millennio ha aperto la strada a terapie non rivolte ai sintomi ma alla causa che sta alla base della fibrosi cistica.

### Limiti intrinseci attuali delle terapie causali

Le nuove terapie, pur di fronte ai benefici dimostrati per chi le può ricevere, sono "mutazione-mirate", cioè sono indicate per persone FC che hanno determinate mutazioni CFTR. Il potenziatore Ivacaftor (Kalydeco) da solo serve per malati con mutazioni di *gating* (difetto importante di apertura del canale CFTR), indicazione già approvata dalle Autorità regolatorie dei farmaci. Ma Kalydeco può servire anche per soggetti con mutazioni a funzione residua (che comportano difetto parziale della proteina CFTR): indicazione non ancora approvata. Poi sono comparse due diverse combinazioni di un correttore più il potenziatore Ivacaftor (Orkambi e Symkevi il loro nome commerciale), attive su malati con doppia copia della mutazione F508del (omozigoti): il correttore salva e porta la proteina-canale alla membrana della cellula, mentre il potenziatore ne assicura l'apertura per il passaggio di cloro e acqua alle secrezioni di molti organi. L'efficacia di queste combinazioni varia molto da caso a caso ed è complessivamente alquanto inferiore alla più recente tripla combinazione di due correttori (Elexacaftor + tezacaftor) con

I modulatori di CFTR attualmente disponibili possono assicurare una terapia causale al 65-68% dei malati FC italiani.

il potenziatore Ivacaftor, denominata Trikafta (Kaftrio in Europa), che ha indicazione per malati FC che hanno una o due copie della mutazione F508del: approvato recentemente dall'Authority della Comunità europea, si è in attesa che i singoli Stati, Italia compresa, passino alla contrattazione sul prezzo per renderlo sostenibile dalla finanza pubblica.

Per quanto riguarda l'Italia, accettando stime approssimative, basate su dati non recentissimi del Registro Italiano dei malati FC, possiamo assumere che, quando potessimo trattare effettivamente fin dalla nascita con i modulatori di CFTR attualmente disponibili tutti i malati che ne hanno indicazione, si arriverebbe ad assicurare una terapia causale al 65-68% dei malati FC italiani: sarebbero inclusi tutti coloro che hanno almeno una copia di mutazione F508del, più quelli con mutazioni *gating* e quelli con mutazioni a funzione residua non accompagnate da una mutazione delle due precedenti categorie. La giovane età dei malati (per i quali mancano ancora trial clinici di efficacia e sicurezza) farebbe scendere dal 68% al 50% questa fetta di candidati a un trattamento con modulatori di CFTR. Sarebbe auspicabile quindi che nei prossimi 2-3 anni partisse per i soggetti ad oggi esclusi, o per età o per genotipo, un grande investimento mirato alla ricerca di soluzioni alternative e si realizzasse un impegno nuovo dello Stato e dell'industria per non sprecare colpevolmente le forti opportunità di

cura che la ricerca ha finora prodotto. A proposito di situazioni terapeuticamente "orfane", va peraltro detto che nei paesi anglosassoni, a differenza dell'Italia, superate le limitazioni segnalate, i benefici attuabili con i farmaci modulatori raggiungerebbero almeno il 90 % delle persone con FC, data la diversa composizione genetica di quelle popolazioni.

### Limitazioni regolatorie, economiche e di età

Vi è tuttora grande diffimità tra i vari Stati nell'approvazione di questi farmaci e soprattutto nel concederne l'uso a carico della finanza pubblica. Ad esempio, negli Stati Uniti, dove domina l'assicurazione sanitaria privata, questi farmaci hanno ricevuto precoce autorizzazione all'uso, anche con indicazioni più estese di quelle che conosciamo in Europa. In alcuni Paesi della Comunità europea, accanto all'autorizzazione al commercio di Kalydeco e di Kaftrio, si sono fatti accordi tra produttore e autorità statali su una strategia che consentisse l'assunzione in carico allo Stato della spesa dei farmaci (Regno Unito, Repubblica d'Irlanda, Danimarca, Germania). Ricordiamo che il costo di listino (non contrattato) del Kaftrio si avvicina a 300 mila euro annui per paziente. In Italia, ancora silenzio per Kaftrio. Nella Comunità europea rimangono ancora in sospeso le autorizzazioni più estensive di Kaftrio e Kalydeco, come sopra accennato. Queste sono le incertezze per parecchi Stati d'Europa ma ancor più per quelli di altri continenti che non hanno adeguata politica di supporto sanitario per impegnativi bisogni di salute.

A queste limitazioni ne vanno aggiunte altre, che immaginiamo transitorie: Kalydeco può essere somministrato a partire dai 6 (prossimamente dai 4) mesi di vita, ma Kaftrio solo dai 12 anni (prossimamente dai 6). Questo dipende certamente dalla mancanza di trial clinici che confermino efficacia e sicurezza dei farmaci nelle età infantili. Ma questi studi richiedono tempi consistenti, ricordando che l'efficacia di questi farmaci è tanto maggiore quanto più precoce l'inizio del trattamento, possibilmente dalla nascita.

In alcuni Paesi della Comunità europea si sono fatti accordi tra produttore e autorità statali per l'assunzione in carico allo Stato della spesa dei nuovi farmaci.

Sono più del 30% in Italia i malati che non rispondono ai modulatori oggi disponibili: in causa soprattutto numerose mutazioni stop, ma anche una lunga serie di mutazioni rare.

### Le sfide della ricerca per i malati con mutazioni "orfane" di terapia

Assai numerose sono le persone con FC che hanno mutazioni CFTR che non rispondono ai modulatori. Sono più del 30% in Italia: si tratta soprattutto delle numerose mutazioni stop, ma è in gioco anche una lunga serie di mutazioni rare, di molte delle quali non si conosce ancora il meccanismo d'azione. Vediamo quali sono le strade di ricerca possibili.



Ricerca per modulatori "mutazione-mirati"

Progetto Task Force: Tiziano Bandiera (primo a destra), Responsabile del progetto Task Force, e Luis Galiotta (primo da sinistra) Partner corresponsabile, nelle foto assieme al direttore scientifico FFC Gianni Mastella e al presidente Matteo Marzotto

- Occorre innanzitutto testare i modulatori noti e quelli che stanno venendo alla ribalta, per saggiarne l'eventuale efficacia su **mutazioni "orfane"**. Si lavora per questo innanzitutto con test di laboratorio: si verifica la capacità del modulatore di attivare la funzione CFTR nel singolo soggetto che porta quella specifica mutazione, operando sulle sue stesse cellule epiteliali (cellule da *brushing* nasale o miniorgani costruiti a partire da staminali di mucosa rettale, gli **organoidi**). Un risultato positivo può predire l'efficacia clinica *in vivo*, inducendone il trattamento, o può consentire trial clinici di disegno speciale, denominati **N-of-1 Trials**, in cui un singolo soggetto è controllo di se stesso. I trial clinici classici di fase 2 e 3 sono in genere impossibili da attuare in questi casi, causa il ristretto numero di soggetti che hanno quella singola mutazione. Parecchi progetti FFC negli ultimi anni hanno affrontato o stanno affrontando la messa a punto di **"test predittivi ex vivo"** del tipo sopraindicato e quest'area rientra tra quelle che FFC intende potenziare.
- Per le mutazioni *stop* (arrestano precocemente la sintesi della proteina, che risulta quindi monca e destinata alla eliminazione, perché il DNA contiene un messaggio di arresto precoce) ci sono promettenti studi in corso, anche nell'ambito della Rete di Ricerca FFC (rettificatori di *stop*).
- Le recenti **combinazioni di farmaci modulatori** della proteina CFTR-F508del rappresentano un avanzamento terapeutico determinante. Tuttavia, una non piccola percentuale di malati con mutazione F508del non risponde o risponde in misura insufficiente e, soprattutto, la distribuzione del costoso medicamento Kaftrio trova impedimenti economici per l'accesso da parte di molti malati, come abbiamo visto. Occorrono soluzioni alternative e possibilmente migliorative della combinazione. In questo, la competizione scientifica e industriale è tuttora molto accesa. FFC vi è già entrata, in partnership con altre realtà, con l'obiettivo di ottenere una efficace combinazione di **due correttori** con diverso meccanismo d'azione, incluso il suo composto ARN23765, scoperto grazie al progetto *Task Force for Cystic Fibrosis*.
- Poiché la sfida dei modulatori sulla vita dei malati si gioca nel lungo termine, un impegno di ricerca clinica imprescindibile è quello che riguarda l'osservazione dei loro effetti, buoni o meno, nella vita di ogni giorno. In questo si colloca lo "Studio post-marketing di Trikafta", che FFC sta avviando in collaborazione con la Società Italiana FC (SIFC) e tutti i Centri italiani FC. Riguarda malati in trattamento

FFC è entrata nella competizione internazionale in partnership con altre realtà per ottenere un'efficace combinazione di due correttori, incluso quello scoperto grazie al progetto *Task Force for Cystic Fibrosis*.

“ex compassionevole” con situazione clinica severa: una condizione non affrontata negli studi clinici di fase 3 per l'approvazione del farmaco, in cui furono incluse persone con funzione respiratoria solo moderatamente compromessa.

- Infine, sta entrando nell'interesse dei ricercatori la possibilità di rinforzare l'azione dei farmaci correttori e potenziatori. Si tratta di ricorrere a molecole chiamate “**amplificatori**”: favoriscono l'aumento di produzione della proteina CFTR mutata, in modo da fornire ai modulatori più “materia prima” da correggere e potenziare, per collocare così sulla membrana apicale delle cellule una maggiore massa di proteina recuperata. Un'altra fonte di rinforzo all'azione dei modulatori è quella degli stabilizzatori di molecole (lipidi in genere) capaci di stabilizzare la proteina corretta, in modo che duri di più sulla membrana prima di essere rimossa. In entrambe queste direzioni FFC sta dando sostegno a specifici progetti.



### Ricerca di terapie “mutazione-indipendenti”

- La strada più ambita è quella della terapia genica. Di questa rimangono sullo sfondo, ma sempre meno stimolanti, i tentativi di trasferimento dell'intero gene normale alle cellule interessate dal gene CFTR mutato. La sfida prossima, già in atto peraltro, è quella di modificare il DNA genico mutato (**Gene editing**) o l'RNA messaggero (**RNA editing**), che da quel gene riceve il codice per avviare e guidare la sintesi della proteina CFTR. Semplificando al massimo, si tratta di tagliare con “forbice molecolare” il tratto mutato e di sostituirlo con il tratto normale. Occorre anche identificare modalità per trasferire all'organismo umano le modifiche genetiche attuate in laboratorio. Teoricamente, qualunque mutazione potrebbe essere così trattata. Qui ci sono studi di base già ben avviati anche in campo FC, inclusi contributi importanti di progetti FFC. L'utilizzo clinico di questo approccio ha bisogno ancora di tempo, ma sono incoraggianti nell'esito i primi studi clinici in corso su due malattie genetiche, la Talassemia e l'Anemia a Cellule Falciformi. È di recente pubblicazione il report dei risultati correttivi ottenuti, anche con progetti FFC, su mutazioni *splicing*, quelle che alterano il trasferimento del codice genetico dal DNA al RNA messaggero (*splicing*).
- Godono già di studi sperimentali alcuni approcci terapeutici che saltano completamente il bersaglio del canale CFTR per agire in modo compensatorio su **meccanismi di trasporto di ioni**, alternativi a quelli del canale CFTR. Da un lato, è possibile attivare un canale del cloro accessorio, chiamato TMEM16A: su questo canale, FFC ha finanziato studi di avanguardia ed oggi già vi si avvicinano molecole ad effetto potenziatore. Dall'altro, rimane una via di riserva, su cui qualche prospettiva rimane viva: inibire il canale di riassorbimento del sodio (canale ENaC), normalmente presente sulla membrana cellulare e iperattivo nelle cellule FC, con eccessivo riassorbimento del sodio e conseguente dannoso impoverimento di sale e acqua delle secrezioni organiche.

Una delle sfide riguarda il **Gene editing**: semplificando al massimo, si tratta di tagliare con “forbice molecolare” il tratto mutato e di sostituirlo con il tratto normale.

### Le sfide di politica sociosanitaria

Qui il mondo scientifico fatica a prender posto attivo e tuttavia si sente di invocare un principio su cui far richiamo a chi gestisce la cosa pubblica in uno Stato, come il nostro, che della salute dei suoi cittadini ha fatto impegno costituzionale primario. Questo principio ha una particolare valenza per i temi qui affrontati: una malattia genetica che mina alla radice la vita di molte persone; la ricerca che, grazie anche a contributi di volontari e di organizzazioni private, di cui l'industria farmaceutica ha fatto suo tesoro, sta consegnando alle persone malate una cura capace di cambiare significativamente la loro vita; la grande difficoltà economico-amministrativa per implementarne l'applicazione, con perdita di tempi preziosi e rischio di sprecare colpevolmente una forte opportunità di salute. FFC ha coinvolto su questo ampio fronte, con dati e motivazioni, altre organizzazioni italiane dedicate alla causa (SIFC e LIFC), nel tentativo di raggiungere un confronto positivo non facile, da avviare con le Autorità sanitarie e regolatorie del nostro Paese.

### Conclusioni

Abbiamo inteso delineare un quadro complessivo delle conquiste, con i loro limiti, realizzate e realizzabili dalla ricerca e dall'organizzazione sanitaria nel campo della fibrosi cistica, una patologia emblematica della vastità di impegni multidisciplinari richiesti. Lo abbiamo fatto pensando che così ne emergesse un panorama di ciò che rimane da fare, con il concorso di energie pubbliche e private, per assicurare a tutte le persone che ne sono coinvolte un supporto curativo avanzato e scientificamente validato. Ma questo è anche il momento di non procrastinare ulteriormente

È il momento di non procrastinare l'utilizzo delle risorse farmaceutiche già disponibili, dimostrate efficaci nel cambiare il corso della vita di larga parte dei malati FC.

l'utilizzo delle risorse farmaceutiche già disponibili e con evidenza scientifica dimostrate efficaci nel cambiare il corso della vita di larga parte dei malati di fibrosi cistica. Pur consapevoli che questo è un momento cruciale per la gestione dei problemi di salute della popolazione italiana, e di conseguenza di quelli economici, vorremmo che non si emarginassero con la politica dei rinvii le soluzioni a portata di mano: vi sono modelli predittivi in ambito FC che suggeriscono che ogni giorno perduto può essere tempo di vita perduto. Probabilmente, l'assunzione da parte del Servizio Sanitario Nazionale degli

oneri per il pacchetto complessivo dei modulatori CFTR disponibili, come già fatto da alcuni Stati europei, consentirebbe di assegnare a ciascuna persona malata il farmaco che per quella persona ha più chance di successo, eventualmente utilizzando per questo anche gli strumenti laboratoristici predittivi, oggi in fase avanzata di validazione.

Gianni Mastella



## XVIII SEMINARIO DI PRIMAVERA

Il XVIII Seminario di Primavera si è svolto quest'anno per la prima volta in streaming. È stato un successo di cui essere orgogliosi e per il quale ringraziamo tutti i partecipanti.

Nel corso di una mattinata sono stati condotti cinque interventi da esperti e studiosi della malattia, con una lunga storia di impegno in prima linea come direttori di Centri di cura FC, ricercatori e formatori clinici, ora parte attiva di Fondazione: R. Buzzetti, C. Braggion, L. Minicucci, G. Magazzù, C. Castellani. Ciascuna delle cinque relazioni è stata integrata dagli interventi della direzione e vicedirezione scientifica, Gianni Mastella e Graziella Borgo, che hanno presentato il contributo della ricerca FFC sui temi in discussione. L'argomento cardine è stato quello di "Una cura per tutti": il traguardo a cui tende la ricerca FFC. Si è parlato dunque dei "farmaci modifica-malattia" già in commercio e rivolti alle mutazioni trattabili; di progetti che studiano, per i malati con mutazioni ancora senza cura, l'applicazione della medicina personalizzata, cioè il saggio diretto su cellule del malato (test *ex vivo*) di farmaci già disponibili per altre indicazioni, così da velocizzare i tempi della ricerca; di nuove terapie basate sulla tecnica del *gene editing*.

### XVIII CONVENTION FFC

## LA RICERCA SI CONFRONTA IN STREAMING

Si tiene il 19 e 20 novembre, in modalità digitale e aperta all'ascolto su invito, la XVIII Convention della Rete di ricercatori responsabili di progetti di ricerca sostenuti da FFC (nella foto qui sopra, un'immagine dell'edizione 2019).

#### Di cosa si parla

Prevede la presentazione dei risultati di 31 progetti che si concludono il 30 novembre 2020, suddivisi in sessioni per tema: nuove conoscenze sui meccanismi per il recupero della proteina CFTR mutata; nuove molecole che agiscono come correttori o potenziatori delle mutazioni del gene; modelli predittivi, rappresentati da cellule e tessuti che provengono direttamente dal soggetto con malattia e sui quali viene eseguita la prova dell'efficacia di farmaci già in commercio o di nuova scoperta (test *in vitro/ex vivo*). Questi modelli appaiono fondamentali per dare risposte terapeutiche alle mutazioni finora escluse dai farmaci approvati dagli enti regolatori. Risultati anche per progetti che riguardano l'infezione e l'infiammazione polmonare in fibrosi cistica e spunti pratici di ricerca clinica. La sede dello streaming sarà la Camera di Commercio di Verona, dove saranno presenti il direttore scientifico Gianni Mastella e studiosi della Rete di ricerca FFC invitati a moderare in presenza le sessioni: raccoglieranno le domande inviate dai partecipanti da remoto, gestiranno la discussione e forniranno risposte in tempo reale.

#### A chi è dedicata

La Convention intende essere un'occasione di condivisione di conoscenze e di confronto soprattutto fra gli addetti alla ricerca, quindi il linguaggio e i contenuti sono molto tecnici. Per volontari e sostenitori FFC organizzerà interviste con i ricercatori e incontri divulgativi per illustrare i risultati dei progetti.

Come ogni anno sarà prodotta in edizione cartacea la Brochure della Convention, con il riassunto dei dati principali riguardanti tutti i 68 progetti (conclusi, in corso e di nuova selezione attraverso il bando FFC 2020) attualmente sostenuti da FFC.

## CONFERENZA STAMPA LIFC CON LA SENATRICE BINETTI

L'8 settembre 2020 è stata celebrata la giornata mondiale della fibrosi cistica. In quell'occasione LIFC, in collaborazione con O.Ma.R-Osservatorio Malattie Rare, ha tenuto una conferenza stampa online, nella quale sono stati toccati i temi delle difficoltà vissute dai malati durante la pandemia e il nuovo importante ruolo svolto dalla telemedicina. Tra i relatori, la senatrice Paola Binetti, presidente Intergruppo parlamentare Malattie rare, e Gianna Puppo Fornaro, Presidente LIFC.



La presidente LIFC Gianna Puppo Fornaro accanto al presidente FFC Matteo Marzotto

## WEBINAR SIFC SU ASSISTENZA E RICERCA

Si tiene in forma di webinar il XXVI Congresso italiano SIFC, dal 4 al 7 novembre. È rivolto a medici, infermieri, fisioterapisti, psicologi e altro personale sanitario coinvolto in assistenza e ricerca clinica in fibrosi cistica. Molte le relazioni di sicuro interesse: aggiornamento annuale sui dati del Registro Italiano Fibrosi Cistica; il costo dei nuovi farmaci e la sostenibilità della spesa sanitaria; la terapia con nuovi modulatori CFTR e il trapianto di polmone.

Programma e iscrizione sul sito [SIFC nella sezione dei Congressi](#).

Durante il Seminario, è stato possibile anche un discreto grado di interazione con i partecipanti che potevano inviare domande e ricevere risposte in tempo reale. Certo, la vicinanza fisica è altra cosa, con sguardi, risate e il calore delle persone ma, in compenso, sono arrivate così tante domande, tali da indurci a usare il sito FFC anche nei giorni successivi per continuare a fornire risposte.

