



Notiziario FFC Fondazione Ricerca Fibrosi Cistica - Onlus

DA VENT'ANNI, PIÙ RICERCA, PIÙ VITA.

ITALIAN CYSTIC FIBROSIS RESEARCH FOUNDATION

Presso Ospedale Maggiore - P.le Stefani 1 - 37126 Verona

n° 50 - dicembre 2017



RICERCA & MEETING

- 3 Ragione e sentimento per un futuro senza FC**
L'editoriale
- 4 Indianapolis: passi avanti su tutti i fronti**
Congresso nordamericano
- 6 Come cambiare il destino della proteina mutata**
Dove va la ricerca FFC
- 7 Cosa si muove nella Rete della ricerca FFC**
XV Convention
- 8 In tre mesi adottato il 100% dei nuovi progetti**
Record 2017

CAMPAGNE & NUMERI

- 12 L'invasione dei panettoni**
Buonissimo Natale
- 14 Un dono per Azzurra**
Raccolta natalizia per *Task Force*
- 16 550 mila euro raccolti: più ricerca, più vita**
Campagna nazionale
- 17 Alla ricerca di una sorriso, sesto atto**
Ottobre a Seregno
- 19 In bici con Max Lelli**
Pedalando per la ricerca
- 20 Piemonte e Valle D'Aosta: ogni tappa è una festa**
Sesto emozionante Bike Tour
- 26 20 candeline per accendere la ricerca**
Ventennale FFC alla Gran Guardia di Verona
- 28 Il sorriso di Daniela illumina la ricerca**
Appuntamenti molto speciali
- 30 Eventi felici**
L'album della famiglia FFC
- 32 Non c'è dono più prezioso del tempo**
La donazione di Natale



**Bollettino quadrimestrale della
Fondazione Ricerca Fibrosi Cistica - Onlus**
presso Ospedale Maggiore
Piazzale Stefani, 1 - 37126 Verona

Redazione Marina Zanolli, Rachele Perbellini, 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 Tipolitografia Artigiana snc di Menegoi Giorgio e Danilo
 Via Monte Carega 8 - S. Giovanni Lupatoto (VR)

Ragione e sentimento per un futuro senza fibrosi cistica

La Convention Scientifica di quest'anno ha segnato anche la celebrazione del ventennale FFC, culminata con una bellissima serata nella sala della Gran Guardia di Verona. Partecipare a questi eventi mi ha dato una grande emozione e ha rappresentato un'occasione di riflessione anche per me, che faccio parte del Comitato scientifico da così poco tempo.

La fibrosi cistica è una malattia complessa e gli studi della comunità scientifica (con il contributo determinante dei ricercatori italiani finanziati dalla FFC) hanno portato a progressi importanti nella comprensione dei meccanismi di insorgenza della patologia. Un fatto rilevante, sottolineato anche nella riunione di Verona, è che queste conoscenze si sono già tradotte in un notevole miglioramento sia nelle condizioni che nelle aspettative di vita dei pazienti. Un altro aspetto molto positivo che va sottolineato è che, nonostante la specificità delle lesioni genetiche e delle manifestazioni cliniche, nei meccanismi cellulari la fibrosi cistica ha molto in comune con altre malattie. Questo significa che progressi terapeutici ottenuti in altri campi possono avere ricadute benefiche sulla fibrosi cistica, allo stesso modo in cui altre malattie potrebbero beneficiare dei passi avanti compiuti dai "nostri" ricercatori, come ha bene illustrato Luis Galletta nella brochure del XV Seminario di primavera. In questo senso penso che FFC e il suo Comitato scientifico debbano continuare a investire in progetti innovativi in grado di reclutare nuove energie inserendole nella rete che la Fondazione ha già saputo creare. Questa rete si sta sempre più estendendo in Italia e nel mondo; ha creato sinergie scientifiche e tecnologiche che stanno contribuendo ad aumentare la comprensione della malattia e le possibilità di intervento pratico.

Alla riunione di Verona è stato anche tempo di bilanci. Abbiamo sentito la voce dei protagonisti – fondatori, atti-

visti, sostenitori, ricercatori, malati – oltre ai dati FFC (cifre raccolte, progetti finanziati, risultati della ricerca); le iniziative passate e future per aumentare la conoscenza della malattia nel pubblico. Viene spontaneo chiedersi se si è fatto abbastanza e, soprattutto, cosa si potrebbe fare per accorciare i tempi verso l'obiettivo futuro per cui lavoriamo, una terapia risolutiva per la malattia. In tutta sincerità penso che in questi vent'anni FFC abbia realizzato un miracolo, diventando una realtà importante nel panorama italiano. I ricercatori finanziati da FFC hanno già prodotto un risultato promettente, una molecola che è stata oggetto di brevetto e che rappresenta un esempio di come la chimica, insieme a un sistema di analisi biologico rigoroso, possa portare a rapidi progressi sul fronte dello sviluppo di farmaci. Ho scritto "rapidi" e so bene che il termine può generare equivoci: non c'è niente di più rapido del tempo che scorre per un malato e la sua famiglia e niente di più lento dell'attesa di una terapia risolutiva, eppure vedo motivi di ottimismo. La possibilità di modificare il genoma in modo mirato è venuta in modo totalmente inaspettato da studi sui batteriofagi, i virus dei batteri, in una ricerca specialistica che tutto sembrava promettere meno che la possibilità di riparare le lesioni genetiche causa di malattia nell'uomo. Penso che dobbiamo quindi guardare al futuro con ottimismo e mantenere la nostra piena fiducia nella buona scienza, quella che ci ha permesso di sconfiggere le malattie infettive che decimavano l'umanità, di curare moltissime forme di cancro e di aprire la partita con le malattie genetiche e degenerative. Sento molto la responsabilità di fare parte del Comitato scientifico FFC, che mette alla prova tutte le mie capacità. Lo sforzo collegiale è di mantenere un atteggiamento rigoroso ma anche aperto nella valutazione iniziale dei progetti, cercando di combinare ragione, esperienza e intuito; e di lavorare in modo equanime sulla base delle raccomandazioni degli specialisti a cui i progetti vengono inviati per la valutazione. Non è un compito facile e per certi versi è un po' ingrato, dato che è praticamente inevitabile dovere apportare tagli an-



che ai progetti finanziati. Nonostante i volontari facciano un lavoro splendido e la Fondazione abbia mantenuto una struttura leggera (che permette di destinare alla ricerca la quasi totalità dei fondi disponibili), un tema di riflessione potrebbe essere lo studio di forme di *fundraising* aggiuntive, anche se mi rendo conto che i costi potrebbero non essere sostenibili allo stato attuale. Una parola speciale di riconoscimento e la mia ammirazione vanno comunque ai volontari e alle delegazioni che sostengono FFC con le loro adozioni. È soprattutto per merito loro che si può guardare al futuro con fiducia.

Vorrei chiudere con le mie impressioni sui risultati raggiunti e sulla rete dei progetti finanziati. Sono stato testimone dell'impegno e della serietà degli studi riportati alla Convention, dove mi hanno molto colpito l'unità di intenti fra ricercatori di base e clinici, l'impegno a riempire il solco che spesso divide questi due mondi, la tensione ideale che faceva sempre sentire la presenza dei pazienti, l'attenzione a cogliere gli aspetti promettenti ma anche quelli critici riguardo la possibilità di trattamento e l'applicabilità degli approcci proposti.

E dunque, buon compleanno FFC! Se il passato è la chiave del futuro, quello di Fondazione sarà un futuro di successo. Per il presente, mi pare che la forza del sentimento si sia sommata a quella della ragione e abbia saputo generare una speranza che fa guardare con fiducia al domani.

Paolo Bernardini

Professore ordinario, dipartimento Scienze Biomediche Università degli Studi di Padova e membro del Comitato scientifico FFC

Indianapolis 2017: *passi avanti su tutti i fronti*

Si è tenuta dal 2 al 4 novembre a Indianapolis, capitale dello stato dell'Indiana, la 31^a Conferenza nordamericana sulla fibrosi cistica, a livello mondiale il più importante congresso scientifico su questa malattia. Abbiamo chiesto a due esperti clinici italiani, il dottor Salvatore Donatello (responsabile Centro FC di Potenza) e il dottor Cesare Braggion (responsabile Centro FC di Firenze) di partecipare al congresso di Indianapolis con un compito particolare per conto di FFC: interpretare il ruolo di inviati speciali, fornendoci una sintesi delle informazioni più rilevanti.

A Indianapolis esperti di tutto il mondo hanno presentato i risultati degli studi più recenti riguardo temi di grande impatto: i nuovi farmaci orientati al trattamento di mutazioni CFTR, il trapianto di polmone, le nuove molecole antibiotiche, le infezioni fungine, le problematiche nutrizionali, le complicanze. Ma si è parlato anche di aspetti in genere meno affrontati: l'attitudine a nascondersi o a rivelarsi agli altri in quanto persone con la FC, il fenomeno della malattia invisibile. Notizie molto attese sono state quelle relative agli interventi farmacologici in grado di modulare la proteina CFTR. Questi sono i loro obiettivi.

1) Miglioramento delle terapie già in uso per F508del omozigoti

Sono stati presentati e contemporaneamente pubblicati sul *New England Journal of Medicine* i risultati di uno studio di fase 3 (quindi preliminare all'uso commerciale del farmaco) in cui l'associazione Tezacaftor (correttore) + Ivacaftor (potenziatore) [TEZ/IVA] in soggetti di età superiore ai 12 anni ha evidenziato, rispetto al placebo, un moderato effetto positivo sulla funzione respiratoria e una rilevante capacità di ridurre, del 35%, il numero di riacutizzazioni respiratorie, con una migliore tolleranza rispetto alla già nota associazione Lumacaftor/Ivacaftor (Orkambi). Sono stati inoltre presentati i risultati di uno studio di fase 2 in cui l'associazione [TEZ/IVA] + Modulatore Next-Gen, una nuova classe di correttori, è risultata sicura e ha dato segnali di notevole efficacia sulla funzione respiratoria e nella capacità di diminuire il valore di cloro nel sudore, rispetto alla sola associazione [TEZ/IVA].



CESARE BRAGGION E SALVATORE DONATELLO
DUE INVIATI SPECIALI AL CONGRESSO NORDAMERICANO

2) Trattamento delle mutazioni con funzione residua

Negli USA è già stato approvato l'uso di Ivacaftor per i soggetti con FC che portino almeno una mutazione con funzione residua, che consenta cioè la produzione di una certa quota di CFTR funzionante. Questa decisione è stata presa dalla FDA sulla base del cosiddetto *Therotyping*, cioè il testare in laboratorio l'effetto che il farmaco può avere su cellule di soggetti con specifiche mutazioni. FDA ha deciso che questa prova è valida per dimostrare l'efficacia del farmaco in maniera del tutto simile a quella svolta nel paziente attraverso trial clinico. Per gli eterozigoti F508del/mutazioni con funzione residua, sono stati presentati, e contemporaneamente pubblicati sul *New England Journal of Medicine*, i risultati di uno studio di fase 3 in cui l'associazione [TEZ/IVA] oppure il solo Ivacaftor in soggetti di età superiore ai 12 anni hanno evidenziato, rispetto al placebo, un effetto molto positivo sulla funzione respiratoria, sul numero delle riacutizzazioni respiratorie, sul benessere soggettivo dei pazienti.

3) Capacità di valutare le mutazioni rare

Con la metodica del *Therotyping* si caratterizzeranno 649 mutazioni rare e si valuterà la loro risposta ai farmaci finora noti.

4) Terapia per una sola F508del, più mutazione di CFTR con funzione minima

Sono stati presentati i risultati di uno studio di fase 2 in cui l'associazione [TEZ/IVA] + Modulatore Next-Gen è risultata sicura e ha dato segnali di intensa efficacia sulla funzione respiratoria e nella capacità di diminuire il valore di cloro nel sudore.

5) Terapia dei soggetti con una mutazione di classe I

In questo ambito si stanno considerando diverse strategie: a) RNA *delivery*, cioè la consegna alla cellula di mRNA (RNA messaggero) per una proteina CFTR normale; b) RNA *repair*, con l'impiego di frammenti di mRNA che correggono la mutazione stop; c) screening *in vitro* di numerose molecole identificate attraverso una procedura di setacciamento di grandi quantità di molecole, prodotte dall'industria chimica-farmaceutica, per identificare molecole che consentano di saltare i segnali di stop della sintesi proteica, come l'Ataluren.

