



Notiziario Fondazione Ricerca Fibrosi Cistica Onlus

N° 59 - AUTUNNO 2021



SOMMARIO



Ricerca & Interviste

- 3 **Cosa deve ancora fare la ricerca per le persone con FC**
Editoriale
- 4 **60 progetti al vaglio della Rete nazionale**
Convention 2021
- 5 **Novità dallo scenario europeo**
ECFS Digital Conference
- 6 **Covid-19 e FC: com'è andato il 2021**
Anticipazioni dal Registro italiano
- 7 **Sguardo di largo respiro su presente e futuro della FC**
XIX Seminario
- 8 **Condividere i risultati per far correre la ricerca**
Ricerca trasparente
- 9 **Forum Life. Unire gli sforzi per assistere e curare**
Basic Science Meeting. Viaggio alla base della FC
- 10 **Come si arriva a un'approvazione**
Intervista ad AIFA
- 12 **Cresce il tetto di finanziamento per puntare alla cura**
Progetti, studi strategici e servizi alla ricerca da adottare

Campagne & Eventi

- 22 **L'impegno continua perché la cura sia per tutti**
Interviste di Natale
- 25 **Benvenuta Irma!**
Da Tokyo, nuova testimonial per FFC Ricerca
- 26 **Festa più dolce, ricerca più ricca**
Doni solidali
- 28 **Siamo tornati!**
Campagna nazionale per la Ricerca sulla fibrosi cistica
- 32 **Maglie gialle come l'ottimismo di vincere la FC**
Bike Tour, IX edizione
- 36 **Bilancio sociale: attività e persone dietro i numeri**
Un questionario per conoscerci meglio
- 37 **La rinascita degli eventi**
Appuntamenti solidali in tutta Italia

Publicazione della Fondazione Ricerca Fibrosi Cistica - Onlus

c/o Azienda Ospedaliera Universitaria Integrata - Piazzale Stefani, 1 - 37126 Verona

Redazione: Marina Zanolli, Giulia Bovi, Stefania Chignola, Martina Marchesini

Consulenza scientifica: Giorgio Berton, Luisa Alessio

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

In copertina Bea. Photo credit Marisa di Pinto

COSA DEVE ANCORA FARE LA RICERCA PER LE PERSONE CON FC



La strada per migliorare condizioni e aspettativa di vita delle persone con fibrosi cistica (FC), o almeno di una buona parte di loro, è stata presa. L'uso in clinica del Trikafta per gli omozigoti con mutazioni F508del/F508del o gli eterozigoti con mutazioni F508del/ e qualcos'altro (che purtroppo cambia a seconda dei paesi dove viene usato il farmaco) riflette la prova del principio che, migliorando la funzione del prodotto proteico del gene mutato, migliora tutto: il trasporto di cloro e sodio nel dotto di riassorbimento delle ghiandole sudoripare, la FEV1, l'infezione polmonare, ecc. Basta così? Tutt'altro: è aperta la corsa per la scoperta di molecole più efficaci. L'azienda farmaceutica Vertex sta iniziando uno studio clinico di fase 3 con una combinazione di due correttori (VX-121 e tezacaftor) e un nuovo potenziatore (VX-561). Un correttore dell'azienda americana AbbVie (ABBV-2222) ha concluso la fase 2 di sperimentazione ed è in corso quella in combinazione con un potenziatore (ABBV-3067). **C'è anche FFC Ricerca nella sfida per identificare nuovi farmaci.** Il progetto strategico *Task Force for Cystic Fibrosis* (TFCF), sostenuto negli scorsi anni da moltissime donazioni, ha permesso di identificare ARN23765, una molecola che corregge il trasporto di cloro in cellule bronchiali F508del/F508del a concentrazioni 100-1000 volte inferiori di quelle dei composti Vertex. Un'industria farmaceutica sta completando gli studi per valutare se ARN23765 può entrare in una fase di sperimentazione clinica. È partito da poco un progetto sostenuto anche da FFC Ricerca che ha come obiettivo l'identificazione di una nuova classe di correttori da usare in combinazione con quelli già noti (vedi i progetti strategici a pagina 19). La competizione fa bene al progresso della scienza, alle possibilità di cura e anche al loro costo che resta, in questo momento, il lato veramente oscuro della luna. È importante notare che, nell'ambito dell'ampliamento del numero di persone che potranno usufruire di nuovi farmaci, ci sono in Italia forti competenze per lo sviluppo di una medicina personalizzata basata sullo studio della risposta di cellule isolate da persone con FC, mediante tecniche poco invasive. **FFC Ricerca ha incoraggiato e incoraggerà ricerche in questo campo che possono produrre evidenze sull'effetto di farmaci in uso, o nuovi, su mutazioni a bassa frequenza (vedi pagina 15-16).**

L'importanza dell'introduzione di farmaci potenziatori e correttori nella terapia della FC non ridurrà certo l'attenzione per una valutazione rigorosa della loro efficacia, dell'entità degli effetti collaterali, delle conseguenze del loro uso combinato con le terapie delle complicanze. FFC Ricerca ha avviato un progetto strategico finalizzato ad aumentare le conoscenze su alcuni

di questi aspetti (un approfondimento a pagina 21). Significativamente, saranno i medici a dare il contributo maggiore ai progressi in questo campo, restituendo al laboratorio (il *bench* degli anglosassoni) da cui sono arrivati e arriveranno i farmaci, informazioni essenziali provenienti dalle valutazioni cliniche (il *bedside*).

Abbiamo imparato che piccole molecole possono legarsi alla CFTR aumentando la sua capacità di trasportare cloro (potenziatori) o favorendo il suo trasporto alla membrana plasmatica (correttori). Ancora una volta: basta così? Tutt'altro: si stanno approfondendo, anche grazie alla ricerca italiana finanziata da FFC Ricerca, importanti aspetti che riguardano molecole che regolano la veicolazione di CFTR, alterano il microambiente lipidico dove si inserisce la CFTR o, in quanto trasportatori, sostituiscono le funzioni della CFTR mutata. **Da questi studi può emergere l'identificazione di nuovi bersagli terapeutici, come nuove terapie possono emergere da ricerche su agenti patogeni responsabili di infezioni polmonari e su nuovi meccanismi per eradicarli.** Inoltre, si attendono conoscenze sull'effetto dell'infiammazione, grave fattore di danno, nel modificare l'effetto di potenziatori/correttori.

Ci sono elementi per essere ottimisti, per avere fiducia. Arriveremo però a una cura per tutti?

Personalmente credo che la risposta finale la darà la terapia genica, che si può ritenere la grande assente nella lotta contro la FC negli ultimi vent'anni. Qualcosa di importante però si è mosso: sono emerse nuove tecnologie per "riparare" geni mutati senza sostituirli del tutto (*gene* e *RNA editing*); sono emersi nuovi vettori capaci di trasportare efficacemente geni all'interno della cellula; si è stabilito che quasi il 90% della CFTR espressa nella mucosa bronchiale umana lo è nelle popolazioni cellulari che costituiscono il 90% delle cellule della mucosa stessa.

La preoccupazione di veicolare un gene normale codificante per CFTR nella cellula "giusta" - processo che pareva rappresentare un ostacolo insuperabile e che ha alimentato perplessità sull'impiego della terapia genica nella cura della FC - potrebbe dunque considerarsi superata.

È forse venuto il momento per Fondazione di valutare l'opportunità di investire con forza nella ricerca nel campo della riparazione/sostituzione della CFTR mutata attraverso le nuove possibilità offerte dalla terapia genica.

Giorgio Berton
Direttore scientifico FFC Ricerca



LA CONVENTION DI VERONA

60 PROGETTI AL VAGLIO DELLA RETE NAZIONALE DI RICERCA

La XIX Convention d'autunno dei ricercatori finanziati da FFC Ricerca si tiene a Verona il 25 e 26 novembre presso il Centro congressi della Camera di Commercio. Nel format del "webinar misto", vede la presenza dei soli responsabili dei progetti senza la partecipazione di pubblico in sala per contenere al minimo i rischi legati alla diffusione del Covid-19.

Nelle due giornate dell'edizione 2021 vengono presentati 39 progetti selezionati da Bando: quelli conclusi nell'agosto scorso, o in via di conclusione, e quelli all'inizio della seconda annualità. A questi, si aggiungono i progetti di nuova assegnazione che saranno descritti nella brochure della Convention, per un totale di 60 studi. Otto di questi (più di un terzo di quelli finanziati nel 2021) rappresentano una prosecuzione di *grant* degli anni 2019-20 e ciò è indice di un significativo raggiungimento degli obiettivi dei rispettivi studi che seguono le indicazioni di priorità indicate nel Bando. La pandemia, il lockdown rigido dei primi mesi del 2020 e le restrizioni all'accesso ai laboratori di ricerca, dovute alle disposizioni del Ministero della Salute, hanno ridimensionato in modo significativo i programmi e le tempistiche dei progetti. In questa edizione, sono presentati 27 progetti dell'area della fisiopatologia respiratoria FC, 19 in quella della microbiologia, 6 dell'infiammazione, 8 del settore clinico. La Convention è un appuntamento di grande importanza per la Rete di FFC Ricerca, chiamata a fare il punto sugli avanzamenti scientifici prodotti.

Lo scorso anno l'evento ha goduto di una grande partecipazione, benché fosse in streaming per tutti, relatori e pubblico. E l'auspicio è che anche la Convention 2021, la prima senza il prof. Mastella, porti altrettanta adesione e interessata partecipazione.

Federica Lavarini
Segreteria scientifica FFC Ricerca

La Convention 2021 è dedicata al professor Gianni Mastella che nel 2020 descriveva l'appuntamento annuale con queste parole:

La Convention è un bilancio che i ricercatori faranno assieme alla Fondazione, che ne supporta l'impegno, all'interno della più estesa attività della comunità scientifica internazionale. La Convention intende infatti offrire a tutti i ricercatori un panorama critico di ciò che si sta muovendo in questo campo, con l'intento anche di raccogliere indicazioni su prospettive di ulteriore lavoro e di nuove aggregazioni di ricerca.



Quando: 25-26 novembre 2021



Dove: Centro congressi
Camera di Commercio di Verona



A chi è dedicata: pubblico specialistico di ricercatori e medici del mondo FC



Format:
webinar per il pubblico
in presenza per i relatori



Relatori: 39



Si parla di: 60 progetti
★ 27 fisiopatologia respiratoria
★ 19 microbiologia
★ 6 infiammazione
★ 8 clinica



Carlo Castellani, Direttore Centro FC dell'Istituto G. Gaslini di Genova, è dal 22 aprile 2021 il nuovo presidente del Comitato scientifico di FFC Ricerca. Al suo fianco, Paolo Bernardi, Cesare Braggion, Paola Bruni, Roberto Buzzetti, Oscar Moran, Gian Maria Rossolini.

NOVITÀ DALLO SCENARIO EUROPEO

Nelle giornate 9-12 giugno 2021 si è svolto, ancora una volta in streaming, il 44° Congresso della Società Europea Fibrosi Cistica (ECFS). La partecipazione ai lavori congressuali è stata alta: si sono collegate più di 2.000 persone da 57 paesi europei ed extraeuropei. Nelle tre giornate di lavoro, sono stati toccati vari argomenti che hanno riassunto l'esperienza internazionale sui temi più importanti per la cura della malattia e hanno esaminato le nuove frontiere della ricerca.

Survey sui programmi di screening neonatale

Grande rilievo è stato dato al problema dei bambini identificati come CFSPID (Diagnosi di fibrosi cistica non conclusive da screening neonatale positivo). Dai dati disponibili, e seppur considerando la grande variabilità legata ai protocolli di screening usati, è stato calcolato che ogni cinque diagnosi FC confermate viene individuato un bambino CFSPID. In circa il 20% dei bambini con diagnosi CFSPID alla nascita, si ha conferma di malattia FC, generalmente tra i 2 e i 10 anni di età. Non è stata invece identificata, sulla base dei dati attuali, la procedura migliore da seguire per lo screening neonatale. È stato segnalato il possibile effetto negativo di un'indagine genetica troppo estesa, che individuerrebbe mutazioni della proteina CFTR di significato non chiaro: a tutt'oggi, ci sono ben 2.104 varianti di CFTR e, tra queste, solo 360 sono sicuramente classificabili come associate alla malattia.

Il Registro dei pazienti della Società Europea FC (ECFSR)

È sempre più importante il ruolo del registro di patologia che raccoglie i dati di oltre 50.000 pazienti di 39 paesi europei. L'ECFSR è stato riconosciuto da EMA, l'Agenzia europea per i medicinali, come strumento ufficiale per il controllo di sicurezza ed efficacia dei farmaci recentemente autorizzati.

Impatto dei modulatori della proteina CFTR nel lungo periodo di osservazione

Su questo tema, sono stati analizzati in particolare alcuni punti. Per quanto riguarda la possibilità di alleggerire, almeno parzialmente, il carico del trattamento quotidiano di base dopo l'assunzione dei farmaci modulatori, dai primi dati sembra che ci sia la possibilità di diminuire soprattutto le terapie mirate alle vie respiratorie. È comunque necessario mettere in atto appositi studi clinici controllati per confermare questa tendenza. In merito agli effetti dei modulatori in gravidanza e allattamento, gli studi su 69 gravidanze sono incoraggianti. Sul tema, a breve inizierà il reclutamento per un'analisi prospettica (Mayflow, NCT04828382) che seguirà le donne con fibrosi cistica durante e dopo la gravidanza. Impatto di Orkambi tra i 2 e i 5 anni: uno studio osservazionale ipotizza una discreta efficacia sull'evoluzione respiratoria. Attualmente è in corso uno studio clinico con gruppo di controllo (NCT03625466) per valutare eventuali cambiamenti nella progressione della malattia. Infine, sull'efficacia e la sicurezza di Kaftrio in soggetti con malattia polmonare avanzata, sono stati presentati i dati riferiti a 47 pazienti e i risultati sono promettenti.

Possibilità terapeutiche per i pazienti portatori di mutazioni CFTR a oggi "orfane" di modulatori

Prosegue il programma HIT-CF Horizon 2020 - con 500 biopsie fino a ora raccolte - che si propone di verificare l'effetto di nuove molecole e modulatori già in uso su mutazioni rare, attualmente orfane di farmaci.

Primi buoni risultati sono stati ottenuti con una triplice combinazione di nuovi modulatori (il potenziatore dirocaftor, DIR: PTI-808; il correttore posenaftor, PTI-801; l'amplificatore ne-solcaftor, PTI-428) in organoidi intestinali di soggetti portatori di mutazioni ultra-rare e con Kaftrio in portatori delle mutazioni G85E e N1303K. I risultati ottenuti in laboratorio sui modulatori attualmente in commercio potrebbero già essere considerati utili dalla FDA (Agenzia regolatoria dei farmaci in USA) per permetterne l'allargamento della somministrazione. Prosegue inoltre la ricerca sulle terapie a RNA messaggero in pazienti portatori di mutazioni CFTR stop, per riuscire a indurre la sintesi di una proteina corretta. In particolare, una ricerca americana sta studiando il trasporto dell'RNA messaggero alle cellule epiteliali bronchiali tramite nanoparticelle lipidiche somministrate per via aerosolica.

Nuove terapie rivolte a tutti i pazienti FC, qualsiasi sia il loro corredo genetico

In Germania si sta svolgendo una ricerca che studia l'efficacia di MUC-031 in topi FC: un nuovo mucolitico che sembra potenzialmente efficace nel ridurre l'eccessiva densità del muco bronchiale.

Laura Minicucci



Benché la promessa al mondo della ricerca FC europea di rivedersi di persona fosse stata fatta anche per il 2021, con appuntamento a Milano poi trasformato in streaming, gli organizzatori della Conferenza europea non si perdono d'animo e per il 2022 hanno fissato l'incontro per l'8-10 giugno a Rotterdam, nei Paesi Bassi. Le iscrizioni iniziano a dicembre 2021.