Graziella Borgo



## IL SEMINARIO IN SINTESI

- Quando:** Sabato 30 maggio
- Sede:** Veronafiere ha ospitato FFC
- Modalità di partecipazione:** in diretta Facebook, YouTube, sul sito fibrosisticaricerca.it e sulla piattaforma Livestorm
- Charity partner:** Banca UniCredit
- Partecipazione:**



**Dove trovare la registrazione:**  
[www.fibrosisticaricerca.it/seminario-ffc-2020/](http://www.fibrosisticaricerca.it/seminario-ffc-2020/)

**Dove leggere le risposte:**  
[www.fibrosisticaricerca.it/informati/commenti-degli-esperti/](http://www.fibrosisticaricerca.it/informati/commenti-degli-esperti/)

# Congresso europeo



Laura Minicucci  
 Responsabile fino al 2019 del Centro regionale FC di Genova, è membro del CdA di Fondazione e ha seguito per FFC la Conferenza

## ECFS DIGITAL CONFERENCE 2020

# NUOVI FARMACI ALLA PROVA DEL TEMPO

La 43ª Conferenza della Società Europea della Fibrosi Cistica (ECFS) quest'anno si è tenuta in streaming. Nonostante le difficoltà legate allo strumento di comunicazione, che ha imposto limiti nel numero e nei tempi dedicati alle presentazioni, la conferenza, seguita da oltre 3.700 persone provenienti da 72 Paesi, ha permesso di definire il quadro clinico ed epidemiologico attuale della malattia e le linee di ricerca più promettenti. Tra i molti temi trattati, descriviamo quattro argomenti di particolare attualità:

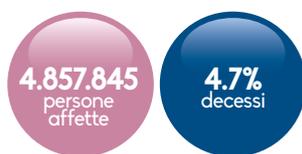
- 1 Il punto sull'impatto, a tutt'oggi, del Covid-19 sulla popolazione FC in Europa;
- 2 I modulatori della proteina CFTR già o quasi a disposizione dei pazienti;
- 3 Le terapie per i pazienti che non hanno a oggi terapie mirate sulla proteina CFTR;
- 4 I dati relativi alla realtà epidemiologica attuale della malattia e le sfide per il futuro.

### Il Covid-19 nei pazienti FC in Europa

Nel Simposio di apertura del Congresso, riflettori puntati sui dati della pandemia da Covid-19 nella popolazione FC europea. I malati con insufficienza respiratoria severa, diabete, infezione cronica da *Ps. aeruginosa* e soprattutto i soggetti sottoposti a trapianto polmonare hanno presentato una maggiore incidenza di contagio. Covid-19 si è mostrato virus assai temibile, anche se si conferma che la percentuale di contagio e l'andamento generale nella popolazione FC è stato certamente meno preoccupante di quanto temuto all'inizio della pandemia.

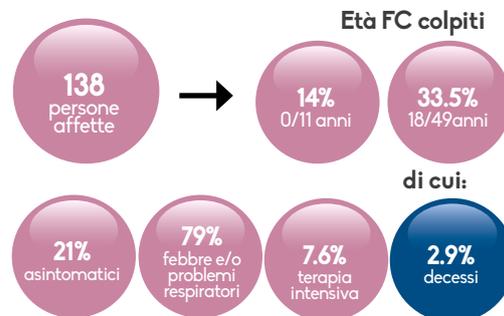
#### Europa.

Infezione nella **popolazione generale** (dati 13 settembre 2020):



#### Europa.

Infezione nella **popolazione FC** (Francia e UK i Paesi più colpiti)



### Risultati dei nuovi modulatori sul lungo periodo

Il Congresso ha fatto una panoramica dei modulatori di CFTR oggi disponibili e dotati di comprovata sicurezza ed efficacia. Li ha definiti con un termine nuovo: **HEMT, Highly Effective Modulator Therapies**, ovvero terapie con modulatori di alta efficacia. Andrebbero a coprire quasi l'80% dei pazienti FC europei, qualora fossero superate le difficoltà economiche, amministrative e sociali che caratterizzano, in misura diversa a seconda dei Paesi, la prescrivibilità gratuita agli aventi diritto. Si è puntato sull'osservazione degli effetti degli HEMT su medio-lungo periodo e nella vita reale, diversa dalla condizione di sperimentazione attraverso i trial clinici che hanno poi portato le autorità ad approvare i farmaci.



L'invito per la prossima edizione della *European CF Conference 2021* riporta l'immagine della Galleria Vittorio Emanuele II di Milano, città scelta per il prossimo appuntamento, immaginato in forma ibrida: *in-person & online event* fissato dal 9 al 12 giugno.

**Ivacaftor (Kalydeco).** Il primo farmaco modulatore ad affacciarsi alla ribalta ha dimostrato efficacia e sicurezza all'analisi di un lungo periodo di osservazione (2012-2016) con dati raccolti dai Registri USA e UK. Si conferma ottimo farmaco e lascia sperare che, con una somministrazione molto precoce, possa bloccare l'evoluzione generalizzata della malattia e in particolare la progressione del danno pancreatico.

**Lumacaftor/Ivacaftor (Orkambi).** Anche in questo caso il periodo d'osservazione può arrivare a 5 anni. Il farmaco mostra di ridurre le riacutizzazioni polmonari e, anche se non produce il miglioramento della funzionalità respiratoria, ne impedisce il peggioramento: "ferma" la malattia, ne impedisce la progressione ma non sembra cambiare la vita, come i malati dicono invece di Trikafta. Negli Usa ne è approvato l'uso dai 2 anni in avanti.

**Elexacaftor/Ivacaftor/Tezacaftor (Trikafta/Kaftrio).** I dati preliminari dello studio *real life* OLE (successivo all'approvazione del farmaco) hanno confermato nei soggetti sopra i 12 anni gli ottimi risultati raccolti nei trial clinici controllati. Il farmaco in futuro sarà esteso anche a età più basse, essendo già stato concluso con risultati positivi un trial fra i 6 e gli 11 anni.

Per tutti gli *HEMT* sono stati discussi anche i problemi relativi alla scelta degli indicatori migliori per valutare la risposta clinica e soprattutto sono emerse le gravi difficoltà economiche a sostenerne gli ingenti costi, in particolare nei Paesi a medio-basso tenore di vita.

## Le attese dei malati orfani di una terapia "mutazione mirata"

I dati del Registro europeo dimostrano che dei 41.264 pazienti registrati nel 2017, 4.798 (12%) hanno mutazioni ad oggi non correggibili con le attuali *HEMT*. Di questi, più della metà ha oltre 11 anni e malattia respiratoria medio-lieve. Al Congresso non sono state presentate novità in campo farmacologico per queste mutazioni; piuttosto è stata dimostrata, attraverso numerosi contributi, la validità d'uso degli organoidi intestinali perché su questi si può dimostrare che farmaci modulatori ufficialmente non indicati risultano invece attivi. Rimane però aperto nei vari Stati il problema della prescrivibilità del farmaco a seguito di questa prova, un aspetto normativo che dovrà essere risolto in futuro. Proprio perché mira a ottenere entro il 2021 organodi della quasi totalità degli oltre 2.000 soggetti adulti europei con mutazioni rare (dei quali circa 530 sono italiani), lo studio europeo *HIT-CF* rappresenta un grandissimo sforzo collaborativo della ricerca. Finora gli organodi raccolti sono stati 500, da circa altrettanti malati con mutazioni rare o prive di farmaci, sui quali verranno cimentate molecole vecchie e nuove. Da segnalare fra le nuove molecole quelle prodotte da Proteostasis, azienda farmaceutica americana. Si tratta di un nuovo potenziatore (dirocaftor), un nuovo correttore (posenacaftor) e un amplificatore (nesolicaftor) che vengono associati in un unico farmaco. In uno studio di fase 2 su piccola casistica di soggetti con doppia mutazione F508del, dopo 4 settimane il composto ottiene modesto ma significativo miglioramento della funzionalità respiratoria (in media 8 punti percentuali di FEV1) e riduzione del cloro al test del sudore (in media meno 29 mmol/L). L'esperienza è importante ai fini di dimostrare la possibilità di competizione con il monopolio dei prodotti attualmente in commercio.

## Le sfide per il futuro

I dati presentati hanno sottolineato l'importante miglioramento dell'aspettativa media di vita, che sta in un range compreso fra i 45 e i 50 anni, accompagnandosi anche a un netto miglioramento della qualità. Importante il contributo dei dati del Registro francese FC che dimostrano una funzionalità respiratoria mediamente buona (FEV1, 70%) a 40 anni di età. In futuro, si prospettano importanti variazioni nelle modalità di assistenza e a questo proposito è stata discussa l'opportunità fornita dalla telemedicina, della quale però sono stati anche messi in luce gli eventuali problemi relativi alla minore interazione con il team di cura. Per ora le cure tradizionali rimangono un caposaldo immutato nella gestione quotidiana della malattia: sono necessari studi controllati per capire in prospettiva quali possano essere ridotte o addirittura sospese grazie ai nuovi farmaci. Sfide inedite si aprono inoltre nel campo della terapia antibiotica che deve fronteggiare un mutamento nel tempo della flora patogena nelle vie aeree. In particolare, è stata segnalata la crescente diffusione dei micobatteri atipici anche nella popolazione pediatrica. È stato infine sottolineato come, in una popolazione che invecchia, viene riscontrato un netto aumento delle comorbidità, in parte favorito dalla malattia di base ma soprattutto specchio di quanto avviene nella popolazione generale.

A conclusione, segnaliamo un concetto più volte ribadito nel corso della Conferenza: gli adulti attuali riflettono i miglioramenti associati alle cure somministrate ai bambini di ieri. Ulteriori importanti progressi sono attesi per il futuro dei bambini di oggi, che possono usufruire di terapie sempre più efficaci e sperabilmente più precoci.

## TASK FORCE FOR CYSTIC FIBROSIS

# NUOVI AGGIORNAMENTI SUL PROGETTO STRATEGICO

Il progetto strategico *Task Force*, promosso e finanziato fino a oggi da Fondazione Ricerca FC con un investimento complessivo di 2 milioni 700 mila euro, è partito nel 2014 con l'obiettivo di individuare nuovi correttori della proteina CFTR, più efficaci di quelli allora esistenti. La fase di *discovery* ha prodotto un correttore molto potente, ARN23765, candidato a diventare un farmaco. Dopo una prima serie di saggi *in vitro*, che hanno validato come ragionevolmente sicuro il composto, siamo approdati a una fase di *derisking*, affidata alla CRO Aptuit, in cui è stata ottimizzata la sintesi, studiata la formulazione del composto, e condotti studi di tossicità nell'animale. Questa prima fase di sviluppo preclinico si è conclusa a fine luglio 2020, e non ha mostrato problemi di tossicità negli animali. Nel frattempo si è proceduto all'individuazione di partner per completare lo sviluppo del composto in combinazione con altri modulatori di CFTR. Ricerche internazionali degli ultimi anni hanno infatti confermato che, per ottenere un adeguato recupero di CFTR mutata, è necessaria la combinazione di due diversi correttori, eventualmente con un potenziatore. È stata di recente approvata una combinazione di questo tipo, denominata Trikafta (Kaftrio in Europa), con sensibile efficacia clinica anche in soggetti FC con una sola copia della mutazione F508del. Questo è un grande passo in avanti nelle terapie del difetto di base FC. Si ravvisa tuttavia la necessità di avere farmaci alternativi, possibilmente migliori, e comunque indispensabili per contenere i costi di queste terapie, così da renderle accessibili a tutti i malati.

**Il piano strategico *Task Force* è dunque cambiato rispetto agli intenti di partenza. Si rende pertanto necessario inserire ARN23765, che ha il pregio di una elevata potenza, in una duplice o triplice combinazione.**

**Sta per concludersi un promettente percorso di ricerca di possibili partner, anche industriali, che dispongano di un correttore di seconda o terza generazione da combinare con ARN23765. Con uno di questi si è già avviata una fase di scambio di informazioni, protetta da un accordo di riservatezza, per lo sviluppo di una combinazione di farmaci che abbiano un effetto clinico di grande rilevanza.**

Si dovrebbe arrivare presto ad un accordo di collaborazione che, come auspicato fin dall'inizio, sollevi FFC dagli ingenti costi che richiederebbero gli studi successivi necessari per arrivare alla sperimentazione nell'uomo. Ulteriori informazioni saranno fornite non appena saremo autorizzati a farlo, in base alle clausole dell'accordo di riservatezza sottoscritto.



## I NUOVI PROGETTI DI RICERCA FFC 2020

# 24 MODI PER CERCARE LA CURA

Sono 24 i nuovi progetti di ricerca in fibrosi cistica selezionati lo scorso luglio dal Comitato scientifico FFC, con il contributo di 78 revisori internazionali. Sale così a 417 il numero degli studi sulla malattia, finanziati negli ultimi 18 anni da Fondazione Ricerca Fibrosi Cistica, per contribuire a fare avanzare le conoscenze e accelerare la scoperta o l'ottimizzazione di cure innovative per le persone con FC, con particolare attenzione a quelle con mutazioni CFTR che non rispondono ai modulatori di CFTR oggi disponibili.

Dei 24 progetti approvati, alcuni sono un'estensione di studi precedenti che avevano ottenuto risultati di rilievo. Sei nuove proposte sono state approvate come "progetti pilota", con l'intento di valutarne i risultati nel corso di un anno per decidere se finanziare l'eventuale sviluppo.

### Area 1. Fisiopatologia e terapie del difetto di base FC: dal gene alla proteina CFTR, per interventi correttivi.

Quest'area di ricerca, che è dominante nei nuovi progetti, è rivolta a conoscere i meccanismi attraverso i quali si configura la proteina CFTR normale o quella alterata, per giungere a soluzioni terapeutiche di correzione del difetto. Tra questi troviamo gli studi mirati a sviluppare o ottimizzare modelli cellulari *in vitro* ed *ex vivo* (organoidi intestinali; cellule primarie e organoidi di epitelio nasale) adeguati a valutare l'efficacia di nuove strategie terapeutiche, anche per predirne l'effetto nel singolo malato.

Particolare attenzione viene data a possibili terapie in soggetti con mutazioni che non hanno ancora una terapia disponibile e che chiamiamo "orfane" (sono un terzo circa delle persone con FC in Italia): almeno 5 progetti sono orientati a questo obiettivo (progetti FFC 1/2020, 3/2020, 6/2020, 8/2020, 9/2020), che vanno ad aggiungersi a 4 progetti 2019 ancora in corso su questo fronte.

### Area 2. Microbiologia e infezione broncopolmonare.

L'area affronta i problemi connessi con l'infezione broncopolmonare FC e i microrganismi che la determinano, mirando a individuare terapie antimicrobiche innovative o a ottimizzare terapie tradizionali. Particolare attenzione viene dedicata ai Micobatteri non tubercolari e a quei batteri che presentano frequente resistenza agli antibiotici tradizionali.

### Area 3. Infiammazione polmonare.

È l'area che si occupa di strategie atte a contenere l'infiammazione, che è esaltata in FC ed è determinante sul danno progressivo dei polmoni, che porta all'insufficienza respiratoria.

### Area 4. Ricerca clinica ed epidemiologica.

L'area comprende studi che applicano nei malati i risultati della ricerca di base, studi di epidemiologia, proposte diagnostiche innovative, approcci preventivi di complicanze, interventi assistenziali, miglioramenti dell'approccio allo screening neonatale FC.

GM



I membri del Comitato scientifico con direzione e vicedirezione scientifica FFC in collegamento. Da sinistra in alto: il presidente Giorgio Berton, Roberto Buzzetti, Paolo Bernardi, Paola Bruni, Oscar Moran, Graziella Borgo, Gianni Mastella, Carlo Castellani, Gian Maria Rossolini



- 9 sulle terapie per correggere il difetto di base e lo studio di modelli predittivi dell'efficacia di nuovi farmaci
- 7 nell'area di microbiologia e infezione broncopolmonare
- 4 nell'area dell'infiammazione polmonare in FC
- 4 all'area della ricerca clinica ed epidemiologica

## NUOVO PROGETTO STRATEGICO

# KAFTRIO ALLA PROVA DELLA VITA REALE

È un progetto che riguarda malati FC con malattia avanzata che lo stanno assumendo in "uso compassionevole". Di recente approvato dal CdA FFC come progetto strategico extra-bando 2020, lo studio si svolgerà in collaborazione con Società Italiana FC (SIFC) e tutti i Centri italiani FC. Intende verificare gli effetti di Trikafta (Kaftrio) in soggetti con malattia avanzata; condizione che aveva determinato la loro esclusione dai trial clinici, necessari per l'approvazione del farmaco da parte di FDA ed EMA. Il progetto avrà la durata di 2 anni ed è stato finanziato con 50 mila euro (scheda tecnica a pagina 19).

### ULTIMA ORA

Al momento di andare in stampa, l'87% dei progetti 2020 selezionati da FFC sono stati adottati dai sostenitori della ricerca FFC.

**Se vuoi contribuire anche tu a completare il finanziamento, partecipa alla Campagna di Natale e dona!**

A pagine 22 trovi tutte le indicazioni. Se poi ti servono ulteriori informazioni, cerca [fabio.cabianca@fibrosicisticaricerca.it](mailto:fabio.cabianca@fibrosicisticaricerca.it) - Tel. 045 8123605

# progetti di ricerca



## AREA 1

# TERAPIE DEL DIFETTO DI BASE

### FFC#1/2020

**Acidi nucleici peptidici come potenziali amplificatori di CFTR per il trattamento della fibrosi cistica**  
*Peptide-nucleic acids as potential CFTR amplifier molecules for cystic fibrosis treatment*

**Amplificare, mediante speciali acidi nucleici, la sintesi di proteina CFTR mutata, per offrire a correttori e potenziatori più proteina da recuperare, mirando alle mutazioni CFTR con funzione residua.**



**Responsabile:** Felice Amato (Centro CEINGE-Biotecnologie Avanzate, Napoli, Lab. di Ricerca in fibrosi cistica)  
**Ricercatori coinvolti:** 8  
**Durata:** 2 anni  
**Finanziamento:** € 85.000

**Obiettivi:** Il progetto intende incrementare l'attività dei modulatori di CFTR mutata, aumentando la sintesi della proteina e fornendo quindi maggior quantità di substrato a correttori e potenziatori per un maggior recupero di proteina e funzione CFTR normale. Questo effetto verrebbe ottenuto su cellule respiratorie primarie di malati FC, portatori di mutazioni con funzione residua (FR), usando speciali molecole, gli acidi nucleici peptidici (PNA). Queste sostanze possono sia inibire che amplificare la trascrizione del codice genetico dal DNA all'RNA messaggero, che è il mediatore per la sintesi della proteina CFTR. Verranno prodotti e testati diversi PNA, selezionando quelli con maggiore attività di amplificazione per candidarli a possibili farmaci da sperimentare nell'uomo in associazione con modulatori di CFTR noti.

**Adottato totalmente da:** Delegazione FFC di Bologna

### FFC#2/2020

**Strategie terapeutiche basate sui lipidi per ottimizzare l'efficacia dei farmaci innovativi per la cura della fibrosi cistica**

*Lipid-based therapeutic strategies to optimize the effectiveness of innovative drugs to rescue F508del-CFTR*

**Sperimentare l'associazione di particolari lipidi (GM1 e beta-sitosterolo) con modulatori di CFTR per migliorarne l'efficacia.**



**Responsabile:** Massimo Aureli (Università di Milano, Dip. Biotecnologie Mediche e Medicina Traslazionale)  
**Partner:** Anna Tamanini (AOUI Verona, Lab. Analisi)  
**Ricercatori coinvolti:** 10  
**Durata:** 2 anni  
**Finanziamento:** € 87.000

**Obiettivi:** Il potenziatore ivacaftor (Kalydeco), presente anche nella tripla combinazione denominata Kaftrio o Trikafta, avrebbe come effetto collaterale quello di ridurre la quantità di proteina CFTR mutata a livello della membrana cellulare apicale. Un simile effetto di riduzione può essere causato anche da infezione da *Pseudomonas aeruginosa*. Tale effetto negativo può essere annullato da due composti lipidici, come il ganglioside GM1 e il colesterolo (o il suo analogo beta-sitosterolo), due farmaci già in uso per altre patologie. La proposta intende indagare la possibilità che la somministrazione come farmaci di questi lipidi, deficitari nelle cellule epiteliali bronchiali FC, possa aumentare l'efficienza di correttori e potenziatori nel recupero funzionale della CFTR con mutazione F508del, anche in presenza di infezioni da *P. aeruginosa*, stabilizzando così la proteina in membrana cellulare. Si lavorerà su cellule primarie derivanti da polmoni espantati di soggetti FC. L'approccio potrebbe rappresentare il punto di partenza per lo sviluppo di nuove strategie terapeutiche basate sull'associazione di lipidi con correttori e potenziatori, per migliorare l'efficacia dei trattamenti con modulatori di CFTR.