Altri approcci farmacologici per modulare CFTR

Amplificatori: classe innovativa di farmaci, tra cui il PTI-428, molecola che aumenta la produzione di CFTR immatura, tramite aumentata traduzione del messaggio e quindi aumento della sintesi della proteina, indipendentemente dalla classe di mutazione, si da mettere più substrato a disposizione di altri farmaci, correttori e potenziatori.

Nuovi correttori e potenziatori: (ABBV/GLPG 2222, 3221, 3067), proposti da aziende concorrenti alla Vertex. (ndr: per approfondire, si veda il video della sessione plenaria a cui si accede da fibrosicistica. it nella sezione "Progressi di ricerca").

Blocco del canale ENaC: un ulteriore approccio, interessante perché indipendente dal tipo di mutazione del malato, è quello che va a bloccare un canale diverso da CFTR, il canale ENaC, che trasporta sodio e che nella FC funziona troppo, aggravando la carenza di sali ed acqua nel liquido che riveste l'epitelio delle vie aeree. Due diversi approcci sono già in sperimentazione (studi di fase 1-2): a) il blocco diretto del canale ENaC (VX-371); b) rimozione dalla superficie



cellulare del canale ENaC (SPX-101).

Un algoritmo per le infezioni polmonari

La terapia attuale della FC è tuttora rappresentata da molto altro rispetto ai modulatori dell'attività della proteina CFTR, che non coinvolgono ancora la globalità dei pazienti. Uno dei principali problemi da affrontare è il corretto trattamento delle riacutizzazioni infettive polmonari. Uno studio osservazionale (studio STOP) ha mostrato che gli schemi terapeutici tendono a essere molto variabili nella scelta degli antibiotici da usare e nella durata della terapia antibiotica stessa. Anche i risultati attesi e ottenuti variano da Centro a Centro. Questa valutazione permetterà di programmare un nuovo studio (STOP2) con un algoritmo che in base al miglioramento sintomatico e di funzione respiratoria proverà a determinare la durata ottimale di un trattamento endovenoso (10, 14 o 21 giorni).

Come superare le resistenze agli antibiotici

In parallelo alla durata, il problema della scelta degli antibiotici è cruciale, in particolare quando si debbono trattare batteri resistenti ai comuni antibiotici: un problema mondiale che riguarda quasi tutti i batteri e tutte le condizioni infettive. Il prof. LiPuma, microbiologo dell'Università del Michigan, ha ricostruito il panorama dei nuovi antibiotici in fase di commercializzazione o di ricerca clinica, che comprende le cefalosporine di V generazione (Ceftarolina, Ceftolozane/Tazobactam), del Tedizolid, di varie associazioni composte da antibiotici della famiglia dei "beta lattamici" e di quella degli "inibitori delle beta lattamasi" (per es. ceftazidime/avibactam, meropenem/vaborbactam, cefipime/zidebactam, aztreonam/avibactam, imipenem/cilastatina/relebactam). È incoraggiante perciò la cospicua proposta di nuovi antibiotici mirati ai batteri resistenti agli antibiotici.

Pseudomonas nemico di Orkambi

Le esacerbazioni polmonari trovano nello *Pseudomonas Aeruginosa* (PA) uno dei principali agenti causali. Recenti studi, condotti e descritti dal prof. Stanton dal New Hampshire, hanno evidenziato che PA, oltre al danno diretto che infligge al tessuto polmonare tramite vari fattori di virulenza, interferisce direttamente con CFTR normale e anche con la quota di CFTR mutata ma salvata per effetto del *rescue* esercitato da Orkambi, contrastando (secondo le prove in cellule *in vitro*), l'effetto di questo farmaco. Un ulteriore motivo, quindi, per proseguire nella già attuata lotta per eradicare lo PA nelle sue fasi di precoce comparsa ovvero di tenerlo a bada con le terapie croniche soppressive, basate anzitutto sugli antibiotici per via inalatoria.

Le interferenze dei funghi

Per quanto riguarda il trattamento dei funghi, come l'*Aspergillus fumigatus*, è importante poter disporre di alternative rispetto ai farmaci comunemente usati, appartenenti per lo più alla famiglia dei tiazoli (esempio Mycostatin); questi infatti interferiscono con i nuovi composti potenziatori e correttori della proteina CFTR. Le alternative sono rappresentate dall'amfotericina B per via inalatoria, dalle echinocandine, da somministrare per via endovenosa, di cui vi è esperienza al Brompton Hospital di Londra.

Per il trapianto, più problemi negli USA che altrove

Un altro argomento su cui è stata fatta un'attenta revisione



UNA VEDUTA DI INDIANAPOLIS

è il trapianto di polmone. È stato avviato un progetto della CF Foundation che ha lo scopo di ottimizzare l'accesso al trapianto, la fase di informazione e decisione del paziente, il coinvolgimento delle associazioni e società scientifiche nordamericane dedicate, la cura nel post-trapianto, e l'investimento di ricerca in questo settore. Negli USA, rispetto al Canada e all'Europa, la realtà emersa indica problemi importanti (relazione del prof. Joseph Pilewski dell'Università di Pittsburgh): in almeno un quinto dei casi si richiede tardi al Centro Trapianti una valutazione di idoneità ad affrontarlo, quando la situazione clinica è compromessa e le probabilità di successo della chirurgia sono ridotte. Le richieste sono inoltre minori di quanto atteso (il 35% dei pazienti trapiantabili non viene candidato); circa il 41% dei pazienti informati ritarda la decisione o la rifiuta. Il nuovo programma della CF Foundation si è dato ora precisi obiettivi di miglioramento.

Una rete di sostegno per il diritto alla salute

Una terza sessione plenaria, quella conclusiva, è stata dedicata alle azioni di *advocacy* che le organizzazioni dei pazienti e dei familiari devono mettere in atto per favorire l'avanzamento della ricerca e una cura adeguata della malattia per tutti. Il termine *advocacy* è traducibile in "sostegno": comprende perciò tutte quelle azioni che si possono mettere in atto a diverso livello: locale, regionale e nazionale, per ottenere una giusta attenzione ai problemi dei soggetti malati e garantire cure aggiornate e adeguate per tutti. In particolare il criterio dell'equità delle cure (che devono essere disponibili indipendentemente da guadagno, occupazione, stato di salute e area geografica di residenza o provenienza dell'interessato) non è di facile applicazione negli USA che hanno un sistema sanitario di tipo privato. In queste azioni di sostegno hanno un ruolo attivo anche i pazienti stessi che partecipano, assieme alle fondazioni/organizzazioni/associazioni, ai sistemi di assistenza sociale e agli operatori sanitari, a una rete di solidarietà per il raggiungimento del diritto alla salute.

Uno stretto contatto fra pazienti è favorito da varie attività nel mondo della realtà virtuale: la CF Foundation è molto attiva nel campo di iniziative ed eventi online (*BreathCon*, incontro online annuale di due giorni e *CFminiCON*, dedicati a specifici temi di discussione).



RICERCATORI AL CONGRESSO

Salvatore Donatello e
Cesare Braggion

Per ragioni editoriali il testo originale è stato sintetizzato. Potete trovare la versione completa di questo report e i collegamenti video sul sito fibrosiscisticaricerca.it nella sezione "Progressi di ricerca".

Curiosità e determinazione per cambiare il destino della proteina mutata

Nicoletta Pedemonte è laureata in Scienze biologiche e fin dalle sue prime ricerche si è occupata del difetto di base in fibrosi cistica.

Dal 2011 è titolare di un contratto di eccellenza come ricercatore presso il Laboratorio di genetica molecolare dell'Istituto Giannina Gaslini di Genova. I suoi più recenti studi in fibrosi cistica, in gran parte finanziati da FFC, riguardano la possibilità di identificare nuove proteine che costituiranno il bersaglio per trattamenti più efficaci e selettivi, mirati al ripristino della funzione della proteina mutata F508del e possibilmente di altri mutanti.

Il suo interesse per la FC e la cura del difetto di base è stato precoce, si è praticamente sempre occupata di questo. Ma come ci è arrivata?

«A 12 anni volevo studiare le malattie genetiche, probabilmente senza neanche capire a fondo cosa questo volesse dire! Quando sono finalmente approdata al corso di Laurea in Scienze biologiche sapevo di voler fare ricerca e ho iniziato subito a frequentare a tempo pieno un laboratorio universitario, sacrificando le lezioni. Studiavo lo sviluppo della retina nel periodo embrionale. Dopo sei anni ero ancora lì, innamorata della ricerca ma insoddisfatta dei miei risultati. Come tutti i giovani, volevo cambiare il mondo e mi rendevo conto che la ricerca di base non soddisfaceva in pieno questo mio desiderio. L'incontro con Olga Zegarra, nel gennaio del 2002, ha cambiato il corso della mia vita. Lei è stata la prima persona a credere in me e a farmi approdare in un Centro di eccellenza come l'Istituto Giannina Gaslini, con una grande storia nel campo della ricerca biomedica. Qui ho conosciuto Luis Galiotta ed è iniziata la mia nuova vita da ricercatrice. E la mia avventura nel mondo FC».

Tra i suoi studi su FC, per la maggior parte finanziati dalla Fondazione, quale secondo lei è il più promettente?

«Io credo fortemente nella terapia farmacologica per la correzione del difetto di base nella fibrosi cistica. La scoperta di questi nuovi farmaci può avvenire mediante metodi di screening su larga scala di librerie di composti chimici o con un approccio più teorico, basato sulle conoscenze dei processi molecolari che regolano la biogenesi, la maturazione e la degradazione della proteina CFTR. Queste due strategie sono complementari. Nel corso di questi 15 anni ho partecipato a vari progetti di screening di composti e, assieme a Luis Galiotta e Tiziano Bandiera, portiamo avanti il progetto strategico di FFC *Task Force for Cystic Fibrosis*, nel quale ripongo grandi aspettative. Tuttavia, la mia curiosità scientifica mi spinge verso lo studio dei processi molecolari che determinano il destino di CFTR all'interno della cellula. La FFC ha avuto la lungimiranza di finanziare in modo pressoché continuativo un progetto di ricerca di ampio respiro come la ricerca di nuovi regolatori di CFTR. Adesso questi anni di studi stanno dando i loro frutti. Abbiamo identificato un regolatore di CFTR particolarmente importante, la proteina RNF5. Poi, assieme al gruppo di Andrea Cavalli, abbiamo dimostrato che è

possibile modulare farmacologicamente questa proteina, identificando degli inibitori di RNF5. Adesso l'obiettivo è capire se un inibitore di RNF5 possa diventare un farmaco, cioè se inibire RNF5 sia fattibile ed esente da rischi intrinseci al meccanismo di azione stesso del farmaco. Contemporaneamente, stiamo studiando alcuni altri possibili regolatori di CFTR da noi identificati nel corso degli ultimi anni».

Parliamo di divulgazione scientifica: secondo lei esistono linee guida per comunicare i risultati della ricerca al largo pubblico in modo corretto?

«Cautela. Questa è la prima parola che mi viene in mente. Come ogni ricercatore, sono estremamente entusiasta dei risultati che ottengo. Bisogna però fare una precisazione: non necessariamente ogni scoperta scientifica ha un'immediata ricaduta sul paziente, né il suo valore scientifico è sempre pari al suo valore traslazionale. In generale, i non addetti ai lavori, o laici, non hanno le conoscenze per fare questo distinguo. Inoltre, i laici che si interessano ai risultati di ricerca nell'ambito di una determinata patologia, in genere lo fanno perché sono personalmente (e quindi emotivamente) coinvolti. Ritengo un dovere morale dei ricercatori usare cautela nel comunicare i loro risultati perché non si possono e non si devono generare false speranze».

Come giudica il rapporto tra donne e scienza?

«Fortunatamente sono passati i tempi in cui alle donne era precluso ogni riconoscimento per le loro ricerche.