OTTOBRE A NAPOLI

ASSISTENZA E SCIENZA AL CONGRESSO SIFC

Si svolge a Napoli dal 20 al 23 ottobre il 27° Congresso Nazionale della Società Italiana per lo studio della fibrosi cistica, presieduta da Marco Cipolli (nella foto). Ricchissimo il programma, moltissimi gli argomenti offerti, tra cui sessioni dedicate ai "farmaci modulatori e non solo", a pandemia e salute mentale, alle diagnosi inconclusive, all'epigenetica in fibrosi cistica, e ancora *theratyping*, novità sulle mutazioni stop, aggiornamenti dal Registro Italiano FC, prospettive nel campo del *gene editing*, uno sguardo al futuro dei modulatori di CFTR e molto altro. Tutte le informazioni sul sito sifc.it

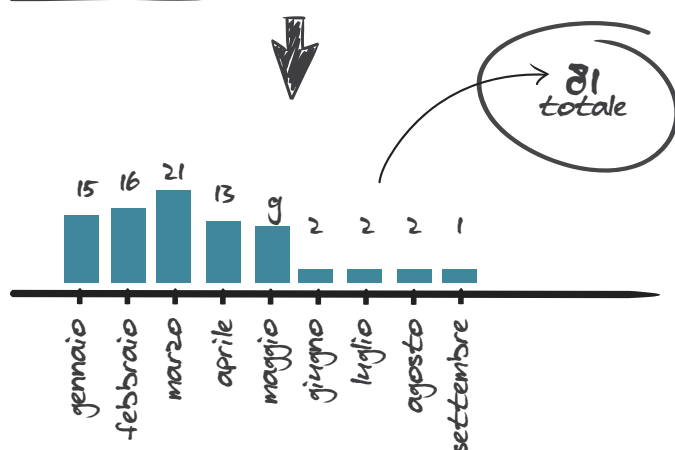


ANTICIPAZIONI DAL RIFC

COVID-19 E FIBROSI CISTICA: COM'È ANDATO IL 2021

Mentre il 2021 si avvicina alla chiusura, e a breve verranno tirate le somme definitive sull'andamento del Covid-19 nella popolazione FC italiana, abbiamo chiesto al Registro Italiano FC (RIFC) un'anticipazione dei dati raccolti nei mesi scorsi, sino alla fine di settembre.

Dal febbraio 2020 al 30 settembre 2021 sono stati collezionati dati relativi a un totale di 206 pazienti: 125 nel corso del 2020 e 81 nel 2021. Qui vediamo la distribuzione degli 81 casi inseriti nei mesi di gennaio-settembre 2021, dove l'incidenza è dell'1,4%, ovvero 81 casi Covid-19 su 5.801 persone FC censite.

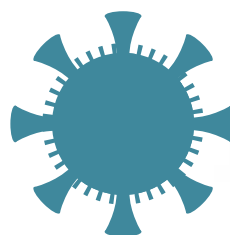
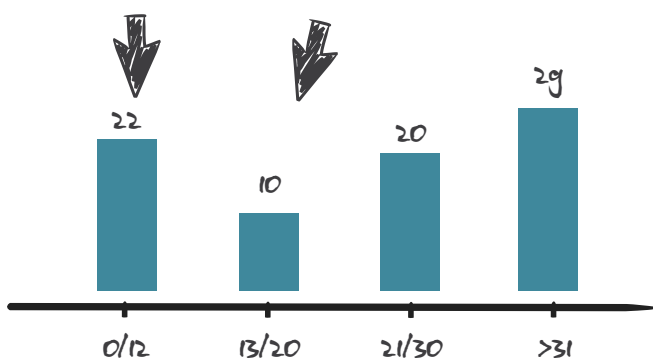


I casi sono aumentati nei primi tre mesi dell'anno per poi progressivamente diminuire a partire da aprile, in risposta alle misure restrittive adottate a livello nazionale.

I pazienti FC positivi a SARS-CoV-2 erano di sesso maschile e femminile praticamente in egual misura: 40 maschi e 41 femmine. Afferivano a 21 Centri di riferimento e supporto per la FC, su 29 totali.

La positività era confermata mediante test diagnostici molecolari per il 91,3% o con indagine sierologica per l'8,7%.

La figura qui sotto mostra la distribuzione del numero di pazienti per fascia di età. Va rilevata la presenza di molti pazienti in età pediatrica e adolescenziale.



Gran parte dei pazienti era paucisintomatico e gestito a domicilio (90,1%), mentre in 8 casi (9,9%) si è reso necessario un ricovero ospedaliero. Per uno solo è stata necessaria la terapia intensiva e un'altra persona di 78 anni è deceduta.

Fra i pazienti era presente anche una donna in gravidanza risultata paucisintomatica e pienamente guarita.

Chi sono gli 81 positivi



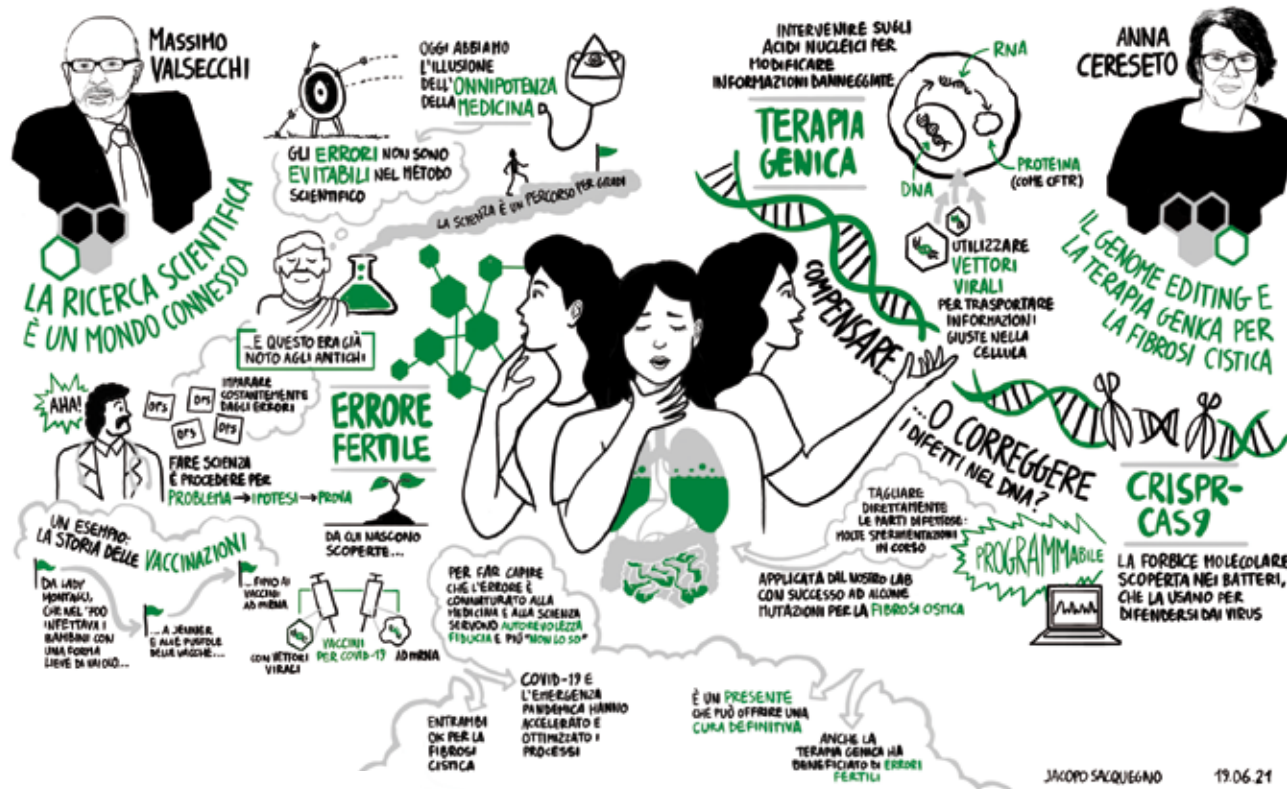
FC e vaccino

Solo 9 degli 81 pazienti che hanno contratto il virus SARS-CoV-2 erano vaccinati: 17 pazienti non erano eleggibili per età; per 7 di loro era stata data l'indicazione di non esecuzione per "altre motivazioni"; in un caso viene riportato che il paziente "ha rifiutato la vaccinazione", mentre per i restanti 47 pazienti non è stato compilato il campo previsto.

Marco Salvatore e Rita Padoan

Membri del Comitato Scientifico RIFC.

Il primo fa parte del Centro Nazionale Malattie Rare, Struttura Interdipartimentale Malattie Rare Senza Diagnosi, Istituto Superiore di Sanità, Roma; la seconda del Centro regionale di supporto per la fibrosi cistica, Dipartimento di pediatria Ospedale dei Bambini - Asst Spedali Civili dell'Università di Brescia



JACOPO SACQUEGNO 19.06.21

XIX SEMINARIO DI PRIMAVERA

UNO SGUARDO DI LARGO RESPIRO SU PRESENTE E FUTURO DELLA FC

A giugno si è svolto il XIX Seminario di Primavera promosso da FFC Ricerca con il patrocinio dell'Istituto Superiore di Sanità. Anche quest'anno l'incontro è avvenuto via streaming e ha raccolto grande interesse e partecipazione di pubblico.

Questa edizione è stata anche il primo passo senza il professor Gianni Mastella, Direttore scientifico e cofondatore di Fondazione, scomparso nel febbraio 2021. FFC Ricerca ha voluto ricordare lui e il suo straordinario contributo al mondo della fibrosi cistica con un video, trasmesso in apertura di giornata e disponibile sui canali di comunicazione ufficiali di Fondazione. A seguire, sono iniziati i lavori della giornata con cinque interventi di esperti e scienziati sul tema "La corsa della ricerca verso una Cura per tutti".

Il titolo ha voluto sottolineare l'importanza e il valore della scienza e della ricerca che, mai come in questo periodo, confermano l'impegno nel trovare una cura per tutte le persone con fibrosi cistica.

È in questo scenario, e in continuità con quanto indicato dal professor Mastella, che il nuovo Direttore scientifico di FFC Ricerca, professor Giorgio Berton, ha illustrato il programma strategico di Fondazione per i prossimi anni. A seguire, sono intervenuti Marco Salvatore (Registro Italiano Fibrosi Cistica) sul quadro attuale delle persone con fibrosi cistica in Italia, e Cesare Braggion (Gestione e promozione attività di ricerca clinica della Direzione scientifica) sullo stato dell'arte dei farmaci modulatori di CFTR mutata.

La sessione finale è stata dedicata alla trasversalità della ricerca scientifica, dalle conoscenze sui vaccini anti-Covid-19 (Massimo Valsecchi, Gruppo tecnico consultivo nazionale sulle vaccinazioni), alla terapia genica per la fibrosi cistica (Anna Ce-

reseto, Università di Trento).

Il Seminario è stato introdotto e moderato da Graziella Borgo e Michele Gangemi di FFC Ricerca. La sessione finale ha visto il coinvolgimento del giornalista Federico Taddia e del visual thinker Jacopo Sacquegno che ha realizzato una mappa (vedi qui sopra) di sintesi degli argomenti trattati.

Luisa Alessio

Luisa Alessio, attuale responsabile della Comunicazione scientifica FFC Ricerca, al suo primo appuntamento con il Seminario



Per vedere o rivedere

A questo link fibrosicisticaricerca.it/seminario_ffc_2021/puoi

- * seguire l'incontro
- * vedere il video dedicato a Gianni Mastella
- * leggere la brochure con le relazioni
- * scoprire la mappa di sintesi del Seminario.

Quanti collegati alla diretta



306
dalla
piattaforma



1.579
da
Facebook



694
da
YouTube

Le Regioni più presenti al Seminario



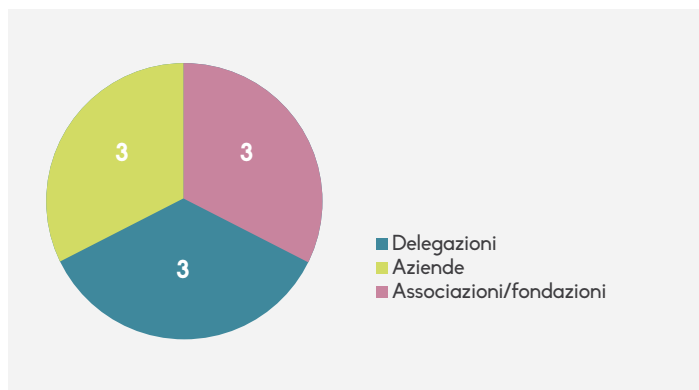
CONDIVIDERE I RISULTATI PER FAR CORRERE LA RICERCA

Compie 10 anni la Ricerca trasparente, l'iniziativa voluta da Fondazione per tenere i propri sostenitori sempre informati sull'utilizzo delle donazioni fatte a favore della ricerca sulla fibrosi cistica. Anche quest'estate, gli adottanti dei progetti terminati nel 2020 hanno ricevuto la documentazione con i risultati scientifici degli studi che hanno sostenuto, presentati in un linguaggio più comprensibile possibile anche ai "non addetti ai lavori", così da perseguire uno degli scopi che molto stanno a cuore a Fondazione: la divulgazione scientifica.

FFC Ricerca crede fermamente nella trasparenza e nella condivisione dei risultati dei progetti. Proprio in questa cornice si inserisce la Ricerca trasparente che riporta sia le informazioni scientifiche sia il quadro economico di ciascun progetto. Agli adottanti è infatti consegnato il consuntivo delle spese effettuate per lo svolgimento delle attività scientifiche, cosicché ogni donatore sia informato dei costi sostenuti dal gruppo di ricerca a fronte del finanziamento ottenuto.

Nell'anno 2020 sono terminati 32 progetti, 20 iniziati nel 2018 e 12 nel 2019. Tra questi c'è anche la prima parte della fase preclinica di *Task Force for Cystic Fibrosis (TFCF)*, progetto strategico avviato nel 2014 che, a fronte di un investimento a oggi di due milioni 700 mila euro, ha raggiunto ora importanti risultati. Una molecola sviluppata nell'ambito del progetto *TFCF*, dopo essere stata brevettata, è stata infatti presa in licenza quest'anno da un'azienda farmaceutica che completerà gli studi preclinici per poi dare l'avvio alla sperimentazione nell'uomo. Auspichiamo che questo importante risultato di *TFCF*, che ha portato a concludere l'accordo di sviluppo, possa sfociare presto in un nuovo e più efficace farmaco per la fibrosi cistica.

Chi ha adottato *Task Force for Cystic Fibrosis* nel 2020

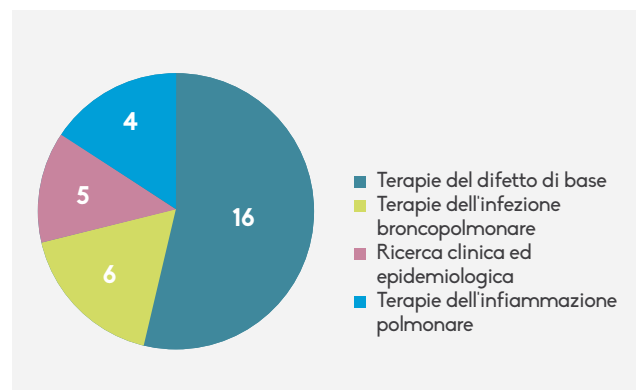


Il progetto strategico *TFCF* ha generato anche proprietà intellettuale di cui sono contitolari, oltre a FFC Ricerca, anche l'Istituto Italiano di Tecnologia (IIT) e l'Istituto G. Gaslini di Genova. Due brevetti sono stati inoltre concessi negli Stati Uniti.