**Adottato totalmente da:** Associazione Trentina Fibrosi Cistica dedicato a Carmen Peterlana Cainelli (€ 20.000); Delegazione FFC di Vercelli (€ 20.000); Delegazione FFC di Vigevano (€ 47.000)

## FFC#3/2020



**Piccole strutture eterocicliche come correttori della proteina CFTR mutata in fibrosi cistica**

*Small nitrogen heterocycles as correctors of the mutant CFTR protein in cystic fibrosis*

**Ottimizzare correttori di CFTR complementari a correttori noti, per terapie di combinazione, alternative o migliorative, della mutazione F508del e di altre mutazioni, incluse N1303K e stop.**



**Responsabile:** Paola Barraja (STEBICEF - Lab. di Sintesi degli eterocicli, Università di Palermo)

**Partner:** Arianna Venturini (TIGEM, Napoli)

**Ricercatori coinvolti:** 7

**Durata:** 2 anni

**Finanziamento:** € 92.000

**Obiettivi:** Sappiamo che l'effetto di recupero CFTR per la mutazione F508del si ottiene con maggiore efficacia combinando due correttori con meccanismi d'azione complementari e sinergici (esempio Trikafta). Questo gruppo si propone di continuare la linea di ricerca che ha già ottenuto buoni risultati con un precedente progetto (FFC#4/2018), in cui sono state individuate molecole con efficace azione complementare in associazione con correttori di classe 1 già noti. Si tratta ora di individuare nuovi correttori di terza generazione della proteina CFTR dello stesso gruppo, già chimicamente sviluppato (molecole PO) ancora più efficaci, sia su cellule FC con mutazione F508del ma anche con altre mutazioni, come N1303K o mutazioni stop. I ricercatori intendono testare queste molecole per le loro proprietà farmacologiche, per arrivare a un buon candidato da destinare alla fine a studi clinici per una combinazione terapeutica alternativa o possibilmente migliorativa rispetto a quelle già in uso.

**Adottato totalmente da:** Delegazione FFC di Tradate Gallarate (€ 50.000); Fondazione Corrado e Bruno Maria Zaini (€ 42.000).

## FFC#4/2020



**Caratterizzazione del meccanismo di azione di modulatori di CFTR attraverso una tecnica di marcatura indotta da fotoattivazione**

*Characterization of CFTR modulators mechanism of action via Photo-Affinity Labeling (PAL) approach*

**Identificare bersagli e meccanismo d'azione del correttore ARN23765, dal progetto Task Force for CF, anche per lo sviluppo di nuovi correttori CFTR.**



**Responsabile:** Fabio Bertozzi (Istituto Italiano di Tecnologia, IIT - D3- Chimica Farmaceutica)

**Ricercatori coinvolti:** 4

**Durata:** 2 anni

**Finanziamento:** € 75.000

**Obiettivi:** Questo gruppo di ricerca ha collaborato alla scoperta del correttore di CFTR-F508del ARN23765 nell'ambito del progetto strategico FFC Task Force for Cystic Fibrosis. Il gruppo si propone ora di studiare i bersagli specifici e il meccanismo d'azione di ARN23765, lavorando su cellule respiratorie primarie di soggetti con FC, con un nuovo e sofisticato metodo, chiamato PAL (Photo-Affinity Labeling). Saranno sintetizzate sonde chimiche strutturalmente simili a ARN23765, caratterizzate da una parte fotoreattiva (attivata da raggi UV e capace di legarsi a molecole vicine alla collocazione del correttore) e da un gruppo a cui legare un marcatore molecolare, che rileverà la molecola, identificata dalla fotoreazione, con cui probabilmente ARN23765 interagisce. I risultati del progetto contribuiranno a chiarire le basi molecolari del recupero di funzionalità di CFTR indotto dai correttori. Ciò potrebbe aprire la strada all'identificazione di nuovi bersagli molecolari per il trattamento di FC e alla progettazione di composti con migliori caratteristiche di attività e sicurezza.

**Adottato totalmente da:** Delegazione FFC di Vicenza

## FFC#5/2020



**Organoidi intestinali per la valutazione e la correzione farmacologica di anomalie nel trasporto di fluidi e correnti anioniche in pazienti affetti da pancreatite**

*Intestinal organoids for assessment and pharmacological correction of abnormalities in fluid transport and anion currents in patients affected by pancreatitis*

**Studio dei canali ionici epiteliali nella pancreatite idiopatica con singola mutazione CFTR e nella pancreatite CFTR-correlata (due mutazioni CFTR): geni, funzioni e possibili terapie.**



**Responsabile:** Luca Frulloni (Università degli Studi di Verona, Dip. di Medicina, Div. Gastroenterologia)

**Partner:** Hugo De Jonge (Erasmus University Medical Center); Vincenzina Lucidi (Ospedale Pediatrico Bambino Gesù, Centro Fibrosi Cistica)

**Ricercatori coinvolti:** 8

**Durata:** 1 anno

**Finanziamento:** € 43.000

**Obiettivi:** Partendo dall'osservazione che molti pazienti con pancreatite idiopatica hanno almeno una mutazione CFTR, si intende studiare quali altri geni mutanti vi siano implicati. Saranno studiati anche casi con pancreatite CFTR-correlata, quindi con doppia mutazione CFTR in assenza di manifestazioni tipiche della fibrosi cistica. Utilizzando organoidi intestinali, sviluppati da staminali di epitelio rettale ottenuto da minima biopsia, si valuteranno con metodi elettrofisiologici, nelle cellule epiteliali di questi pazienti, i flussi di elettroliti, cloro ma anche bicarbonato, con l'intento di verificare l'efficacia dei nuovi modulatori di CFTR nel ripristinare il normale trasporto di fluidi e ioni, in prospettiva terapeutica della pancreatite.

**Adottato totalmente da:** Delegazione FFC di Vittoria Ragusa e Siracusa (€ 21.500); Delegazione FFC di Catania Mascalucia (€ 21.500)

## FFC#6/2020



**Valutazione della distribuzione e dell'attività di nuove molecole ad azione readthrough nel modello di topo e in altri sistemi di modello FC**

*Validation of the distribution and activity of new optimized leads in mouse model and other CF model systems*

**Tre molecole, risultate da precedente progetto efficaci nel superare il segnale di stop nella sintesi della proteina CFTR, verranno valutate su modello animale per confermarne l'efficacia in vivo.**



**Responsabile:** Laura Lentini (Università degli Studi di Palermo, STEBICEF - Sez. di Biologia)

**Partner:** Ivana Pibiri (Università degli Studi di Palermo, STEBICEF - Sez. di Chimica)

**Ricercatori coinvolti:** 11

**Durata:** 2 anni

**Finanziamento:** € 90.000

**Obiettivi:** Le mutazioni CFTR stop comportano l'interruzione della sintesi della proteina CFTR, che risulta monca e viene eliminata. Questo gruppo di ricerca, con precedenti progetti (FFC#1/2014 e FFC#3/2017), ha messo a punto tre molecole capaci di superare efficacemente *in vitro* il segnale di stop (diverse mutazioni) contenuto nel DNA, consentendo così la sintesi completa della proteina. Il nuovo progetto intende avviare uno studio preclinico su un modello di topo transgenico contenente nel DNA il segnale di stop UGA, per valutarne l'efficacia *in vivo*. Inoltre si intende valutare la distribuzione di queste molecole *in vivo*, sempre su organismo di modello animale, studiandone altresì il meccanismo d'azione.

**Adottato totalmente da:** Delegazione FFC di Palermo

## FFC#7/2020

**Ruolo di modifiche post-traduzionali nel recupero funzionale di F508del CFTR**

*Functional role of post-translational modifications in F508del-CFTR correction*

**Una via alternativa per recuperare il canale CFTR mutato: mediante enzimi demetilasi controllare le modifiche della proteina nel suo percorso maturativo.**



**Responsabile:** Mauro Salvi (Università degli Studi di Padova, Dip. di Scienze Biomediche)

**Ricercatori coinvolti:** 3

**Durata:** 1 anno -  
estensione di progetto pilota

**Finanziamento:** € 40.000

**Obiettivi:** Questo è un progetto di estensione di un precedente progetto pilota (FFC#11/2019), rivolto a scoprire quali siano le modifiche che la proteina CFTR subisce nel suo percorso di maturazione dopo il completamento della sua sintesi. Il recupero funzionale della proteina mutante F508del indotto da correttori è associato a una serie di modifiche, dette post-traduzionali, che sono caratteristiche della forma normale. Il principale obiettivo di questo progetto è dimostrare il reale contributo di queste modifiche post-traduzionali a un recupero funzionale di F508del.

A tale scopo sono stati identificati 5 enzimi, chiamati demetilasi, che sono coinvolti nella maturazione di F508del indotta da correttori, intervenendo sul meccanismo di metilazione (aggiunta o sottrazione del gruppo chimico CH<sub>3</sub>, chiamato metile) della proteina. Lo studio intende capire se sia possibile favorire il recupero del canale mutato controllando queste modifiche, con particolare riferimento alla metilazione proteica.

**Adottato totalmente da:** Delegazione FFC di Boschi Sant'Anna Minerbe "Alla fine esce sempre il sole"

## FFC#8/2020

**Generazione di colture di cellule staminali delle vie aeree condizionalmente riprogrammate dall'epitelio nasale di pazienti con fibrosi cistica: valutazione della risposta a farmaci modulatori del CFTR e correlazione con il profilo genetico (theratyping) e ripristino della funzione del CFTR mediante approcci di modificazione genica**

*Establishment of Conditionally Reprogrammed Airway Epithelial Stem Cell cultures from nasal epithelia of Cystic Fibrosis patients: exploring response to CFTR-modulating drugs for correlation with genetic profile (theratyping) and restoring CFTR function through gene editing approaches*

**Personalizzare le terapie con modulatori di CFTR, specialmente in soggetti FC con mutazioni "orfane", tramite test ex vivo su colture di cellule epiteliali nasali e loro organoidi.**



**Responsabile:** Adriana Eramo (Istituto Superiore di Sanità, Dip. di Oncologia e Medicina Molecolare)

**Partner:** Marco Lucarelli (Università La Sapienza, Dip. di Medicina Sperimentale)

**Categoria:** Terapie del difetto di base

**Ricercatori coinvolti:** 18

**Durata:** 1 anno

**Finanziamento:** € 37.000

**Obiettivi:** Estensione di un precedente progetto (FFC#12/2018), dedicato a studiare l'efficacia di farmaci modulatori di CFTR tramite test ex vivo su cellule di epitelio nasale, e anche su loro organoidi (organi epiteliali in miniatura), sviluppate in coltura partendo dalle loro staminali.

L'intento è soprattutto quello di studiare epitelii di soggetti FC con mutazioni rare (saranno valutati 31 genotipi), che non hanno indicazione al trattamento con modulatori di CFTR in uso, quindi sono attualmente prive di cura (dette "orfane"), per

sviluppare una personalizzazione delle terapie del difetto di base (operazione indicata come *theratyping*). Verranno testati e comparati tra loro nell'effetto Orkambi, Symkevi e Kaftrio. Sarà valutata anche una terapia sperimentale volta ad aumentare l'espressione del CFTR e a indurre uno specifico tipo cellulare (chiamato "ionocita") con un aumentato trasporto di ione cloruro.

**Adottato totalmente da:** Delegazione FFC di Lecce (€ 15.000); Delegazione FFC di Napoli San Giuseppe Vesuviano (€ 10.000); Gruppo di sostegno FFC di Campiglione Fenile (€ 12.000)

## FFC#9/2020

**Proposte terapeutiche basate sulla risposta al trattamento in laboratorio di mutazioni rare con farmaci modulatori di CFTR**

*Theratyping of rare CFTR genotypes for treatment with CFTR modulators*

**Messa a punto di sistemi diagnostici (test ex vivo) per testare nelle cellule del singolo malato FC l'efficacia di farmaci modulatori di CFTR, particolarmente nei casi con mutazioni rare e orfane di terapie.**



**Responsabile:** Paola Melotti (Centro Fibrosi Cistica, AOUI Verona)

**Partner:** Hugo De Jonge (Erasmus University Medical Center); Giuseppe Castaldo (Centro CEINGE, Napoli, Biotecnologie Avanzate)

**Ricercatori coinvolti:** 16

**Durata:** 2 anni

**Finanziamento:** € 87.000

**Obiettivi:** Il progetto si inserisce nel filone di ricerca per la messa a punto di sistemi diagnostici per testare nelle cellule del singolo paziente FC l'efficacia di farmaci modulatori di CFTR, particolarmente nei casi con mutazioni rare e orfane di terapie disponibili. Lo studio ha lo scopo di utilizzare cellule nasali (da spazzolamento della mucosa) e intestinali (da minibiopsia rettale) di pazienti FC portatori di mutazioni CFTR rare e orfane di terapia, per proporre e monitorare il loro trattamento con farmaci modulatori di CFTR.

Per 65 pazienti (il 90% ha partecipato alla prima parte dello studio europeo multicentrico HIT-CF, hitcf.org) sarà analizzata la funzione CFTR in organoidi intestinali e cellule nasali in risposta a potenziatori e correttori (ivacaftor, lumacaftor, tezacaftor, elexacaftor), e a farmaci sperimentali, inclusi alcuni attivi su mutazioni stop. Il *follow-up* dei pazienti, con trattamento indicato dal test ex vivo, verrà fatto in due centri (Centro FC, Azienda Ospedaliera Verona; Centro FC, Ospedale Bambino Gesù Roma) e consentirà la verifica della capacità dei test sperimentali di prevedere l'efficacia dei farmaci testati, sia sulla base di parametri clinici che su quelli di funzionalità CFTR *in vivo* (test del sudore, potenziali nasali, corrente di corto circuito intestinale). Lo studio potrebbe fornire supporto a nuove prospettive per la terapia FC, in particolare per pazienti che altrimenti non possono attualmente usufruire di farmaci modulatori di CFTR.

**Adottato totalmente da:** Delegazione FFC di Pesaro, Delegazione FFC di Rivarolo Canavese e Gruppo di sostegno FFC di Fidenza

# TERAPIE DELL'INFEZIONE BRONCOPOLMONARE

## FFC#10/2020

La regolazione della virulenza e dell'antibiotico resistenza mediata da piccoli RNA come bersaglio per lo sviluppo di terapie non tradizionali contro *Pseudomonas aeruginosa*  
*Targeting small RNA-mediated regulation of virulence and antibiotic resistance to develop non-traditional therapeutic options against Pseudomonas aeruginosa*

Alla ricerca di nuove strategie antinfettive: bloccare i fattori di virulenza dei batteri attraverso i nuovi PNA (acidi nucleici peptidici).



**Responsabile:** Giovanni Bertoni (Università degli Studi di Milano, Dip. di Bioscienze)  
**Ricercatori coinvolti:** 3  
**Durata:** 1 anno - progetto pilota  
**Finanziamento:** € 37.000

**Obiettivi:** L'aumento delle resistenze agli antibiotici e la difficoltà di produrre di nuovi stimolano la ricerca di strategie antinfettive alternative. Fra queste hanno un ruolo particolare le terapie antivirulenza dirette contro geni dei microbi o tossine di loro produzione. La virulenza e i processi di resistenza agli antibiotici dei batteri sono regolati da piccoli frammenti di RNA (sRNA) prodotti dai batteri stessi. Questo progetto si origina dai progetti FFC#13/2015 e FFC#14/2016, in cui i ricercatori hanno studiato approfonditamente un sRNA di *Pseudomonas aeruginosa* (Pa) chiamato ErsA. Hanno scoperto che, se inattivato attraverso una mutazione, ceppi di Pa multiresistenti perdono virulenza e riacquistano sensibilità ai principali antibiotici. Quindi l'obiettivo principale di questo progetto pilota è sviluppare e testare molecole anti-ErsA, chiamate Acidi Nucleici Peptidici (PNA), capaci di bloccare le funzioni di ErsA. In prospettiva, questi PNA potrebbero diventare nuovi farmaci con effetto antivirulenza, con spettro ristretto ma elevata specificità, da usare da soli o in combinazione con antibiotici nel trattamento delle infezioni del polmone da *Pseudomonas aeruginosa*.

**Adottato totalmente da:** Delegazione FFC di Firenze (€ 21.000); Delegazione FFC di Prato (€ 16.000)

## FFC#11/2020

L'alterazione dei segnali del *quorum sensing* di *Pseudomonas aeruginosa* nei pazienti con fibrosi cistica quale nuova frontiera di terapia antimicrobica

*Disrupting Pseudomonas aeruginosa Quorum Sensing signaling in Cystic Fibrosis patients as a new frontier for antibacterial therapy*

Ricerca di nuove strategie antinfettive: disarmare la comunità dei batteri patogeni tagliando loro le vie di comunicazione (il sistema quorum sensing).



**Responsabile:** Paola Brun (Università degli Studi di Padova, Dip. di Medicina Molecolare)  
**Partner:** Giovanni Marzaro (Università degli Studi di Padova, Dip. di Scienze Farmaceutiche e Farmacologiche)  
**Ricercatori coinvolti:** 10  
**Durata:** 1 anno - progetto pilota  
**Finanziamento:** € 50.000

**Obiettivi:** Il principale problema della terapia antibiotica in fibrosi cistica è la rapida comparsa di batteri resistenti che rendono inefficaci i trattamenti. Perciò l'interesse dei ricercatori si rivolge a un nuovo approccio non più basato sulla uccisione dei microbi mediante l'uso di antibiotici, ma piuttosto diretto a disarmare la loro patogenicità, che è mediata da segnali chimici che essi producono. Questi segnali chimici (prendono il nome di *quorum sensing*) rappresentano il linguaggio che permette alle varie specie batteriche di comunicare tra di loro, regolando così la formazione di biofilm, la produzione di fattori di virulenza (tossine ed enzimi che danneggiano i tessuti dell'ospite) oppure creando un ambiente favorevole alla crescita di altri patogeni. Il progetto si propone di sviluppare nuove molecole in grado di interferire con il *quorum sensing* di *Pseudomonas aeruginosa* (Pa) e altri batteri, impedendone l'azione. Il saggio delle molecole verrà dapprima effettuato *in vitro*, in seguito quelle più promettenti verranno testate su ceppi di *P. aeruginosa* isolati da persone con FC. Si tratta di una nuova strategia che non avrà un'immediata ricaduta verso la sperimentazione clinica, ma in prospettiva rappresenta un campo assai promettente.

**Adottato totalmente da:** Delegazione FFC di Como Dongo

## FFC#12/2020

Nuove combinazioni di farmaci contro le infezioni da micobatteri non tubercolari nella fibrosi cistica

*New drug combinations against non-tuberculous mycobacteria infections in cystic fibrosis*

Cercare nuove associazioni di farmaci per migliorare le terapie contro i micobatteri non tubercolari, dannosi e persistenti nel polmone FC.



**Responsabile:** Lanfranco Fattorini (Istituto Superiore di Sanità, Roma, Dip. di Malattie Infettive)  
**Partner:** Emanuele Borroni (Ospedale San Raffaele, Milano, Unità patogeni batterici emergenti)  
**Ricercatori coinvolti:** 10  
**Durata:** 1 anno - progetto pilota  
**Finanziamento:** € 52.000

**Obiettivi:** I micobatteri non tubercolari (MNT) possono causare infezioni polmonari croniche in soggetti con fibrosi cistica (FC). *Mycobacterium abscessus* (Mab) e *M. avium*-intracellulare complex (MAC) sono le specie più isolate. La terapia delle infezioni da MNT è prolungata e complessa, e non sempre porta all'eradicazione degli MNT. Gli MNT formano biofilm (aggregazioni di colonie batteriche avvolte in una matrice protettiva) all'interno delle pareti degli alveoli del polmone FC; quando avvolti nel biofilm gli MNT non si replicano, assumono lo stato di dormienti e diventano meno sensibili ai farmaci.

È necessario trovare combinazioni di farmaci che colpiscano gli MNT anche quando sono in questa fase, oltre che in quella replicativa più conosciuta e aggredibile. Utilizzando una raccolta proveniente da pazienti FC e messa insieme da 32 laboratori italiani, verranno creati *in vitro* modelli di MNT nella fase replicativa e non, e saranno saggiate contro di loro nuove combinazioni di farmaci (da due a quattro composti insieme). L'obiettivo è trovarne almeno una che uccida *in vitro* Mab e MAC in qualsiasi fase, per abbreviare le prolungate terapie oggi applicate. Si potrà poi sperimentarla in modelli animali e, trattandosi di molecole antibatteriche già in uso, il passaggio alla sperimentazione clinica potrebbe essere facilitato.