NICOLETTA PEDEMONTE

Certo, le posizioni più alte continuano ad essere prevalentemente occupate da uomini, ma penso che la situazione stia cambiando. Per quanto mi riguarda, conciliare gli impegni come ricercatrice, senza rinunciare al mio ruolo di madre, non è facile. Sono però fortunata perché ho due bimbi meravigliosi che capiscono gli impegni di mamma e un marito eccezionale che capisce i miei problemi lavorativi (è anche lui un ricercatore) e mi supporta».

Cosa vede nel futuro FC?

«Una terapia tagliata su misura per ogni paziente. La varietà delle mutazioni presenti in FC fa sì che siano necessari approcci diversi. Questo significa che la ricerca dovrà pensare e sviluppare strategie terapeutiche mirate. Alcune mutazioni troveranno una soluzione in tempi più rapidi, mentre per altre ci sarà da aspettare di più. Voglio però rassicurare i pazienti: nessuno sarà lasciato indietro».

Flaminia Malvezzi

Cosa si muove nella Rete della ricerca FFC



Si è svolta dal 26 al 28 ottobre, presso il Centro congressi della Camera di Commercio di Verona, la XV Convention dei Ricercatori della Rete Italiana FFC. Noto la partecipazione dei ricercatori della Rete, provenienti da Centri di ricerca e Università italiane. Nel corso dei tre giorni di lavoro sono stati esposti i risultati di 25 progetti arrivati a conclusione, lo stato di avanzamento di 15 in corso di realizzazione, nonché gli obiettivi di 23 progetti di nuova selezione. Tra i progetti conclusi, eccellenti i risultati del progetto strategico *Task Force for Cystic Fibrosis* per la mutazione CFTR F508del, con brevetto di due famiglie di correttori che passeranno ora alla fase di sperimentazione preclinica, in cui sarà verificata soprattutto la loro innocuità e sicurezza. L'obiettivo è approdare nel 2019 alla prova nel malato. Promettenti i risultati di altri approcci farmacologici mirati a meccanismi intracellulari che possono influenzare favorevolmente il salvataggio e l'arrivo sulla membrana di CFTR F508del anche se mutata. Si fa sempre più strada l'idea che il farmaco ideale sarà la combinazione di due o tre molecole che agiscono in sinergia.

Non solo F508del

Gli sforzi della ricerca non si concentrano solo su F508del. Per le altre mutazioni, gli occhi sono puntati sull'identificazione di una molecola promettente da parte di un gruppo di ricerca che si dedica da anni alle mutazioni CFTR di tipo stop. Anche in questo caso, è in corso la brevetto e si sta aprendo la fase preclinica. Per le mutazioni di tipo splicing, è interessante un ormone vegetale che risponde al nome di kinetina e mostra azione di amplificatore, aumentando la quantità di proteina disponibile.

Per l'ampio numero di mutazioni meno frequenti e con funzionamento ancora sconosciuto, occorrono modelli sperimentali di malattia. A questo tema è stata dedicata la sessione centrale della Convention. Possono essere cellule bronchiali derivate da polmoni espunti da malati FC, cellule dell'epitelio nasale prelevate attraverso *brushing* (spazzolamento); organoidi intestinali fatti crescere da staminali sempre di malati; tessuto respiratorio parzialmente sintetico costruito in laboratorio da bioingegneri. Ci si attende una caratteristica comune da questi modelli: che riproducano fedelmente in laboratorio gli aspetti di patologia, per sostituirsi alle persone malate. Derivando dal singolo malato, portatore di una particolare mutazione anche rara, potranno predire la risposta a un

nuovo farmaco, come se fosse il malato stesso ad assumerlo. Questo approccio prende il nome di "teratipo", termine che sta a significare i risultati di test di laboratorio specifici indicanti la terapia adatta al singolo paziente. È utile sapere che la FDA lo ha accettato come prova per estendere l'indicazione di Kalydeco per particolari mutazioni con funzione residua che non sono state incluse in *trial* clinici.

Antibatterici e antinfiammatori di ultima generazione

Nel campo della ricerca di nuovi antinfiammatori ci sono composti arrivati a un momento cruciale rispetto al passaggio alla sperimentazione clinica: fra questi il più avanzato è certamente la trimetilangelicina (sintetizzati numerosi analoghi con riduzione degli effetti tossici).

La ricerca di nuovi antibatterici ha un risultato su cui si puntano molte speranze: è stata realizzata la formulazione per via inalatoria di una nuova molecola attiva *in vitro* e su modelli animali contro *Burkholderia Cepacia*. Appare interessante anche la sperimentazione di fagi antibatterici: molto diffusi come terapia nei paesi dell'Est, sono speciali virus che infettano in modo specifico le cellule batteriche, causandone la morte. Rispetto agli antibiotici tradizionali promettono rilevanti vantaggi: specificità d'azione esercitata solo contro batteri nocivi, superamento di resistenze batteriche.

Il debutto di nuove linee di sperimentazione

Fra i nuovi progetti FFC ne segnaliamo due particolarmente innovativi. Il primo, condotto presso il Centro Trapianti di Milano, intende sperimentare la possibilità di prevenire il rigetto acuto del polmone trapiantato attraverso fotoforesi extracorporea, un particolare trattamento delle cellule immunocompetenti del malato per renderle più tolleranti nei confronti del nuovo polmone. Il secondo, condotto presso l'Università di Trento, applicherà la tecnica di terapia genica più innovativa del momento (Crispr/Cas9) saggiandola su mutazioni CFTR di tipo *splicing*.

Due diversi punti di vista sulla FC

Elemento nuovo e molto apprezzato alla Convention: la presenza attiva, come moderatori di ogni sessione di lavoro

assieme ai ricercatori di base, di clinici esperti nella cura del malato FC, in forze presso i vari Centri regionali FC. Con soddisfazione di tutti, si è verificato che la duplice lente di osservazione faceva emergere osservazioni e idee utili ad avvicinare la ricerca alla realtà della malattia, ai problemi e alle attese dei malati.



Record 2017

Adottato in 3 mesi il 100% dei progetti scientifici FFC

1 settembre 2017- 1 novembre 2017: in soli sessanta giorni le Delegazioni e Gruppi FFC sul territorio hanno adottato interamente i 23 progetti di ricerca della Fondazione per un totale di un milione 215 mila euro.

È un dato straordinario e sorprendente che conferma il trend di crescita della nostra Fondazione e testimonia, una

volta di più, l'efficacia dell'operato dei volontari. Un altro bel regalo per festeggiare con un record storico i vent'anni della Fondazione.

Adottare uno specifico progetto di ricerca è un gesto importante: oltre a formalizzare il finanziamento dello studio scientifico, l'accordo di adozione garantisce la massima trasparenza, aiutando i sostenitori presenti sul territorio a capire come vengono utilizzati i fondi derivanti dai vari eventi e dalle Campagne: come ciclamini, panettoni e uova si trasformino in risorse a favore di nuova ricerca. Ricordiamo che a disposizione di Delegazioni e Gruppi c'è anche uno specifico logo ("Abbiamo adottato un progetto di ricerca") da utilizzare come supporto per le attività di comunicazione e nei banchetti di piazza.

FC



Nuove sfide da finanziare: servizi e progetto strategico

Straordinario il risultato di aver raggiunto già a fine ottobre 2017 la completa copertura del costo dei 23 progetti 2017 della Rete di Ricerca FFC, con l'impegno di adozione assunto da Delegazioni e Gruppi FFC e da altri sostenitori. Questo ci permette di segnalare, a quanti altri potrebbero darci una mano, che rimangono comunque da finanziare:

Task Force for Cystic Fibrosis / Fase preclinica.

Questo è il grande progetto strategico FFC iniziato nel marzo 2014 e arrivato a fine agosto 2017 a risultati molto importanti. Sono state scoperte molecole (già brevettate) capaci di correggere *in vitro* la proteina CFTR, difettosa a causa della più diffusa mutazione F508del, molto più potenti di quelle già messe in commercio che hanno modesta efficacia. Ora si tratta di aiutare la più potente e più qualifi-

cata a diventare farmaco da sperimentare nel 2019 nell'uomo. Lo studio preclinico, della durata di un anno, a partire dai primi mesi del 2018, servirà a valutare la sicurezza della molecola, a documentarne il modo di agire nell'organismo vivente e a definirne il dosaggio appropriato. Il costo di questa fase è di un milione 250 mila euro.

È già stato adottato in parte per 380 mila euro e rimangono da coprire 870 mila euro.

CFaCore 5. È il servizio alla ricerca, istituito da FFC presso l'ospedale San Raffaele di Milano, che dal 2009 ad oggi ha consentito di studiare sull'organismo vivente i meccanismi con cui la malattia FC infierisce sull'uomo e sperimentare *in vivo* l'effetto delle molecole, potenziali farmaci, mirate a curare infezione e infiammazione polmonare. La fase 2017 (fase 5) del Servizio ha un costo complessivo di 170 mila euro, di cui 152.550 già coperte da adozioni: adottabile la parte rimanente del budget per 17.450 euro.

CFDB 6 (Cystic Fibrosis Database). Questo è un servizio online, costantemente aggiornato e arrivato dal 2013 alla fase 6, che consente ai ricercatori di acquisire facilmente informazioni, anche commentate, sui risultati di tutti gli studi clinici finora attuati con la collaborazione di migliaia di persone con FC. Il costo è di euro 18.000, ancora completamente adottabile.

GM

TERAPIE DEL DIFETTO DI BASE



FFC#1/2017

SpliceFix: riparare difetti di splicing del gene CFTR tramite tecnologia CRISPR/Cas9

Responsabile

Anna Cereseto (Centro per la Biologia Integrata - CIBIO, Università degli Studi di Trento)

Finanziamento € 90.000

Adottato totalmente da Associazione Trentina Fibrosi Cistica in ricordo di Maria Cainelli e Romana Petrolli (€ 10.000), Delegazione FFC di Imola e Romagna (€ 40.000), Delegazione FFC di Alberobello (€ 25.000), Delegazione FFC di Lucca (€ 15.000)



FFC#2/2017

Identificazione di deubiquitinas e ubiquitina-ligasi che influenzano la correzione della proteina CFTR mutata

Responsabile

Luis Galletta (Istituto Telethon di Genetica e Medicina - TIGEM, Napoli)

Finanziamento € 90.000

Adottato totalmente da Delegazione FFC di Bologna



FFC#3/2017

Ottimizzazione di una nuova molecola per il superamento delle mutazioni di stop e il recupero della proteina CFTR in cellule umane FC

Responsabile

Laura Lentini (Dipartimento di Scienze e Tecnologie Biologiche Chimiche e Farmaceutiche, Sez. Biologia Cellulare, Università degli Studi di Palermo)

Finanziamento € 57.000

Adottato totalmente da Delegazione FFC di Palermo (€ 19.000), Delegazione FFC di Vittoria, Ragusa e Siracusa (€ 19.000), Delegazione FFC di Catania Mascalucia (€ 19.000)



FFC#5/2017

Caratterizzazione dei mesoangioblasti umani per una nuova terapia cellulare della fibrosi cistica

Responsabile

Graziella Messina (Dipartimento di Bioscienze, Università degli Studi di Milano)

Finanziamento € 30.000

Adottato totalmente da Delegazione FFC di Roma Pomezia per Sara, Andrea e Michol



FFC#6/2017

Analisi farmacoforica per la progettazione e sintesi di nuovi derivati tiazolici e ibridi del VX-809 come correttori della mutazione F508del

Responsabile

Enrico Millo (Centro di Eccellenza per la Ricerca Biomedica - CEBR, Università degli Studi di Genova)

Finanziamento € 35.000

Adottato totalmente da Delegazione FFC di Verona Valpolicella



FFC#8/2017

Un nuovo modello di fibrosi cistica in chip microfluidico per lo studio dei meccanismi patogenetici e la valutazione di strategie terapeutiche

Responsabile

Paolo Netti (Centro per Biomateriali avanzati per la Sanità - CRIB, Istituto Italiano di Tecnologia, Napoli)

Finanziamento € 75.000

Adottato totalmente da Delegazione FFC di Napoli San Giuseppe Vesuviano (€ 8.000), Delegazione FFC di Cosenza Sud (€ 8.000), Delegazione FFC di Valle Scrivia Alessandria (€ 8.000), Delegazione FFC di Foggia (€ 8.000), Con Cecilia amici della ricerca (€ 16.000), Gruppo di Sostegno FFC di Reggello Firenze (€ 8.000), Gruppo di Sostegno FFC di Genova "Mamme per la ricerca" (€ 19.000).