Tra gli studi terminati nel 2020, 31 sono "progetti di Rete" ovvero finanziati attraverso il bando competitivo di FFC Ricerca, pubblicato annualmente il 15 dicembre. I 31 studi, suddivisi in quattro

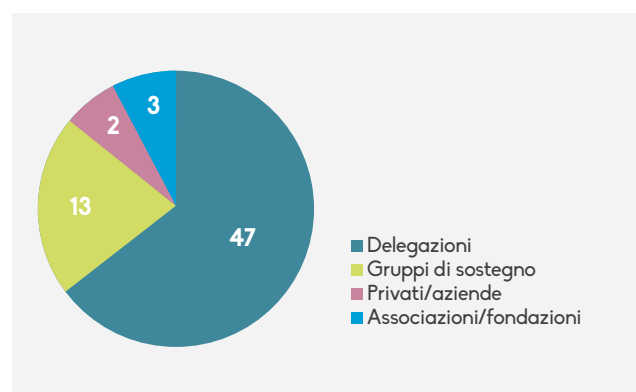
diverse aree di ricerca, sono stati finanziati con 1,8 milioni di euro, interamente coperti dalle donazioni.

Cosa hanno studiato i progetti conclusi



A tutti i sostenitori dei progetti terminati nel 2020 è stato espresso il nostro ringraziamento per l'adozione realizzata e sono state inviate via email delle lettere di introduzione alla Ricerca trasparente, accompagnate da una breve sintesi degli obiettivi e dei risultati del progetto, l'elenco di eventuali pubblicazioni scientifiche, il consuntivo delle spese effettuate per lo svolgimento dello studio e una copia degli atti della XVIII Convention dei ricercatori.

Chi ha adottato i progetti di Rete



La condivisione di risultati e dati della ricerca scientifica è condizione necessaria per il suo progredire e crediamo che il successo passi dal coinvolgimento di tutti i portatori d'interesse, siano ricercatori, persone con la fibrosi cistica, volontari o sostenitori.

Ermanno Rizzi

Ermanno Rizzi è da quest'anno responsabile della Gestione bandi e progetti di ricerca FFC Ricerca



FORUM LIFC

UNIRE GLI SFORZI PER ASSISTERE E PER CURARE

Il 9 ottobre si è tenuta la *digital edition* del Forum Italiano sulla fibrosi cistica, organizzato dalla Lega Italiana Fibrosi Cistica (LIFC). L'incontro è stato aperto dai saluti dei presidenti di LIFC, Gianna Puppo Fornaro, di SIFC, Marco Cipolli, e di FFC Ricerca, Matteo Marzotto: insieme hanno sottolineato e rinforzato la politica di "comuni intenti" che ha già raggiunto importanti traguardi, come la recente messa a disposizione da parte del SSN del modulatore Kaftrio.

Di cosa si è parlato

La giornata è stata articolata in sei sessioni tematiche. In apertura, si è ribadita la necessità di vigilare sul rispetto dei criteri di accreditamento dei Centri FC, per fornire alle persone con FC un elevato livello di prestazioni e ovviare alla disparità di assistenza tra le varie Regioni.

Si è poi parlato del ruolo dei nuovi modulatori della proteina CFTR a livello extra-respiratorio. È stato sottolineato come l'accesso alle nuove terapie disponibili ha portato a un miglioramento delle condizioni generali di salute e ha modificato la realtà epidemiologica della popolazione adulta FC, che elabora progetti di maternità e paternità.

A seguire, sono state presentate le ultime novità sulla cartella clinica elettronica, progetto finanziato da LIFC con i dati del Registro Italiano Fibrosi Cistica, che dovrebbe a breve entrare in uso sperimentale presso alcuni Centri FC italiani.

La sessione che ha suscitato grande interesse, anche da parte nostra, ha riguardato il tema delle persone con mutazioni a oggi "orfane" di modulatori CFTR efficaci. I relatori hanno ricordato come il problema potrebbe diventare ancora più rilevante in futuro, vista l'apparente diminuzione della ricerca volta a individuare nuove prospettive terapeutiche che vadano oltre ai farmaci modulatori di CFTR. È inoltre emersa la necessità che in Italia, analogamente a quanto già accettato dalla statunitense FDA, diventi possibile autorizzare l'uso di modulatori sulla base dell'efficacia dimostrata in studi ex vivo, su organoidi intestinali o cellule della mucosa nasale (se ne parla a pagina 11).

Infine, è stato presentato il progetto strategico di FFC Ricerca sulla realizzazione di un programma di informazione sul test del portatore sano di FC su tutto il territorio nazionale.

LM



BASIC SCIENCE MEETING 2021

VIAGGIO ALLA BASE DELLA FIBROSI CISTICA

Per il secondo anno consecutivo, la pandemia ha causato la cancellazione del congresso di Scienza di Base della Società Europea Fibrosi Cistica (*ECFS Basic Science Meeting*), che avrebbe dovuto tenersi a marzo di quest'anno ad Albufeira, in Portogallo. Un appuntamento che richiama ogni anno circa 200 fra i principali ricercatori attivi in campo fibrosi cistica, che si radunano per una full-immersion di quattro giorni, totalmente dedicata al confronto scientifico fra pari. È proprio tramite il dibattito con i colleghi che molto spesso si riescono a formulare nuove ipotesi di lavoro, o a validare nuove teorie. Quest'anno i membri del comitato scientifico del congresso, Carlos M. Farinha (Portogallo), Jeff Brodsky (USA) e la sottoscritta (Nicoletta Pedemonte, al centro nella foto) hanno cercato di mantenere vivo lo scambio scientifico organizzando tre giornate di webinar, distribuite fra primavera e autunno, dedicate ad argomenti "caldi", di interesse per la comunità scientifica.

La prima sessione, il 28 aprile, ha avuto come argomento principale i più recenti progressi sulla diversità genetica associata alla fibrosi cistica, spiegando come una migliore comprensione della relazione tra genotipo (la mutazione nel DNA) e fenotipo (i sintomi) possa aiutare a rendere la medicina personalizzata una strategia efficace per il trattamento della fibrosi cistica. Il webinar del 14 luglio si è focalizzato sui meccanismi che portano alla "nascita" (biogenesi) della proteina CFTR e sull'impatto delle mutazioni su questi eventi. L'ultimo relatore della giornata è stato il ricercatore della rete FFC Ricerca, Massimo Aureli, che ha spiegato come i lipidi possano regolare l'espressione e la funzione di CFTR stabilizzando la proteina a livello della membrana cellulare. Il prof. Aureli ha concluso il suo intervento con un toccante ricordo del professor Gianni Mastella. La terza giornata, il 13 ottobre, ha infine trattato il ruolo di altri canali e trasportatori ionici che possono compensare la ridotta attività di CFTR e che potrebbero costituire quindi dei bersagli farmacologici alternativi per terapie indipendenti dal tipo di mutazione FC.

Gli incontri hanno avuto un ampio seguito: quasi 200 i partecipanti a ogni appuntamento, a dimostrazione del fatto che la comunità scientifica ha bisogno e cerca attivamente il confronto e la condivisione scientifica. La pandemia non è riuscita a fermare la ricerca, in particolare quella in campo FC, che prosegue nel suo lavoro con l'obiettivo di portare nuove terapie a tutte le persone che si trovano a combattere con questa malattia.

Nicoletta Pedemonte
Dirigente Biologo, UOC Genetica Medica.
IRCCS Istituto G. Gaslini, Genova



INTERVISTA AD AIFA

COME SI ARRIVA A UN'APPROVAZIONE. IL PRESENTE E UNO SGUARDO SUL FUTURO

Lo scorso 5 luglio è stata pubblicata in Gazzetta Ufficiale la determina per l'immissione in commercio di nuovi farmaci per il trattamento della fibrosi cistica. Una svolta storica per il mondo della ricerca FC e un'innovazione rivoluzionaria, decisamente vitale per le persone in attesa di cura. Le scelte sono maturate a Roma, nel palazzo AIFA di via del Tritone che per mesi ha avuto puntati addosso gli occhi di una comunità in attesa, affiancata dall'impegno congiunto delle tre organizzazioni - FFC Ricerca, LIFC e SIFC - che con funzioni diverse si occupano di fibrosi cistica in Italia e che hanno portato la voce e l'urgenza delle persone con FC al tavolo delle trattative.

Nonostante la potenza della svolta, la vicenda non è tuttavia chiusa. Accanto al sollievo di chi ha ottenuto la prescrizione a carico del SSN, anche l'amarezza di chi è stato escluso dal novero degli eleggibili ai nuovi farmaci: persone che oggi sperano in un allargamento del numero di mutazioni del gene CFTR accolte o nella scoperta di altre terapie in grado di offrire a tutti una cura.

Abbiamo scelto di parlarne con i protagonisti dell'istruttoria condotta da AIFA e arrivata a conclusione alla fine del giugno scorso: un'intervista a due voci con Giuseppe Traversa, dirigente Area Strategia ed Economia del Farmaco, ed Enrico Costa, dirigente Settore Affari Internazionali dell'Agenzia Italiana del Farmaco.

Qual è il quadro delle regole entro cui si muove AIFA per arrivare alla propria decisione?

Il principio fondamentale su cui si basa la valutazione di un farmaco da parte di AIFA è l'efficacia comparativa. Questo approccio è finalizzato a definire il valore terapeutico di un farmaco, il suo *place in therapy** rispetto alle altre strategie terapeutiche esistenti, e a indirizzare il processo negoziale. Nel quadro delle regole Europee, infatti, all'Agenzia Europea dei Medicinali (EMA) è affidato il compito di valutare la qualità e il rapporto rischio/beneficio assoluto di ciascun farmaco. Quando questo rapporto risulta positivo, il farmaco può ricevere un parere favorevole alla commercializzazione, senza però informazioni - nella quasi totalità dei casi - sul suo valore terapeutico rispetto agli altri farmaci utilizzati nello stesso setting assistenziale.

Oltre all'efficacia terapeutica, quali voci vengono analizzate per definire il valore del farmaco?

La valutazione del valore di un farmaco si

basa principalmente sul beneficio terapeutico incrementale rispetto alle alternative disponibili, sulla gravità della patologia in esame e, non ultimo, sulla solidità delle evidenze prodotte a supporto della valutazione stessa.

Che peso ha l'eliminazione dei costi generati dalla malattia non curata: dai ricoveri ricorrenti al trapianto?

L'impatto economico che un farmaco può avere sui costi diretti e indiretti, sanitari e no, è uno degli aspetti considerati nell'analisi multidimensionale che porta alla definizione di un accordo negoziale. Ovviamente, è essenziale concentrarsi sul valore relativo, allo scopo di garantire l'accesso a terapie efficaci anche quando non si riducono i costi generati dalla malattia.

Nella trattativa con l'azienda farmaceutica, quali aspetti vengono considerati per arrivare alla definizione del prezzo del farmaco?

È evidente che la definizione del prezzo di un farmaco è uno degli aspetti più com-

Nella foto in alto: a destra, Giuseppe Traversa, Area Strategia ed Economia del Farmaco, con Enrico Costa, Settore Affari Internazionali di AIFA

* *Place in therapy* indica il ruolo del medicinale in uno specifico contesto terapeutico, tenuto conto delle alternative già a disposizione.

pleSSI dell'intero percorso di valutazione, se non altro per il fatto che, mentre l'esame del profilo di efficacia è soggetto a una valutazione di un dossier da parte di AIFA, la definizione del prezzo è sottoposta a negoziazione tra due parti. Tuttavia, essa parte ovviamente dal valore terapeutico di un farmaco, ovvero dall'entità del beneficio per il paziente, e dalla numerosità della popolazione eleggibile. Queste informazioni offrono un punto di partenza per stimare l'impatto che il nuovo farmaco può avere sull'intero sistema.

Come si valuta la sostenibilità del costo a carico del SSN in rapporto alla spesa sanitaria complessiva?

Fra i diversi elementi che concorrono a garantire la sostenibilità vanno ricordati i tetti di spesa, sia per la farmaceutica convenzionata che per gli acquisti diretti da parte delle strutture sanitarie pubbliche. L'eccedenza di questa spesa prevede meccanismi di compensazione a carico delle Regioni e della filiera produttiva secondo criteri predefiniti. Pertanto, è necessario sottolineare come la ricerca del "giusto prezzo" di un farmaco non sia solo una modalità di ridurre la spesa, ma di qualificarla secondo principi di unitarietà del sistema, di premiazione del valore che un farmaco può avere per il cittadino o per il sistema, e anche di garanzia di equità di trattamento per tutti gli attori coinvolti.

C'è un criterio di "equità di spesa" tra le varie malattie gravi?

Per quanto attiene alle competenze e mandato di AIFA, vi è l'obiettivo di rendere disponibili e rimborsati dal SSN tutti i farmaci di dimostrata efficacia per il trattamento di patologie gravi. Questo principio ovviamente viene modulato in base al beneficio incrementale del nuovo farmaco rispetto a ciò che è già disponibile.

Quali i principali problemi emersi nel corso dell'istruttoria? In un passaggio del comunicato stampa AIFA si legge "L'iter di approvazione dei nuovi farmaci oggetto di autorizzazione ha indotto gli organi dell'Agenzia a una riflessione rispetto alla capacità di governare l'innovazione e migliorare l'efficienza allocativa delle risorse...". Questo significa che il caso-FC ha sollecitato un perfezionamento nella gestione delle richieste?

Lo stimolo per una riflessione aggiuntiva deriva dalla particolarità di una negoziazione con un'azienda produttrice che si trova in una condizione di sostanziale monopolio in questo setting assistenziale.

Kafrio: la validità del contratto sottoscritto da AIFA ha la durata di tre anni. È prevista in questo spazio una verifica di fase 4 per valutare la portata delle reazioni avverse, l'effettiva risposta soggettiva del singolo malato al farmaco?

Per tutti i farmaci, compresi quelli per il trattamento della FC, la fase 4 è volta a monitorare il profilo di rischio/beneficio nella pratica clinica, ovvero in una popolazione più ampia rispetto a quella arruolata negli studi clinici e non selezionata a priori. Si tratta di una fase molto importante e delicata poiché consente di rilevare eventuali reazioni avverse rare, non emerse durante la fase di sviluppo del farmaco, e/o interazioni con trattamenti concomitanti, o effetti a lungo termine. Per questo motivo esiste un sistema di farmacovigilanza capillarmente articolato sul territorio e coordinato a livello nazionale da AIFA, a sua volta incardinato in un sistema europeo più ampio coordinato da EMA. Inoltre, benché visti da molti come un aggravio burocratico, i registri di monitoraggio AIFA perseguono proprio questa finalità, ovvero di fornire ulteriori dati a supporto della valutazione del profilo beneficio/rischio di un farmaco nella reale pratica clinica per poter rivedere alcune decisioni nel tempo.

Con lo stesso obiettivo, possono risultare utili e sinergici studi post-marketing condotti in forma indipendente?

Tra le attività più importanti di AIFA, la promozione di una ricerca e di un'informazione indipendente riveste un ruolo chiave. Non sempre infatti il quesito posto durante la fase di sviluppo di un



La sede romana dell'Agenzia Italiana del Farmaco

farmaco o la popolazione inclusa negli studi è rappresentativa della realtà più ampia in cui successivamente il farmaco sarà impiegato. In questo ambito si colloca la ricerca indipendente, la cui prospettiva è proprio quella di salute pubblica, e il cui quesito è volto a colmare un gap informativo che può avere grande rilevanza nel migliorare il processo decisionale clinico.

EMA ha accolto tra gli autorizzati all'uso di Kafrio anche gli eterozigoti F508del con una qualsiasi altra mutazione (non solo a funzione minima). Qual è l'orizzonte temporale, se esiste, perché anche l'Italia faccia questo ulteriore passo?

Dopo l'approvazione a livello europeo, l'azienda produttrice deve sottoporre ad AIFA la richiesta di commercializzazione. Una volta verificata la congruità e completezza della domanda, AIFA potrà procedere con la valutazione di merito.

È allo studio di AIFA l'allargamento dell'indicazione di Kafrio per i bambini a partire dai 6 anni?

Al momento attuale, questa indicazione è ancora oggetto di valutazione da parte di EMA. Se e quando questa indicazione sarà autorizzata a livello europeo, AIFA valuterà la richiesta che sarà presentata dall'azienda produttrice.

La platea dei malati ammessi all'uso dei nuovi farmaci si potrebbe allargare se anche in Italia, come negli Stati Uniti, venissero accettati per l'approvazione i risultati degli studi in vitro. È una prospettiva all'esame di AIFA? Quali le perplessità, le controindicazioni?