**Adottato totalmente da:** "In ricordo di Franco Miliotti" (€ 20.000); Delegazione FFC di Como Dongo (€ 32.000)

## FFC#13/2020

**Studio del potenziale antimicrobico di glicomimetici imminosaccaridici nel trattamento di infezioni polmonari da fibrosi cistica**

*Can old and new sweet glycomimetics act as antibacterial and antibiofilm agents in the treatment of CF lung disease infections?*

**Da L-miglustat, un composto già noto per l'effetto antinfiammatorio, un possibile effetto antibatterico per il trattamento delle infezioni respiratorie FC.**



**Responsabile:** Annalisa Guaragna (Università degli Studi di Napoli Federico II, Dip. di Scienze Chimiche)

**Partner:** Eliana De Gregorio (Università degli Studi di Napoli Federico II, Dip. di Medicina Molecolare e Biotecnologie Mediche)

**Ricercatori coinvolti:** 11

**Durata:** 2 anni

**Finanziamento:** € 65.000

**Obiettivi:** I nuovi farmaci attivi nel trattamento del difetto di base della fibrosi cistica migliorano ma non risolvono l'infiammazione e l'infezione cronica delle vie aeree ed è quindi necessario che la ricerca identifichi per queste complicanze nuove terapie. In precedenti progetti FFC, questo gruppo di ricerca ha dimostrato che L-Miglustat, un composto che fa parte della famiglia degli imminosaccaridi, agisce come antinfiammatorio e mostra anche effetto antibatterico.

Ora intende approfondire questo secondo aspetto, studiandone gli effetti nei confronti dei batteri più comuni in pazienti FC. Saranno sintetizzati nuovi derivati di L-Miglustat possibilmente ancora più efficaci, (Università di Napoli Federico II), studiati *in vitro* per verificarne la citotossicità in cellule bronchiali FC (Università di Ferrara); valutati per l'attività antimicrobica insieme all'attività antibiofilm (la pellicola che protegge le colonie batteriche), da soli o in sinergia con altri antibiotici.

Alla fine, il derivato più efficace *in vitro* sarà valutato in modelli murini d'infezione acuta e cronica e validato in topi FC (AOUI Verona). La prospettiva è di ottenere da una molecola già conosciuta un nuovo composto con effetto sia antinfiammatorio che antibatterico, destinato al trattamento delle infezioni respiratorie FC, candidato vantaggioso per il passaggio alla sperimentazione clinica.

**Adottabile**

## FFC#14/2020

**Nuove armi contro *Mycobacterium abscessus* e altri micobatteri non tubercolari**

*New weapons against *Mycobacterium abscessus* and other non-tuberculous mycobacteria*

**Ricerca europea per trovare nuovi antibiotici contro *Mycobacterium abscessus*, il più diffuso dei micobatteri non tubercolari, dannosi per il polmone FC.**



**Responsabile:** Maria Rosalia Pasca (Università degli Studi di Pavia, Dip. di Biologia e Biotecnologia Lazzaro Spallanzani)

**Partner:** Vladim Makarov (Federal Research Center, Moscow); Santiago Ramon-Garcia (University of Zaragoza); Enrico Tortoli (Div. di Immunologia, Trapianti e Malattie Infettive - Ospedale San Raffaele, Milano)

**Ricercatori coinvolti:** 12

**Durata:** 1 anno - progetto pilota

**Finanziamento:** € 57.000

**Obiettivi:** I micobatteri non tubercolari (NTM) stanno emergendo come importanti patogeni nelle infezioni polmonari che colpiscono i pazienti, soprattutto adulti, affetti da fibrosi cistica (FC). Tra le sottospecie di NTM, *Mycobacterium abscessus* (Mab) sta diventando il patogeno più diffuso e il più preoccupante nei centri FC in tutto il mondo perché resistente a molti farmaci. C'è un urgente bisogno di nuovi farmaci contro Mab. Questo progetto continua il precedente FFC#19/2018, si basa sempre sulla collaborazione fra l'Istituto S. Raffaele di Milano e l'Università di Mosca, cui si aggiunge l'Università di Saragozza. I ricercatori intendono approfondire lo studio dei nuovi composti da loro già identificati e di altri in precedenza scoperti, e sintetizzarne altri ancora. Gli esperimenti valuteranno di tutti questi composti il meccanismo d'azione e l'eventuale sviluppo di resistenza dei micobatteri nei loro confronti, l'attività *in vitro* nei confronti del biofilm di Mab e sempre *in vitro* la loro possibile attività sinergica in combinazione con farmaci già in uso. I migliori composti saranno ulteriormente caratterizzati (ad esempio: in combinazione con modulatori CFTR) e saranno testati *in vivo* usando un modello di topo FC infettato da Mab, al fine di trovare armi più efficaci contro Mab stesso e altri NTM.

**Adottato da:** Smartform/Tattooform (€ 15.000), Guadagnin srl (€ 8.000)

**Adottabile per:** € 34.000

## FFC#15/2020

**Utilizzare la proteina STING come bersaglio specifico per combattere le infezioni batteriche nella fibrosi cistica**

*Targeting the STING/Transglutaminase 2-regulated Interferon response as a novel host-direct approach to fight bacterial infections in Cystic Fibrosis*

**Studio dei meccanismi di base della risposta antinfettiva in FC: importanza delle proteine cellulari TG2 e STING.**



**Responsabile:** Mauro Piacentini (Università di Roma Tor Vergata, Dip. di Biologia)

**Partner:** Valeria Raia (Università degli Studi di Napoli, Dip. di Scienze Mediche Traslazionali)

**Ricercatori coinvolti:** 8

**Durata:** 2 anni

**Finanziamento:** € 85.000

**Obiettivi:** Questo progetto si propone uno studio approfondito dei meccanismi di base della risposta antinfettiva nella malattia FC. Gli autori hanno già descritto come l'inibizione di una particolare proteina, la transglutaminasi 2 (TG2), che esercita importante ruolo di regolazione delle interazioni molecolari di molte altre proteine cellulari, aumenta la risposta antibatterica in modelli animali FC. Ora vogliono conoscere come TG2 regola un'altra importante proteina antinfettiva, la proteina STING, a sua volta stimolatrice della produzione da parte delle cellule di frammenti di proteine con significato difensivo (gli interferoni). Eseguiranno studi *in vitro*,

ex vivo (cellule epiteliali nasali da pazienti FC) e in vivo su modelli murini FC con infezione da *Pseudomonas aeruginosa* e *Mycobacterium abscessus*. L'attesa è di poter disegnare nuove strategie che permettano di limitare le infezioni batteriche, con un intervento innovativo, su specifici percorsi immunitari del paziente FC, di cui vengono identificati nuovi bersagli proteici per possibili terapie.

**Adottato da:** Delegazione FFC di Alberobello (€ 20.000); Delegazione FFC della Valdadige (€ 10.000); Delegazione FFC di Novara (€ 8.000).

**Adottabile per:** € 47.000

## FFC#16/2020

**Bersaglio terapeutico combinato della sfingosina-1-fosfoliasi dell'ospite e del patogeno come strategia antimicrobica nella fibrosi cistica**

*Exploring the dual targeting of host and microbial sphingosine-1-phosphate lyase as antimicrobial strategy in cystic fibrosis*

**Con un solo farmaco migliorare la risposta immunitaria del malato FC e indebolire il fungo *Aspergillus fumigatus*.**



**Responsabile:** Barbara Cellini (Università degli Studi di Perugia, Dip. di Medicina Sperimentale)

**Ricercatori coinvolti:** 9

**Durata:** 1 anno – progetto pilota

**Finanziamento:** € 55.000

**Obiettivi:** L'infezione da parte del microscopico fungo *Aspergillus fumigatus* può avere effetti gravi nei pazienti con fibrosi cistica e i farmaci antifungini disponibili hanno importanti effetti collaterali, di qui la priorità dello sviluppo di nuovi approcci terapeutici. Una nuova strategia potrebbe consistere nell'individuare un bersaglio terapeutico che determini effetti positivi nell'ospite (il malato), e un effetto negativo sul patogeno.

La sfingosina-1-fosfato-lisasi (SPL), un enzima coinvolto nel metabolismo degli sfingolipidi (una categoria di grassi), presente nell'uomo come nel fungo, si presta bene a quest'obiettivo. Infatti, i pazienti FC presentano alterazioni del metabolismo degli sfingolipidi, che favoriscono infiammazione e aumentata suscettibilità alle infezioni polmonari, quindi trarrebbero vantaggio dall'inibizione di SPL. Allo stesso tempo, se esercitata sull'*Aspergillus*, l'inibizione di SPL è tossica. I ricercatori utilizzeranno inibitori già noti di SPL ed eseguiranno prove sperimentali *in vitro*, *in vivo* (modelli animali) ed *ex-vivo* (cellule bronchiali primarie FC).

Gli inibitori più promettenti verranno poi preparati in modo da consentire una somministrazione diretta nei polmoni. Con un solo farmaco si potrebbe contemporaneamente migliorare la risposta immunitaria del paziente e indebolire il patogeno.

**Adottabile**

## Area 3

# TERAPIE DELL'INFIAMMAZIONE POLMONARE

## FFC#17/2020

**Piattaforme di veicolazione orale e polmonare per il riposizionamento di anakinra nella fibrosi cistica**

*Oral and pulmonary delivery platforms for anakinra repurposing in cystic fibrosis*

**Meglio per via orale o aerosolica che sottocutanea: trovare nuove formulazioni e nuovi modi per somministrare l'antinfiammatorio anakinra in fibrosi cistica.**



**Responsabile:** Stefano Giovagnoli (Università degli Studi di Perugia, Dip. di Scienze Farmaceutiche)

**Ricercatori coinvolti:** 6

**Durata:** 2 anni

**Finanziamento:** € 85.000

**Obiettivo:** L'infiammazione sregolata è caratteristica sfavorevole della malattia polmonare FC e nuove terapie mirate a ridurla potrebbero portare a un sostanziale miglioramento della patologia. Anakinra (Kineret), un farmaco somministrabile per via sottocutanea, è già impiegato in patologie infiammatorie umane (artrite reumatoide); inoltre, con il contributo di vari progetti FFC, ha superato le tappe della ricerca preclinica anche in campo FC e attualmente è in sperimentazione in pazienti FC attraverso un trial clinico di fase II, sempre con somministrazione per via sottocutanea. La possibilità di somministrarlo per altra via (orale o aerosolica) favorirebbe una maggior accettazione del farmaco da parte di malati FC già

gravati da molte altre terapie croniche. Quindi, i ricercatori di questo progetto si propongono di sviluppare formulazioni di anakinra da somministrare per via orale o aerosolica. Prepareranno sia microparticelle da assumere per via orale che polveri secche inalabili di anakinra e ne valuteranno l'attività su cellule bronchiali primarie FC e su modelli murini FC. La prospettiva è che queste nuove formulazioni possano rapidamente essere trasferite nell'uso clinico facilitando così il riposizionamento (l'uso in patologie diverse di un farmaco già sperimentato e approvato per determinate malattie) di anakinra in FC.

**Adottato totalmente da:** Delegazione FFC della Franciacorta e Valle Camonica.

## FFC#18/2020

**Combattere l'infiammazione cronica polmonare scatenata dalle cellule Th1/17 patogeniche attivate da *P. aeruginosa*: un nuovo approccio di medicina di precisione in fibrosi cistica**  
*Counteracting inflammation triggered by *P. aeruginosa*-activated lung-infiltrating Th1/17 cells: a novel approach for precision medicine in CF*

***Pseudomonas aeruginosa* e risposta immunitaria FC: nuove conoscenze per arrivare ad antinfiammatori più mirati che interrompano l'interazione quando diventa eccessiva.**



**Responsabile:** Moira Paroni (Università degli Studi di Milano, Dip. di Bioscienze)  
**Partner:** Helle Krogh Johansen (Technical University of Denmark, Rigshospitalet, Dep. of Clinical Microbiology)  
**Ricercatori coinvolti:** 8  
**Durata:** 2 anni  
**Finanziamento:** € 85.000

**Obiettivo:** Soprattutto negli stati più avanzati della malattia FC l'infezione respiratoria da *Pseudomonas aeruginosa* (Pa) è accompagnata da un'esagerata attivazione del sistema immunitario, con infiammazione cronica progressiva, che finisce con il danneggiare fortemente il polmone FC. I farmaci antinfiammatori ad oggi disponibili non sono in grado di distinguere la componente protettiva della risposta immunitaria da quella eccessiva patogena. Per affrontare il problema, è importante conoscere i meccanismi molecolari dell'interazione tra Pa e sistema immunitario. Di recente è stata scoperta una nuova classe di linfociti T (Th1/17) (i linfociti sono un tipo di globuli bianchi deputati alla difesa immunitaria, detta cellulare) che vengono attivati in maniera esagerata proprio da ceppi clinici di Pa isolati dopo anni di persistenza nei polmoni FC. L'obiettivo del progetto, in collaborazione con la Technical University of Denmark, è identificare i meccanismi molecolari che inducono la proliferazione dei linfociti Th1/17 da parte di Pa. Mediante l'uso di approcci immunologici funzionali e di tecniche avanzate di biologia molecolare, quali il sequenziamento massivo di RNA, saranno studiati i geni dei linfociti Th1/17 e i geni di Pa in grado di attivarli. La prospettiva è identificare nuovi bersagli terapeutici per arrivare a un farmaco antinfiammatorio più efficace perché più selettivo.

**Adottato totalmente da:** Delegazione FFC di Sassari Castelsardo con Gruppo di sostegno FFC di Siniscola Nuoro.

## FFC#19/2020

**Terapie prorisolutive per la fibrosi cistica mediante resolvina D1 e nanotecnologie: studi preclinici per la consegna alla clinica di formulazioni innovative**

*Nanotechnology-based Resolvin D1 as Proresolving Therapy in Cystic Fibrosis: Preclinical Studies for the Delivery of Innovative Formulations to the Clinic*

**Ricerca di formulazioni efficaci di un nuovo composto antinfiammatorio, la Resolvina D1, per trattare la pneumopatia FC.**



**Responsabile:** Antonio Recchiuti (Università G. d'Annunzio Chieti-Pescara, Dip. di Scienze Mediche, Orali e Biotecnologiche)  
**Partner:** Alessandra Aloisi (CNR, Istituto per la Microelettronica e i Microsistemi, Lecce)  
**Ricercatori coinvolti:** 12  
**Durata:** 1 anno - progetto pilota  
**Finanziamento:** € 55.000

**Obiettivo:** La Resolvina D1 (RvD1) è un mediatore chimico endogeno derivato dagli acidi grassi omega-3, prodotto spontaneamente dal corpo umano per risolvere l'infiammazione

e riparare i tessuti danneggiati. RvD1 è difettosa in FC, perciò questo gruppo di ricerca ha dimostrato in precedenti progetti (FFC#21/2014 e FFC#19/2016) che la sua somministrazione possiede un potenziale terapeutico per i malati con FC. Al fine di far progredire lo sviluppo clinico della molecola, devono essere sviluppate opportune formulazioni di RvD1 da saggiare mediante studi preclinici. In questo progetto-pilota verranno preparate formulazioni innovative di RvD1, che saranno caricate all'interno di piccole particelle (chiamate nanoparticelle o sSNP) adattabili a diverse vie di somministrazione (orale, sottolinguale, per inalazione). Le nanoparticelle sSNP hanno lo scopo di migliorare la stabilità e l'efficacia di RvD1; saranno saggiate in modelli murini FC e anche nei leucociti e nelle cellule epiteliali ottenute da volontari con FC. Il progetto sarà svolto in collaborazione con i laboratori del centro CNR di Lecce e dell'Emory Children's Center di Atlanta. La prospettiva è di ottenere la formulazione più efficace per un nuovo composto con effetto antinfiammatorio e antifettivo da portare a sperimentazione clinica.

**Adottato totalmente da:** Gruppo di sostegno FFC di Crevalcore.

## FFC#20/2020

**L'inibizione selettiva di HDAC6 quale nuova strategia per combattere l'infiammazione e il rimodellamento fibrotico nella fibrosi cistica**

*Harnessing selective histone deacetylase 6 (HDAC6) inhibition to tackle inflammation and fibrotic remodeling in cystic fibrosis*

**La ricerca di un nuovo antinfiammatorio in FC: un inibitore selettivo dell'enzima chiave HDAC6, implicato nell'avvio della risposta infiammatoria polmonare eccessiva in FC.**



**Responsabile:** Vincenzo Summa (Università degli Studi di Napoli Federico II, Dip. di Farmacia)  
**Partner:** Lucia Altucci (Università degli Studi della Campania Luigi Vanvitelli, Dip. di Medicina di Precisione)  
**Ricercatori coinvolti:** 7  
**Durata:** 1 anno - progetto pilota  
**Finanziamento:** € 55.000

**Obiettivo:** L'obiettivo del progetto è quello di offrire una nuova opzione terapeutica per l'infiammazione associata alla fibrosi cistica. Non si sa infatti se questo dannoso processo possa essere risolto dall'uso di correttori e potenziatori di CFTR, e l'ipotesi più probabile è che insieme a questi nuovi farmaci debbano essere usati più efficaci antinfiammatori. Molto recentemente l'attività di un enzima, l'istone-deacetilasi 6 (HDAC6), è stata correlata a meccanismi patogenetici cruciali, associati sia all'insorgenza di infiammazione polmonare disregolata che di processi fibrotici in FC. HDAC6 rappresenta un nuovo bersaglio biologico, di rilevante interesse, anche perché è possibile inibire la sua funzione attraverso piccole molecole, in parte già note, dotate di elevata potenza e selettività. Il progetto prevede, attraverso l'integrazione di competenze multidisciplinari (chimica medicinale, farmaceutica, biochimica e biologia molecolare), di selezionare fra queste molecole inibitrici le più promettenti, sintetizzarle, sperimentarle *in vitro* e quindi *in vivo* in modelli animali di infezione polmonare in malattia FC. La prospettiva è di ottenere un nuovo composto con attività di corretta regolazione del processo infiammatorio nella fibrosi cistica.

**Adottato da:** Delegazione FFC di Latina (€ 16.000)  
**Adottabile per:** € 39.000



## AREA 4



# RICERCA CLINICA ED EPIDEMIOLOGICA

## FFC#21/2020

Uso della risonanza magnetica multivolumetrica per studiare gli effetti della terapia con modulatori di CFTR

*Use of multivolume MRI to assess response to CFTR modulators*

Una nuova tecnica, la risonanza magnetica multivolume (MRI), priva di radiazioni ionizzanti, per documentare i cambiamenti del polmone FC per effetto dei nuovi farmaci modulatori di CFTR.



**Responsabile:** Andrea Aliverti (Politecnico di Milano, Dip. di Elettronica, Informazione e Bioingegneria)

**Ricercatori coinvolti:** 8

**Durata:** 1 anno

**Finanziamento:** € 30.000

**Obiettivi:** L'obiettivo del progetto è capire se una nuova tecnica, la risonanza magnetica priva di radiazioni ionizzanti (MRI multivolume) può diagnosticare i cambiamenti della struttura del polmone in soggetti con FC trattati con modulatori CFTR. Il beneficio di questi nuovi farmaci è abitualmente indagato attraverso le indagini di funzionalità respiratoria (spirometria standard e misure di flusso espiratorio forzato), che però non indicano se il miglioramento funzionale si accompagna anche a un recupero della struttura normale del polmone, in particolare dei bronchi diventati largamente deformati e destrutturati (bronchiectasie), e delle zone di scarsa o nulla ventilazione. I proponenti di questo progetto intendono studiare se questo possa avvenire a seguito delle nuove terapie, mettendo in relazione le informazioni fornite dalla risonanza magnetica nucleare multivolume con quelle della spirometria e di altre indagini di funzionalità respiratoria, come il *Lung Clearance Index*, attraverso uno studio retrospettivo che coinvolge i soggetti del Centro Adulti FC di Milano.

Più in generale, si vuole validare e implementare l'uso di questa nuova tecnica di risonanza magnetica come strumento diagnostico più sensibile e privo del rischio di accumulo di radiazioni ionizzanti per il monitoraggio degli effetti dei nuovi farmaci.