FFC#9/2017

Gli inibitori di RNFS quali potenziali farmaci per il difetto di base in fibrosi cistica

Responsabile

Nicoletta Pedemonte (Istituto G. Gaslini, U.O.C. Genetica Medica, Genova)

Finanziamento € 90.000

Adottato totalmente da Delegazione FFC di Genova e Gruppo di Sostegno FFC di Savona Spotorno (€ 50.000), "Un fiore per Valeria" Assemini - Cagliari (€ 8.000), Gruppo di Sostegno FFC di Vigevano (€ 15.000), Delegazione FFC della Valdige (€ 8.000), Delegazione FFC di Lodi (€ 9.000)



FFC#10/2017

Strategie alternative per il ripristino funzionale del F508del-CFTR: nuovi target per lo sviluppo di farmaci contro la fibrosi cistica

Responsabile

Giorgio Cozza (Dipartimento di Medicina Molecolare, Università degli Studi di Padova)

Finanziamento € 31.000

Adottato totalmente da Gruppo di Sostegno FFC Verona Val d'Alpone



FFC#11/2017

Sviluppo di un peptide derivato dall'enzima PI3Ky come nuovo ed efficace potenziatore del canale mutato CFTR-F508del

Responsabile

Alessandra Ghigo (Dipartimento di Biotecnologie Molecolari e Scienze per la Salute, Università degli Studi di Torino)

Finanziamento € 60.000

Adottato totalmente da LIFC Toscana Onlus (€ 30.000), Amici della ricerca (€ 30.000)



FFC#12/2017

Modulazione delle proteinchinasi per regolare le molecole chaperoniche che controllano il destino della proteina F508del-CFTR

Responsabile

Mauro Salvi (Dipartimento di Scienze Biomediche, Università degli Studi di Padova)

Finanziamento € 30.000

Adottato totalmente da Delegazione FFC di Fabriano Ancona con il Gruppo di Sostegno FFC di Umbertide Città di Castello Perugia



TERAPIE DELL'INFEZIONE BRONCOPOLMONARE



FFC#4/2017

Caratterizzazione di nuovi modelli animali che rispecchiano la complessità della malattia fibrosi cistica

Responsabile

Nicola Ivan Lorè (Unità di Infezioni e Fibrosi cistica, Divisione di Immunologia, Trapianti e Malattie Infettive, Ospedale San Raffaele, Milano)

Finanziamento € 92.000

Adottato totalmente da Delegazione FFC di Milano



FFC#13/2017

Ruolo degli antibiotici nell'induzione di forme vitali ma non coltivabili (potenziali responsabili del fallimento della terapia) di *Pseudomonas aeruginosa* in modelli di biofilm in vitro

Responsabile

Francesca Biavasco (Dipartimento di Scienze della Vita e dell'Ambiente, Università Politecnica delle Marche)

Finanziamento € 27.000

Adottato totalmente da LIFC Toscana Onlus



FFC#14/2017

Studio preclinico di un nuovo approccio immunoterapeutico basato sulla combinazione Metformina e liposomi bioattivi per il controllo delle infezioni antibiotico-resistenti causate da *P. aeruginosa*

Responsabile

Maurizio Fraziano (Dipartimento di Biologia, Università di Roma Tor Vergata)

Finanziamento € 40.000

Adottato totalmente da Delegazione FFC di Treviso Montebelluna



FFC#15/2016

Peptidi da pelle di rana per il trattamento di infezioni polmonari da *Pseudomonas aeruginosa* e riepitelizzazione della mucosa bronchiale: caratterizzazione *in vitro* e *in vivo* e sviluppo di nanoparticelle polimeriche per la loro veicolazione a livello polmonare

Responsabile

Maria Luisa Mangoni (Dipartimento di Scienze Biochimiche, Università La Sapienza)

Finanziamento € 60.000

Adottato totalmente da Delegazione FFC di Palermo (€ 12.000), Delegazione FFC di Vittoria, Ragusa e Siracusa (€ 12.000), Delegazione FFC di Catania Mascalucia (€ 12.000), Delegazione FFC di Messina (€ 12.000), Gruppo di Sostegno FFC di Tremestieri (€ 12.000)



FFC#16/2017

Analisi preclinica di tre peptidi antibiofilm di origine umana (GVF27, HVA36 e IMY47): efficacia contro patogeni polmonari e studi *in vivo* su modelli animali

Responsabile

Eliodoro Pizzo (Dipartimento di Biologia, Università di Napoli Federico II)

Finanziamento € 26.000

Adottato totalmente da Guadagnin srl (€ 8.000), Gruppo di Sostegno FFC di San Giovanni Rotondo (€ 10.000), Delegazione FFC di Reggio Calabria (€ 8.000)



FFC#17/2017

Identificazione di nuovi inibitori delle pompe di efflusso in grado di contrastare le infezioni di micobatteri non tubercolari in pazienti con fibrosi cistica

Responsabile

Stefano Sabatini (Dipartimento Scienze Farmaceutiche, Università degli Studi di Perugia)

Finanziamento € 20.000

Adottato totalmente da Delegazione FFC di Sondrio Valchiavenna



FFC#18/2017

Utilizzo del gallio come antibatterico nel trattamento delle infezioni polmonari da *Pseudomonas aeruginosa*

Responsabile

Paolo Visca (Dipartimento di Scienze, Lab. Microbiologia Clinica e Virologia, Università Roma Tre)

Finanziamento € 21.000

Adottato totalmente da Delegazione FFC di Torino



FFC#19/2017

Un'analisi metagenomica longitudinale per scoprire le firme microbiche della malattia polmonare FC: verso la comprensione della complessità delle interazioni ospite-microbiota negli esseri umani e in modelli animali

Responsabile

Annamaria Bevivino (ENEA, Divisione Biotecnologie e Agroindustria, Lab. Sostenibilità, Qualità e Sicurezza delle Produzioni Agroalimentari, Centro Ricerche Casaccia, Roma)

Finanziamento € 60.000

Adottato totalmente da Delegazione FFC Lago di Garda



FFC#20/2017

Messa a punto di un modello animale per lo studio della patogenesi dell'infezione da membri del *Mycobacterium abscessus complex* in pazienti con fibrosi cistica

Responsabile

Enrico Tortoli (Unità Batteri Patogeni Emergenti, Divisione di Immunologia, Trapianti e Malattie Infettive, Istituto San Raffaele, Milano)

Finanziamento € 55.000

Adottato totalmente da Gruppo di Sostegno FFC di Ascoli Piceno (€ 20.000), Delegazione FFC di Olbia (€ 20.000), Delegazione FFC di Vercelli (€ 15.000)



FFC#22/2017

Uso del pesce Zebrafish come nuovo modello di FC per confermare *in vivo* la terapia fagica contro le infezioni da *Pseudomonas aeruginosa*

Responsabile

Anna Silvia Pistocchi (Dipartimento di Biotecnologie Mediche e Medicina Traslazionale, Università degli Studi di Milano)

Finanziamento € 15.000

Adottato totalmente da Associazione "Gli amici della Ritty", Casnigo

TERAPIE DELL'INFIAMMAZIONE POLMONARE



FFC#21/2017

Studio degli effetti antinfiammatori degli inibitori di metalloproteasi Ilomastat e Marimastat in topi CFTR-knockout con infezione da *P. aeruginosa* tramite tecniche di *in vivo imaging*

Responsabile

Federico Boschi (Dipartimento di Informatica, Università degli Studi di Verona)

Finanziamento € 45.000

Adottato totalmente da Delegazione FFC di Boschi Sant'Anna Minerbe "Alla fine esce sempre il sole" (€ 30.000), Delegazione FFC di Massafra (€ 15.000)



FFC#23/2017

Somministrazione polmonare di siRNA nel trattamento dell'infiammazione polmonare in fibrosi cistica: potenziale terapeutico di nanoparticelle ibride a base di lipidi e polimeri

Responsabile

Francesca Ungaro (Dipartimento di Farmacia, Università degli Studi di Napoli Federico II)

Finanziamento € 56.000

Adottato totalmente da Elena e Federico Frattini (€ 8.520), Delegazione FFC di Pesaro (€ 23.480), Gruppo di Sostegno FFC di Melilli Siracusa (€ 8.000), Delegazione FFC di Manciano Grosseto insieme alla Famiglia Catalano (€ 8.000), Emanuela Cricri e amici della ricerca (€ 8.000).

RICERCA CLINICA ED EPIDEMIOLOGICA



FFC#24/2017

Fotoforesi extracorporea come terapia d'induzione per prevenire il rigetto acuto in pazienti affetti da fibrosi cistica e trapiantati di polmone

Responsabile

Mario Nosotti (Università degli Studi di Milano, IRCCS Fondazione Ca' Granda Ospedale Maggiore di Milano, U. O. di Chirurgia Toracica e Trapianto di Polmone)

Finanziamento € 110.000

Adottato totalmente da Delegazione FFC di Como Dongo (€ 65.000), Delegazione FFC di Belluno con Rocciatori Fonzaio (€ 35.000), Delegazione FFC di Pesaro (€ 10.000)

Progetto strategico 2014-2018



Progetto FFC/TFCC "Task Force for Cystic Fibrosis"

Responsabile

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

Costo

complessivo € 1.250.000

Fase 1: € 200.000

Fase 2: € 370.000

Fase 3: € 680.000

Adottato parzialmente da

Fase 1: Energy T.I. Group S.p.A. Milano (€ 100.000), LIFC Associazione Siciliana Onlus in ricordo di Davide Radicello (€ 20.000), Danone SpA (€ 50.000).

Fase 2: Amici per la Ricerca Loifur srl (€ 35.000), Famiglia per la Ricerca FC (€ 40.000), Fondazione Corrado e Bruno Maria Zaini (€ 35.000).

Fase 3: Dekra SpA (€ 25.000), Fondazione Corrado e Bruno Maria Zaini (€ 35.000), Brandart (€ 10.000), Rortos srl (€ 10.000), Piazzalunga srl (€ 10.000), evento "Uno swing per la ricerca" promosso dalla Delegazione FFC di Villa d'Almè (€ 24.600), quota parziale Cinque per mille 2014 (€ 130.000), Bike Tour 2016 (€ 55.000), eventi "La notte dei sapori 2" e "FFC Golf Cup 2016" (€ 20.000), Gruppo Aziende Nordest promosso dalle Delegazioni FFC di Vicenza e di Verona Val d'Alpone (€ 15.000), Numero Solidale Natale 2016 (€ 17.151), Campagna di Natale FFC 2016 (€ 50.000), Saint Gobain (€ 8.000), SLF Abrasivi srl (€ 10.000), Famiglia per la ricerca (€ 30.000), "Amici per la ricerca" Bassano del Grappa (€ 27.000), Loifur (€ 10.000), Mevis spa (€ 10.000), Amici della ricerca di Milano (€ 12.000), Evento "Dai respiro alla Ricerca" promosso dalla Delegazione FFC di Palermo (€ 20.000), Fondazione Mediolanum Onlus (€ 40.900), Evento "Guardare lontano" promosso dalla Delegazione FFC di Milano (€ 15.000), Project Hope Rosa Pastena (€ 21.000), Lega Italiana Fibrosi Cistica di Messina - Fund Raising Dinner Claudio Miceli (€ 23.000), #Correre-PerUnRespiro (€ 15.000), Imprese straordinarie - Milano per la ricerca (€ 17.000), Trofeo Neurone (€ 16.500).