Questo aspetto è molto delicato e dibattuto sia sul piano regolatorio che scientifico. Anzitutto va ribadito che i farmaci modulatori della proteina CFTR sono tutti sottoposti a procedura centralizzata in capo a EMA. Conseguentemente, AIFA deve attenersi alle indicazioni approvate da EMA e richieste dall'azienda produttrice. Tutto ciò che non rientra in queste procedure al momento non rientra nell'accordo negoziale.

Vi è poi un aspetto di merito. Oggi, non è ancora completamente chiarito quale sia il possibile valore predittivo nella clinica di alcuni test ex vivo. Mentre negli Stati Uniti FDA ha approvato una serie di indicazioni con questo approccio, in Europa questo non è (ancora) avvenuto. Ma FDA, come EMA, non si pone il problema di rimborsare il costo del farmaco, mentre AIFA - al pari di altri enti nazionali - sì. Avendo scelto un modello di pricing volto a quantificare il beneficio clinico di un farmaco, è poi complicato riuscire a estrapolare questo valore da dati preclinici. Ciò detto, è utile che anche questo tipo di informazioni possa contribuire all'insieme delle evidenze scientifiche che consentono di definire in maniera più chiara il profilo beneficio-rischio di nuovi farmaci e di nuove indicazioni.

Marina Zanolli

CRESCE IL TETTO DI FINANZIAMENTO DEGLI STUDI PER PUNTARE CON DECISIONE ALLA CURA

Nel 2021 il Comitato scientifico ha approvato il finanziamento a 21 progetti di ricerca e, dopo aver esaminato tutte le proposte presentate nell'ambito del Bando 2021, ha deciso di mettere in atto una strategia di finanziamento della ricerca differente rispetto a quella degli anni precedenti. La scelta è maturata dalla riflessione che attribuire finanziamenti più modesti ai singoli progetti, avendo così la possibilità di sostenere un maggior numero di proposte, possa ostacolare il pieno sviluppo di un'idea.

Si è perciò deciso di cercare di assegnare in più casi possibili l'importo massimo richiesto dai ricercatori, pur con una riduzione nel numero totale di progetti finanziati.

Qualsiasi ente che finanzia la ricerca si trova sempre ad affrontare un dilemma: meno progetti ma eccellenti o, per non dover escludere i buoni, più progetti ma con un finanziamento minore di quello richiesto? La ricerca ha un costo che, nel caso di FFC Ricerca, comprende anche un costo umano derivante dall'attività, non quantificabile, di centinaia di persone che, anche in piena pandemia, hanno impegnato ore del proprio tempo a raccogliere fondi per finanziare la ricerca. Si è creduto che il modo migliore per compensare almeno in parte questo impegno, fosse quello di selezionare un numero minore di progetti dando però loro maggiore possibilità di svilupparsi. Siamo stati facilitati nella scelta fatta anche da una norma recentemente introdotta nel Bando che stabilisce un finanziamento massimo di € 130.000 per i progetti biennali e di € 70.000 per i progetti annuali.

Questo è un aspetto importante nella dinamica tra applicante ed ente finanziatore: essendoci un limite alla possibilità di erogare fondi, anche il ricercatore deve operare una scelta, limitando le sue richieste di spesa a un valore entro il quale impegnarsi a sviluppare al meglio

il suo progetto, senza sprechi. Per i progetti più complessi e costosi c'è, del resto, la possibilità di cercare di accedere ad altri tipi di finanziamenti.

Il risultato di questa decisione ha portato a finanziare un numero totale di 17 progetti per l'importo massimo richiesto (nei limiti della cifra sopra indicata) e di 4 progetti con una riduzione del 20% del limite massimo (o richiesto), che è stata comunque ritenuta compatibile con un pieno sviluppo degli stessi.

Giorgio Berton



Investimento in ricerca:



Ultima ora

Al momento di andare in stampa il 60% dei progetti 2021 selezionati da FFC Ricerca sono stati adottati dai sostenitori. Se vuoi contribuire anche tu a completare il finanziamento, partecipa alla Campagna di Natale e dona!

A pagina 24 trovi tutte le indicazioni.

Se poi ti servono ulteriori informazioni, cerca

fabio.cabianca@fibrosicisticaricerca.it - 045 8123605 - 347 7169772

COSA STUDIANO I PROGETTI 2021

Area 1

8 progetti

Terapie e approcci innovativi per correggere il difetto di base, genetica

L'area include progetti mirati allo studio del difetto di base e degli approcci farmacologici per correggere o sostituire la funzione della proteina CFTR difettosa. Particolare attenzione è dedicata alle tecniche di editing (correzione) del DNA e dell'RNA.

Rientrano in quest'area anche i progetti che, attraverso tecniche di genetica molecolare, contribuiscono all'identificazione di nuove mutazioni del gene CFTR o di geni detti "modificatori", cioè geni diversi da CFTR che possono influire sulla gravità con cui la malattia si manifesta in diverse persone.

Area 2

3 progetti

Terapie personalizzate

È un'area di ricerca di notevole interesse e possibilità di sviluppo in quanto dedicata all'identificazione e validazione di nuovi modelli *in vivo* o *ex vivo* (modelli animali o modelli rappresentati da cellule derivate da tessuti prelevati, in modo minimamente invasivo, da persone FC viventi). I modelli servono a predire e monitorare a livello individuale l'efficacia delle nuove terapie finalizzate a correggere il difetto di CFTR, con particolare attenzione alle mutazioni non sensibili ai farmaci attualmente disponibili.

Area 3

7 progetti

Terapie dell'infezione broncopulmonare

L'area riguarda le infezioni polmonari e concerne proposte per lo studio di nuove strategie antimicrobiche, con speciale indicazione per quelle rivolte al trattamento di microrganismi difficili da trattare.

Area 4

2 progetti

Terapie dell'infiammazione polmonare

È l'area di ricerca che indaga le strategie per contenere l'infiammazione, esaltata in FC e determinante nel danno progressivo dei polmoni fino all'insufficienza respiratoria.

Area 5

1 progetto

Ricerca clinica ed epidemiologica

L'area coinvolge progetti relativi alla prevenzione, diagnosi, cura, organizzazione sanitaria e una speciale attenzione all'attivazione di trial clinici dopo l'immissione in commercio di un nuovo farmaco (studi post-marketing), così da verificarne l'effetto nella vita reale. Include anche studi finalizzati a sperimentare nuove tecniche diagnostiche per la diagnosi prenatale e programmi di screening dei portatori nella popolazione.

progetti di ricerca

AREA 1

TERAPIE E APPROCCI INNOVATIVI PER CORREGGERE IL DIFETTO DI BASE, GENETICA

FFC#1/2021

Esplorazione multiomica del lipidoma dell'epitelio bronchiale primario della FC e del suo ruolo nel recupero di CFTR

Studiare il contenuto lipidico e proteico dell'epitelio bronchiale in risposta al trattamento con Kaftrio per indagare i meccanismi del recupero di CFTR.



Responsabile: Andrea Armirotti (Istituto Italiano di Tecnologia - IIT)

Partner: Elvira Sondo (UOC Genetica Medica, Istituto Giannina Gaslini, Genova)

Ricercatori coinvolti: 4

Durata: 2 anni

Finanziamento: € 130.000

Obiettivi: Partendo dall'osservazione che il trattamento con Kaftrio e altri farmaci per fibrosi cistica modificano il contenuto lipidico e proteico delle cellule, i ricercatori si propongono di studiare le alterazioni nelle proteine e nei lipidi dell'epitelio bronchiale da cellule primarie ottenute da persone con FC con mutazione F508del. Saranno valutate tali perturbazioni nel contenuto lipidico e proteico in associazione al trattamento con Kaftrio. I ricercatori studieranno l'epitelio bronchiale di 10 persone con FC con mutazione F508del e 4 con mutazioni a funzione minima e li confronteranno con quelli che otterranno da 10 soggetti non-FC di controllo. Verranno utilizzati strumenti bioinformatici avanzati per studiare il network di lipidi e proteine specificamente

associate al recupero di CFTR. I ricercatori si pongono pertanto l'obiettivo di approfondire la conoscenza dei meccanismi alla base del recupero di CFTR, utile per la progettazione di nuovi farmaci per FC.

Adottato totalmente da: Delegazione FFC Ricerca Valle Scrivia Alessandria (€ 12.000); Gruppo di sostegno FFC Ricerca Genova "Mamme per la ricerca" (€ 50.000); Delegazione FFC Ricerca di Prato (€ 15.000); Delegazione FFC Ricerca di Reggello Firenze (€ 15.000); Associazione Correre a perdifiato (€ 9.000); Delegazione FFC Ricerca di Villa d'Almè Bergamo (€ 29.000).

FFC#2/2021

Utilizzo di tecnologie CRISPR-Cas per revertire gli effetti delle mutazioni F508del e 2789+5G>A del gene CFTR

Nuove strategie di *gene editing* e mutazioni neutralizzanti per ripristinare la funzione di CFTR con mutazioni F508del e 2789+5G>A.



Responsabile: Anna Cereseto (Università di Trento)

Partner: Daniele Arosio (Istituto di Biofisica, Consiglio Nazionale delle Ricerche, Trento)

Ricercatori coinvolti: 6

Durata: 2 anni

Finanziamento: € 103.450

Obiettivi: Questo progetto, estensione del precedente FFC#3/2019 e proposto dallo

stesso gruppo di ricerca, ha l'obiettivo di utilizzare l'*editing* genetico per ripristinare la funzione del gene CFTR sfruttando l'esistenza di mutazioni neutralizzanti (in grado di neutralizzare l'effetto della mutazione originale che causa la malattia). La mutazione di *splicing* 2789+5G>A, una delle 20 mutazioni più frequenti tra le 360 identificate come causa di fibrosi cistica, verrà riparata seguendo la strategia utilizzata nel progetto precedente (FFC#3/2019) e sfruttando le nuove tecnologie di *base editing*, in grado di modificare in modo mirato il singolo nucleotide. Le modifiche terapeutiche verranno inserite tramite tecnologie CRISPR-Cas in modelli cellulari di fibrosi cistica ovvero in cellule epiteliali bronchiali e organoidi intestinali derivati da persone con FC con mutazioni F508del o 2789+5G>A.

Adottato totalmente da: Evento "Together for Life" 2021

FFC#3/2021

Verso lo sviluppo di terapie personalizzate per i pazienti FC con mutazioni di *gating* resistenti

Sintesi e test di nuovi modulatori attivi sulle mutazioni di *gating* (ultra-) rare e studio del loro meccanismo d'azione.



Responsabile: Adriana Chilin (Dip. di Scienze Farmaceutiche e Farmacologiche, Università di Padova)

Partner: Gergely L. Lukacs (Dip. di Fisiologia, McGill University - Montreal - Canada)

Ricercatori coinvolti: 7

Durata: 1 anno

Finanziamento: € 70.000

Obiettivi: Partendo dall'osservazione che i trattamenti terapeutici disponibili non sono efficaci su mutazioni rare di *gating* di CFTR, il gruppo di ricerca si propone di identificare nuovi modulatori efficaci per le varianti di CFTR caratterizzate da ridotta apertura del canale. I composti sintetizzati saranno testati per verificare l'attività di potenziamento su una serie di difetti - sia comuni che rari - di funzionalità CFTR e su mutazioni di classe II/III farmacologicamente corrette. I composti più attivi saranno saggiati, da soli o in combinazione con altri modulatori di CFTR noti e in fase pre-clinica di studio, per confermare la capacità indotta di aprire il canale. I ricercatori

si propongono inoltre di analizzare il sito di legame tra CFTR e i nuovi potenziatori preparati attraverso l'utilizzo di apposite sonde chimiche.

Adottato totalmente da: Delegazione FFC Ricerca di Imola e Romagna

FFC#4/2021

Stress ossidativo e autofagia in fibrosi cistica: nuovi approcci biochimici e di individuazione di farmaci

Selezione e test di molecole in grado di ripristinare la funzionalità di CFTR agendo sul bilancio ossidativo e sui parametri dell'autofagia in modelli FC.



Responsabile: Giorgio Cozza (Dip. di Medicina Molecolare, Università di Padova)
Partner: Federica Rossin (Dipartimento di Biologia, Università Tor Vergata di Roma)
Ricercatori coinvolti: 13
Durata: 2 anni
Finanziamento: € 104.000

Obiettivi: Questo progetto, estensione del FFC#4/2019, ha l'obiettivo di sviluppare nuove molecole o combinazioni di esse in grado di ripristinare la funzione di CFTR. I ricercatori, grazie ai risultati dei progetti precedenti, hanno osservato che in modelli di fibrosi cistica lo stress ossidativo è strettamente legato a difetti nell'autofagia, che è un importante processo cellulare deputato alla rimozione degli organelli cellulari danneggiati. I ricercatori hanno identificato una serie di molecole in grado di ripristinare la funzione di CFTR bilanciando lo stato pro-ossidativo in modelli FC. Grazie anche ad approcci computazionali come il *virtual screening* e la ricerca farmacoforica, i ricercatori selezioneranno molecole e ne valideranno l'efficacia in modelli sperimentali sia cellulari, come cellule epiteliali nasali primarie da donatori F508del, N1303K, G85E e R1066C, che *in vivo* in modelli di topi transgenici.

Adottato totalmente da: Delegazione FFC Ricerca della Franciacorta e Val Camonica

FFC#5/2021

Valutazione *in vitro* di nuovi strumenti per la modifica (*editing*) sito-specifica di RNA messenger per proteina CFTR con mutazioni stop

Sviluppo di una nuova tecnica di *editing* genetico per correggere mutazioni stop sull'RNA messaggero del gene CFTR.



Responsabile: Aldo Di Leonardo (Dip. di Scienze e Tecnologie Biologiche Chimiche e Farmaceutiche - STEBICEF, Università degli Studi di Palermo)
Ricercatori coinvolti: 4
Durata: 2 anni
Finanziamento: € 99.500

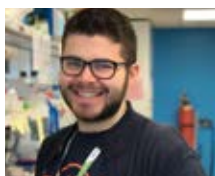
Obiettivi: Il progetto, prendendo in considerazione le mutazioni stop, più rare della più diffusa F508del, ha l'obiettivo di sviluppare una nuova tecnica di *editing* genetico sito specifica. I ricercatori propongono lo sviluppo e utilizzo dell'*editing* sito-specifico dell'mRNA tramite la deaminazione dell'adenosina in inosina, ribonucleotide riconosciuto come guanosina dal ribosoma, che consentirebbe di correggere codoni stop nell'mRNA. Questa nuova tecnica di *editing* prevede l'utilizzo del sistema REPAIRv2 e di oligonucleotidi antisense (ASOs) specifici per la regione dell'mRNA dove è presente il codone di stop. I ricercatori propongono di valutare l'efficacia della procedura su modelli cellulari con tecniche di biologia molecolare quali *real time-PCR*, *western blotting*, immunofluorescenza e sequenziamento.

Adottato totalmente da: Delegazione FFC Ricerca di Palermo e Trapani

FFC#6/2021

Ottimizzazione della previsione delle risposte cliniche ai modulatori di CFTR utilizzando le cellule primarie nasali in condizioni che rispecchiano lo stato infiammatorio del paziente FC

Studio dell'efficacia dei modulatori in concomitanza dell'infezione da *Pseudomonas aeruginosa* e valutazione del ruolo delle citochine pro-infiammatorie.