**Adottato totalmente da:** Delegazione FFC di Roma

## FFC#22/2020

Ruolo delle forme batteriche vitali ma non coltivabili (VBNC) nei pazienti con fibrosi cistica dal punto di vista clinico

*Role of viable but no culturable (VBNC) bacterial forms in CF patients in a clinical setting: a translational research*

Scoprire il ruolo dei batteri dormienti e non coltivabili ma pronti a risvegliarsi nelle infezioni respiratorie FC.



**Responsabile:** Natalia Cirilli (Ospedali Riuniti, Dip. Materno Infantile, Centro FC, Ancona)

**Partner:** Luca Tiano (Università Politecnica delle Marche, Dip. di Scienze della Vita e dell'Ambiente); Rosaria Gesuita (Università Politecnica delle Marche, Centro di Epidemiologia, Biostatistica e Informatica Medica)

**Ricercatori coinvolti:** 14

**Durata:** 2 anni

**Finanziamento:** € 70.000

**Obiettivi:** Nel precedente progetto FFC#13/2017 lo stesso gruppo di ricerca ha mostrato che nel polmone FC i VBNC (Batteri Vitali Non Coltivabili) sono batteri che possono sfuggire alla ricerca fatta con la tecnica classica della coltura, essendo inattivi ma ancora vitali (dormienti). Possono però interrompere questo stato di quiescenza per riattivarsi, provocare recidive e cronicizzare lo stato di infezione respiratoria. Avendo messo a punto i metodi di indagine per identificarli (tecniche combinate di biologia molecolare - qPCR- e citofluorimetria), ora si vuole capire la loro importanza nella storia clinica del malato FC. Attraverso questo studio prospettico della durata di due anni, che coinvolgerà circa un centinaio di pazienti, nei campioni di escreato raccolti a ogni controllo saranno indagati sia i VBNC che gli altri batteri e sarà valutato il peso dei VBNC nell'associazione con i quadri clinici e con l'evoluzione della malattia polmonare FC.

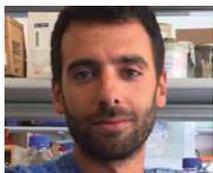
**Adottato totalmente da:** Delegazione FFC di Ascoli Piceno (€ 25.000); Delegazione FFC di Fabriano Ancona (€ 25.000); Delegazione FFC di Umbertide Città di Castello (€ 10.000); Delegazione FFC di Torino (€ 10.000)

**FFC#23/2020**

**Identificazione di nuovi marcatori biologici per la progressione della malattia polmonare indotta da *Mycobacterium abscessus* in fibrosi cistica**

*Unravelling novel biomarkers to define the progression of Mycobacterium abscessus lung disease in cystic fibrosis*

**Nuove indagini per diagnosticare precocemente l'infezione da micobatteri non tubercolari, importante complicanza polmonare della fibrosi cistica.**



**Responsabile:** Nicola Ivan Lorè (Università Vita-Salute, Ospedale San Raffaele, Div. di Immunologia, Trapianti e Malattie Infettive)

**Ricercatori coinvolti:** 6

**Durata:** 2 anni

**Finanziamento:** € 88.000

**Obiettivi:** La presenza polmonare di micobatteri non tubercolari (NTM) è frequente, in particolare nella popolazione degli adulti con FC, ma il loro isolamento non sempre è facile nelle colture batteriche eseguite routinariamente. In alcuni soggetti danno malattia polmonare, in altri no. Non è facile prevederlo e sarebbe importante identificare alcune caratteristiche biologiche (marcatori), sia del micobatterio che della risposta immunitaria del paziente FC, che orientassero la diagnosi. Per scoprire questi marcatori i ricercatori di questo progetto faranno ricorso alle nuove tecniche di Omica (analisi che consentono la produzione di informazioni su diverse variabili biologiche, in numero molto elevato e nello stesso intervallo di tempo) e in particolare alla tecnologia chiamata Sequenziamento dell'RNA di singole cellule.

Queste molecole di RNA sono i precursori della sintesi di tutte le proteine e tra queste proteine (del micobatterio o dell'ospite) potrebbero esserci i marcatori cercati. Sul versante dei micobatteri verranno studiati gli RNA del più comune di essi, il *Mycobacterium abscessus* complex. Sul versante della risposta dell'ospite, saranno studiati gli RNA dei monociti, un tipo di globuli bianchi molto implicati nella risposta difensiva contro i NTM. L'obiettivo finale è migliorare la diagnosi di questa importante complicanza polmonare nella fibrosi cistica.

**Adottato totalmente da:** Delegazione FFC di Milano (€ 50.000), Delegazione FFC di Olbia (€ 38.000)

**FFC#24/2020**

**Cystic fibrosis screen positive inconclusive diagnosis (CFSPID): studio osservazionale multicentrico per valutare prevalenza, dati clinici, gestione ed esiti in 6 centri italiani di riferimento regionale**

*Cystic fibrosis screen positive inconclusive diagnosis (CFSPID): an Italian multicenter survey evaluating prevalence, clinical data, management and outcome*

**Bambini con diagnosi non conclusiva dopo screening neonatale positivo per FC: studio epidemiologico per migliorare la gestione di un problema sociosanitario importante.**



**Responsabile:** Vito Terlizzi (Ospedale A. Meyer, Firenze, Centro Fibrosi Cistica)

**Partner:** Antonella Tosco (Università degli Studi di Napoli Federico II, Dip. di Scienze Mediche Traslazionali); Laura Elisabetta Claut (Ospedale Policlinico Milano, Centro FC)

**Ricercatori coinvolti:** 27

**Durata:** 2 anni

**Finanziamento:** € 30.000

**Obiettivi:** L'uso di test di genetica molecolare molto approfonditi (comprendenti mutazioni CFTR di incerto significato) e la disomogeneità fra centri nelle procedure di screening neonatale, portano a identificare un discreto numero di neonati in cui la diagnosi di fibrosi cistica rimane a lungo incerta. Tale condizione è chiamata CFSPID (*Cystic Fibrosis Screening Positive Inconclusive Diagnosis*). Questo progetto collaborativo fra 6 centri FC italiani rappresenta un'estensione del precedente FFC#30/2018, in cui i ricercatori hanno raccolto retrospettivamente una vasta casistica relativa al periodo 2011-2018: 336 casi di diagnosi inconclusiva e 257 diagnosi definitive di FC.

In base a un'attenta rivalutazione, una parte dei casi di CFSPID ha già avuto collocazione diagnostica, il grosso rimane incerto. Ora verrà preso in considerazione il periodo 2018-2021 in maniera prospettica, con applicazione a tutti gli scrinati di un protocollo diagnostico e clinico omogeneo. L'obiettivo è raggiungere maggiore uniformità delle procedure e della gestione e valutarne l'impatto. Inoltre, mediante questionario inviato a tutte le famiglie di casi CFSPID, saranno indagate le problematiche psicologiche che la situazione di incertezza diagnostica ha comportato, per migliorare approccio e comunicazione con i familiari.

**Adottato totalmente da:** Delegazione FFC di Acqui Terme

**Progetto Strategico 2014/2020****Progetto FFC/TFCF "Task Force for Cystic Fibrosis" (prime tre fasi)**

**Responsabile** Luis Galiotta

(Lab. Genetica Molecolare, Istituto G. Gaslini, Genova)

**Costo complessivo** € 1.250.000

Fase 1 € 200.000 - Fase 2 € 370.000 - Fase 3 € 680.000

**Extension e fase preclinica**

**Responsabile** Tiziano Bandiera

(Dip.to Drug Discovery, Istituto Italiano Tecnologia, IIT, Genova)

**Partner** Nicoletta Pedemonte

(Lab. Genetica Molecolare, Istituto G. Gaslini, Genova)

**Principale consulente esterno** Luis Galiotta

(Telethon Institute of Genetics and Medicine - TIGEM, Napoli)

**Finanziamento complessivo** € 2.000.000

**Adottato da** Evento "Marafibrositona 2017" promosso dalla Delegazione FFC di Como Dongo (€ 56.000), Il cuore degli amici di Bergamo (€ 40.000), Piazzalunga srl (€ 10.000), Quota parziale Cinque per mille redditi 2016 (€ 146.400), Dondup (€ 10.000), Fondazione Corrado e Bruno Maria Zaini (€ 70.000), Marcella e Lorenzo Turazza (€ 22.000), Donazioni Campagna di Pasqua 2017 finalizzate Task Force (€ 50.000), "Dai energia alla ricerca" (€ 100.000), Lascito Famiglia Scar-



pa (€ 20.000), Evento "Insieme per donarti un respiro" 4 ed. promosso dalla Delegazione FFC di Vittoria Ragusa (€ 10.000), Evento "Artisti per un respiro" 4 ed. promosso dalla Delegazione FFC di Catania Mascalucia (€ 10.000), "Alla ricerca di un sorriso 6" promosso da Gruppo di Sostegno FFC di Seregno (€ 25.000), SEI Toscana (€ 12.000), Saint Gobain (€ 10.000), Amici per la Ricerca di Bassano (€ 31.500), Loifur (€ 20.000), Latteria Montello (€ 35.000), Ma.Gia srl (€ 20.000), Progetto "Tredici/43" promosso dalla Delegazione FFC di Vicenza (€ 50.000), Proventi libro "Smeraldi a colazione" - 2017 (€ 20.000), #CorrerePerUnRespiro 2018 (€ 20.000), Metropole (€ 21.000), Famiglia Calabrese De Feo (€ 20.000), Bike Tour FFC 2017 (€ 47.000), Sfogliata Torino srl (€ 20.000), Evento "Verdi legge Verdi", omaggio a Marta Marzotto (€ 11.000), Amici della ricerca di Milano (€ 31.000), "In ricordo di Dani Copes". Raccolta fondi promossa dall'Associazione Trentina Fibrosi Cistica - Onlus (€ 10.000), Quota parziale Campagna Nazionale FFC 2017 (€ 50.000), Numero Solidale 2017 (€ 17.471), Quota parziale Campagna di Natale FFC 2017 (€ 100.000), "La Camminata del Respiro" e altri eventi promossi dalla Delegazione Sondrio Valchiavenna (€ 30.000), Quota parziale Campagna di Pasqua FFC 2018 (€ 25.000); "Project Hope - Rosa Pastena" (€ 35.000), Wind Tre in ricordo di Francesca Cascone (€ 10.000), Quota parziale "Marafibrositona 2018" promosso dalla Delegazione FFC di Como Dongo (€ 63.200), Quota parziale Campagna Nazionale FFC 2018 (€ 50.000), Bike Tour FFC 2018 (€ 50.000), Numero Solidale 2018 (€ 12.370), "Together for life" (€ 91.000), Asta UK-Italy Business Boost 2018 (€ 31.300), Castelli 24 H Feltre 2018 (€ 8.250), "Un calcio ai 60" (€ 11.300), Amici della ricerca Bassano 2018 (€ 24.000), Brandart (€ 10.000), Bricoman (€ 15.000), Quota parziale Campagna di Pasqua FFC 2019 (€ 25.000), Quota parziale "Marafibrositona 2019" promossa dalla Delegazione FFC di Como Dongo (€ 100.000), "Aziende per Task Force", raccolta promossa da Delegazione FFC di Verona Val d'Alpone (€ 20.000), Lega Italiana Fibrosi Cistica di Messina - Fund Raising Dinner Claudio Miceli (€ 15.000), Fibrosirun 2019 (€ 21.000), Guadagnin Srl (€ 10.000), Evento "Un respiro sotto le stelle" promosso dal Gruppo di sostegno FFC di Crevalcore Bologna (€ 12.000), Insieme per Franci (€ 10.000), Crédit Agricole (€ 15.000), "In onore di Angelica" (€ 50.000), Evento "Dai respiro alla ricerca 2019" promosso dalla Delegazione FFC di Palermo (€ 11.000).

## Studio nella vita reale su efficacia e sicurezza di KAFTRIO in malati FC con malattia avanzata (in collaborazione con SIFC e Centri Italiani FC)

**Coordinatore e supervisore generale**  
 Cesare Braggion (Commissione Medica FFC)

**Ricercatore principale**  
 Sonia Volpi (Centro Regionale Veneto FC, Verona)

**Collaboratori**  
 Delegati dei Centri regionali italiani FC

**Durata**  
 2 anni

**Finanziamento** € 50.000 **Adottabile**

## Servizi alla Ricerca 2020/2021



### "CFaCore" (Cystic Fibrosis animal Core Facility) 8

**Responsabile**  
 Responsabile Alessandra Bragonzi (Istituto di Ricerca San Raffaele, Milano)

**Finanziamento** € 180.000 - **Adottabile**

### Culture Primarie 7

**Responsabile**  
 Emanuela Caci (UOC Genetica Medica, Istituto G. Gaslini, Genova)

**Corresponsabile**  
 Luis Galletta (TIGEM, Pozzuoli, Napoli)

**Finanziamento** € 60.000 - **Adottabile**



# natale 2020

## Testimonianze e voglia di cura per un Natale che non lascia nessuno da solo

Vogliamo dedicare questo Natale a tutti i malati che ancora aspettano una cura, persone con mutazioni rare che non rispondono ai farmaci recentemente individuati dalla ricerca. Sono tanti - il 30% dei malati FC in Italia - i bambini, ragazzi, giovani donne e uomini ancora orfani di una cura che permetta loro di affrontare il futuro con serenità. FFC, in sinergia con la ricerca internazionale, è fortemente impegnata su questo fronte per dare risposte a tutte le persone come Beatrice e come Laura che attendono "Una cura per tutti".



### LE INTERVISTE

#### Beatrice, 20 anni

**"La ricerca non abbandonerà le mutazioni rare. E quindi nemmeno persone come me"**

"Bea, hanno trovato la cura per la fibrosi cistica, mi ha detto mamma. Ci siamo abbracciate felici. Aspettavamo questa notizia da tanto e adesso l'incubo era finito, adesso anche sulla fibrosi cistica potevamo scrivere la parola fine: era arrivato il farmaco che mi avrebbe salvato la vita. Oddio ce l'abbiamo fatta. Già mi immaginavo tornare normale, respirare, fare le corse campestri assieme agli altri e non, come mi era successo a scuola, finire stecchita a terra dopo pochi minuti".

Beatrice, 20 anni, tanta energia addosso nonostante la fibrosi cistica. Subito lei e mamma Patty hanno cominciato a informarsi e non c'è voluto molto tempo per capire che le sue mutazioni non erano tra quelle che il nuovo Kaftrio è in grado di rendere inoffensive.

Hanno parlato con le persone di cui si fidano ed è presto emerso che, su oltre 2.000 mutazioni del gene CFTR conosciute, le sue sono rare, anzi rarissime: per una di queste si conoscono due casi al mondo, una signora e un ragazzo, in Finlandia e negli Stati Uniti. Beatrice è la terza.

#### Come ti sei sentita?

"Ero affranta, delusa e sì, anche arrabbiata".

#### Adesso non lo sei.

"In modo diverso, mi hanno aiutato mamma e la mia amica di Forlì. Mamma mi ha sempre insegnato a credere nella ricerca, nella sua tenacia, e che anche per la fibrosi cistica ci sarebbe stata una fine. Quando me l'ha ripetuto, in quei brutti momenti, era tranquilla e io le credo".

#### Mentre la tua amica cosa ti ha detto?

"Niente. Sono solo stata a guardarla mentre iniziava la cura con il farmaco nuovo. Solo il pensiero che lei adesso sta bene mi ha tranquillizzata. Arriverà la cura anche per me: se la ricerca ha aperto un portone, perché non dovrebbe poi aprire anche la mia porticina?".

#### La tua è una questione di fiducia cieca o sei anche il tipo che si informa sui passi della scienza?

"Io sono positiva nei confronti della ricerca ma l'ultimo Seminario della Fondazione mi ha anche dato una ragione in più. Mi ha fatto capire che le mutazioni rare non vengono abbandonate. E quindi nemmeno le persone come me".

#### Non sempre i malati FC sono così serafici in attesa di una cura per tutti. I social danno un quadro di grande paura, aggressività, vera angoscia di essere lasciati soli.

"Lo so. È lecito. Solo pronunciare la parola malattia rara fa scattare il timore dell'abbandono. Anch'io ero arrabbiata però..."

#### Però?

"Ho sempre vissuto questa malattia all'interno della Fondazione e questo non mi ha mai fatto sentire sola. Siamo come una famiglia e insieme arriveremo al traguardo. Io non sarò tra i primi ma l'importante è arrivare".

#### Il tempo, quello fa paura a chi sta male.

"Siamo esseri umani e sono tante le cose che non riusciamo a fare come vorremmo, nei tempi che diciamo noi. Non abbiamo il teletrasporto e molto altro perché le cose sono complicate: trovare farmaci che correggano tutte le mutazioni FC è complicato. Però

sapere che una Fondazione come FFC e esperti di tutto il mondo non stanno con le mani in mano ma continuamente lavorano per trovare soluzioni, questo mi fa sentire fiduciosa. Bisogna credere negli esperti. Se i ricercatori non esistessero, se nessuno li finanziasse, allora sì che mi sentirei sola”.

### **Sembra che tu non abbia paura di niente, è così?**

“I 18 anni li ha sentiti anche la mia malattia. Sono passata da *ragazza che nessuno l'avrebbe mai detto*, a capire cosa vuol dire sentirsi soffocare, affrontare ricoveri, cicli di antibiotici in vena, la convivenza con una nuova bestiaccia che ha tolto il sorriso anche a mamma”.

Solo un momento di silenzio e poi Beatrice racconta del suo viaggio in Canada, della sua passione per la musica, per il flauto traverso che la aiuta in un allenamento continuo del respiro, del suo tirocinio estivo e ancora dell'Erasmus a Praga, bloccato nel maggio scorso dalla pandemia. “Ero carica e felice di essere stata scelta. Magari nel 2021, io ci spero, forse riuscirò a partire”.

MZ

## **Laura, 43 anni**

### **"Spero in una cura che vada bene per tutti"**

**"Provo felicità per gli altri e angoscia per me che non potrò assumere Kaftrio. Il tempo stringe e non ci sono notizie di farmaci efficaci adatti a me".**

Abbiamo scelto di parlare con Laura dopo aver letto un suo commento su Facebook, sotto un post relativo alla notizia (buona per molti) che l'EMA (*European Medicines Agency*) aveva approvato Kaftrio in Europa.

### **Ci racconti?**

“Mi scuso per il mio sfogo, forse sono stata troppo impulsiva, ma se nascondessi la mia rabbia, le mie paure e la mia delusione sarei bugiarda. Sono queste le emozioni che ho provato nel leggere dell'approvazione del farmaco, ma in realtà provo molto sconforto già da tempo”.

### **Come mai?**

“Ecco, provo un'immensa felicità per tutti coloro che potranno prenderlo. Ho visto diversi malati assumerlo, in modalità sperimentale o compassionevole ed è strabiliante. Ma provo anche tanta paura, angoscia. Ho perso la speranza per me. Quando arriverà un farmaco adatto alle mie mutazioni saranno passati forse altri anni... Anche superata la burocrazia, io non potrò assumere Kaftrio. Solo da adulta ho scoperto le mie mutazioni: entrambe rare. Avere 43 anni non aiuta, inoltre purtroppo sto affrontando un peggioramento della malattia inaspettato (l'aspettativa media di vita di un malato FC supera di poco i 40 anni, ndr)”.

### **Cosa ti aspetti da Fondazione?**

“Che prosegua la ricerca sulla fibrosi cistica. Ma vedo che sulle mutazioni orfane i progetti sono ancora pochi, mentre malgrado abbiano a disposizione parecchi farmaci, ve ne sono ancora su F508del. Il tempo stringe e non ci sono notizie di farmaci efficaci adatti a me. Ho una domanda ricorrente nella mia testa: se e quando ci sarà la possibilità di avere un farmaco per noi altri, FFC, LIFC ecc. ci metteranno tutto questo grande impegno e fatica per spingere

chi di dovere a fare in fretta? O se la prenderanno comoda, tanto noi siamo in pochi? Insomma, mi sento abbandonata. Ho partecipato allo studio europeo Hit CF ad ottobre, ma non ho avuto alcuna risposta. Non so se la ricerca potrà essere abbastanza veloce...”