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

Costo

complessivo € 1.250.000

Adottato parzialmente da

Evento "Marafibrositona 2017" promosso dalla Delegazione FFC di Como Dongo (€ 56.000), Il cuore degli amici di Bergamo (€ 20.000), Piazzalunga srl (€ 10.000), Quota parziale Cinque per mille 2015 (€ 100.000), Dondup (€ 10.000), Fondazione Bruno Maria Zaini (€ 35.000), Marcella e Lorenzo Turazza (€ 22.000), Donazioni Campagna di Pasqua 2017 finalizzate Task Force (€ 50.000), "Dai energia alla ricerca" (€ 55.000), Lascito Famiglia Scarpa (€ 20.000), Evento "Insieme per donarti un respiro" 4ª ed. promosso dalla Delegazione FFC di Vittoria Ragusa (€ 10.000), Evento "Artisti per un respiro" 4ª ed. promosso dalla Delegazione FFC di Catania Mascalucia (€ 10.000). Adottabile per € 852.000.

Servizi alla Ricerca 2016 - 2018



Servizio "CFaCore" (Cystic Fibrosis animal Core Facility) 5 (2017-2018)

Responsabile

Alessandra Bragonzi (Istituto di Ricerca San Raffaele, Milano)

Costo

€ 170.000

Adottato parzialmente da

Gruppo di Sostegno FFC di Casarile Milano (€ 8.000), Hotel Metropole (€ 15.550), Gruppo di Sostegno FFC di Lecco Valsassina (€ 10.000), Emanuela e amici della ricerca (€ 15.000), Gruppo di Sostegno FFC di Brindisi Torre (€ 12.000), Delegazione FFC di San Giuseppe Vesuviano (€ 8.000), Gruppo di Sostegno FFC di Franciacorta (€ 8.000), Delegazione FFC di Sondrio Valchiavenna (€ 10.000), Gare di golf (€ 16.000), Delegazione FFC di Pavia (€ 15.000), Delegazione FFC di Latina (€ 20.000), Delegazione FFC di Lecce (€ 15.000).

Adottabile per € 17.450.

CFDB Cystic Fibrosis Data Base 6 (2017-2018)

Responsabile

Roberto Buzzetti

Partner

Donatello Salvatore (Centro FC, Osp. S. Carlo, Potenza), Valeria Raia (Centro FC, Università Federico II, Napoli), Laura Minicucci (Centro FC, Osp. Gaslini, Genova), Natalia Cirilli (Centro FC, Ospedali Riuniti, Ancona), Daniele Alessio (OnLime, Milano)

Finanziamento

€ 18.000

Adottabile



Panettoni Fiasconaro o Fraccaro? Entrambi!

Chi, durante le feste di Natale, non mette in tavola un pandoro o un panettone? Per dare alle vostre feste il gusto delle cose buone e che fanno bene, il panettone Fiasconaro, classico o al cioccolato, sorprenderà tutti. Quest'anno si aggiunge anche il panettone Fraccaro, che fonde il soffice impasto del pandoro a una fresca crema al limoncello. Tutti questi prodotti da forno nascono da una lavorazione artigianale che utilizza materie prime selezionatissime e la lievitazione naturale della pasta madre, un processo lento e paziente che dura fino a tre giorni e offre migliore digeribilità delle proteine e un aroma intenso, che concentra sapori antichi e genuini, per una qualità superiore. "Diventa buonissimo" anche tu, partecipando alla distribuzione dei panettoni FFC oppure ordinandoli per tutta la famiglia.

CURIOSITÀ NATALIZIE

Era già successo lo scorso anno: tra la Campagna nazionale con l'offerta dei ciclamini nelle piazze e la Campagna di Natale non c'è stato un solo giorno libero. Dalle piantine ai dolci il passaggio è stato diretto, tanto che in molti hanno proposto i panettoni nei banchetti assieme ai ciclamini.

Primi a ordinare, il 9/10 ottobre:

Francesco Pio Impagliatelli, responsabile del Gruppo di Sostegno FFC di San Giovanni Rotondo;

Katia Fornaro, responsabile del Gruppo di Sostegno FFC della Val d'Alpone.

Grossisti, a 10 giorni dalla chiusura delle prenotazioni:

In Sicilia sono stati complessivamente ordinati 9.000 panettoni su oltre 30.000;

Angelica Angelinetta, responsabile della Delegazione FFC di Como Dongo, ne ha distribuiti 1458;

Giovanni Vito, responsabile della Delegazione FFC di Fabriano Ancona, 1098;

Lello Corrias, responsabile della Delegazione FFC di Castelsardo, 912;

Francesco Pio Impagliatelli, responsabile del Gruppo di Sostegno FFC di San Giovanni Rotondo, 818.

Hanno fatto correre ad alta velocità il trenino di cioccolato FFC:

Mariagrazia Camiolo, responsabile del Gruppo di Sostegno FFC di Tremestieri, con 350 trenini ordinati;

Vittoria Fortino, responsabile della Delegazione FFC di Siena, con 300.

La primissima richiesta di panettoni è stata registrata da Patrizia Baroncini il 31 maggio: gli amici di Round Table ordinavano 12 panettoni Fiasconaro al cioccolato.

Buonissimo Natale 2017

L'invasione dei panettoni. Superato il record 2016

Per finanziare la fase preclinica del progetto *Task Force for CF* ci si mettono anche i panettoni. In poche settimane, a novembre, sono stati prenotati 33 mila panettoni (e 6.000 regali al cioccolato) con un'impennata rispetto al 2016 del 28% (questo il dato al 24 novembre, in chiusura del notiziario, a dieci giorni dalla scadenza definitiva delle ordinazioni).

L'ALBERO PIÙ DOLCE, A BASE DI PANETTONI CLASSICI FIASCONARO. NELLA FOTO GABRIELLA MORELLI, RESPONSABILE DELLA DELEGAZIONE DI RIVAROLO CANAVESE, CON LE SUE RAGAZZE.



Condividi una speranza

Per chi ama il cioccolato è possibile scegliere tra presepi, trenini e praline. Il DVD del film *Foreverland* è invece consigliato per una serata di cinema in compagnia. Anche quest'anno non mancano i biglietti di auguri per chi li affida tradizionalmente alla posta. I doni che danno impulso alla ricerca sono ordinabili online oppure acquistabili alle postazioni organizzate dai volontari su tutto il territorio nazionale e durante gli eventi e i mercatini FFC.

In qualunque modo si decida di partecipare, si alimenterà la speranza di tante famiglie che guardano fiduciose al lavoro di centinaia di ricercatori che, giorno dopo giorno, sono impegnati nei laboratori per un orizzonte libero dalla malattia.

Buonissimo Me

Sulla pagina Facebook FFC è in corso una martellante campagna per arrivare a superare i 26 mila panettoni offerti lo scorso anno.

La sola condivisione dei post alimenta il passaparola e ci aiuta ad avvicinare nuovi amici alla causa FC. Invece, per diventare buonissimi, come i panettoni FFC, basta ordinarne tanti oppure partecipare alla loro distribuzione. In più, per quanti scopriranno la loro speciale bontà solo una volta chiuse le prenotazioni, ci sarà una seconda chance: basterà consultare la mappa con le postazioni di offerta sul sito fibrosicisticaricerca.it.



MARTINA E DANIELE LA LOTA, TRA I MASSIMI MANGIATORI E DISTRIBUTORI DI PANETTONI FFC.

Cosa finanziano le vostre donazioni di Natale: fase preclinica del progetto Task Force for Cystic Fibrosis

L'obiettivo è arrivare nel 2019 a uno studio clinico in malati FC impiegando la combinazione di farmaci (correttori + potenziatore) risultata più efficace, più stabile e sicura, per ripristinare la proteina errata che causa la mutazione più diffusa (F508del) tra i malati FC.

Come donare

Causale: Natale 2017

- **Online:** fibrosicisticaricerca.it/dona-ora/
- **Bonifico UniCredit Banca:**
IT 47 A 02008 11718 000102065518
- **Bonifico Banco BPM:**
IT 92 H 05034 11708 000000048829
- **c/c postale:** 18841379

Dicembre 2017: il notiziario FFC compie 50 numeri

La vita della Fondazione raccontata dai suoi primi passi ad oggi. Numero per numero, i notiziari tengono traccia dell'impegno di una collettività per sostenere con mezzi sempre crescenti il lavoro di una rete di ricerca in espansione, con l'obiettivo di avere l'ultima parola sulla fibrosi cistica. Per scoprire come si sono trasformati la veste e i contenuti del Notiziario FFC dal dicembre 2001 (data del primo numero) ad oggi, visitate l'area stampa del sito fibrosicisticaricerca.it. Alla voce "Notiziari FFC" li troverete tutti.

"Se dovessi chiedere qualcosa di esagerato a Babbo Natale sarebbe la cura definitiva per la fibrosi cistica"

Quando penso agli scherzi del destino, mi dico: «meglio una che due». Parla delle sue bambine Chiara, le gemelle. Sana una, malata di fibrosi cistica l'altra. A guardarle è impossibile dire quale abbia scritto nei geni un destino di malattia. Hanno sette anni Azzurra e Benedetta, frequentano la seconda elementare, sono in classe insieme, fanno danza classica e ginnastica ritmica. Azzurra non passa giorno senza curarsi. Benedetta è cresciuta prendendosi cura di lei.

«State tranquilli, ho una malattia che non si attacca – dice Azzurra a chi nota che prende delle pastiglie e le chiede come mai. Non ingrasso, non cresco e prendo un sacco di chicchi (gli enzimi, come li chiamano le bambine)». Fa un day hospital ogni mese e mezzo circa. Sperimenta il Kalydeco. E pensare che solo sei anni fa il medico diceva alla madre, che cercava informazioni sui nuovi farmaci: «ce ne sono in studio, ma non ci spero». «Oggi non mi angosco più nel presente perché posso sperare nel futuro» dice Chiara.

«Azzurra si maschera e si specchia tutto il giorno. È una sognatrice – racconta la sua mamma. Vuole fare la ballerina al teatro dell'opera oppure il supereroe chiedendo l'armatura a Babbo Natale. Ha la testa tra le nuvole. Ha i suoi tempi per fare le cose. È per il "lasciatemi stare, non mi date fastidio". Benedetta è più pratica. Su di lei posso contare. È chiacchierona. Si ricorda le cose. È quella che mi dice: "mamma, ti aiuto a cucinare" e alla sorella: "fai la fisio, fai la pep"».

Qualche volta Azzurra sbotta: «ecco, tanto ho capito che se anche faccio la fisioterapia non guarisco». «Ma se stai anche solo bene, va bene uguale», le dicono i genitori. «E se la fisioterapia la devo fare per tutta la vita?». «Hai ragione, ci sono dei sacrifici da fare», rispondono mamma e papà. Lei insiste: «ma un giorno la posso smettere? Domani guarisco? Chissà come dev'essere non prendere tutte queste medicine». «Tanto non sanno di nulla – replicano i genitori. Quindi cosa ti cambia prenderle?». Benedetta, la sorella gemella, ascolta. Anche lei si vorrebbe curare come Azzurra e quando ha il raffreddore vuole fare l'aerosol.

«Se dovessi chiedere qualcosa di esagerato a Babbo Natale sarebbe la cura definitiva per la fibrosi cistica – dice Chiara. In realtà mi basterebbe che si assicurasse ai nostri figli una condizione di salute buona, costante nel tempo. Alle mie bambine auguro di crescere, diventare donne, essere serene e avere la pace interiore». Chiara e il marito Marco non avevano mai sentito parlare di fibrosi cistica, finché non è stata diagnosticata a una delle gemelle. Hanno una figlia di dieci anni, sana. Hanno scoperto di essere entrambi portatori sani di fibrosi cistica dopo la seconda gravidanza.



Il giorno della diagnosi resta il giorno del dolore. «Mentre venivamo trasferite al reparto di fibrosi cistica, sentivo scendere le lacrime – ricorda Chiara. Il dolore ti affonda. È come cadere in un burrone. Ricordo che durante il nostro primo ricovero, la sera, mi affacciai alla finestra della camera e guardavo il cortile interno del Bambino Gesù. Vedevo sempre una coppia di genitori che spingeva abbracciata la carrozzina del figlio paralizzato, intubato, non cosciente. Ecco, osservando quella scena ho iniziato a risalire il burrone. La mia Azzurra era lì, giocava sul letto felice. Io, rispetto a quei genitori, avevo una speranza! E così, sperando, si affronta ogni giorno con coraggio».