Responsabile: Onofrio Laselva (Dip. di Scienze Mediche e Chirurgiche, Università degli Studi di Foggia)
Partner: Vincenzina Lucidi (Ospedale Pediatrico Bambino Gesù, Roma); Graziano



Pesole (Dip. di Bioscienze, biotecnologie e biofarmaceutica, Università degli Studi Aldo Moro, Bari)

Ricercatori coinvolti: 15

Durata: 2 anni

Finanziamento: € 130.000

Obiettivi: L'efficacia di uno dei farmaci disponibili per il trattamento della fibrosi cistica come Orkambi (lumacaftor/ivacaftor) è ridotta se è concomitante l'infezione da *Pseudomonas aeruginosa*. Lo scopo del progetto è quello di studiare l'efficacia di vecchi e nuovi modulatori in cellule primarie epiteliali nasali (HNE) in presenza di ceppi clinici di *P. aeruginosa* isolati dalle corrispondenti persone con FC. Ulteriori obiettivi del progetto sono relativi all'azione delle citochine, che è stato dimostrato avere un ruolo nella fisiopatologia della fibrosi cistica. Il gruppo di ricerca si prefigge infatti di determinare la quantità di citochine rilasciate, come la IL-17A, che è una proteina secreta dal sistema immunitario identificata nell'espettorato di persone con FC, di valutarne i livelli di espressione genica e di studiarne il *pathway* di segnalazione intracellulare. Lo studio sarà condotto su HNE di 15 persone con FC con F508del e altre mutazioni rare infettate da ceppi clinici di *P. aeruginosa* isolati dalle stesse persone con FC. I risultati del progetto potrebbero fornire informazioni utili per ottimizzare la previsione delle risposte cliniche ai modulatori della CFTR.

Adottabile

FFC#9/2021

Ottimizzazione di analoghi del MKT-077 come inibitori allosterici della HSP70 combinati con correttori CFTR F508del: un approccio multi-farmaco per contrastare la fibrosi cistica

L'efficacia dei correttori di CFTR mutata è aumentata se somministrati in combinazione con inibitori della proteina HSP70: sintesi di nuovi inibitori della HSP70 e test della loro efficacia su modelli cellulari.



Responsabile: Enrico Millo (Dip. di Medicina Sperimentale - DIMES, Università degli Studi di Genova)

Partner: Elena Cichero (Dip. di Farmacia, Università degli Studi di Genova); Santina Bruzzone (Dip. Medicina Sperimentale, Università degli Studi di Genova)

Ricercatori coinvolti: 11

Durata: 2 anni

Finanziamento: € 102.000

Obiettivi: Recentemente è stato dimostrato che il recupero efficace della funzionalità del canale CFTR può essere raggiunto con correttori quando somministrati in

presenza di inibitori allosterici della HSP70 (*Heat Shock Protein 70*), proteina coinvolta nell'assemblaggio di complessi proteici (come CFTR). L'obiettivo di questo progetto è pertanto quello di identificare nuovi inibitori della HSP70. I ricercatori sintetizzeranno nuovi inibitori della HSP70 utilizzando metodi convenzionali di sintesi chimica e, con saggi biochimici e funzionali, testeranno l'efficacia del recupero di CFTR mutata in presenza di correttori. Con metodi bioinformatici, di sintesi chimica e con saggi funzionali, i ricercatori si prefiggono inoltre di generare analoghi di un inibitore noto della HSP70, la rodocianina MKT-077. Le combinazioni di inibitori e correttori (VX809 e altri) saranno testate su cellule epiteliali bronchiali primarie.

Adottabile

FFC#11/2021

Studio dei bersagli alternativi per compensare la mancata funzione della proteina-canale CFTR

Studiare bersagli alternativi a CFTR in cellule delle vie aeree isolate da persone con FC e da persone non FC.



Responsabile: Paolo Scudieri (Dip. di neuroscienze, riabilitazione, oftalmologia, genetica e scienze materno-infantili - DINOEMI, Università degli Studi di Genova)

Partner: Fabiana Ciciriello (IRCSS Ospedale Pediatrico Bambino Gesù, Roma)

Ricercatori coinvolti: 5

Durata: 2 anni

Finanziamento: € 130.000

Obiettivi: Questo progetto è focalizzato sullo studio e la modulazione di bersagli alternativi a CFTR. Attraverso vari approcci tecnologici (saggi di immunofluorescenza e microscopia confocale), i ricercatori si prefiggono di valutare l'espressione e la funzione di bersagli alternativi nelle vie aeree, in modo da poter sviluppare degli approcci terapeutici mirati. Il progetto prevede l'utilizzo di cellule epiteliali delle vie aeree ottenute da persone con fibrosi cistica, di varie età, genotipi e condizioni cliniche e da persone non FC (controlli sani) mediante procedure minimamente invasive (spazzolamento della mucosa delle cavità nasali). Mediante studi *in vitro* sarà inoltre testato l'effetto del potenziamento o dell'inibizione di questi bersagli sul fenotipo FC. Infine, i ricercatori propongono di sviluppare strumenti e saggi per la ricerca di nuovi modulatori farmacologici.

Adottabile

TERAPIE PERSONALIZZATE

AREA 2

FFC#7/2021

Attivazione integrinica monocitaria come test di valutazione farmacologica in fibrosi cistica - ulteriore analisi

La misurazione dell'attivazione di LFA-1 nei monociti in pazienti FC prima e durante il trattamento con Kaftrio (Trikafta) e Symkevi per monitorare l'efficacia delle terapie per la correzione di CFTR mutata.



Responsabile: Carlo Laudanna (Azienda Ospedaliera Universitaria Integrata Verona)

Ricercatori coinvolti: 4

Durata: 1 anno

Finanziamento: € 69.850

Obiettivi: Nel precedente progetto FFC#13/2019, il gruppo di ricerca ha confermato la correlazione tra CFTR mutato e la mancata attivazione dell'integrina LFA-1 (*Lymphocyte function-associated antigen-1*). Questa osservazione suggerisce che la quantificazione dell'attivazione di LFA-1 nei monociti può costituire un marcatore specifico dell'attività di CFTR. In questo progetto, continuazione del precedente, l'obiettivo è quello di dimostrare che la misurazione dell'attivazione di LFA-1 nei monociti può essere utilizzata per monitorare l'esito dei trattamenti di persone con fibrosi cistica con i farmaci Kaftrio e Symkevi correttivi di CFTR. Lo studio sarà svolto su campioni di sangue periferico da donatori sani e da persone con FC con mutazioni di tipo II o III, prima e durante la terapia. L'approccio proposto potrebbe migliorare la capacità predittiva e di monitoraggio per nuove terapie correttive di CFTR, consentendo così un approccio personalizzato al trattamento della FC.

Adottato da: Delegazione FFC Ricerca di Verbania e V.C.O. (€ 10.000).

Adottabile per: € 59.850



FFC#8/2021

Therotyping della fibrosi cistica

Testare farmaci già in uso su cellule staminali epiteliali delle vie aeree nasali e corrispondenti organoidi di persone con FC con genotipi rari (*therotyping*).



Responsabile: Marco Lucarelli (Dip. Biotecnologie cellulari ed Ematologia, Università La Sapienza, Roma)

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

Ricercatori coinvolti: 16

Durata: 2 anni

Finanziamento: € 129.800

Obiettivi: La terapia di precisione della fibrosi cistica grazie ai modulatori del CFTR è oggi una realtà per alcune varianti patologiche, ma l'efficacia su un gran numero di varianti rare, spesso individuali, è sconosciuta. Per *therotyping* si intende la sperimentazione, a livello cellulare, di farmaci già in uso clinico per la FC, su genotipi non precedentemente valutati e per i quali non erano progettati. L'obiettivo di questo progetto è di valutare terapie modulatorie già in uso su genotipi rari del CFTR utilizzando cellule staminali epiteliali delle vie aeree nasali di persone con FC e i corrispondenti organoidi (*therotyping*). A livello cellulare, verrà anche valutata la possibilità di aumentare la quantità di CFTR sulla quale possano agire i modulatori (terapia amplificatoria) e verrà testata una nuova combinazione di modulatori. I risultati del progetto potranno essere sfruttati come punto di partenza per futuri studi clinici.

Adottato da: Delegazione FFC Ricerca Boschi Sant'Anna Minerbe "Alla fine esce sempre il sole" (€ 30.000); Delegazione FFC Ricerca di Alberobello (€ 25.000); Gruppo di sostegno FFC Ricerca di Bolzano (€ 20.000).

Adottabile per: € 54.800



FFC#10/2021



Mutazioni orfane presenti nei pazienti italiani: caratterizzazione della risposta ai modulatori di CFTR

Determinare la risposta di mutazioni orfane a modulatori di CFTR attraverso saggio su colture di cellule nasali per definire trattamenti personalizzati.



Responsabile: Nicoletta Pedemonte (IRCCS Istituto Giannina Gaslini, UOC Genetica Medica, Genova)

Partner: Renata Bocciardi (Dip. di neuroscienze, riabilitazione, oftalmologia, genetica e scienze materno-infantili - DINOEMI, Università degli Studi di Genova)

Ricercatori coinvolti: 13

Durata: 2 anni

Finanziamento: € 130.000

Obiettivi: L'obiettivo principale del progetto è di determinare la risposta di persone con fibrosi cistica di vari centri FC a diversi modulatori, attraverso l'uso delle colture di cellule nasali. Questo progetto è l'estensione del precedente FFC#9/2019, durante il quale è stata creata una rete di centri di FC e sono state caratterizzate le persone con FC in termini di sensibilità ai modulatori CFTR. Cellule epiteliali nasali, ottenute da persone FC con la procedura poco invasiva del *nasal brushing*, saranno coltivate e differenziate *in vitro* usando appositi protocolli. Su di esse, il gruppo di ricerca saggerà l'effetto dei modulatori utilizzando tecniche elettrofisiologiche. I ricercatori si propongono inoltre di valutare possibili effetti secondari in grado di alterare l'espressione di CFTR dovuti alle mutazioni. Lo studio potrà aiutare la selezione di farmaci più efficaci e definire trattamenti personalizzati per ogni persona con FC, compresi quelli con mutazioni rare e ancora non caratterizzate.

Adottato totalmente da: Delegazione FFC Ricerca di Genova (€ 57.000); Gruppo FC Altomilanese (€ 8.000); Gruppo di sostegno FFC Ricerca di Campiglione Fenile (€ 35.000); Delegazione FFC Ricerca di Napoli (€ 30.000).

TERAPIE DELL'INFEZIONE BRONCOPOLMONARE

AREA 3

FFC#12/2021

Inibizione farmacologica della resistenza alla colistina nei patogeni Gram-negativi della fibrosi cistica

Ottimizzare nuove molecole anti colistina resistenza e identificare nanoveicoli per il loro trasporto nel polmone FC.



Responsabile: Fiorentina Ascenzioni (Dip. Biologia e Biotecnologie C. Darwin, Università La Sapienza, Roma)

Partner: Bruno Botta (Dip. Chimica e Tecnologia del Farmaco, Università La Sapienza, Roma); Mattia Mori (Dip. di Biotecnologie, Chimica e Farmacia, Università di Siena); Stefano Salmaso (Dip. di Scienze del Farmaco, Università di Padova)

Ricercatori coinvolti: 20

Durata: 2 anni

Finanziamento: € 84.040

Obiettivi: Il gruppo di ricerca procede i suoi studi sulla resistenza dell'antibiotico colistina utilizzato per il trattamento di infezioni da *Pseudomonas aeruginosa* in fibrosi cistica. Grazie al precedente progetto FFC#15/2019, del quale questo è estensione, i ricercatori hanno identificato degli inibitori del meccanismo di antibiotico-resistenza che sono in grado di ripristinare l'attività della colistina. L'obiettivo di questo progetto è quello di ottimizzare tali inibitori e di identificare dei "nanoveicoli" per il loro trasporto nel polmone FC. I ricercatori produrranno i composti inibitori dalle fonti primarie e, con un approccio combinato di analisi dei modelli virtuali, sintesi e attività antimicrobica, si propongono di identificare i composti più attivi contro la colistina resistenza. Inoltre, saranno sviluppate nanoparticelle cariche

di inibitori, disegnate specificamente per il loro trasporto nel polmone FC. Nuove molecole anti colistina resistenza e opportuni sistemi di trasporto potrebbero permettere l'utilizzo della colistina per il trattamento di infezioni polmonari da batteri Gram-negativi multiresistenti.

Adottabile

FFC#13/2021



Probiotici: una strategia emergente contro le infezioni polmonari in FC

Selezionare e valutare tra i probiotici commerciali quelli per un efficace impiego in FC come strategia alternativa o complementare all'uso degli antibiotici.



Responsabile: Giovanna Batoni (Dip. di Ricerca Traslazionale e delle Nuove Tecnologie in Medicina e Chirurgia, Università di Pisa)

Partner: Arianna Pompilio (Dip. di Scienze Mediche, Orali e Biotecnologiche, Università G. d'Annunzio di Chieti-Pescara)

Ricercatori coinvolti: 11

Durata: 1 anno

Finanziamento: € 35.000

Obiettivi: Le infezioni croniche e l'infiammazione polmonare giocano un peso rilevante sulla qualità di vita delle persone con fibrosi cistica e l'uso dei soli antibiotici può non essere sufficiente per combattere le infezioni batteriche nella FC. L'identificazione di nuove opzioni terapeutiche per sostituire o integrare l'uso di antibiotici è altamente auspicabile. Questo progetto è focalizzato sull'identificazione di probiotici, ovvero batteri innocui che se somministrati



in adeguate quantità possono apportare benefici alla salute. Il progetto ha lo scopo di selezionare, tra i probiotici commerciali, quelli più adatti per un impiego in FC. I ricercatori utilizzeranno modelli sperimentali per valutare l'azione dei probiotici somministrandoli a colture di batteri patogeni isolati dall'espettorato di persone con FC. Sarà considerata la capacità inibitoria dei batteri probiotici sulla replicazione e sulla crescita dei batteri patogeni, e l'espressione da parte di questi di fattori di virulenza (es. enzimi digestivi), che svolgono un ruolo importante nel danno del tessuto polmonare. I probiotici più promettenti saranno indirizzati alla fase successiva e studiati per la loro capacità di proteggere le cellule umane dagli effetti citotossici e dall'eccessiva infiammazione mediata dai batteri patogeni.

Adottato totalmente da: Un respiro in più - Onlus e La mano tesa - Onlus

FFC#14/2021

La regolazione della virulenza e dell'antibiotico resistenza mediata da piccoli RNA come bersaglio per lo sviluppo di terapie non tradizionali contro *Pseudomonas aeruginosa*

Sviluppare e testare acidi nucleici peptidici (PNA) capaci di inibire piccoli rna batterici (sRNA) per indurre sensibilità agli antibiotici nelle infezioni da *P. Aeruginosa*.



Responsabile: Giovanni Bertoni (Dip. di Bioscienze, Università degli Studi di Milano)

Ricercatori coinvolti: 5

Durata: 1 anno

Finanziamento: € 70.000

Obiettivi: L'aumento delle resistenze agli antibiotici e la difficoltà di produrne 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. Gli sRNA hanno mostrato di giocare un ruolo chiave non solo nei meccanismi di modulazione della virulenza batterica ma anche in processi di resistenza agli antibiotici. Questo progetto si origina dai FFC#13/2015 e FFC#14/2016 e sfrutta i risultati ottenuti del più recente progetto pilota FFC#10/2020, di cui questo progetto ne è l'estensione. ErsA è il sRNA che si è dimostrato il target più promettente, pertanto in questo progetto il gruppo di ricerca procederà con i test di molecole anti-ErsA, chiamate Acidi Nucleici Peptidici (PNA), capaci di bloccare la funzione regolatoria di ErsA, tra le quali i PNA specifici per ErsA generati dal FFC#10/2020. I ricercatori valuteranno se questi PNA anti-ErsA potranno essere usati per future applicazioni come farmaci antivirulenza da soli o in combinazione con antibiotici di uso clinico nel trattamento delle infezioni del polmone da *P. aeruginosa*.

Adottabile

FFC#15/2021



Affrontare la fago-resistenza per aumentare la solidità della terapia fagica nella cura delle infezioni batteriche in pazienti con fibrosi cistica (*PhaCyf*)

Studiare le funzioni batteriche responsabili della resistenza ai fagi e ampliare la collezione di fagi per aumentare le chance di successo della terapia fagica in FC.