### **La ricerca tuttavia ha fatto molto per migliorare la durata e la qualità della vita delle persone con FC. Ci racconti com'era quando eri bambina?**

“Ho conosciuto Mastella e il Centro FC di Verona nell'83, avevo 5 anni. Dopo tante incertezze e ipotesi, i miei arrivarono al Centro, su indicazione del dottor Trabucchi. Pesavo 14 chili, ero pallida, gracile e chiusa in me stessa, un'ombra. Avevamo un grande fascio di analisi, referti... Niente di decisivo. Mia madre racconta che siamo arrivati lì senza grandi aspettative, ci avevano consigliato Verona dei consenzienti. Il dottor Mastella - allora non era professore e FFC non esisteva ancora - mi guardò e ancora prima di addentrarsi in quel grosso incartamento dichiarò mucoviscidosi (il vecchio nome della fibrosi cistica). Confermata la diagnosi, fu spiegato ai miei genitori cosa potevano aspettarsi, cosa mi aspettava. Non che sia stata una bella notizia, ma il dottor Mastella e tutti i medici di Verona mi hanno salvato la vita. Da allora Verona è rimasto il mio punto di riferimento”.

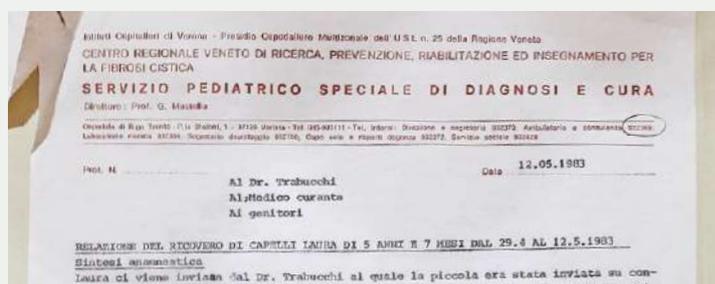
### **È la prima volta che rendi una testimonianza come questa?**

“Direi di sì. Rispetto ai ragazzi di adesso, mi pare impossibile l'accettazione e la tranquillità, se così si può dire, con cui raccontano della malattia. È un bene, perché la FC fa effettivamente parte di noi. Io però non ci riesco. Per la mia epoca, per carattere e famiglia, anche quando fisicamente i sintomi erano sotto controllo, la FC mi ha segnata come persona, nella sfera emotiva e nel desiderio di socializzare. Andava nascosta, era una vergogna e un limite, m'impediva di aprirmi e avvicinarmi agli altri, dalle gite scolastiche ai giochi”.

### **Perché questa volta hai deciso di esporti?**

“Perché la mia storia è quella di molti, siamo in tanti malati con mutazioni ancora orfane di cura. Il 30%, come ha detto il prof. Mastella. I miei sentimenti, di sconforto, paura e preoccupazione sono quelli di tanti. Quindi voglio dare voce anche agli altri, a tutti quelli che come me aspettano una cura che vada bene per tutti”.

Giulia Bovi





# natale 2020

**A Natale dona  
una cura per tutti.**

**Per Beatrice,  
Laura, Davide.  
Per tutti i ragazzi  
ancora in attesa  
di un farmaco**

## Perché sostenere la Ricerca sulla FC

FFC è impegnata nella ricerca di cure per tutti i malati di fibrosi cistica, anche quelli che non possono valersi oggi di farmaci modulatori della proteina CFTR mutata.

A questo scopo, nel 2020 ha finanziato 24 progetti di ricerca, alcuni dei quali mirati a individuare composti in grado di correggere le mutazioni ancora orfane di cura (vedi pag. 9-19).



Oltre a questo, per fare fronte alla richiesta di progetti che diano risposte urgenti ai tanti malati ancora privi di una terapia di radice, Fondazione ha istituito il **FONDO STRATEGICO - UNA CURA PER TUTTI** che, a partire da ora e per tutto il 2021, si propone di raccogliere risorse a sostegno di nuovi studi mirati a terapie per persone che non hanno indicazione o non rispondono ai trattamenti con gli attuali farmaci modulatori della proteina CFTR.

## Come posso contribuire al FONDO STRATEGICO - UNA CURA PER TUTTI Con una donazione attraverso:



UniCredit  
IBAN IT 47 A 02008 11718 000102065518

BPM  
IBAN IT 92 H 05034 11708 000000048829



Online su [fibrosicisticaricerca.it/dona-ora](https://fibrosicisticaricerca.it/dona-ora)



c/c postale **18841379** qui allegato



Raccolta fondi su **Facebook** e su **Instagram** a favore di FFC

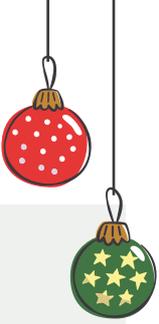


Ricordate di inserire sempre la causale:  
**N. 57 - Una cura per tutti**



Periodo di validità di questa Campagna  
**A partire da novembre 2020 e per tutto il 2021**

# Natale 2020 porta nuovi doni per sentirci vicini



## Come far entrare la Ricerca a casa tua

In tanti anni passati insieme, non si può negare che il Natale 2020, durante la pandemia globale da Coronavirus, sarà certamente inusuale. Quando tuttavia non è possibile controllare una situazione, ciò che si può controllare è la nostra reazione: per questo è fondamentale, per il cuore e per la Ricerca, che insieme trasformiamo questo Natale nel più caldo e solidale di sempre, anche se con tante precauzioni e non fisicamente vicini come vorremmo.

La community FFC è rispettosa delle cautele che oggi fanno parte della vita di tutti. Ordinare i panettoni, il cioccolato, il mandorlato FFC a uno dei tantissimi volontari presenti in Italia rappresenta da sempre un ulteriore regalo natalizio: un abbraccio *contactless* che dà calore e speranza, anche se lontani.

Quest'anno Fondazione ha voluto affiancare questa tradizione a nuovi strumenti e modi per raccogliere le dimostrazioni di affetto e supporto alla Ricerca, offrendo ulteriori frecce all'arco di tutti i volontari.



## Come conquistarsi le delizie natalizie

Accanto al tradizionale modulo d'ordine riservato a tutti i volontari ([fibrosicisticaricerca.it/natale-ffc-2020/](http://fibrosicisticaricerca.it/natale-ffc-2020/)), FFC inaugura la strada dell'e-commerce natalizio, con possibilità di date e quantitativi più ampi.



**Modulo d'ordine riservato ai volontari**

Gli ordini tradizionali sono aperti da metà ottobre fino al **30 novembre**.



**E-commerce per tutti i sostenitori FFC**

Da metà ottobre e fino al **13 dicembre**, per la prima volta il Natale FFC arriva sul nostro shop online.



**Possibilità di ordinare poco o tantissimo**

Dal singolo panettone, al tris con squisiti marchi di pasticceria, ai **grandi numeri**: da quest'anno è possibile.

Attraverso [regalisolidali.mondoffc.it](http://regalisolidali.mondoffc.it) potete ordinare e ricevere a casa diverse combinazioni di prodotti natalizi FFC: tre varietà di panettoni, più un mix delle bontà al cioccolato, il tutto mescolato con il mandorlato di Cologna Veneta... o avere la libertà di prendere un prodotto soltanto!

## Cosa si gusta quest'anno

### Le new entry

Oltre all'aumento dei canali distributivi, per il Natale 2020 FFC ha messo a disposizione dei propri sostenitori un ventaglio più ampio di dolci da offrire, certi di poter intercettare ancora più sostenitori!

### Dacasto. BioBuono di natura

Per i palati che scelgono solo ingredienti biologici e naturali, quest'anno arrivano i panettoni **Dacasto**, preparati con lievito madre in purezza e disponibili nella versione tradizione e con gocce di cioccolato. Li riconoscete dalla nuova confezione verde FFC!



### GIV e Bolla. Profumo di Valpolicella

Gruppo Italiano Vini, da anni accanto alla Fondazione, promuove con la Cantina Bolla un Progetto Speciale a sostegno della Ricerca FFC: una raffinata edizione limitata (3000 bottiglie) di eccellente Valpolicella Ripasso Superiore **Le Poiane Bolla**, della rinomata cantina scaligera, il cui ricavato sarà interamente devoluto a FFC.



### Grimaldi. Dolci e bollicine in un unico dono

Per coloro che desiderano offrire sia il dolce sia le bollicine per il brindisi, il Natale FFC 2020 si arricchisce di **due confezioni regalo Grimaldi**, per donare un panettone o un pandoro (700 g), praline fondenti ripiene di crema al latte e biscotto (116 g) e una bottiglia di spumante millesimato dolce Bolla Cris.

### Le bontà tradizionali FFC

Non c'è festa senza i gadget che da anni fanno del Natale FFC un appuntamento imperdibile:

- ★ i panettoni Fiasconaro, ricchi dei profumi e dei sapori inconfondibili della Sicilia;
- ★ il panettone Fraccaro, famoso per il suo cremoso ripieno al limoncello;
- ★ gli irresistibili bocconcini di mandorlato provenienti da Cologna Veneta, I Vorrei;
- ★ le specialità al cioccolato al latte o fondenti, con presepi, trenini e palline di Natale.

**Prodotti nuovi e tradizionali, li trovi tutti nella pagina seguente!**



# Sostieni la Ricerca verso una "Cura per tutti". A NATALE, ORDINA I GADGET FFC.

[regalisolidali.mondoffc.it](http://regalisolidali.mondoffc.it)

Al fine di rispondere agli imprescindibili requisiti di sicurezza, distanziamento e rispetto delle norme sanitarie anti-Covid, quest'anno Fondazione Ricerca Fibrosi Cistica (FFC) offre un canale integrativo, per facilitare la distribuzione dei gadget che finanziano la Ricerca per i malati di fibrosi cistica ancora orfani di cura.



## Panettoni artigianali FFC

Ordinabile singolarmente oppure in una combinazione di tre panettoni a scelta del catalogo FFC: tradizionale o con gocce di cioccolato dei Maestri Pasticceri Fiasconaro (750 g); tradizionale o con gocce di cioccolato con ricetta Dacasto con ingredienti naturali e biologici e lievito madre (750 g); il soffice panettone Fraccaro farcito con fresca crema al gusto di limoncello (750 g).

### Offerta consigliata:

Panettone singolo a partire da € 18 (spedizione esclusa)  
Tris di panettoni a partire da € 51 (spedizione esclusa)

## Selezione di mandorlato e cioccolato

Da combinare in base alle preferenze: mandorlato morbido di Colonia Veneta, in bocconcini tradizionali (200 g) o ricoperti al cioccolato (250 g); presepe di cioccolato fondente (250 g); confezione di palle di Natale con cioccolatini assortiti (100 g).

### Offerta consigliata:

a partire da € 36 (spedizione esclusa)



## Selezione di mandorlato

Per gli amanti del mandorlato di Colonia Veneta: 4 confezioni di bocconcini di mandorlato, assortito a seconda dei gusti, tradizionale (200 g) o ricoperto al cioccolato (250 g).

### Offerta consigliata:

a partire da € 40 (spedizione esclusa)



## Selezione al cioccolato

Se il cioccolato è la vostra passione, componete il vostro kit a scelta con: confezione di palle di Natale con cioccolatini assortiti (100 g), presepe di cioccolato fondente (250 g).

### Offerta consigliata:

a partire da € 32 (spedizione esclusa)



Il valore dell'offerta consigliata può variare a seconda delle combinazioni selezionate; i costi di spedizione sono esclusi; la consegna verrà effettuata in circa 5 giorni lavorativi dall'ordine.

CAMPAGNA NAZIONALE 2020

# Alla ricerca di nuove rotte per affrontare sfide inedite

La Campagna Nazionale per la Ricerca FFC diventa "maggiore" e giunge alla XVIII edizione, in un anno che non verrà dimenticato. I mesi che l'hanno preceduta sono stati intensi, con notizie ottime (l'avvicinarsi di Kaftrio) e sfide inedite portate dalla pandemia.

Mesi anche fertili, in cui FFC ha reimpostato il navigatore per orientarsi con determinazione verso l'obiettivo: la Ricerca della Cura per tutti. Sono ancora molti i malati FC orfani di terapia, con mutazioni rare o condizioni che rendono impossibile il trattamento con i farmaci esistenti. FFC lavora perché nessun malato sia trascurato dalla Ricerca. Come si è capito dalla conferenza stampa di lancio della Campagna Nazionale, il 24 settembre al Centro Filologico di Milano, il 2020 segna per FFC anche una profonda rivoluzione dal punto di vista della strategia, che irreversibilmente catapulta la Fondazione nel digitale con decisione sempre maggiore e le fa muovere veloci passi nel Corporate Fundraising (con aziende private) e nelle partnership istituzionali (con la Federazione Italiana di Atletica Leggera).

Nella prospettiva di ampliare le opportunità di contribuire alla Cura per tutti, inoltre, quest'anno la Campagna Nazionale è eccezionalmente prolungata fino al 15 novembre.

campagna nazionale

## Chi sono i nuovi partner della Campagna Nazionale FFC

Il complesso periodo che stiamo vivendo ha reso necessaria l'attivazione di un altro canale di distribuzione per permettere di sostenere la Ricerca anche a tutti coloro che alle piazze preferiscono un'alternativa a distanza: per la prima volta il Ciclamino della Ricerca FFC arriva dunque su Amazon ([amazon.it/ciclamino-della-ricerca-ffc](https://amazon.it/ciclamino-della-ricerca-ffc)), anche grazie al contributo dell'energy company Pulsee, marchio Axpo Italia, che per il secondo anno sceglie di affiancare Fondazione e i suoi ciclamini. Accanto a FFC anche Everli, marketplace leader della spesa online in Italia che, fino a Natale, promuoverà la Ricerca FFC sulla propria piattaforma digitale e tramite l'App mobile, trasmettendo il messaggio "Una Cura per tutti" a chi farà la spesa da casa (presso oltre 20 insegne).



Conferenza stampa di lancio della Campagna Nazionale per la Ricerca al Centro Filologico di Milano



Da sinistra, il presidente FFC Matteo Marzotto; Edoardo Hensemberger, testimonial; Roberto Proia, sceneggiatore del film "Sul più bello"; Fabio Pagliara, segretario generale FIDAL; Monica Sala, giornalista di Radio Monte Carlo; Gianni Mastella direttore scientifico FFC; in primo piano Davide Valier, testimonial

## Fidal, campioni in corsa per la causa FFC

Lo sport a sostegno della Ricerca per sconfiggere la fibrosi cistica: una partnership pluriennale è stata siglata con la Federazione Italiana di Atletica Leggera, che coinvolgerà gli Azzurri in qualità di ambassador della causa FFC: "I nostri Campioni sono lo specchio del mondo dello sport: generosi e solidali - ha dichiarato segretario il generale Fabio Pagliara - sempre pronti a mobilitarsi per le giuste cause". Intervenuta anche la campionessa azzurra Eleonora Giorgi, bronzo mondiale della 50 km di marcia, e presente con un video il velocista Filippo Tortu, detentore del record italiano dei 100 metri.



Eleonora Giorgi



Filippo Tortu

## "Dietro il microscopio". Chi sono i ricercatori FFC?

La Ricerca diventa coprotagonista della narrazione FFC, accanto a testimonial e volontari, con il progetto "Dietro il microscopio", ospitato sul sito fibrosicisticaricerca.it nella sezione Storie (con la prima uscita dedicata a Anna Cereseto del CIBIO di Trento, nella foto a destra).

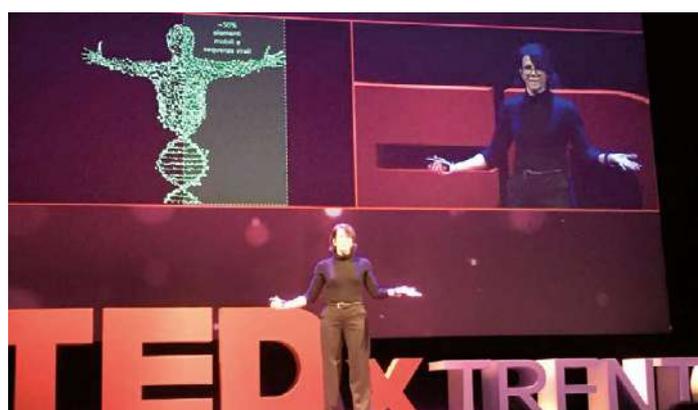
Ogni progetto selezionato e finanziato da Fondazione è portato avanti da un gruppo di ricercatori. Ma che persone sono? Perché dedicano passione e impegno alla fibrosi cistica? E fuori dai laboratori? Con un viaggio in tutta Italia, FFC si propone di conoscere meglio i ricercatori FFC, che da anni aiutano a dare VI-TA in più da dietro le lenti di un microscopio.

## "Sul più bello" arriva un nuovo film sulla FC

Sul grande schermo un nuovo film che parla di sogni e sfide in salita, in una quotidianità affiancata dalla fibrosi cistica. Marta, protagonista di "Sul più bello", è affetta dalla mucoviscidosi, come la chiamano nel film, e la racconta con intelligenza e con l'ironia dei suoi 19 anni.

In virtù dell'aderenza alle attuali conoscenze scientifiche sulla malattia e del potenziale divulgativo, FFC - presente con Matteo Marzotto alla prima del film, in occasione del Festival del Cinema di Roma - ha concesso il patrocinio scientifico al film italiano uscito in ottobre nelle sale cinematografiche, diretto da Alice Pagani, prodotto e distribuito da Eagle Pictures, con la sceneggiatura di Roberto Proia.

Presente alla conferenza stampa FFC, Proia ha dichiarato: "La protagonista affronta la fibrosi cistica con consapevolezza e immedesimazione, ma senza mai permettere alla malattia di definire chi è. Decide di essere per se stessa e per gli altri molto più di una malattia." Una pellicola intensa che, senza scadere in un tono compassionevole, fa emergere la forza, il coraggio e la voglia di sognare e di vivere dei malati.



## Back to School con i kit FFC



Con un video Giada presenta Back to School a sostegno della ricerca



Sara e i piccoli Sveva e Diego mostrano i kit distribuiti dalla Delegazione di Palermo

In autunno le aule si sono riaperte e gli studenti hanno potuto rivedere i loro compagni di classe. Non tutti hanno potuto farlo con la stessa leggerezza. Lo racconta Giada, 14 anni, nel video di lancio dell'iniziativa: "anch'io vorrei tornare tra i banchi e rivedere i miei amici. Ma io ho la fibrosi cistica e non posso correre rischi. Per me il rientro sarà più complicato".

L'invito è a sostenere la ricerca perché solo grazie ai suoi progressi i ragazzi di oggi potranno diventare adulti e avere una vita come tutti gli altri. L'iniziativa *Back to School* con FFC, lanciata da Fondazione, desidera rendere il rientro a scuola più sicuro e solidale con l'offerta di un kit: gel igienizzante per le mani, borraccia per l'acqua e un astuccetto con matite colorate. Ad oggi sono stati quasi **700** i kit ordinati, di cui **400** solo dalla Delegazione FFC di Palermo!

Sul sito [mondoffc.it](http://mondoffc.it) potete trovare il **vostro kit** oppure i singoli prodotti.

## INVESTIMENTI PER FARSI NOTARE

### La pandemia non ferma la sensibilizzazione

Nuovi manifesti, spot TV e radio. Un'evoluzione della Campagna VI-TA, con focus sulle mutazioni rare e sulla Ricerca (Davide Valier e Francesco Berti, interviste a pag. 28). FFC non si è fatta intimidire dalle difficoltà del momento e ha creduto nella necessità di investire nella comunicazione, per accrescerne potenza e visibilità, nonostante l'attenzione dei media per il Covid-19. I maggiori investimenti sono su testate d'informazione, in larga misura digitali e radiofoniche (fonti privilegiate di aggiornamento) che intercettano pubblici del mondo business/alto-spendente e generalista: Il Sole 24 Ore, Radio 24, Corriere.it, La7.it, IoDonna.it, affiancati a una pianificazione di tipo programmatico (spazi pubblicitari in una selezione di agenzie stampa, media nazionali e locali, come Ansa, Il Messaggero o La Sicilia).

Confermando il loro importante sostegno a Fondazione, Rai, La7 e Sky hanno accolto la richiesta di trasmettere gratuitamente lo spot FFC, così come un'ottantina di TV e Web TV locali, oltre ad almeno 130 radio locali in tutta Italia. Altre testate generose si sono fatte avanti per contribuire donando pagine pubblicitarie e spazi redazionali.

A tutto ciò andrà sommata la sensibilizzazione e la visibilità che verranno dal film "Sul più bello" e dall'attività di ufficio stampa, dei partner e di tutta la rete FFC.



## I social in ottobre

7.400  
Follower

Instagram  
[@fondazioneffc](https://www.instagram.com/fondazioneffc)

44.000  
Fan

Facebook  
[@FondazioneRicercaFibrosiCistica](https://www.facebook.com/FondazioneRicercaFibrosiCistica)

## Bike Tour FFC 2020

Il susseguirsi di nuovi decreti e norme di contrasto alla pandemia rende al momento impossibile dare alle stampe informazioni certe. Sarà necessario tenersi aggiornati su [fibrosicisticaricerca.it](http://fibrosicisticaricerca.it)!