«Viviamo la terapia farmacologica e la fisioterapia respiratoria come se fossero cose normali, un po' come lavarsi i denti: fanno parte della nostra routine – dice Chiara. Quando ti diagnosticano una malattia così la vita cambia a tutti. Poi c'è chi la fa ruotare tutta intorno alla fibrosi cistica e chi, come noi, cerca di adattare la fibrosi cistica alla propria vita, senza stravolgerla né dargliela vinta. Abbiamo cercato di fare le cose di sempre. Magari ci svegliamo un'ora prima e andiamo a letto due ore più tardi, abbiamo un armadio pieno di medicine, la valigia dell'ospedale pronta sotto il letto e facciamo la fisioterapia in macchina quando viaggiamo, però Azzurra fa tutto quello che fa la gemella. Pensiamo che la vita vada vissuta per quello che ci è dato oggi».

Sostenere la ricerca è fare dono del tempo. Alimentare le conoscenze sulla fibrosi cistica significa restituire tempo di qualità e in quantità progressivamente maggiore a chi nasce con un'aspettativa media di vita dimezzata rispetto a quella di una persona sana. Nasce con la fibrosi cistica è un caso. Poterla guarire è una possibilità che nasce dall'impegno di tanti. «Manca poco – dice Chiara – mettiamoci quello che manca per arrivare a un risultato».



NON C'E' DONO PIU' PREZIOSO DEL TEMPO

Questo Natale contribuisci a regalare un Natale in più!

In vent'anni l'aspettativa media di vita dei pazienti con fibrosi cistica è raddoppiata grazie al progresso medico-scientifico. Sostenere la Ricerca significa donare tempo, cioè vita.

La fibrosi cistica è la malattia genetica grave più diffusa. Un gene mal funzionante produce una proteina difettosa, che porta a insufficienza respiratoria, a una vita sofferta e purtroppo breve.

La ricerca ha dimostrato che è possibile curare la mutazione genetica più diffusa. La Fondazione Ricerca Fibrosi Cistica promuove il progetto scientifico **Task Force for Cystic Fibrosis**, che ha l'obiettivo di scoprire la molecola più adatta a diventare il farmaco salvavita per i malati di fibrosi cistica, in Italia e nel mondo.

Nelle prime tre fasi dello studio, interamente finanziate con oltre un milione di euro di donazioni, sono stati scoperti e brevettati composti in grado di correggere la proteina difettosa.

Oggi questa Fondazione è impegnata in uno studio pre-clinico per la trasformazione in farmaco dei composti ad alta potenza scoperti nelle fasi precedenti, prima della sperimentazione sull'uomo.

Il progetto ha un costo di 1.250.000 euro e mancano ancora 852.000 euro all'obiettivo.

**Fai dono di un Natale pieno di vita.
Dona vita alla Ricerca.
Dona tempo a chi attende la cura.**

COME INVIARCI IL TUO PREZIOSO CONTRIBUTO:

- utilizzando il bollettino allegato;
- online sul sito: fibrosicisticaricerca.it (anche con PayPal);
- con bonifico bancario sul conto Unicredit Banca:
IT 47 A 02008 11718 000102065518;
- con bonifico sul conto Banco BPM:
IT 92 H 05034 11708 000000048829.

Indica sempre la causale: Notiziario Natale

“Nascere con la fibrosi cistica è un caso. Poterla guarire è una possibilità che nasce dall'impegno di tanti. Manca poco, mettiamoci quello che manca per arrivare a un risultato”.

Chiara, la mamma di Azzurra e Benedetta

Campagna nazionale 2017

Oltre 550 mila euro di raccolta netta: *più ricerca, più vita*



Un ottobre di nuove possibilità per la ricerca. Dopo la conferenza stampa di lancio della Campagna nazionale, avvenuta a Milano, e l'attivazione del numero solidale per 30 giorni, come non era mai capitato, gli eventi si sono susseguiti fitti. Il sesto Bike Tour ha intrecciato tante storie; 1.500 piazze sono fiorite in ciclamino;

oltre 300 scuole hanno portato in classe la ricerca e un numero crescente di commercianti l'ha messa in vetrina.

La rassegna stampa è impazzita. Per finire è arrivato il giorno della grande festa di compleanno FFC in Gran Guardia a Verona durante la Convention dei ricercatori della Rete FFC.

**Quante
volte FFC**



266 passaggi su tv nazionali (Rai, Mediaset, Sky, La7)
159 passaggi su radio nazionali (Radio Montecarlo, Radio S. Marino, Radio 105)
150 emittenti locali, web tv, portali web che hanno messo in onda lo spot
130 radio e web radio che hanno trasmesso i 30" dello spot radiofonico
150 articoli carta stampata e web
1.000.000 di visualizzazioni sulla pagina Facebook
35.000 fan raggiunti
50 eventi di Campagna organizzati dai volontari FFC



Fibrosi cistica formato Facebook

La pagina Facebook della Fondazione ha superato i 35 mila fan. È il posto dove le notizie circolano alla velocità con cui nascono. Nel mese di ottobre, per più di tre settimane, sono state oltre un milione le visualizzazioni associate alla pagina. Hanno fatto contare condivisioni da primato il post che ha rivelato il numero solidale, di cui conosceremo l'esito della raccolta in primavera, e quelli delle piccole sorelle gemelle, Azzurra e Benedetta, diverse per un gene malato.

Alla ricerca di un sorriso: sesto successo

Il dato non è definitivo, ma la serata del 21 ottobre al Teatro Manzoni di Monza ha raccolto oltre 20 mila euro, che contribuiranno al finanziamento della fase preclinica del progetto *Task Force for CF*. Antonio Alati, responsabile del Gruppo di Sostegno FFC di Seregno, commenta: «un giorno che ricorderò per sempre, come da cinque anni a questa parte i giorni di ogni singola edizione di questo evento. Ringrazio tutte le persone che anche quest'anno ci hanno dato fiducia e quanti sono venuti per la prima volta. Grazie a Riky Bokor per farci dono della propria professionalità in nome dell'amicizia e a tutti i volontari che portano un contributo inestimabile. Grazie a tutti per le indimenticabili emozioni».



10 mila euro per inaugurare la raccolta di ottobre



Da tre anni, con successo crescente, la Delegazione FFC di Olbia, di cui è responsabile Giorgio Bagatti, organizza al Parco Fausto Noce un evento, "Un sorriso per la ricerca", che coinvolge tutta la popolazione con lo scopo di sensibilizzare gli olbiesi sulla realtà dei malati di fibrosi cistica, raccogliere fondi per la ricerca e creare un momento di aggregazione e condivisione attorno alle famiglie colpite da questa malattia. Ad oggi la Delegazione ha contribuito a finanziare sei progetti di ricerca per un totale di 87 mila euro.





Anche in questa Campagna i bambini sono stati protagonisti con i loro sorrisi e le loro speranze.



Pedalando per la ricerca: raccolti oltre 8.000 euro



Domenica 15 ottobre, a metà Campagna nazionale, si è svolta la pedalata charity organizzata dalla Delegazione FFC di Massa-fra. 60 chilometri con il campione Max Lelli, che dopo il Bike Tour giunge in Puglia e rimane sbalordito di fronte agli oltre 600 ciclisti iscritti. «Siamo in quattro a organizzare – racconta Aurelia Oliva. È molto faticoso e ogni volta ci diciamo che non lo rifaremo, ma poi ci cercano, insistono perché si ripeta e così ci spingono ad andare avanti. Il nostro grazie più grande va ai ciclisti, che non pedalano soltanto con le gambe, ma con il cuore».



Unire le forze e vincere insieme

«Mi piace pensare a queste mani unite. Mi piace pensare che unire le mani significhi condividere, dare sostegno, mettere insieme le forze. Mai come in questo momento sono stata convinta che la nostra ricerca sia arrivata a un soffio da un traguardo importante. Adesso è necessario che ognuno di noi creda fino in fondo nella possibilità di dare il proprio contributo. Durante il raduno dei volontari a Verona, Gianni Mastella ha toccato il mio cuore con la sua prudenza, la sua serietà, la sua fede incondizionata nell'intelligenza dell'uomo. Ricerca significa credere che l'uomo sia in grado di conoscere, migliorare, guarire. Se non lo faremo noi saranno le generazioni future a farlo, ma noi abbiamo la precisa responsabilità di fare la nostra parte oggi e non fermarci».

Paola Ferlini,
responsabile della Delegazione FFC di Milano



Bike Tour, che emozione!

Piemonte e Valle D'Aosta, *ogni tappa è una festa*



È tornato dal 4 al 7 ottobre con giornate intense il Bike Tour, corsa ciclistica a tappe, alla sua sesta edizione, promossa dal vicepresidente FFC Matteo Marzotto per fare conoscere la fibrosi cistica. Di chiamata in chiamata l'emozione si propaga in modo concentrico. Chi ha partecipato, ha vissuto un'esperienza emozionante, il cui ricordo si colora di una tavolozza autunnale brillante, grazie a un cielo senza nuvole e a un entusiasmo contagioso, che ha dimostrato come l'unione degli intenti porti a risultati che non si pensava mai di raggiungere da soli.

Gli oltre 50 mila euro raccolti contribuiranno al finanziamento della fase preclinica del progetto Task Force for CF.



L'Amministrazione Comunale di Chivasso dà il benvenuto al Bike Tour.

Giorno uno. Il gruppo della partenza, da sinistra: Fabrizio Macchi, Nora in tandem con Matteo Marzotto, Iader Fabbri, Claudio Chiappucci, Edoardo Hensemberger (testimonial FFC) e Max Lelli.



Claudio Chiappucci e Fabrizio Macchi in ammirazione.



Foto di gruppo con alcune volontarie FFC di Ivrea, in attesa dell'arrivo dei ciclisti.



Gabriella Morelli, responsabile della Delegazione FFC di Rivarolo Canavese, racconta: «nel mio piccolo sono riuscita a fare una cosa che non immaginavo. Rivarolo è un paese generoso. Ringrazio di cuore le mie ragazze e il Caffè Garibaldi che ha offerto da bere a tutti».

Ivrea, momenti divertenti. Edoardo, alle prese con la cargo bike, e Federica Cudini di Bosch. L'azienda ha donato a FFC due biciclette del valore di 3.000 euro l'una, aggiudicate all'asta durante le serate di gala del Bike Tour.



Le mitiche Valeria Berrone ed Elisa Volontieri, del Gruppo di Sostegno FFC di Magenta (MI), con l'inconfondibile dolce sorriso e la caparbietà con cui imbracciano la vita, organizzano la trasferta ad Aosta per non fare mancare un presidio della Fondazione nei territori del Nord-Ovest.



Giovanni Goldin, responsabile della Delegazione FFC di Novara e famiglia. La Pro Loco offre il pranzo a base di prodotti tipici locali ai partecipanti. Poi si riparte alla volta di Vercelli, lasciando le montagne e attraversando campi e risaie.

Aosta, un volo di palloncini per festeggiare il termine della prima tappa e portare in alto la speranza di un domani libero dalla fibrosi cistica.



Giorno due. Arriva anche Davide Cassani e il giro riparte dal Sacro Monte di Varallo Sesia, che i ciclisti raggiungono con la funicolare più ripida d'Europa. Nella piazza di Varallo centinaia di bambini della scuola dell'infanzia e primaria festeggiano il Bike Tour. Max Lelli gioca con loro scoppiando i palloncini. Sul palco il sindaco Eraldo Botta con le associazioni locali che hanno sostenuto la Delegazione FFC di Vercelli nel suo primo anno di attività.

Il Bike Tour fa nascere un nuovo gruppo di volontari a Casale Monferrato. Barbara Torresini, una mamma, racconta: «è stato impegnativo emotivamente. Ho pianto tutto il tempo per l'emozione. Mi ha fatto piacere conoscere altre persone affette da fibrosi cistica. Pensavo di essere sola a Casale. Ora non è più così, ci siamo incontrati e abbiamo creato un gruppo».



L'arrivo a Moncalvo è stato salutato dagli sbandieratori. Dice Claudia Carni, responsabile del neonato gruppo di sostegno FFC del posto: «è stato un onore per noi ospitare il Bike Tour; vedere mia figlia Matilde, di dieci anni, arrivare in bicicletta al fianco di Matteo Marzotto; ascoltare le parole del professor Mastella. Non avevamo mai organizzato nulla del genere. Non avevamo mai incontrato i volontari attivi nei paraggi. Col passaparola ci siamo conosciuti. Abbiamo scoperto di non essere soli in zona. Prima accusi il colpo della malattia poi capisci che devi fare qualcosa. Ed eccoci. È stata una partenza col botto. Abbiamo spaccato. Finalmente tante persone del paese sono arrivate a conoscere la realtà della fibrosi cistica».