Responsabile: Federica Briani (Dip. di Bioscienze, Università degli Studi di Milano)

Ricercatori coinvolti: 5

Durata: 1 anno

Finanziamento: € 21.000

Obiettivi: La terapia fagica consiste nell'utilizzo dei fagi (virus che infettano esclusivamente batteri) per uccidere i batteri che causano un'infezione e rappresenta una strategia promettente per curare quelle infezioni batteriche che sono refrattarie agli antibiotici. Per la cura delle infezioni polmonari da *Pseudomonas aeruginosa* in persone con fibrosi cistica, la terapia fagica può essere una strategia promettente. Anche per i fagi però i batteri sono in grado di sviluppare resistenza, un problema per la terapia fagica che può essere limitato dall'uso di cocktail di fagi. I ricercatori in questo progetto indagheranno le funzioni batteriche che causano resistenza e le conseguenze della resistenza ai fagi su altri aspetti della fisiologia dei batteri, in particolare quelli

rilevanti per l'infezione. L'obiettivo generale di questo progetto è quello di valutare quali geni di *P. aeruginosa* sono coinvolti nell'origine della resistenza ai singoli fagi/cocktail e come le mutazioni che causano la fago-resistenza impattino sulla crescita, la virulenza e la resistenza agli antibiotici. I ricercatori amplieranno inoltre le raccolte di fagi comprendendo nuovi fagi in grado di crescere sui mutanti resistenti ai cocktail.

Adottato totalmente da: Associazione Trentina Fibrosi Cistica ODV "In ricordo di Pio Nicolini"

FFC#16/2021

Valutazione delle proprietà antibatteriche del Kaftrio

Definire gli effetti antibatterici di Kaftrio e identificare specifici ceppi di *P. Aeruginosa* che possono rappresentare un fattore di rischio per l'efficacia di questo farmaco.



Responsabile: Cristina Cigana (Unità Infezioni e Fibrosi Cistica, divisione di Immunologia, Trapianti e Malattie Infettive, Istituto San Raffaele Milano)

Partner: Daniela Girelli (Lab. Microbiologia FC, Fondazione IRCCS Ca' Granda, Ospedale Maggiore Policlinico, Milano); Ersilia Vita Fiscarelli (Lab. Microbiologia FC, Ospedale Bambino Gesù, Roma)

Ricercatori coinvolti: 12

Durata: 2 anni

Finanziamento: € 104.000

Obiettivi: Recenti dati sperimentali suggeriscono che nuove terapie, come il Kaftrio e in genere i modulatori, possiedono anche attività indipendenti da quelle che esercitano su CFTR. L'obiettivo del progetto è quello di definire se, come e in che misura Kaftrio influisca sulla suscettibilità agli antibiotici e la virulenza di *P. aeruginosa*. I ricercatori si prefiggono di definire gli effetti antibatterici di Kaftrio e di identificare specifici ceppi di *P. aeruginosa* che possono rappresentare un fattore di rischio per l'efficacia di questo farmaco. I risultati ottenuti potrebbero generare raccomandazioni per l'uso del Kaftrio, anche in combinazione con il trattamento antibiotico, per trasferire in modo ottimale i risultati in ambito clinico.

Adottato da: Delegazione FFC Ricerca di Roma Vaticano (€ 20.000); Delegazione FFC Ricerca di Napoli (€ 10.000); Delegazione FFC Ricerca di Moncalvo (€ 35.000).

Adottabile per: € 39.000

FFC#17/2021

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

Cercare nuove associazioni di farmaci per migliorare le terapie contro i micobatteri non tubercolari (MNT) e approfondire la conoscenza sullo stato di dormienza e ipossia.



Responsabile: Lanfranco Fattorini (Dip. di Malattie Infettive, Istituto Superiore di Sanità, Roma)

Partner: Emanuele Borroni (Unità patogeni batterici emergenti, Ospedale San Raffaele, Milano)

Ricercatori coinvolti: 4

Durata: 1 anno

Finanziamento: € 70.000

Obiettivi: I micobatteri non tubercolari (MNT) causano infezioni polmonari croniche in soggetti con fibrosi cistica e *Mycobacterium abscessus* (Mab) e *Mycobacterium avium-intracellulare complex* (MAC) sono le specie più isolate. I MNT formano dei biofilm e quando questi raggiungono un certo spessore esauriscono l'ossigeno generando una condizione di ipossia (carenza di ossigeno) che rende i MNT meno sensibili ai farmaci. Per combattere tali infezioni nella FC, occorre trovare nuove combinazioni antibiotiche per uccidere MNT che vivono nel biofilm ipossico. Queste combinazioni di farmaci verranno testate in condizioni aerobiche, ipossiche e nel biofilm, tutte riscontrate in persone con FC. I ceppi di Mab e MAC, raccolti attraverso la rete SMI-NTM (Studio Multicentrico Italiano - *Non-tuberculous Mycobacteria*), saranno caratterizzati mediante sequenziamento del genoma e saggiati per l'attività dei farmaci. In questo progetto, estensione del FFC#12/2020, verrà valutata l'efficacia di diverse combinazioni di farmaci e le migliori saranno testate contro MNT isolati da persone con FC. Inoltre, il gruppo di ricerca cercherà di identificare i geni responsabili del passaggio dei MNT alla condizione di ipossia. L'obiettivo del progetto rimane quello di trovare almeno una combinazione di farmaci che uccida i MNT *in vitro*, da approfondire in modelli sperimentali per abbreviare le terapie a lungo termine nella FC.

Adottato da: Delegazione FFC Ricerca di Roma Pomezia (€ 15.000).

Adottabile per: € 55.000

FFC#18/2021

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

Valutazione estensiva dell'attività di un composto anti *mycobacterium abscessus* precedentemente caratterizzato: test *in vitro* e *in vivo*.



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

Partner: Vadim Makarov (Federal Research Center, Moscow); Santiago Ramón García (University of Zaragoza); Enrico Tortoli (Div. di Immunologia, Trapianti e Malattie Infettive - HSR, Milano)

Ricercatori coinvolti: 15

Durata: 1 anno

Finanziamento: € 70.000

Obiettivi: Tra le sottospecie di Micobatteri non tubercolari (MNT), *Mycobacterium abscessus* (Mab) sta diventando il patogeno più diffuso e il più preoccupante per i Centri fibrosi cistica in tutto il mondo. Infatti, Mab è resistente a molti farmaci grazie alla sua fisiologia e all'acquisizione di nuovi meccanismi di resistenza agli antibiotici. Alla luce dei risultati raggiunti nei precedenti progetti quali FFC#19/2018 e il più recente progetto pilota FFC#14/2020, l'obiettivo principale è quello di capire se 11226084, un composto altamente efficace contro Mab e parzialmente caratterizzato nei precedenti progetti, possa rappresentare un farmaco promettente per l'utilizzo in terapia contro Mab. Per perseguire l'obiettivo del progetto, i ricercatori eseguiranno studi di tossicità, di farmacocinetica e indagheranno il meccanismo d'azione del composto. Sarà inoltre valutata l'attività dei correttori genici da soli e in combinazione con 11226084 e/o attuali farmaci contro Mab ed eseguiranno test *in vivo* su modelli di topo.

Adottato da: Delegazione FFC Ricerca di Codogno e Piacenza (€ 8.000); Delegazione FFC Ricerca di Rovigo (€ 8.000).

Adottabile per: € 54.000



AREA 4

TERAPIE DELL'INFIAMMAZIONE POLMONARE

FFC#19/2021

Targeting combinato della sfingosina-1-fosfato-liasi dell'ospite e del patogeno come strategia antimicrobica nella fibrosi cistica

Identificare inibitori dell'enzima sfingosina-1-fosfato liasi (SPL) per migliorare l'infiammazione polmonare e contestualmente compromettere la sopravvivenza di *Aspergillus fumigatus*.



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

Ricercatori coinvolti: 10

Durata: 1 anno

Finanziamento: € 69.750

Obiettivi: Le persone con fibrosi cistica presentano numerosi difetti nel metabolismo di una classe specifica di lipidi, chiamati sfingolipidi, e uno degli enzimi coinvolti in questo metabolismo, la sfingosina-1-fosfato liasi (SPL), rappresenta un interessante bersaglio farmacologico. Infatti, bloccando la sua attività migliora l'infiammazione polmonare in un modello murino di FC e, allo stesso tempo, si ha una potente attività antimicrobica.

L'obiettivo del progetto, estensione del pilota FFC#16/2020 è quello di bloccare la SPL sia nell'ospite che nel patogeno, quale *Aspergillus fumigatus* ottenendo così due effetti opposti, ma entrambi vantaggiosi. Da un lato, infatti, la risposta immunitaria migliora; dall'altro lato, la sopravvivenza di

A. fumigatus è compromessa.

Il gruppo di ricerca si prefigge di identificare potenziali inibitori della SPL dell'ospite e del fungo, i quali verranno testati su proteine purificate e modelli *in vitro* e *in vivo*. Gli inibitori più promettenti verranno poi preparati in modo da consentire una somministrazione diretta nei polmoni, al fine di limitarne gli effetti collaterali.

Adottabile

FFC#20/2021

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

Testare con studi preclinici in modelli murini e cellulari l'azione della resolvina D1 (RvD1) e il suo trasporto con nanoparticelle per ridurre l'infiammazione e proteggere da danni polmonari.



Responsabile: Antonio Recchiuti (Università G. d'Annunzio Chieti-Pescara, Dip. di Scienze Mediche, Orali e Biotecnologiche)

Partner: Alessandra Aloisi (Istituto per la microelettronica e microsistemi - IMM, Consiglio Nazionale delle Ricerche, Lecce)

Ricercatori coinvolti: 14

Durata: 1 anno

Finanziamento: € 68.100

Obiettivi: Il gruppo di ricerca prosegue l'attività iniziata nei precedenti progetti (FFC#21/2014, FFC#19/2016 e FFC#19/2020) sulla molecola resolvina D1 (RvD1), un mediatore chimico endogeno derivato dagli acidi grassi omega-3, prodotto spontaneamente dal corpo umano per risolvere l'infiammazione e riparare i tessuti danneggiati, difettoso in fibrosi cistica. RvD1 possiede un potenziale terapeutico per persone con FC ma per progredire con lo sviluppo clinico devono essere sviluppate opportune formulazioni. Questo progetto è incentrato sullo sviluppo di formulazioni basate su nanoparticelle (sSNP) che migliorano la stabilità ed efficacia di RvD1 nel ridurre l'infiammazione, l'accumulo di muco, il danno polmonare e l'infezione nella FC. I ricercatori valuteranno la funzionalità di sSNP-RvD1 con studi preclinici sia in modelli di topo FC sia in leucociti e in cellule epiteliali ottenute da volontari con FC. I risultati di questi esperimenti aiuteranno a definire la potenza e l'efficacia di sSNP-RvD1.

Adottato da: Delegazione FFC Ricerca di Napoli (€ 8.000).

Adottabile per: € 60.100



PROGETTI STRATEGICI 2021-2023



1 su 30 e non lo sai. Una piattaforma per conoscere meglio il significato del test del portatore sano di fibrosi cistica

Un sito web per migliorare la comprensione, diffusione e offerta del test del portatore sano di fibrosi cistica.



Responsabile: Carlo Castellani, (Centro Fibrosi Cistica, Istituto G. Gaslini)
Partner: Cinzia Colombo, Paola Mosconi (Lab. di Ricerca per il Coinvolgimento dei Cittadini in Sanità - Istituto M. Negri); Chiara Gerardi, Rita Banzi (Centro Politiche Regolatorie in Sanità - Istituto M. Negri); Emanuela Foglia, Lucrezia Ferrario, Daniele Bellavia, Elisabetta Garagiola, Fabrizio Schettini (LIUC Università Carlo Cattaneo); Giulia Candiani, Dania Puggioni (Zadig srl)
Durata: 1 anno
Finanziamento: € 169.826

Obiettivi: Il progetto è focalizzato sul tema del portatore sano di fibrosi cistica e si propone di raggiungere, informare e formare il maggior numero possibile di persone potenzialmente interessate a eseguire il test del portatore sano di FC. Parte del progetto è dedicata ai professionisti sanitari che già propongono il test e sono interessati ad approfondire l'argomento. *1 su 30 e non lo sai* si sviluppa su due linee di approfondimento. La prima è legata all'informazione e alla formazione e prevede la creazione di un sito web dedicato al test per il portatore sano di fibrosi cistica. L'obiettivo è informare la popolazione sull'esistenza del test, sulle diverse modalità con cui può essere eseguito e sui criteri che ne garantiscono la qualità. Il sito web si propone perciò come uno strumento per orientarsi su questa tematica e fare scelte consapevoli, sia rispetto all'opportunità di sottoporsi o meno al test, sia sulle tempistiche e sulla corretta interpretazione del risultato. La seconda linea di approfondimento consiste in una valutazione dei costi e benefici di un'eventuale offerta allargata del test. A tal fine, tramite un particolare procedimento detto di *Health Technology Assessment*, cioè di valutazione delle tecnologie sanitarie, verranno esaminate l'efficacia, la sicurezza e gli eventuali impatti in termini organizzativi, economici, etici, sociali e legali di uno screening del portatore sano di FC rivolto alla popolazione generale. Tutti questi strumenti intendono favorire una scelta informata e consapevole rispetto al test per il portatore sano di FC e fornire informazioni



AREA 5

RICERCA CLINICA ED EPIDEMIOLOGICA

FFC#21/2021



La salute psichica nei pazienti affetti da fibrosi cistica: il ruolo prognostico del temperamento, della personalità e degli stili di attaccamento

Indagare le caratteristiche temperamentali che contribuiscono all'esordio di disturbi dell'umore e di ansia attraverso test psicologici su pazienti FC.



Responsabile: Gianluca Serafini (Dip. di neuroscienze, riabilitazione, oftalmologia, genetica e scienze materno-infantili - DINO GMI, Università degli Studi di Genova)
Ricercatori coinvolti: 7
Durata: 2 anni
Finanziamento: € 65.950

Obiettivi: La depressione e l'ansia risultano tra le più frequenti comorbidità riportate in fibrosi cistica, e depressione e ansia genitoriale possono influenzare l'aderenza terapeutica e gli esiti clinici. Tratti di personalità e gli stili di attaccamento possono influenzare il decorso di condizioni psichiatriche e mediche sottostanti. L'analisi di queste variabili potrebbe identificare una sottopopolazione di persone con FC a rischio di

una peggiore prognosi sia clinica che terapeutica. Gli obiettivi principali del progetto sono di indagare le caratteristiche temperamentali che contribuiscono all'esordio di disturbi dell'umore e di ansia nelle persone con FC, il ruolo della personalità e degli stili di attaccamento nel predire l'aderenza alle terapie, l'impatto della percezione di malattia e i sintomi dissociativi sul decorso clinico e sul trattamento. Il gruppo di ricerca effettuerà dei test psicologici validati su circa 70 persone con FC a partire dai 14 anni e su genitori di adolescenti FC (tra i 14 e i 17 anni di età), e i dati raccolti saranno analizzati in relazione a parametri clinici. Questo studio potrebbe migliorare la conoscenza delle persone con FC relativamente ai loro tratti di temperamento e di personalità e migliorare la conoscenza dei fattori di rischio per lo sviluppo di condizioni psicopatologiche nelle persone con FC.

Adottato da: Delegazione FFC Ricerca di Napoli (€ 8.000); Delegazione FFC Ricerca di Firenze (€ 45.000).

Adottabile per: € 12.950

che potranno essere usate dai decisori nelle valutazioni di realizzabilità di uno screening su larga scala.

Adottato da: Delegazione FFC Ricerca di Milano (€ 100.000)

Adottabile per: € 69.826



Molecole 3.0 per la fibrosi cistica. Nuovi modulatori farmacologici per il recupero della proteina CFTR mutata

Creazione e test di una nuova classe di modulatori per una futura valutazione preclinica e clinica.



Responsabili: Paola Barraja (STEBICEF - Laboratorio di sintesi degli eterocicli, Università di Palermo) e Luis Galiotta (Istituto Telethon di Genetica e Medicina - TIGEM, Pozzuoli, Napoli)

Categoria: Terapie del difetto di base

Durata: 1 anno

Finanziamento: € 190.000

Obiettivi: Il progetto ha l'obiettivo di sviluppare una nuova classe di modulatori, che siano attivi anche su mutazioni rare di CFTR. Le nuove molecole verranno selezionate attraverso un processo di analisi ciclico, in cui si alternano fasi di sintesi chimica e fasi di verifica delle proprietà e delle funzioni dei composti. In questo modo è possibile migliorare la potenza e l'efficacia dei composti selezionati, ottimizzando quelli che risultano più promettenti, fino a individuare un ristretto numero di molecole capaci di agire sulla CFTR mutata.