"Un giorno vorrei avere dei figli, fare il ricercatore scientifico..." Sono questi e molti altri i desideri di Davide raccontati nello spot Tv/web, con l'invito a sostenere la ricerca, per non permettere alla fibrosi cistica di spezzare la sua vita.



Davide e Francesco durante lo shooting all'IIT per la realizzazione del nuovo manifesto di Campagna

## Dietro le quinte della nuova Campagna VI-TA

Ogni imprevisto può essere un'opportunità. Anche il Coronavirus. La pandemia è stata infatti foriera di un rinnovato senso civico: tutti hanno visto come piccoli gesti individuali (restare a casa, la mascherina, una donazione) possano davvero fare la differenza. Solo insieme si può raggiungere l'obiettivo di sconfiggere una malattia.

La Campagna Nazionale FFC 2020 ha voluto rafforzare questo messaggio: solo l'unione fa la VI-TA. Due nuovi manifesti, i protagonisti "spezzati" sulla carta: NON SPEZZARE LA VITA, SOSTIENI LA RICERCA. Visivamente, uno strappo separa il presidente Matteo Marzotto da Edoardo Hensemberger, testimonial, e la scritta VITA sulle loro t-shirt. Altrettanto fa con Davide Valier, testimonial con una mutazione rara, e Francesco Berti, ricercatore dell'Istituto Italiano di Tecnologia (IIT). La foto è stata scattata in un laboratorio dell'IIT, dove opera il dottor Tiziano Bandiera, *Principal Investigator* del progetto strategico *Task Force for Cystic Fibrosis*, insieme al suo team, di cui Francesco fa parte.

Accanto ai manifesti, la Campagna si arricchisce anche di due spot, dedicati alla divulgazione televisiva, web e radiofonica. Protagonista è sempre Davide che racconta ciò che gli piace e lo diverte: un elenco spezzato dal rumore di uno strappo per i 30" Radio e dalla brusca interruzione del video sullo schermo per la versione web-Tv.

La quotidianità leggera di un ventenne malato di fibrosi cistica si ferma se la ricerca non è in grado di trovare soluzioni: una risposta per tutti, anche per le mutazioni meno diffuse - tra le 2.000 che determinano la FC - al momento prive di un farmaco capace di correggerle.

Con la notizia dell'avvicinarsi di Kaftrio in Europa, risulta ancora più importante che la ricerca vada avanti e concentri gli sforzi per trovare composti efficaci per i tanti ragazzi orfani di cura. E solo con il sostegno di tutti la loro vita potrà riprendere il suo corso.

Davide Valier e Francesco Berti sono i protagonisti della foto scattata a febbraio (sì, prima del Covid) nel laboratorio dell'IIT, a Genova. Curiosi di conoscerli meglio? Abbiamo chiesto loro un aiuto ulteriore dopo lo shooting: di intervistarsi a vicenda.

### Davide intervista Francesco

**"Frequentare i volontari mi serve a ricordare sempre qual è l'obiettivo finale"**

**Ciao Francesco! Tutta FFC vorrà sapere chi sei dopo averti visto nella Campagna Nazionale, dunque...**

"Nato e cresciuto in un paesino vicino a Pisa, dove spendevo intere giornate al campetto di calcio o in bici. Vivendo in campagna, ero sempre circondato e incuriosito dalla natura e lì sono iniziati i miei primi esperimenti. La curiosità poi è diventata una vera e propria passione che mi ha spinto a intraprendere studi scientifici. All'università ho scelto Chimica e Tecnologia Farmaceutica e dopo la laurea ho conseguito il dottorato in Scienza del Farmaco, trascorrendo alcuni mesi in Spagna e in Olanda per approfondire i miei studi. Circa quattro anni fa sono arrivato a Genova all'Istituto Italiano di Tecnologia (IIT), dove mi sono unito al progetto *Task Force for Cystic Fibrosis* (TFCF) sostenuto da FFC.

Nel gruppo del dottor Bandiera lavoro come chimico medicinale, insieme ad altri quattro giovani ricercatori. È un lavoro di squadra, dove ogni nuovo composto molecolare viene progettato, sintetizzato in laboratorio e testato su saggi biologici per capirne l'efficacia. In base al risultato prepariamo un nuovo composto con una piccola modifica e valutiamo se è positiva o negativa. È un processo molto lungo, che richiede molto lavoro e tante risorse".

**Quanta passione e coraggio servono per scegliere di fare il ricercatore in un paese come l'Italia?**

"Sicuramente passione e motivazione, perché ogni risultato è il frutto di tanti tentativi andati male".

**Qual è il tuo rapporto con il volontariato FFC e le Delegazioni genovesi?**

"Vengo spesso coinvolto dalla responsabile della Delegazione FFC di Genova, Sandra Garau, per i banchetti durante la campagna del ciclaminio. Ogni anno grazie a lei organizziamo una postazione a Genova, insieme ad alcuni colleghi e ai volontari FFC. Per chi è abituato a trascorrere molto tempo in un laboratorio è bello incontrare tante persone, ascoltare la loro storia, poter descrivere il nostro lavoro, spiegare cosa sia la fibrosi cistica e che cosa faccia FFC. Tutto ciò rende ancor più completo il mio lavoro perché mi ricorda sempre l'obiettivo finale e mi motiva nelle sfide più complicate".



## Francesco intervista Davide

**"Non importa se qui, in Canada o negli Usa, l'importante è che si trovi una cura"**

**Caro Davide, sei più giovane di me, ma come testimonial penso tu abbia molta più esperienza. Qual è la motivazione che ti ha convinto a metterci la faccia?**

"Ho preso parte a qualche altra iniziativa in passato, ma nulla di così impegnativo e divertente come questa Campagna. Ho cominciato in terza superiore, raccontando sul sito la mia esperienza. Da lì ho partecipato a diverse iniziative, spinto dall'idea che se non lo faccio io che sono direttamente coinvolto, chi lo dovrebbe fare? Non posso pretendere che persone estranee alla fibrosi cistica investano tempo e soldi per questa causa se non sono io il primo".

**Al di fuori dell'impegno per la FFC, ti capita di parlare di FC? Che rapporto hai con le domande sulla malattia?**

"Sì, spesso. Devo spiegare perché prendo medicine quando mangio o perché non frequento certi ambienti per me non ideali (uno dei pochi ventunenni mai andato in discoteca!). Al liceo ne ho parlato molto, sia ai compagni in una lezione dedicata a FC, sia all'esame di maturità, perché ho scelto una tesina sulla mia malattia e la medicina personalizzata. Parlarne non mi dà fastidio, fa parte della mia vita, e ometterla sarebbe nascondere parte di me".

**All'università hai scelto biotecnologie: ti dà modo di approfondire maggiormente anche le tue terapie e l'andamento della ricerca? Che sbocco professionale sogni, ricerca magari?**

"Assolutamente sì, anche se non l'ho scelto per la fibrosi cistica. Capisco meglio l'andamento delle infezioni, della malattia, come funziona CFTR dal punto di vista molecolare. Nel pieno panico da Coronavirus, aver fatto corsi come immunologia e microbiologia mi permette di stare calmo e non perdere la testa. Il mio obiettivo era lavorare in azienda, non la ricerca. Ora la sto riconsiderando, frequentando di più i laboratori. Probabilmente però andrei all'estero".

**L'anno scorso sei stato in Canada per donare i tuoi campioni a un progetto di ricerca per una tua mutazione rara. Che idea ti sei fatto della ricerca all'estero e di quella italiana?**

"In Canada è tutto diverso, basti pensare che l'*Hospital for Sick Children*, dove sono stato, è un grattacielo enorme in pieno centro, con ospedale pediatrico e laboratori. Ci sono una concezione e un'organizzazione diverse, e soprattutto più fondi. Ma l'importante è che si trovi una cura. Che sia qui, in Canada, o negli USA poco importa. Anche per Trikafta, già approvato negli USA e spero presto in arrivo da noi. Anche l'IIT di Genova mi ha fatto un'ottima impressione, mi è parso all'avanguardia e ho trovato la stessa mentalità del Canada, con laboratori open space e collegati per favorire il flusso di informazioni".

**In questo periodo storico le persone, e soprattutto i giovani, condividono molto della propria vita privata sui social. Pensi che possa essere una ricchezza?**

"Sicuramente i social danno un'arma in più per sfogarsi, parlare sia con altri malati (con cui di persona non possiamo interagire) sia con chi ci segue, per informarsi e confrontarsi. Credo che un pubblico faccia sentire meno soli".

GB

# Ciclamino, fiore resiliente come la community FFC



## Primi scatti nelle piazze

Sono tanti i volontari FFC che non si sono persi d'animo davanti alla pandemia e, armati di mascherine, guanti e gel, hanno allestito postazioni d'offerta del Ciclamino della Ricerca FFC in tutta Italia. Presenti, per non perdere l'appuntamento annuale con le piazze e non fare mancare il proprio sostegno alla ricerca.

Qui di seguito pubblichiamo alcune loro foto, quelle dei più lesti a inviare le proprie testimonianze mentre la Campagna Nazionale è ancora in corso.

Dalla Delegazione FFC Imola e Romagna arriva la foto di un banchetto colorato e festoso. E una ragione c'è: "abbiamo già distribuito più di 1.000 piante tra Imola e dintorni - racconta la responsabile, Patty Baroncini - e non è ancora finita! I banchetti assorbono dalle sette di mattina alle sette di sera ma io sono contenta perché stiamo facendo dei numeri simili allo scorso anno. Devo dire la verità: dato il momento, non ci speravo proprio, pensavo che la gente fosse meno disponibile, concentrata su altri problemi e invece con i volontari abbiamo deciso di osare, di ordinare tanti ciclamini e la risposta c'è stata, eccome!". Patrizia, in centro nella foto, con Marta a sinistra ed Elisa.



Verona. Miriam e Nicole aiutano mamma Diana nella distribuzione dei Ciclamini della Ricerca FFC.



A Siniscola (Nuoro) una squadra tutta al femminile pronta per accogliere i sostenitori della Ricerca FFC.



Dalla Franciacorta la foto del piccolo Aiden nel bagagliaio dell'auto dei genitori, già pieno di ciclamini pronti per essere consegnati ai sostenitori di Fondazione.



C'è una volontaria speciale al banchetto di Genova, accanto alla responsabile della Delegazione, Sandra Garau: al centro della foto Nicoletta Pedemonte, ricercatrice della rete FFC all'Istituto Gaslini, UOC Genetica Medica di Genova. Sempre vicina a Fondazione, in laboratorio e anche nelle piazze a fianco dei volontari.



Giornate difficili per raccogliere fondi, tra paure e distanze. "Oggi però – racconta su Instagram Cecilia Cascone, responsabile della Delegazione FFC di Roma – abbiamo avuto un'ospite d'eccezione, la professoressa Maria Luisa Mangoni, ricercatore per Fondazione e professore associato presso il Dipartimento di Scienze Biochimiche dell'Università La Sapienza di Roma. La sua presenza ha voluto testimoniare sul campo la vicinanza a tutti coloro che, nonostante le difficoltà di questo brutto periodo, hanno contribuito a raccogliere i fondi per finanziare i progetti di ricerca FFC. Per noi volontari è stato un gesto prezioso: il loro lavoro è la nostra speranza di vita, il nostro impegno è la garanzia per portare a compimento il loro. Solo insieme si può vincere".



Banchetto di ciclamini giovanissimo quello della Valpolicella, in provincia di Verona. Troviamo Maria, a sinistra, che è anche stata protagonista di uno degli scatti della scorsa Campagna Nazionale, qui insieme a due amiche pronte ad accogliere i sostenitori della Ricerca.



I volontari di Campiglione Fenile hanno sfoderato le magliette VI-TA, ciclamini, materiale informativo sulla Fondazione e... qualche dolcetto per compensare la distanza di sicurezza.



Non dimenticate di mandare le foto scattate durante la Campagna Nazionale a [isabella.boarato@fibrosicisticaricerca.it](mailto:isabella.boarato@fibrosicisticaricerca.it) per vederle pubblicate sui profili Facebook e Instagram di Fondazione.



eventi  
solidali

# Lo sport che fa correre la Ricerca

## Un respiro in prestito dai runner di Fidal

La collaborazione con la Federazione Italiana di Atletica Leggera ha mosso i primi passi all'inizio di luglio in occasione dell'evento sportivo "Respiro in Prestito": la prima *virtual charity run* ideata da FFC in collaborazione con Runcard, la community dei runner che fa appunto capo a Fidal.

Ogni partecipante, dopo l'iscrizione e la donazione iniziale, si impegnava a percorrere almeno 5 km camminando o correndo, da solo o in compagnia. Gli iscritti sono stati più di 700 e i km totali percorsi da nord a sud oltre 3.500.

La generosità della community FFC e quella dei runner, unita al contributo simbolico di 1.000 euro di Runcard, ha permesso di raccogliere più di 7.000 euro a sostegno della Ricerca FFC. Un'occasione unica per diffondere la conoscenza della fibrosi cistica e sensibilizzare coloro che non conoscevano l'attività di Fondazione, anche tramite i social. Ogni partecipante è stato infatti invitato a condividere gli scatti della propria corsa o camminata sui social: circa un centinaio le foto postate.

Su [fibrosicisticaricerca.it](http://fibrosicisticaricerca.it) sono state pubblicate la classifica finale e le immagini migliori.



## Donne alla conquista del Monte Rosa



Valeria Lusztig, 45 anni, è nata con la fibrosi cistica e nel 2017 ha affrontato un trapianto bipolmonare. Non sembra la premessa più indovinata per un'impresa a 4.167 metri di altitudine, sul Monte Rosa. Eppure "Guardami adesso", questo il nome dato alla sua avventura, vuole "volutamente essere arrogante e sapere di rivalsa".

E infatti Valeria ce l'ha fatta (a sinistra nella foto), insieme all'amica Ilaria Pietropaolo: facendosi forza l'un l'altra, lo scorso 26 agosto hanno raggiunto la cima Balmenhorn, nota anche come Cristo delle Vette, portando Valeria ad essere tra le prime donne con doppio trapianto di polmone a raggiungere e superare i 4.100 metri di altitudine.

La generosità che unisce Valeria e Ilaria le ha condotte ad aprire una raccolta fondi a sostegno di Fondazione. Grazie all'eco mediatica che la loro impresa ha scatenato, hanno raccolto più di 2.600 euro.



Rachele e la navigatrice Giulia Zanchetta al Rally di Roma Capitale

## Rachele, Monica e Paola, sempre in corsa per un respiro!

Rachele Somaschini, pilota milanese di rally e testimonial FFC, non si è mai fermata. Anche durante i mesi del lockdown ha continuato ad allenarsi, per riprendere con energia e grinta i suoi impegni sportivi e solidali non appena le condizioni l'avessero permesso.

Dal 24 al 26 luglio ha fatto il suo debutto nel Campionato Rally Europeo con la tappa di Rally Roma Capitale, in cui ha ottenuto un buon sesto posto, iniziando una stagione che terminerà in dicembre con il Rally di Monza.

Per questioni di sicurezza, tutte le gare sono a porte chiuse. Un vero peccato perché gli eventi sportivi di Rachele facevano anche da palcoscenico per l'iniziativa solidale da lei ideata #CorrerePerUnRespiro che sostiene la Ricerca FFC. Ma la giovane pilota, assieme alla Delegazione FFC di Milano tutta, non si è data per vinta, potenziando l'e-shop solidale del sito [correreperunrespiro.it](http://correreperunrespiro.it) con nuovi gadget: "ne sono stati spediti tantissimi, per un totale di 7.100 euro, un vero record - racconta fiera Rachele - e per questo devo ringraziare mia mamma Monica e Paola Ferlini, responsabile della Delegazione, un team davvero forte di cui non potrei mai fare a meno. Grazie anche ai fan che mi seguono sempre e sostengono #CorrerePerUnRespiro e a tutti gli addetti ai lavori, insieme siamo una grande famiglia".

Le buone notizie non finiscono qua. A fine luglio un generoso donatore di nome Franco ha dato un contributo di 20.000 euro alla Ricerca in fibrosi cistica, facendo così superare la soglia di 31.000 euro di donazioni raccolte dall'iniziativa della pilota milanese da inizio anno.

"Non è un gesto isolato", tiene a precisare Rachele. Franco e la pilota si sono conosciuti durante un taxi rally organizzato a scopo benefico. "Ho raccontato la mia storia, la malattia e la mia grande passione per i motori". Da allora, Franco e tutta la sua famiglia sono diventati grandi sostenitori di #CorrerePerUnRespiro. "Non conoscevo le problematiche della fibrosi cistica - ha raccontato Franco - ma ho approfondito la cosa, ne ho capito la gravità e ho sentito il desiderio di dare un aiuto concreto. All'epoca di quell'evento ero reduce da un incidente domestico e mi ero ripromesso di trasformare il danno di quell'infortunio in qualcosa di buono. Così ho fatto, devolvendo il risarcimento alla ricerca sulla fibrosi cistica".



Franco, a sinistra nella foto, è un nuovo generoso sostenitore della Ricerca FFC

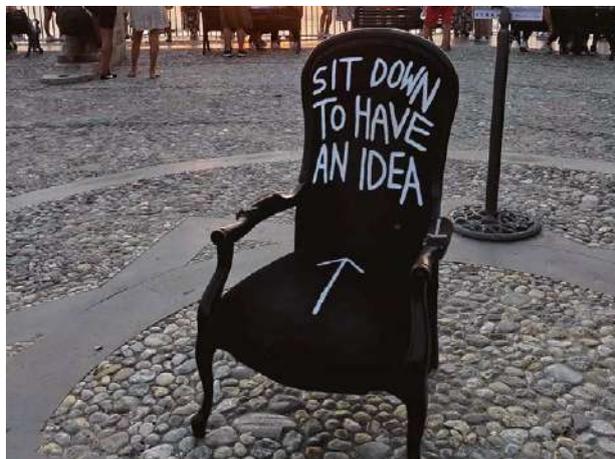


# L'Arte per la Ricerca FFC

## *Sit Down to Have an Idea a favore della fibrosi cistica*



Andrea Bianconi seduto sulla Poltrona d'Artista a Cima Carega



La Poltrona d'Artista sulla terrazza di Tropea



Chiara e Annamaria Antoniazzi della Delegazione FFC di Vicenza alla tappa di Chiampo/Cima Carega

Andrea Bianconi è un artista vicentino riconosciuto come uno dei più interessanti delle nuove generazioni, autore di opere esposte in musei di tutto il mondo. Ha scelto la Fondazione Ricerca Fibrosi Cistica come charity partner del suo recente progetto artistico *Sit Down to Have an Idea*, in collaborazione con Casa Testori e Fondazione Coppola.

Dopo aver occupato con la sua Poltrona d'Artista, simbolo del progetto, diversi spazi urbani di Bologna e culturali del Teatro Duse, l'artista ha raggiunto il 5 luglio la vetta di Cima Carega, nelle Piccole Dolomiti. E proprio a partire da questa prima tappa, ha iniziato a portare con sé anche Fondazione, realizzando appositamente per l'occasione delle Bandane d'Autore, offerte a sostegno della Ricerca in fibrosi cistica.

Il primo agosto ha fatto da sfondo alla sua performance la meravigliosa alba che si gode dalla terrazza di Tropea; il 13 settembre ha raggiunto Colletta di Castelbianco, antico borgo medievale in provincia di Savona, riconosciuto tra i più belli d'Italia; terminando con l'ultima tappa a Chiampo (VI) lo scorso 19 settembre. Il giorno seguente è stata la volta dell'evento sportivo amatoriale *From Chiampo to Carega* - edizioni Zero, che ha simbolicamente collegato con una linea ideale la Poltrona d'Artista portata a Cima Carega il 5 luglio e quella donata al Comune di Chiampo: un'unione per avvicinare l'arte allo sport e alla solidarietà.

Si ringraziano le Delegazioni FFC che hanno rappresentato Fondazione nelle varie tappe dell'iniziativa.

Al termine del progetto artistico, Bianconi ha scelto di donare una sua opera alla Ricerca FFC: "una naturale evoluzione del percorso artistico-solidale iniziato insieme, in cui ho potuto conoscere ancora più in profondità la causa di Fondazione, le persone che vi lavorano e i volontari, mossi da autentica passione e altruismo, che instancabilmente si prodigano per avvicinare l'obiettivo, trovare una cura per tutti i malati".