Giorno tre. Tocca al giro delle Langhe: 100 km per 1.500 metri di dislivello, una tappa di fatica. Chiara Ferrero (a destra nella foto), una delle magnifiche responsabili della Delegazione FFC di Cuneo Alba, racconta: «l'organizzazione è partita dopo ferragosto. È stato faticoso da morire. Non lo avevamo mai fatto prima. Ho due bambini. Il più piccolo, di sei anni, ha la fibrosi cistica e una mielopatia cervicale focale. Non sapevo dove sbattere la testa. A distanza di settimane ricevo messaggi entusiasti. Sono tutti esaltatissimi e lo vorrebbero rifare domani. Personalmente Fabrizio Macchi mi ha colpito, mi ha aperto un mondo, ed ero un fiume di lacrime quando ha parlato il professor Mastella. Sono stati quattro-cinque anni di crescita per la Delegazione. Siamo in una trentina di volontari. Per il Bike Tour le associazioni del territorio si sono attivate velocemente: i cittadini, le Pro Loco, i Comuni, le vicine di casa sessantenni. Ci hanno dato una mano tante nuove persone, che stanno già organizzando per noi nuovi eventi. Soltanto alla cena di gala presso il Ristorante Monastero di Cherasco abbiamo raccolto 20 mila euro netti. I camerieri hanno lavorato gratis. Chi ha partecipato ha vissuto una giornata perfetta, ma abbiamo fatto tanti errori, alcuni grossolani altri no, e avremmo voluto fosse tutto perfetto come lo avevamo in testa».



Elio Sicca (a sinistra nella foto) ha 48 anni. 11 anni fa è stato sottoposto a un doppio trapianto di polmoni. Ha corso l'ultima tappa di Bike Tour. «Non so descrivere l'emozione con cui ho tagliato il traguardo. Pensare che dieci anni fa non respiravo più (senza l'ossigeno faticavo a fare due scalini), e ora pedalo per 100 km a sostegno della ricerca. Lavoro in campagna e ogni giorno faccio due ore di attività sportiva. Partecipo a gare in acque libere e di triathlon. Di miglia marine ne ho fatte parecchie: il giro dell'isola di Favignana (18 km in tre giorni); quello di 6 km intorno a Bergeggi; ho attraversato a nuoto lo stretto di Messina... Dopo circa 22 anni di malattia mi è stata fatta diagnosi di fibrosi cistica e ho potuto dare un nome e un cognome a quello che avevo e soprattutto iniziare le terapie. Quando, a 35 anni, i medici mi hanno suggerito il trapianto, ho accettato subito. Sono sempre stato disponibile a tutte le cose che volevano provare. Sono rimasto in lista di attesa per due anni. In sei mesi sono stato chiamato sei volte. Alla settima i polmoni erano davvero compatibili. Successivamente il chirurgo mi ha detto: "due polmoni così belli non li avevo mai visti, Elio. Ora so perché ti ho mandato a casa così tante volte". È stato difficile abbandonare e riprendere la speranza ogni volta, ma da allora non ho dato più un colpo di tosse. Ho riacquisito poco alla volta la capacità polmonare. Solitamente i medici sono contenti se si recupera il 75%. Io arrivo a oltre il 100%. Sono nato il 26 marzo 1969. Ho ricevuto il trapianto il 26 dicembre 2006. Dico sempre che mi ci sono voluti nove mesi per rinascere».



Matteo Marzotto e Fabrizio Macchi, notoriamente molto social, alle prese con i selfie.



A Mondovì il Bike Tour si conclude con una coloratissima festa di piazza. Racconta il giovane volontario Andrea Barello: «è stato il punto di arrivo dei nostri primi dieci mesi di sensibilizzazione sul territorio e il volano per nuove iniziative. Non avevamo ancora terminato la giornata e già ricevevamo la disponibilità per nuove iniziative. Io e mia moglie Paola abbiamo scoperto di essere portatori sani di fibrosi cistica. Non ci stanchiamo di raccontare la nostra storia. Abbiamo fatto un'informazione molto capillare e il territorio ha recepito bene. Abbiamo incontrato una generosità e una disponibilità commoventi: in Comune, tra la gente e le associazioni di categoria. Per esempio, hanno organizzato un torneo di bocce quadre. È stato molto divertente. Il ricavato lo hanno donato alla Fondazione, omaggiando anche Matteo Marzotto e Davide Cassani con una coppia di bocce».





Edoardo Hensemberger, testimonial FFC: «la Fondazione compie vent'anni, io ho vent'anni e vent'anni fa, forse, più o meno sarei arrivato alla fine della mia vita. Ogni anno in cui la Fondazione esiste, contribuisce a dare un anno in più alla mia vita. Quindi dobbiamo sostenere la Fondazione perché ogni anno che passa, in cui voi la supportate, io vivo un anno di più».



Antonella Paternò Rana presenta ai Padri fondatori la magnifica torta offerta dallo chef Giancarlo Perbellini. Da sinistra: Paolo Romano, Giordano Veronesi, Matteo Marzotto, Vittoriano Faganelli e Gianni Mastella.

20 candeline da spegnere per accendere la ricerca

Dal 31 gennaio, giorno ufficiale del compleanno di FFC, di occasioni per celebrarne i vent'anni ce ne sono state tante, culminate, il 27 ottobre, nella serata presso il palazzo della Gran Guardia di Verona, dove si sono incontrati ricercatori, sostenitori e amici di sempre della Ricerca FFC. 266 ospiti speciali che con il loro sapere, le loro risorse e una sensibilità d'eccezione, negli anni hanno contribuito ad allargare gli orizzonti di chi nasce con la fibrosi cistica.



Il gruppo di ricerca allargato del progetto Task Force for CF a cui collaborano due eccellenze: l'Istituto Gaslini di Genova e l'Istituto Italiano di Tecnologia. Della fase preclinica è responsabile Tiziano Bandiera, che ha per partner la dottoressa Nicoletta Pedemonte e come principale consulente esterno il dottor Luis Galletta.

Un brindisi con i padroni di casa della serata. Da destra: i coniugi Gianluca e Antonella Paternò Rana, il presidente FFC Vittoriano Faganelli, il direttore scientifico FFC Gianni Mastella, il sindaco di Verona Federico Sboarina con la moglie Alessandra Canova, Giovanni Rana e Stefano Bertacco, assessore ai servizi sociali per il Comune di Verona.



Per la serie: menti che fanno correre la ricerca. Alcuni dei giovani ricercatori della Rete FFC.



In arrivo direttamente da Londra i coniugi Wilson, Paul e Teresa Pastena, promotrice del progetto HOPE Rosa Pastena a sostegno di *Task Force for CF*.



Matteo Marzotto con Tecla Zarantonello, a sinistra, e Susanna Aldrighetti, a destra, amiche del cuore della Fondazione e infaticabili collaboratrici.



Graziella Borgo, vicedirettore scientifico FFC, conferisce un riconoscimento a sette ricercatori FFC che si sono distinti per intensità e continuità di ricerca, ma anche per essere rappresentativi dell'intera comunità scientifica italiana che si occupa di FC. Da sinistra: Carlo Castellani, Oscar Moran, Giulio Cabrini, Alessandra Bragonzi, Luis Galletta, Valeria Casavola, Mario Romano.



Gianni Mastella e Antonella Paternò Rana, deliziosa madrina, che ha condotto con piglio e dolcezza la serata.



Matteo Marzotto porge ad Antonella Paternò Rana un omaggio floreale in segno di riconoscenza.



Il gruppo di imprenditori a cui è stato assegnato un riconoscimento per la generosità nel sostegno a progetti di ricerca FFC. Al centro il molto applaudito Giovanni Rana, la cui famiglia ha offerto il catering curato da Antoniazzi. Un grazie speciale anche a Gruppo Italiano Vini, Crédit Agricole e UniCredit Banca per il sostegno alla serata.

Eventi molto speciali

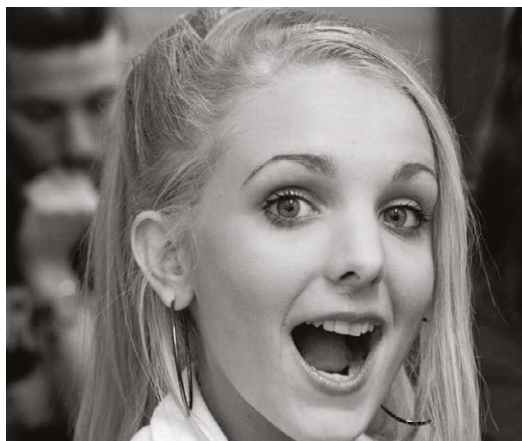
Il sorriso di Daniela illumina la ricerca

“Ce la posso fare. Ce la devo fare”, Daniela lo ripeteva come un mantra. La fibrosi cistica ha avuto la meglio, ma non sul suo ideale: sostenere la ricerca per trovare una cura. Il desiderio che aveva lo hanno fatto proprio in molti e così, anche ora che non c'è più, insieme, si giungerà al finanziamento del progetto scientifico all'avanguardia che le stava a cuore.

Daniela sapeva che sarebbe stato inutile cercare di raccogliere fondi senza che prima la gente avesse capito cosa significasse avere la fibrosi cistica, la malattia con cui era nata. «La fibrosi cistica è conosciuta di nome, ma non si sa che cosa comporti: visite, ricoveri, medicine, terapie – diceva. Le persone dovrebbero sapere quello che facciamo nella nostra quotidianità: al mattino, appena alzati, la fisioterapia. Poi prendiamo una quarantina di pastiglie e antibiotici. Al pomeriggio, di nuovo, fisioterapia e anche la sera prima di andare a letto. Gli orari in cui assumere i farmaci vanno rispettati. Dalla prima elementare ho imparato a gestirmi le pastiglie».

Daniela si chiedeva: «se mi curo, perché dovrei morire?» e continuava a sorridere e a raccontare. «Le cose sono cambiate quando sono stata costretta a fare flebo continue a casa, senza mai smettere, e poi a dovere stare in ospedale per ricoveri sempre più lunghi, di mesi, e a prendere sempre più pastiglie. Riuscite a immaginare cosa proviamo noi che siamo ogni giorno in ospedale? – chiedeva. La fibrosi cistica non mi fa sentire diversa dagli altri, ma ovviamente non mi fa essere proprio uguale agli altri. Per tre anni di fila ho fatto il compleanno in ospedale. So che devo starci, perché lo faccio e perché sono qui. La malattia mi dà un motivo in più per vivere. Senza forza non si può andare avanti. Se hai una malattia pensi a delle cose brutte. Devi trovare la forza dentro di te».

Il suo diciassettesimo compleanno Daniela lo ha festeggiato fuori dall'ospedale, con un paio di polmoni nuovi, trapiantati in primavera, ma non è bastato. «Questa malattia è sempre stata cattiva – diceva. Però tutto questo non è riuscito a togliermi il sorriso». Alla notizia della sua scomparsa in tanti hanno voluto dare un segno di speranza facendo una donazione al progetto di ricerca che sognava di finanziare. «Noi dobbiamo dire grazie ai ricercatori, ma non una volta sola. Continuare a dire grazie!» diceva Daniela. Per queste iniziative ed eventi in suo nome e nel nome della gioia di vivere, vengono organizzati ogni settimana. Ad oggi sono stati raccolti oltre 10.500 euro, ma è solo l'inizio.



Come sostenere il progetto di Daniela

L'obiettivo: Progetto FFC 24/2017 - Fotoferesi extracorporea come terapia d'induzione per prevenire il rigetto acuto in pazienti affetti da fibrosi cistica e trapiantati di polmone.