Lo studio è basato sulla collaborazione e complementarietà di due laboratori, quello della prof.ssa Barraja e quello del prof. Galiotta. Grazie alle loro competenze nel campo della chimica organica sintetica e della farmacologia, e ai risultati ottenuti da precedenti finanziamenti di FFC Ricerca, i due gruppi di ricerca mirano ora ad arricchire la gamma dei correttori di CFTR con una famiglia di composti completamente nuova. Le molecole ottenute tramite questo sistema di analisi ciclica saranno poi testate singolarmente, in combinazione tra loro o con farmaci già disponibili per valutare l'eventuale effetto sinergico. I test sulla funzione di questi composti verranno condotti *in vitro* anche sfruttando il Servizio Colture Primarie di FFC Ricerca e valuteranno diversi parametri, tra cui la distribuzione, l'azione sul metabolismo delle cellule e l'eliminazione del composto, oltre la sua eventuale tossicità.

L'obiettivo finale del progetto è sviluppare un composto con le caratteristiche adatte per un futuro sviluppo preclinico e clinico.

Adottato totalmente da: Delegazione FFC Ricerca di Milano (€ 100.000); Rotary Club Verona Distretto 2060 (€ 28.000); Delegazione FFC Ricerca del Lago di Garda (€ 62.000)



Effetto-Kaftrio nella malattia avanzata. Studio di efficacia e sicurezza di Kaftrio nella vita reale di persone con FC in stadio avanzato

Studiare gli effetti di Kaftrio in persone con fc in forma avanzata in collaborazione con SIFC e i Centri regionali FC.



Coordinatore: Cesare Braggion (Direzione Scientifica, Responsabile Area Ricerca Clinica FFC Ricerca)

Ricercatore principale: Sonia Volpi (Centro Regionale Veneto Fibrosi Cistica, Azienda Ospedaliera Universitaria Integrata di Verona)

Categoria: Ricerca clinica ed epidemiologica

Durata: 2 anni

Finanziamento: € 98.136

Obiettivi: Gli studi clinici che hanno portato all'approvazione del farmaco Kaftrio sono stati condotti senza tenere in considerazione il suo effetto in persone con fibrosi cistica in forma avanzata. Lo scopo di questo studio multicentrico è proprio quello di valutare gli effetti di Kaftrio in termini di efficacia e di sicurezza nel medio e lungo termine nelle persone con FC con malattia polmonare avanzata. Questo è pertanto uno studio post marketing che riguarda quasi 200 persone con FC in forma avanzata, di età uguale o maggiore di 12 anni portatori di una mutazione F508del in un allele e una mutazione a funzione minima sul secondo allele. Lo studio è condotto in collaborazione con la Società Italiana FC (SIFC) e con tutti i Centri regionali italiani che hanno in carico almeno una persona con FC in trattamento con Kaftrio con le caratteristiche sopra descritte.

Adottato totalmente da: Delegazione FFC Ricerca di Vicenza (€ 73.136); Fondazione UniCredit (€ 25.000)



SERVIZI ALLA RICERCA 2021-2022

CFDB (Cystic Fibrosis DataBase) 10

Obiettivo del servizio cfdb.eu è consentire ai professionisti, che si occupano dei problemi clinici e assistenziali dei pazienti FC, di valutare rapidamente e correttamente le informazioni scientifiche sull'efficacia clinica degli interventi in FC.

Responsabile: Roberto Buzzetti

Finanziamento: € 9.000

Adottabile

CFaCore (Cystic Fibrosis animal Core Facility) 9

CFaCore offre un insieme di competenze, servizi e infrastrutture che consentono ai ricercatori impegnati in progetti di ricerca finanziati da FFC di utilizzare modelli murini preclinici di FC per studi di tipo patogenetico e terapeutico.

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

Finanziamento: € 165.000

Adottato da: quota residua campagna di Pasqua FFC Ricerca 2020 (€ 37.000)

Adottabile per: € 128.000

Culture Primarie 8

Il Servizio mette a disposizione dei ricercatori che si occupano di fibrosi cistica una raccolta di colture cellulari primarie ottenute da epitelio bronchiale sia da pazienti FC sia da soggetti di controllo sottoposti a trapianto polmonare.

Responsabile: Elvira Sondo (U.O.C. Genetica Medica, Istituto G. Gaslini, Genova)

Corresponsabile: Luis Galiotta (TIGEM, Pozzuoli, Napoli)

Finanziamento: € 50.000

Adottabile

Natale

**VOLONTARIE CON
FFC RICERCA**

L'IMPEGNO CONTINUA PERCHÉ LA CURA SIA PER TUTTI

Giulia e Cristina, una vita dominata dalla fibrosi cistica, in modi molto diversi ma con uguale intensità. Poi qualcosa accade a entrambe: l'avverarsi del sogno per l'una e la fine del sogno per l'altra. Giulia conquista il farmaco che le salva la vita; Cristina perde la figlia di 23 anni, malata FC, mentre è in attesa di trapianto.

In un modo o nell'altro la malattia esce dalla loro vita e così, ci si poteva aspettare, anche il loro impegno per combattere la fibrosi cistica, archiviata come una storia da dimenticare.

Ma dalle loro testimonianze emerge una scelta diversa, tutta da esplorare.



Chi ha affrontato esperienze come la mia non può lasciare gli altri da soli

Giulia è una di quelli arrivati al bivio che porta all'ultima spiaggia, al trapianto. Poi, all'ultimo momento, la soluzione è arrivata: per lei c'era un farmaco che prometteva di riportarle il respiro che ormai non arrivava più, bloccato da 34 anni di fibrosi cistica che hanno scavato senza sosta e senza pietà nei suoi polmoni. Certo, la sua vita non è passata in attesa di questo momento e nel frattempo ha trovato la forza di far nascere due gemelle e anche di viaggiare in giro per il mondo. Ma sempre con una zavorra che la tirava indietro e difficoltà che avrebbero scoraggiato i più. Ma la particolarità della sua storia non si ferma qui. È vero, adesso c'è quella pillola magica che le ha permesso di alzarsi dal letto, di camminare senza aiuto, senza essere seguita a ogni passo da una selva di tubicini. E poi di ridere, "senza correre in bagno a rimettere", di ripartire per un viaggio, di tornare padrona della propria vita. Ma subito dopo il sollievo spunta il pensiero per gli altri che sono rimasti fuori e, per Giulia, la decisione di "non fregarsene di loro" e di "restare nella squadra".

Come può descrivere il momento in cui ha capito che poteva rientrare nel trattamento con i nuovi farmaci?

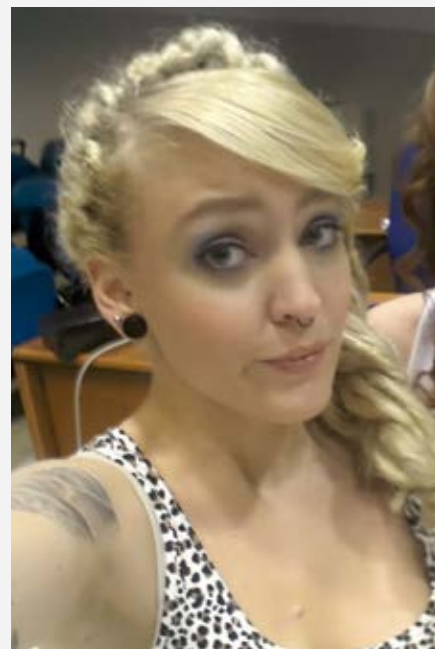
Quando mi hanno detto che potevo fare la domanda per uso compassionevole ero davvero al fondo del mio cammino, con due polmoni gravemente danneggiati, e da tre anni in attesa di trapianto. Contavo la mia prospettiva di vita non in anni ma in mesi e ormai non pensavo più che una pillola avrebbe potuto salvarmi.

Invece?

Avevo provato un altro farmaco in precedenza. Ci avevo sperato ma era stata una brutta batosta. Per questo non ero disposta a insistere con le speranze. Ero molto scettica ma Kaftrio ha cambiato tutto, una rivoluzione. Ho capito subito che funzionava: ho tossito per giorni in modo estenuante ma un po' alla volta i polmoni si sono puliti, il macigno che mi schiacciava il petto è sparito e ho riso libera senza farmi squassare dalla tosse.

Quando ha avuto tra le mani la nuova pillola, ha pensato a chi restava fuori, amici ancora in attesa di una soluzione?

Il pensiero di chi restava fuori c'è stato fino dal primo momento. Ho molte amiche che, per il loro tipo di mutazione, sono escluse. Siamo molto legate e all'inizio ho avuto lo scrupolo di non dire niente per non farle stare peggio. Poi mi sono ricordata di quando altri avevano ricevuto i polmoni che io tanto aspettavo: non reagivo con invidia ma pensando *allora si può fare!*



La scelta di continuare a sostenere la ricerca a favore di chi è rimasto escluso dalla cura non è scontata: istintiva può essere la fuga da un incubo, non pensarci più, svoltare, cominciare una nuova vita e basta, per recuperare il tempo perduto. Lei come si pone?

Io sono ancora immersa nella FC e non mi è mai venuto in mente di smettere, di non dare più il mio contributo nelle Campagne o sui social. Voglio farlo per gli altri che non hanno ancora una cura e anche per me: non ho la presunzione di avere battuto la FC, la conosco troppo bene e i danni che ho subito fino ad oggi sono molto seri. Chi ha affrontato esperienze come la mia non può lasciare indietro nessuno, né girarsi dall'altra parte e andare avanti da solo per la sua strada. Per me è impossibile.

Molto spesso si dice che la continuità e il successo della ricerca dipendano dall'impegno dei singoli. Accetta questa affermazione?

Una candela accesa ne accende altre mille, si dice. Ma se tutti restano fermi non accendono nulla, non creano nessuna onda, nessun cambiamento. Le persone singolarmente, piccoli numeri sommati ad altri numeri, possono cambiare le cose... e la FC è una malattia troppo dura per essere affrontata da soli.

Impegnarmi per la ricerca, questo è il modo che conosco per trasformare il dolore in bene

Cristina ha appena avviato un nuovo Gruppo di sostegno a Ghedi, nella bassa bresciana. L'ha fatto proprio ora, a meno di un anno dalla scomparsa di sua figlia Samantha, portata via a 23 anni dalla fibrosi cistica. In molti le hanno chiesto *perché proprio adesso che lei non c'è più?*

Volontaria a favore di FFC Ricerca, Cristina lo era da tempo: si dava da fare durante le Campagne, compatibilmente con le condizioni di salute di Samy, che già nel 2016 aveva ricevuto un primo trapianto, seguito da quasi due mesi di rianimazione e, 18 mesi dopo, dal rigetto. Lo scorso gennaio, quando tutto è precipitato e poi finito, pesava 23 chili ma fino all'ultimo aveva sperato in un nuovo trapianto. Immaginava una rinascita e di potersi finalmente permettere di "partecipare alle Campagne, andare nelle piazze, farsi conoscere dalla gente che sa poco della fibrosi cistica".

Per Samantha le cose sono andate male. Dopo questo lei avrebbe potuto voltare pagina e invece ha deciso di continuare, addirittura di rilanciare aprendo un Gruppo di sostegno a favore della ricerca. Perché?

Perché io non abbandono il sogno di mia figlia: la fibrosi cistica fa ormai parte della mia vita, ho visto cosa fa ai miei ragazzi e non posso voltare pagina. Sarebbe come tradire lei e quelli come lei. E poi c'è anche un'altra cosa, io ho tanto dolore dentro e non voglio vivere nella negatività ma fare qualcosa di positivo. Questo è il modo che conosco per trasformare il dolore in bene.

Definisca bene.

Il bene è la cura per tutti i miei ragazzi.

Chi sono questi ragazzi?

Tutti quelli che ho conosciuto in ospedale in questi anni, durante le visite, i ricoveri (elenca molti nomi, alcuni non ci sono più, ndr). Per loro sono *mamma Cri*: ci incontriamo sui social, li sento, li seguo, ci stiamo vicini. Siamo una famiglia! Sono belli dentro e fuori, nonostante quello che devono affrontare, e io voglio pensare a loro, cercare di fare qualcosa per loro.

Cosa ha in mente?

Voglio buttare giù la barriera dell'ignoranza: fare sapere tutto il male che la fibrosi cistica provoca e che da fuori non si vede. Questi ragazzi hanno due nemici: la malattia e una società che non sa, non conosce, non capisce.

Mamma Cri racconta situazioni vissute da Samy a scuola che stringono il cuore, a testimonianza di quanto lavoro ci sia ancora da fare per aiutare istituzioni e persone a comprendere la quotidianità incredibilmente complicata di una persona con FC.

Oggi lei ha scelto di impegnarsi di nuovo e di più a favore della ricerca. Sia sincera, per come sono andate le cose a Samy, non si è disamorata delle sue possibilità?

No. Io sono consapevole che i passi fatti oggi dalla ricerca, così grandi, sono il frutto del lavoro del passato. Le soluzioni a questioni difficili come questa malattia non si trovano in poco tempo ma ci vuole pazienza, costanza e tanti soldi. Io confido nella scienza: chi si è dato da fare ieri ha portato risultati ora e per questo dobbiamo continuare, per chi verrà dopo. Proprio come diceva la mia Samy, *magari per me non ci sarà una cura ma per gli altri ci dobbiamo impegnare.*

MZ

A NATALE DONA UNA CURA PER TUTTI



*Unisciti a noi
e ai tantissimi volontari
FFC Ricerca
che non vogliono
lasciare indietro nessuno*

Perché sostenere la ricerca sulla FC

FFC Ricerca è impegnata a finanziare progetti mirati a scoprire cure per mutazioni che non rispondono ai modulatori oggi in commercio.

A questo scopo, nel 2021 ha finanziato con **1.830.000 euro** **21** progetti: oltre il **50%** dedicati a nuove terapie del difetto di base e a terapie personalizzate per arrivare a "Una Cura per tutti" (per approfondire, pagine 12-21).



Come posso dare il mio contributo

Con una donazione attraverso:



Bonifico UniCredit

IBAN: IT 47 A 02008 11718 000102065518

Bonifico BPM

IBAN: IT 92 H 05034 11708 000000048829



Online su fibrosicistricaricerca.it/dona-ora/
anche con: **Satispay** o **Paypal**



c/c postale 18841379



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



**Diventando volontario come
Giulia, Cristina e tantissimi altri
in tutta Italia!**

fibrosicistricaricerca.it/diventa-volontario/

Come destinare il mio contributo a "Una Cura per tutti"

Basta inserire la causale
N° 59 - Una Cura per tutti
In questo modo, la tua donazione
entrerà nella voce del Piano
triennale dedicata a questo
obiettivo.



**DA TOKYO 2020, NUOVA TESTIMONIAL
PER FFC RICERCA**

BENVENUTA IRMA!

In occasione della Campagna di Natale 2021, la community di FFC Ricerca saluta l'arrivo di una nuova preziosa testimonial. È Irma Testa, bronzo alle Olimpiadi di Tokyo, la prima medaglia vinta da una donna nella storia del pugilato italiano.

Cosa hanno da condividere due mondi tanto lontani: uno sport come la boxe e una malattia come la fibrosi cistica?

Con la sua storia, Irma ci ha fatto scoprire una realtà dura, sfidante, che alle persone con FC suonerà familiare: partire in salita, guadagnarsi la strada giorno per giorno a denti stretti, cadere, rialzarsi, andare avanti a dispetto dei colpi, spesso con la voglia di mandare tutto al diavolo. E di perdere.

Poi però tanta forza, nel corpo e nella mente, qualcosa produce. Qualcuno si affianca, aiuta: la tenacia di un allenatore per Irma, la determinazione dei ricercatori per le persone con FC.