Le volontarie della Delegazione FFC di Genova con le Bandane d'Autore a Colletta di Castelbianco

## Annalù, un'opera per rigenerare il respiro

Annalù Boeretto è un'artista veneziana conosciuta nel panorama artistico contemporaneo, i cui lavori sono esposti in collezioni pubbliche e private in Italia e all'estero. L'artista ha scelto di donare una sua opera, Arborea, alla Ricerca FFC.

Arborea è stata concepita nel periodo in cui Annalù ha scoperto di essere portatrice sana di fibrosi cistica. La riflessione sulla mancanza di respiro si è trasformata nell'immaginare una Driade moderna che, come le antiche ninfe boschive, ha il potere di dare vita con la sua forza rigeneratrice.

"Arborea - ricorda Annalù - è nata nel periodo in cui ho approfondito le caratteristiche della malattia. Concretamente, mi sono resa conto che la mia arte poteva diventare un'opportunità per portare un contributo alla Ricerca scientifica sulla fibrosi cistica e così ho preso contatti con FFC. Nella mia visionarietà, l'opera rappresenta l'afflato vitale dell'Arte che dona respiro a chi non ce l'ha".

Arborea viene battuta all'asta con un valore iniziale di 20.000 euro e il ricavato sarà interamente devoluto a FFC. Arborea è ora visibile presso la galleria Punto sull'Arte di Sofia Macchi a Varese.

Sul sito [fibrosicisticaricerca.it](http://fibrosicisticaricerca.it) potete trovare la pagina dedicata a "L'Arte per FFC", dove leggere l'intervista all'artista, il regolamento dell'asta e approfondimenti sull'opera.



## Poesia, musica, incontri e foto per accompagnare la Ricerca

### Sulle ali della speranza

Barbara Brindani è una poetessa e "Sulle ali della speranza" è la sua raccolta di poesie. Con un generoso gesto ha scelto di destinare il ricavato della vendita delle copie, 3.000 euro, alla Ricerca in fibrosi cistica. Alcune sono ancora disponibili presso la Delegazione di Villa d'Almè.

"Avevo stampato altre copie - spiega Barbara - perché speravo di poter partecipare con la Delegazione ad altri piccoli eventi, ma la situazione attuale non ce lo permette".

Barbara è amica della responsabile della Delegazione di Villa d'Almè, Emanuela Martinelli. Anni fa ha perso un figlio a causa di un tumore e da allora, dice, "cerco di aiutare laddove posso, nel mio piccolo".



La raccolta di poesie è ordinabile scrivendo a: [emanuela\\_martinelli@virgilio.it](mailto:emanuela_martinelli@virgilio.it)  
Tutto il ricavato andrà a sostegno della Ricerca FFC.

## Solidarietà in concerto

L'Interrail Live Tour di Roberto Balbo ha fatto tappa a Brendola, in provincia di Vicenza lo scorso 20 settembre e all'evento erano presenti anche i volontari della Delegazione FFC di Vicenza. Parte del raccolto della serata, infatti, è stato destinato a un progetto di ricerca di Fondazione Ricerca Fibrosi Cistica da loro adottato.

Annamaria Antoniazzi, responsabile della Delegazione locale, racconta: "Quest'anno la prenotazione era obbligatoria e i posti limitati, in rispetto alle norme anti Covid-19. Tutte le regole sono state rispettate per garantire una serata piacevole e in sicurezza: è stato un bellissimo evento all'insegna della musica e della solidarietà".



## Si torna a respirare sotto le stelle

Monia e Giuseppe, responsabili del Gruppo di sostegno di Crevalcore, non si sono lasciati scoraggiare dal periodo e, seguendo tutte le norme imposte dalle istituzioni, hanno organizzato la seconda edizione della charity dinner "Un respiro sotto le stelle" tenutasi a Villa Prugnolo a San Giovanni in Persiceto (BO), in collaborazione con lo chef Maurizio Guidotti de L'Officina del Gusto.

La serata, patrocinata dal Comune di San Giovanni in Persiceto, ha raccolto quasi 12.000 euro a sostegno della Ricerca FFC. Alla cena ha partecipato anche il professor Gianni Mastella, direttore scientifico di Fondazione (nella foto sotto), che durante il suo intervento ha dato alcuni spunti sullo stato attuale della ricerca in fibrosi cistica.



## Quando resti senza respiro?

Dalla Delegazione FFC di Acqui Terme arriva una bellissima iniziativa: un concorso fotografico dal titolo-invito "A me la fibrosi cistica toglie il respiro. A te, invece, cosa toglie il respiro?". Ai partecipanti è stato chiesto di raccontare attraverso uno scatto quali sono i momenti che lasciano senza fiato, una condizione che i malati di fibrosi cistica conoscono molto bene. Sono arrivate tantissime foto. "Nel nostro cuore - dice Paola Zunino, responsabile della Delegazione - hanno vinto tutte!". Ringrazia i partner che hanno messo a disposizione i premi per i vincitori e tutte le persone intervenute. Un'altra preziosa e ben riuscita occasione per diffondere la conoscenza sulla fibrosi cistica. Nelle foto vediamo l'immagine vincitrice "La signora del lago" di Daniele Mensi e, più sotto, Paola Zunino durante la premiazione.



## A cena con la Ricerca

Lo scorso 24 settembre, Fabiana Aceto, Maria Antonietta Americo, Paolo Vigato e la Delegazione FFC di Torino hanno organizzato la "FibroCena" nell'elegante cornice di Villa Glicini.

Parte del raccolto della serata è stato destinato alla Ricerca FFC.



# event solidali

## Dall'incontro fisico al virtuale: vita sui social

### FaceApp: Voglio invecchiare!

Nei mesi scorsi abbiamo rispolverato il filtro di FaceApp, l'editor fotografico che permette di vedere ora come sarai domani da vecchio.

Per le persone sane è un gioco curioso e divertente per incontrare se stessi in futuro ma per i malati di fibrosi cistica porta impietosamente alla luce il problema della durata media di vita legato a questa patologia.

Alcuni giovani malati si sono prestati al gioco, per cercare di fare capire il drammatico limite alle persone che non conoscono la FC. Con questo claim: "Una App può farvi vedere dove solo la ricerca può farmi arrivare. L'aspettativa di vita media di un malato di fibrosi cistica supera di poco i 40 anni. Sostieni la ricerca!"

Loro sono: Davide, Giulia, Edoardo e Marila.



## Non c'è storia senza donazione

Sul sito [fibrosicisticaricerca.it](http://fibrosicisticaricerca.it) raccogliamo spesso testimonianze di vita dei malati e delle persone a loro vicine.

Sono storie importanti perché capaci di arrivare dritti al cuore dei lettori, per diffondere la conoscenza sulla malattia e avvicinarci alla sfida di Fondazione.

Per questo abbiamo avviato la rubrica "Non c'è storia senza donazione", con particolare successo per le testimonianze di mamma Elisa con la sua piccola Sofia (nella foto in alto), e quella di Mary (in basso) che ha deciso di diventare mamma nonostante sia malata di fibrosi cistica. A questi racconti sono state abbinate due raccolte fondi su Facebook che insieme hanno raggiunto quasi 2.000 euro di donazione alla Ricerca FFC.



Se vuoi leggere, cerca "Le storie" in [fibrosicisticaricerca.it/le-storie/](http://fibrosicisticaricerca.it/le-storie/)

## In diretta: come lo sport può aiutare la cura

"Sport filosofia di vita", è il titolo della diretta Facebook ospitata dal profilo Facebook FFC lo scorso 25 giugno.

Con la speciale moderazione dell'attore e presentatore Paolo Kessisoglu, sono intervenuti Matteo Marzotto, presidente FFC, Fabio Pagliara, segretario generale della Federazione Italiana di Atletica Leggera (FIDAL) e Rachele Somaschini, pilota di

rally e testimonial FFC. Si è parlato dell'importanza della pratica sportiva, di Ricerca e della Campagna 5x1000 a sostegno di FFC. Tanti i commenti e le condivisioni, con 150 persone che hanno seguito la diretta in simultanea. L'appuntamento ha anche presentato "Respiro in Prestito", la prima corsa virtuale organizzata da Fondazione (ne parliamo a pagina 31).



# Eventi felici



Michele Nicastro festeggia il compleanno con una raccolta a sostegno della Fondazione Ricerca Fibrosi Cistica. Grazie alla Delegazione FFC della Valpolicella per la foto!



L'1 agosto a Sacile (PN) si è festeggiato il battesimo della piccola Virginia. Grazie a mamma Susanna e papà Andrea Morassi per aver condiviso la foto con la community FFC!



3 ottobre, Pesaro. Una giornata davvero speciale per tutta la famiglia di Ludovica che ha ricevuto il battesimo. Tanti auguri!



Montescaglioso (MT), 11 ottobre. Prima comunione di Valentina che ha trasformato i ciclamini della Ricerca FFC in bomboniere per i suoi amici e parenti. Tanti auguri e congratulazioni anche a mamma Teresa e papà Roberto!

**Anche nei giorni più importanti e speciali della vita, c'è un modo per essere vicini alla Ricerca FFC.**

Nella sezione Regali Solidali sul sito [mondoffc.it](http://mondoffc.it), insieme a tanti doni pensati per celebrare gli avvenimenti da non dimenticare, trovate anche i biglietti d'auguri, sia virtuali che cartacei.

[regalisolidali.mondoffc.it/categoria-prodotto/lieti-eventi/](http://regalisolidali.mondoffc.it/categoria-prodotto/lieti-eventi/)



## Per donare

- Online sul sito: [fibrosicisticaricerca.it](http://fibrosicisticaricerca.it)
- Bonifico Unicredit Banca (senza commissione presso questi sportelli):  
IT 47 A 02008 11718 000102065518
- SWIFT-BIC code (per pagamenti dall'estero) UNCRITM1N58
- Banco BPM: IT 92 H 05034 11708 000000048829
- c/c postale n. 18841379
- 5x1000 alla FFC n. 93100600233

Le donazioni effettuate a favore di Onlus comportano il diritto di usufruire di alcune agevolazioni fiscali, così come previsto dal nostro sistema tributario.

Per approfondire: <https://www.fibrosicisticaricerca.it/benefici-fiscali-per-le-donazioni>



DONARE CON FIDUCIA

FFC aderisce all'Istituto Italiano della Donazione che ne attesta l'uso trasparente ed efficace dei fondi raccolti, a tutela dei diritti del donatore.



## Consiglio di Amministrazione

**Presidente** Matteo Marzotto

**Presidente emerito** Vittoriano Faganelli

**Vicepresidenti** Paolo Faganelli,  
Michele Romano

**Consiglieri:** Michele Bauli,

Riccardo Boatto, Cesare Braggion,  
Sandro Caffi, Francesco Cobello, Michele  
Gangemi, Giuseppe Lauria Pinter, Giuseppe  
Magazzù, Gianni Mastella, Laura Minicucci,  
Patrizia Volpato

## Direzione scientifica

**Direttore** Gianni Mastella

**Vicedirettore** Graziella Borgo

**Assistente** Federica Lavarini

## Comitato di consulenza scientifica

**Presidente** Giorgio Berton

**Consulenti** Paolo Bernardi, Paola Bruni,  
Roberto Buzzetti, Carlo Castellani, Oscar Moran,  
Gian Maria Rossolini

## Presidenza e Segreteria

**(G. Cadoni, F. Lavarini)**

Tel. 045 8123438-7037 - Fax 045 8123568

Ospedale Maggiore, Piazzale Stefani 1  
37126 Verona

fondazione.ricercaffc@aovr.veneto.it

gabriella.cadoni@fibrosicisticaricerca.it

federica.lavarini@fibrosicisticaricerca.it

## Direzione Scientifica (G. Mastella)

Tel. 045 8123567

gianni.mastella@aovr.veneto.it

## Vicedirezione Scientifica (G. Borgo)

Tel. 045 8127027

graziella.borgo@fibrosicisticaricerca.it

## Direzione di Gestione (G. Zanferrari)

Tel. 045 8127028

giuseppe.zanferrari@fibrosicisticaricerca.it

## Amministrazione (G. Cadoni,

**M. Bergamaschi, M. Giacomuzzi)**

Tel. 045 8123597 - 7034 - 7025

gabriella.cadoni@fibrosicisticaricerca.it

michela.bergamaschi@fibrosicisticaricerca.it

marina.giacomuzzi@fibrosicisticaricerca.it

## Comunicazione

**(V. Merighi, S. Chignola, I. Boarato, G. Bovi)**

Tel. 045 8123599 - 7026

valeria.merighi@fibrosicisticaricerca.it

stefania.chignola@fibrosicisticaricerca.it

isabella.boarato@fibrosicisticaricerca.it

giulia.bovi@fibrosicisticaricerca.it

*Progetti editoriali:* M. Zanolli

marina.zanolli@fibrosicisticaricerca.it

*Ufficio stampa:* P. Adami

Tel. 348 3820355

patrizia@clabcomunicazione.it

## Raccolta Fondi e Rapporti con il Territorio

**(F. Cabianca, L. Fratta, G. Buemi,**

**F. Morbioli)**

Tel. 045 8123605 - 7032 - 7033 - 7029

fabio.cabianca@fibrosicisticaricerca.it

laura.fratta@fibrosicisticaricerca.it

giusy.buemi@fibrosicisticaricerca.it

francesca.morbioli@fibrosicisticaricerca.it

*Corporate relations:* PF. Micara

Tel. 045 812 7029

pierfrancesco.micara@fibrosicisticaricerca.it

## fibrosicisticaricerca.it

**Fondazione per la Ricerca  
sulla Fibrosi Cistica**

**fondazioneffc**

**Fondazione Ricerca Fibrosi Cistica (FFC)**



**Presidente**  
MATTEO MARZOTTO



**Direttore Scientifico**  
GIANNI MASTELLA



**Presidente Comitato Scientifico**  
GIORGIO BERTON

## Delegazioni della Fondazione

Alessandria - Acqui Terme	366 1952515
Alessandria - Valle Scrivia	347 3095778
Ancona - Fabriano	347 8638704
Ascoli Piceno	320 4792114
Asti - Moncalvo	339 5819218
Avellino	349 3940749
Bari - Alberobello	329 2113764
Belluno	0437 943360
Bergamo - Trescore Balneario	338 4276716
Bergamo - Villa D'almè	335 8369504
Biella	331 9028525
Bologna	348 1565099
Brescia - Franciacorta Valle Canonica	340 6589530
Brindisi - Torre	327 2056244
Cagliari - Villasimius	348 7162291
Catania Mascalucia	333 1909983
Catania - Paternò	348 7237760
Catanzaro - Soverato	347 5283975
Cecina e Rosignano	340 6113886
Como - Dongo	334 3081368
Cosenza Nord	349 0519433
Cosenza Sud	347 9041138
Cuneo - Alba	333 6301943
Fermo	339 4758897
Ferrara	347 4468030
Firenze	333 6485308
Firenze - Reggello	328 7043136
Foggia	320 4848190
Genova	348 1634818
Grosseto - Manciano	333 8221877
Imola e Romagna	347 9616369
Latina	328 8042186
Lecce	388 3498587
Lecco Valsassina	338 9993582
Livorno	0586 808093
Lodi	347 0969534
Lucca	340 3436289
Matera Montescaglioso	334 3477508
Messina	349 7109375
Milano	335 456809
Napoli e Pompei	081 679151
Napoli - San Giuseppe Vesuviano	338 7032132
Novara	331 7287449
Olbia	334 6655844
Oristano - Riola Sardo	342 5133252
Padova - Monselice	042 974085
Palermo	338 4124077
Parma	0521 386303
Pavia	338 3950152
Pavia - Vigevano	339 2001843
Perugia	371 1464395
Perugia - Umbertide Città di Castello	320 9273469
Pesaro	347 0191092
Pescara	347 0502460
Prato	328 9076797
Ragusa - Vittoria Siracusa	338 6325645
Reggio Calabria	342 5618929
Reggio Emilia	0522 874720
Roma	331 8655610
Roma - Monterotondo	349 6500536
Roma - Pomezia	349 1538838
Roma - Vaticano	328 2442701
Rovigo	349 1252300
Sassari - Castelsardo	338 8437919
Siena	348 5435913
Sondrio - Morbegno	349 6852688
Sondrio - Valchiavenna	333 7063142
Taranto "A Carmen La Gioia"	320 8715264
Taranto - Massafra	329 2025039
Torino	328 8352087
Torino - Rivarolo Canavese	347 9672344
Trapani - Marsala	333 7240122
Treviso - Montebelluna	335 8413296
Treviso - Trevisano	340 6749202
Trieste	349 7246586

Varese	347 8347126
Varese - Tradate Gallarate	347 2441141
Verbania e V.C.O.	338 2328074
Vercelli	335 1264091
Verona	347 8480516
Verona - Bovolone	348 3395278
Verona - Cerea "Il Sorriso di Jenny"	339 4312185
Verona - Lago di Garda	348 7632784
Verona - Boschi Sant'Anna Minerbe	328 7140333
Verona - Val d'Alpone	328 9688473
Verona - Valdadige	340 6750646
Verona - Valpolicella	339 3316451
Vibo Valentia San Costantino Calabro	388 7767773
Vicenza	333 8877053
Viterbo	339 2107950

## Gruppi di sostegno della Fondazione

Agrigento	329 0165039
Alessandria - Casale Monferrato	392 6657566
Ancona Falconara	347 3329883
Arezzo	380 7784658
Bari - Altamura	334 7295932
Bari - Bitritto	340 1618950
Barletta	0883 519569
Benevento	347 4722532
Bergamo - Isola Bergamasca	349 5002741
Bologna - Crevalcore	380 6570161
Bolzano	327 9151521
Bolzano - Val Badia	333 6911430
Brindisi - Latiano	347 6350915
Cagliari - Isili	388 8925391
Campobasso	346 8744118
Codogno e Piacenza	348 1113384
Cosenza - Cassano allo Ionio	346 3553586
Cremona	389 1191703
Cremona - Genivolta	347 9345030
Crotone	340 7784226
Crotone "Vita in te ci credo"	328 6146195
Ferrara - Comacchio	339 6511817
Foggia - Manfredonia	347 5012570
Foggia - San Giovanni Rotondo	340 8789661
Genova "Mamme per la ricerca"	333 4761744
Gorizia - Grado	328 6523404
Imperia	339 5073139
La Spezia - Sarzana "Natalina"	349 7665757
Macerata - Civitanova Marche	349 3746720
Medio Campidano	349 7829841
Messina - Capo D'Orlando	331 9564678
Messina - Tremestieri	342 7197671
Milano - Casarile	339 2055787
Milano - Lainate	348 3807009
Milano - Magenta	339 4887552
Milano - Seregno	338 4848262
Modena - Sassuolo	333 5862932
Napoli - Saviano	339 3185405
Nuoro - Siniaccola	320 7953209
Padova - Urbana	347 0814872
Parma - Fidenza	334 6994359
Pistoia - Montecatini Terme	327 7054157
Ravenna - Faenza	0546 44310
Rovigo - Adria	377 2077527
Salerno - Golfo di Policastro	328 8660690
Sassari - Alghero	347 8650806
Savona - Spotorno	334 3368141
Siracusa - Melilli	333 2005089
Taormina	347 4222790
Teramo - Martinsicuro	388 9400461
Torino - Campiglione - Fenile	349 6250546
Torino - Chivasso	011 9172055
Torino - Ivrea	335 7716637
Torino - Nichelino	333 2923955
Trento - Ass.ne Trentina Fibrosi Cistica	340 5228888
Venezia - Mirano	340 1668645
Verona "Rita"	347 6064471



Fondazione Ricerca  
Fibrosi Cistica - Onlus  
fibrosicisticaricerca.it

**NON  
SPEZZARE  
LA VITA.  
SOSTIENI  
LA  
RICERCA.**

**ANCHE  
A NATALE.**

Davide Valier, 21 anni, malato di fibrosi cistica e Francesco Berti, ricercatore. FFC ringrazia l'Istituto Itiliano di Tecnologia.



**UNA CURA PER TUTTI  
NATALE PER LA  
RICERCA FFC 2020**

**Grazie ai ricercatori come Francesco, possiamo trovare una cura per tutti. Anche per i malati come Davide. Unisciti a noi. Su fibrosicisticaricerca.it cerca i doni natalizi che aiutano la ricerca.**