Il responsabile: Mario Nosotti (Università degli Studi di Milano, IRCCS Fondazione Ca' Granda Ospedale Maggiore di Milano, U.O. di Chirurgia Toracica e Trapianto di Polmone)

L'ambito di ricerca: clinica ed epidemiologica
I ricercatori coinvolti: 11

La durata: 2 anni per un finanziamento totale di 110.000 euro

La causale della donazione: Dani

Come donare:

Online: fibrosicisticaricerca.it/dona-ora

Bonifico UniCredit Banca:

IT 47 A 02008 11718 000102065518

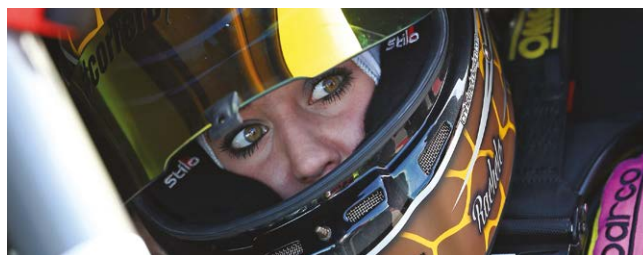
Bonifico Banco BPM:

IT 92 H 05034 11708 000000048829

c/c postale: 18841379

“La mia vittoria più grande è fare conoscere la fibrosi cistica”

Per Rachele Somaschini si chiude con successo la stagione sportiva 2017 nel Campionato Italiano Velocità Montagna (CIVM) e nel Trofeo Italiano Velocità Montagna (TIVM). La giovane pilota milanese, testimonial FFC, centra tutti gli obiettivi e festeggia nel CIVM il primo posto Coppa Dame e il secondo posto nelle classifiche di gruppo RS Plus, di classe RSTB 1.6 Plus e piloti Under 25; nel TIVM invece il primo di gruppo RS PLUS, di classe RSTB PLUS e Under 25.





Una corsa per la vita

Il ricordo di Dominga riempie di festa le strade di Scala Torregrotta (ME) con "Una corsa per la vita", manifestazione podistica non competitiva organizzata dalla Delegazione FFC di Messina per l'ottavo anno consecutivo, a sostegno della ricerca sulla fibrosi cistica.



Anche col solleone la ricerca non si ferma

Dall'11 al 15 agosto, il parco comunale di Lambrinia (PV) ha ospitato la festa d'estate organizzata ogni anno con grande successo dalla Delegazione FFC di Pavia. 6.050 gli euro raccolti a sostegno della Ricerca FFC. Vi aspettiamo l'anno prossimo.



Pranzi solidali con la Ricerca FFC

A Boschi Sant'Anna, in provincia di Verona, 5.000 euro netti per un pranzo diventato una tradizione, conosciuto per l'ottimo cibo e sempre affollatissimo. Il voluminoso gruppo di volontari coordinati da Fabio Facciolo, 27 per l'occasione, ha collaborato con i 30 del comitato festeggiamenti, divisi tra cucina e servizio in tavola. Hanno servito 283 coperti. Un record. Oltre alle amministrazioni comunali di Boschi Sant'Anna e Minerbe è stata presente anche quella di Legnago, che ha donato alla Ricerca FFC ulteriori 1.200 euro, raccolti tra le associazioni sportive della città in ricordo di Emanuele Falchetto.



Artisti per un respiro: 10 mila volte grazie!

Una catena umana di solidarietà, come l'ha definita Michela Puglisi, responsabile della Delegazione FFC di Catania Mascalucia, ha portato a un successo senza precedenti la quarta edizione dell'evento a sostegno della ricerca in fibrosi cistica. Ognuno, nel proprio piccolo, ha messo il meglio di sé. Impossibile elencare tutte le professionalità che hanno collaborato per rendere speciale la serata. L'incasso di 10 mila euro è stato destinato alla fase preclinica del progetto *Task Force for CF*, che interessa la maggior parte dei malati FC.



Il dono de "La Bottega delle Donne" alla Ricerca FFC

Torna il Natale e riapre la storica Bottega delle Donne di Montebelluna (TV). In occasione dell'inaugurazione è stato consegnato al direttore scientifico FFC, professor Gianni Mastella, l'assegno da 40 mila euro per l'adozione del progetto FFC 14/2017. La Bottega resterà aperta fino al 20 dicembre, non mancate la visita. Ne vale la pena.

eventi felici



Battesimo di Vittoria



I gemelli Marcella e Lorenzo Turazza hanno festeggiato i loro 50x2 con una festa di compleanno e un dono d'eccezione: l'adozione del progetto *Task Force for CF* per 22mila euro. Auguri per i prossimi 50x2!



La signora Manuela Bortolameolli (a destra) con la volontaria FFC Carolina Cuniglio, in occasione dell'apericena organizzato con le amiche a sostegno della Fondazione. Ha donato alla Ricerca FFC 1.250 euro.

Per donare

- Online sul sito: 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: fibrosicisticaricerca.it/sostieni-la-fondazione nella sezione benefici fiscali



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 Vittoriano Faganelli

Vicepresidente Matteo Marzotto

Consiglieri Michele Bauli, Sandro Caffi, Francesco Cobello, Paolo Del Debbio, Francesco Ernani, Giuseppe Ferrari, Gianni Mastella, Michele Romano, Donatella Treu, Luciano Vettore, Patrizia Volpato

Direzione scientifica

Direttore Gianni Mastella

Vicedirettore Graziella Borgo

Comitato di consulenza scientifica

Presidente Giorgio Berton

Consulenti Paolo Bernardi, Paola Bruni, Roberto Buzzetti, Gian Maria Rossolini

Presidenza e Segreteria

(V. Faganelli, G. Cadoni, F. Lavarini)

Tel. 045 8123438-7037 - Fax 045 8123568

Ospedale Maggiore, Piazzale Stefani 1
37126 Verona

fondazione.ricercafc@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

borgograziella@gmail.com

Direzione di Gestione (G. Zanferrari)

Tel. 045 8127028

giuseppe.zanferrari@gmail.com

Amministrazione (G. Cadoni,

M. Bergamaschi, M. Giacomuzzi, E. Fabietti)

Tel. 045 8123597 - 7034 - 7025 - 7029

gabriella.cadoni@fibrosicisticaricerca.it

fondazione.ricercafc@aovr.veneto.it

marina.giacomuzzi@fibrosicisticaricerca.it

Comunicazione

(M. Zanolli, R. Perbellini, S. Chignola,

F. Malvezzi)

Tel. 045 8123599 - 7026

comunicazione.ffc@aovr.veneto.it

Ufficio stampa (P. Adami)

Tel. 045 581893

patrizia@clabcomunicazione.it

Raccolta Fondi e Rapporti con il Territorio

(F. Cbianca, L. Fratta, G. Buemi,

F. Morbioli)

Tel. 045 8123605 - 7032 - 7033 - 3604

fabio.cbianca@fibrosicisticaricerca.it

laura.fratta@fibrosicisticaricerca.it

giusy.buemi@fibrosicisticaricerca.it

francesca.morbioli@fibrosicisticaricerca.it

fibrosicisticaricerca.it



**Fondazione per la Ricerca
sulla Fibrosi Cistica**



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



Presidente
VITTORIANO FAGANELLI



Direttore Scientifico
GIANNI MASTELLA



Presidente Comitato Scientifico
GIORGIO BERTON

Delegazioni della Fondazione

Alessandria - Valle Scrivia	347 3095778
Ancona - Fabriano	347 8638704
Avellino	349 3940749
Bari - Alberobello	348 2632041
Bari - Molfetta	349 6384907
Belluno	0437 943360
Bergamo - Trescore Balneario	338 4276716
Bergamo - Villa D'almè	335 8369504
Biella	331 9028525
Bologna	348 1565099
Brescia	030 5233919
Cagliari	329 6241193
Cagliari - Villasimius	348 7162291
Catania Mascalucia	333 1909983
Catania - Paternò	340 7808686
Catanzaro - Soverato	347 5283975
Cecina e Rosignano	340 6113886
Como - Dongo	333 7737473
Cosenza Nord	349 0519433
Cosenza Sud	347 9041138
Cuneo - Alba	333 6301943
Fermo	339 4758897
Ferrara	347 4468030
Foggia	320 4848190
Genova	348 1634818
Grosseto - Manciano	333 8221877
Imola e Romagna	347 9616369
Latina	328 8042186
Lecce	388 3498587
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
Padova - Monselice	042 974085
Palermo	338 4124077
Parma	0521 386303
Pavia	338 3950152
Pesaro	347 0191092
Pescara	347 0502460
Ragusa - Vittoria Siracusa	338 6325645
Reggio Calabria	342 5618929
Reggio Emilia	0522 874720
Roma	339 7744458
Roma - Monterotondo	349 6500536
Roma - Pomezia	349 1538838
Rovigo	349 1252300
Sassari - Castelsardo	338 8437919
Siena	349 3599497
Sondrio - Valchiavenna	338 3133275
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 - Trevignano	340 6749202
Trieste	348 4959691
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 - 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	347 5490769
Alessandria - Acqui Terme	366 1952515
Ancona Falconara	347 3329883
Arezzo	331 3700605
Ascoli Piceno	320 4792114
Asti - Moncalvo	339 5819218
Bari - Altamura	334 7295932
Bari - Bitritto	340 1618950
Barletta	0883 519569
Benevento	347 4722532
Bergamo - Isola Bergamasca	349 5002741
Bolzano - Val Badia	0474 520127
Brescia - Franciacorta	340 6589530
Brindisi - Latiano	347 6350915
Brindisi - Torre	327 2056244
Cagliari - Isili	388 8925391
Campobasso	346 8744118
Cremona - Genivolta	347 9345030
Crotone	340 7784226
Ferrara - Comacchio	339 6511817
Firenze - Reggello	328 7043136
Foggia - Manfredonia	347 5012570
Foggia - San Giovanni Rotondo	340 8789661
Foggia - San Severo	334 9370137
Frosinone	320 7277330
Genova - Cavi di Lavagna	349 3152910
Genova "Mamme per la ricerca"	333 4761744
Gorizia - Grado	328 6523404
Imperia	339 5073139
La Spezia - Sarzana "Natalina"	349 7665757
Lecco Valsassina	338 9993582
Macerata - Civitanova Marche	349 3746720
Medio Campidano	349 7829841
Messina - Tremestieri	328 5541071
Milano - Casarile	339 2055787
Milano - Lainate	348 3807009
Milano - Magenta	339 4887552
Milano - Seregno	338 4848262
Modena - Sassuolo	333 5862932
Napoli - Cicciano	335 6551613
Nuoro - Siniscola	320 7953209
Oristano - Riola Sardo	342 5133252
Padova - Urbana	347 0814872
Parma - Fidenza	334 6994359
Pavia - Vigevano	339 2001843
Perugia - Città di Castello Umbertide	320 9273469
Pisa	347 4235635
Prato	328 9076797
Ravenna - Faenza	0546 44310
Roma - Vaticano	328 2442701
Rovigo - Adria	377 2077527
Sassari - Alghero	329 2096790
Savona - Spotorno	334 3368141
Siracusa - Melilli	333 2005089
Teramo - Martinsicuro	388 9400461
Torino - Chivasso	011 9172055
Torino - Ivrea	335 7716637
Trento - Ass.ne Trentina Fibrosi Cistica	340 5228888
Venezia - Mirano	338 8347285
Verona "Rita"	347 6064471
Verona - Val d'Alpone	328 9688473



Non c'è dono più
prezioso del tempo.

QUESTO NATALE SOSTIENI LA RICERCA SULLA FIBROSI CISTICA.

Azzurra e Benedetta sono gemelle. Entrambe vanno a scuola e hanno sogni per il futuro. Ma una di loro è malata di fibrosi cistica. Una malattia che accorcia la vita.

Leggi la storia
a pag. 14 e 15.

Se sostieni la ricerca, regali tempo. Puoi farlo:

- utilizzando il bollettino che trovi in questo notiziario;
- online sul sito fibrosicisticaricerca.it (anche con PayPal);
- con bonifico bancario sul conto Unicredit Banca: IT 47 A 02008 11718 000102065518 oppure sul conto Banco BPM: IT 92 H 05034 11708 000000048829.

Indica sempre la causale: Notiziario Natale.



Fondazione Ricerca
Fibrosi Cistica - Onlus

DA VENT'ANNI, PIÙ RICERCA, PIÙ VITA.