Con il sostegno della nuova testimonial e della community di FFC Ricerca, a Natale vogliamo raccontare tutto questo: la possibilità di vincere una medaglia, la possibilità di averla vinta sulla malattia.

Benvenuta Irma.



Ph credit Federazione pugilistica italiana, F. Bozzani



DONI DI NATALE 2021

FESTA PIÙ DOLCE, RICERCA PIÙ RICCA

Non vediamo l'ora che sia Natale per farvi assaggiare le novità che abbiamo scovato per voi, per rendere la festa più dolce e la ricerca più ricca. Al tempo stesso, per la gioia di tutti i nostri sostenitori, abbiamo confermato la disponibilità dei doni che hanno reso famose e golose le Campagne natalizie di Fondazione. Ve li presentiamo!

Natale

Stella e Giulia in una foto di Marisa di Pinto

I NUOVI



NOVITÀ

Il panettone pere e cioccolato si veste di bianco

Dal produttore piemontese Dacasto un'irresistibile new entry: il panettone artigianale a base di lievito madre in cui si abbinano pera e gocce di cioccolato. Già un classico, nella raffinata confezione bianco ghiaccio FFC Ricerca.



NOVITÀ

"Natale in festa" per FFC Ricerca

Pacchi regalo per sostenere la Ricerca: il panettone classico o il pandoro Bauli da 500g, il cioccolato al latte (100 g), la confezione di canestrelli (80 g) e quella di morbide gelatine alla frutta (100 g) assieme alla bottiglia di spumante millesimato per il brindisi.



BIO

NOVITÀ

Baci di dama, bio, belli e buoni

Nati e sfornati in Piemonte con farina di nocciole tostate, sono deliziosi dolcetti bio, ideali da donare o da condividere durante le feste. Dalle Officine Nobili Bontà.

I BIO



Arrivati in Fondazione nel 2020, i panettoni biologici Dacasto, ci accompagneranno anche quest'anno nella versione tradizionale e in quella arricchita da tante gocce di cioccolato.



BIO

BIO

GLI IMPERDIBILI DI SEMPRE



Non potevamo rinunciare ai panettoni Fiasconaro, con l'impasto a lievitazione naturale, ricchi dei profumi e dei sapori di Sicilia: con i canditi di arancia e uvetta aromatizzata al Marsala e Zibibbo l'uno, con gocce di cioccolato e ricoperto di glassa l'altro.



Da Fraccaro il panettone che continua la tradizione dell'impasto con lievito madre, reso ancora più goloso dal suo cremoso ripieno al limoncello. Da quest'anno nella nuova confezione blu con fiocco verde.



Non c'è Natale senza I Vorrei: i bocconcini di mandorlato morbido di Colonia Veneta, nella versione tradizionale e in quella ricoperta di cioccolato.



Anche questo Natale il Gruppo Italiano Vini, tradizionalmente a fianco di Fondazione nel sostenere la ricerca, propone la raffinata edizione limitata di Valpolicella Ripasso Superiore Le Poiane della rinomata Cantina veronese Bolla.



TUTTO CIOCCOLATO



I presepi, i trenini al cioccolato al latte e fondente, le palme di Natale che racchiudono gustosi cioccolatini assortiti, si confermano tra i doni belli da regalare e buoni da assaporare insieme durante le feste.



COME POSSO PROCURARMI LE BONTÀ DI FFC RICERCA?

Non importa dove siate o se il quantitativo che desiderate è grande o piccolo: anche quest'anno Fondazione mantiene attivi i diversi canali per permettere a tutti di gustare le delizie solidali a sostegno della ricerca, per contribuire al raggiungimento di "Una Cura per tutti".



Modulo d'ordine riservato ai volontari-prenotatori

Attraverso il tradizionale form sul sito, attivo dal 2 novembre!
fibrosicisticaricerca.it/ordine-natale-ffc-ricerca-2021/



Prenotazione presso il volontario a voi vicino

Sul sito scoprite la mappa e rivolgetevi al volontario di zona per richiedere i prodotti desiderati.



Shop solidale per tutti i sostenitori FFC Ricerca

Non hai volontari vicino a te? Non ci sono problemi: dal 2 novembre fino al 15 dicembre puoi ordinare su regalisolidali.mondoffc.it e ricevere la consegna direttamente a casa tua!

Visita la pagina di Campagna!
fibrosicisticaricerca.it/natale-ffc-ricerca/

3 DOMANDE PER LE AZIENDE

- * Siete in contatto con un'azienda che desidera omaggiare i dipendenti con un prodotto che fa bene due volte, a chi lo riceve e alla ricerca?
- * In azienda o nel vostro ufficio vi occupate in prima persona della selezione dei gadget natalizi e volete proporre quelli solidali di Fondazione Ricerca Fibrosi Cistica?
- * Da anni FFC Ricerca ha un catalogo sviluppato appositamente per andare incontro ai partner corporate, con personalizzazioni ad hoc, lo sapevate?

Chiedi informazioni a loro!



Fabio Cabianca
fabio.cabianca@fibrosicisticaricerca.it | 347 7169772



Giusy Buemi
giusy.buemi@fibrosicisticaricerca.it | 346 5121780

Campagna Nazionale

SIAMO TORNATI!

Non ci avremmo messo la mano sul fuoco nello scommettere un ritorno in grande stile nelle piazze d'Italia in occasione della XIX Campagna nazionale della ricerca sulla fibrosi cistica.

E invece eccoli qua, volontari di lungo corso, fedeli nel tempo, o debuttanti alla prima uscita, tutti uniti dalla stessa voglia di rioccupare piazze, scuole, centri commerciali ma anche panifici, bar, mercati e sagrati delle chiese; ogni posto va bene per riaffermare la voglia di esserci, di incontrare, spiegare, conquistare nuovi aiuti. E anche per dire che il web va bene, anzi benissimo, per sensibilizzare o raccogliere fondi per la ricerca. Ma da solo non basta affatto.

Così il 2021 ci ha regalato una Campagna nazionale fisica, certo con tante mascherine ma anche tanti sorrisi, strette, chiacchierate, abbracci che svelano la voglia di non restare soli con la malattia. E infatti nei progetti di Fondazione, fra i tanti che ogni anno finanzia con le donazioni, ce n'è uno che li unisce tutti quanti: non lasciare nessuno da solo. Lavorare in sintonia con la ricerca internazionale per arrivare a consegnare una cura a tutte le persone con FC.

Serena



"600 ciclamini fulminati solo in un sabato mattina e noi volontari con la foto e i salti da fare mentre la gente premeva per avere la sua piantina. Che marasma!"

Così Serena Angelinetta, sorella di Angelica e responsabile della Delegazione di Como Dongo, racconta la mattinata in cui doveva scattare la foto per la pagina di apertura del Notiziario sulla Campagna nazionale. Grazie Serena.

Eleonora



"Di questa Campagna mi è piaciuta la voglia di esserci! Un entusiasmo - dice Eleonora Crocè, responsabile della Delegazione del Lago di Garda - che si è rivelato nei numeri di quanti hanno partecipato e di chi ci ha sostenuti. 3.700 ciclamini distribuiti (e non è ancora finita); 11 attività commerciali coinvolte; 40 postazioni organizzate in entrambe le sponde del Lago, fino a Bergamo, alle province di Mantova, di Vicenza, per arrivare a Volterra...ovunque ci sia un sostenitore pronto a dare il suo contributo alla ricerca".



I primi ciclamini di Pietro D'Amato, al suo debutto a Grottaglie, in Puglia, come volontario di FFC Ricerca. Benvenuto Pietro!



Campagna trainata dagli alpini quella di Montebelluna che ha superato quota 5.000 ciclamini distribuiti. Nella foto c'è Anna Marcon, responsabile della Delegazione di Treviso-Montebelluna.



Full immersion nei ciclamini con la piccola Velia per la Delegazione di Napoli, guidata da Anna Iervolino.



La delegazione di Vicenza ha stipato di ciclamini la CiclaMINI per portare il fiore della ricerca nelle piazze.



Contributo di tutte le età alla Campagna di Siniscola, in Sardegna, dove il Gruppo guidato da Veronica Solinas ha distribuito 1.000 ciclamini in un fine settimana, con l'aiuto di una postazione fissa per il ritiro, le consegne a domicilio e il coinvolgimento di una ventina di commercianti.



Piccoli volontari crescono: Davide e Rebecca portano il loro contributo alla Campagna di Prato che quest'anno ha visto anche affiancarsi molti negozianti per portare la ricerca in vetrina.



"Sono arrivati ad aiutarci gli alpini di Imola, Faenza, Forlì e non solo: i ragazzi della Round Table si sono mobilitati da Imola fino ad Ancona facendo un grande lavoro a favore di Fondazione, che sta dando esempio alle Tavole di tutta Italia!"

È entusiasta Patty Baroncini, responsabile della Delegazione Imola e Romagna che ha distribuito 1.549 ciclamini e raccolto 13.000 euro per il suo progetto di ricerca. Nella foto, Patty con Marta, Elisa e Silvia.



Sono tanti i negozi di Piacenza e dintorni che hanno risposto alla chiamata di Roxana Curelea per sostenere la ricerca sulla fibrosi cistica. Complimenti!



Katia Fornaro, responsabile della Delegazione della Val d'Alpone, in provincia di Verona.



Da Milano, una foto simbolo dell'entusiasmo dei volontari della Delegazione, guidata da Paola Ferlini, di tornare nelle piazze. Al centro anche la ricercatrice di FFC Ricerca, Alessandra Bragonzi dell'Istituto San Raffaele.



Dalla Valpolicella, grazie alla Delegazione condotta da Laura Cottini, oggi gnocchi e ciclamini!



Cristina Mondinelli alla sua prima postazione di ciclamini come responsabile del nuovo Gruppo di sostegno di Ghedi, in provincia di Brescia: tutte le piantine ordinate sono state distribuite!



Ciclamini in campo allo Stadio Rossetti di Cecina che ha accolto da mattina a sera i volontari della Delegazione guidata da Marco Venturini: questa volta il protagonista non è il calcio ma il sostegno alla ricerca.

"Grazie alle squadre del Cecina e dei Colli Marittimi che hanno sposato la nostra causa! Con quanto raccolto finanzieremo la ricerca scientifica per la sperimentazione di nuove cure".



Benché il caldo sia nemico dei ciclamini, la Delegazione di Palermo, guidata da Emiliano Lomonaco e Stefania Costagliola, regalano ogni anno grandi numeri alla ricerca.

Paola ←

→ Paolo



"Paola Ferlini la conosciamo tutti. Vera. Onesta. Dura per nascondere la sua timida purezza e l'infinito amore per la ViTa. Elisa, atleta sempre con il cuore oltre l'ostacolo, con il suo taxi ha infranto ogni regola del codice della strada per permetterci di visitare tutte le piazze con i Ciclamini di Milano. Impresa riuscita. Sabato, per le vie della città, è andato in scena il Sequel del Maggiolino tutto Matto di Walt Disney. Solo che al posto del premio riservato ai vincitori di una gara automobilistica abbiamo ricevuto tanta ViTa e tanto Amore. Volontari, genitori, amici e professionisti della ricerca insieme con orgoglio, coraggio e tanta passione. Per dare luce alla missione di FFC Ricerca. Una Campagna di grande successo. Un'altra giornata da ricordare. Un piccolo miracolo che si aggiunge alle pagine ricche di poesia della nostra ViTa".

Paolo Faganelli,
vicepresidente FFC Ricerca

→ Elisa



Famiglia Lambertini-Cascone in azione, con il prezioso supporto di Titti e Domenico per il trasporto e l'offerta di ciclamini della ricerca a Pesaro.

Nicoletta ←

→ Fabio

← Andrea



Pool di ricercatori genovesi di FFC Ricerca alla castagnata di Pianpaludo, vicino a Savona: a sostegno della Campagna nazionale ci sono Andrea Armirotti, Nicoletta Pedemonte e Fabio Bertozzi (con Virginia Priano).

La responsabile della Delegazione di Genova, Sandra Garau, descrive la Campagna 2021 come "migliore degli altri anni: più persone che si avvicinano, che vogliono sapere, disponibili ad aiutare. Non so dire perché, forse la pandemia li ha resi più attenti, so di certo che qualcosa si è mosso!".



BIKE TOUR 2021

MAGLIE GIALLE COME IL SOLE COME L'OTTIMISMO DI VINCERE LA FC

In questi mesi ci siamo sbagliati tantissime volte dicendo "il Bike Tour dell'anno scorso", quando, ahinoi, sono invece trascorsi 2 anni dall'ultima edizione. Poi finalmente è arrivato il 28 settembre e la charity dinner di Padova ha segnato la partenza della IX edizione del Bike Tour FFC Ricerca!

Per la prima volta affiancati da Crédit Agricole Italia in qualità di Main Partner dell'evento, i biker capitanati da Matteo Marzotto hanno attraversato Veneto, Lombardia ed Emilia-Romagna. Accanto agli storici protagonisti Davide Cassani, Iader Fabbri, Max Lelli, Fabrizio Macchi e il testimonial FFC Ricerca Edoardo Hensemberger, nelle diverse tappe hanno pedalato per la ricerca anche Sofia Bertizzolo, Jury Chechi, Katia Ragusa e Alessandra Sensini. Proprio la giovane Sofia ha associato la voglia di vincere e di vita alla voglia di sole, da portare per le strade con la maglia gialla del Bike Tour 2021.

Messaggi di affetto e in bocca al lupo sono giunti anche da altri campioni: Elisa Longo Borghini, Paola Pezzo, ed Elia Viviani.



INAUGURAZIONE

28 SETTEMBRE, MONTEGROTTO TERME (PD), TERME DI RELILAX BOUTIQUE HOTEL E SPA

La prima charity dinner parte bene, con il battesimo di un nuovo Gruppo di sostegno - quello di Padova Villa del Conte - che allarga ulteriormente la famiglia dei volontari di FFC Ricerca. Nella foto, la responsabile Alessia Bertato con il figlio e il marito a destra e Fabio Cabianca (Raccolta fondi e Rapporti col territorio) a sinistra. La serata è anche occasione per il primo saluto da parte di Luca Fornari, Responsabile Area Territoriale Imprese e Corporate di Crédit Agricole FriulAdria, Main Partner di questo Bike Tour. Nella foto con il presidente Matteo Marzotto.

 Una millefoglie da urlo!

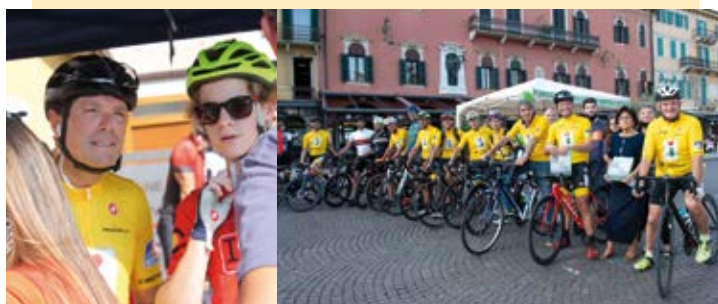


1
TAPPA

29 settembre, Padova/Verona

Il sole splende sul primo giorno, con temperature fino ai 31° che illuminano le soste nel vicentino. "Speriamo arrivino in orario, perché nel 2016 arrivarono con un'ora di ritardo!" scherza Dario Antoniazzi, Delegazione di Vicenza, felice di ripartire con gli eventi e di accogliere nuovamente il Bike Tour. Tre sindaci presenti a San Pietro Mussolino, prima del dislivello per arrivare nel veronese a San Giovanni Ilarione e poi nel cuore di Verona per l'incontro con sindaco e sostenitori. Ospiti per la charity dinner a Cavaion Veronese dello storico partner Gruppo Italiano Vini che ha donato anche i premi di una fortunata lotteria di bottiglie molto speciali. Partner dell'evento, Zecchini Musica.

 Manzo alla brace e patate all'olio di cenere dello chef Maurizio Guidotti!



3
TAPPA

1 ottobre, Parma/Crevalcore

Si riparte sempre più numerosi! Al gruppo dei biker, oggi si sono aggiunti il campione olimpico Jury Chechi e il testimonial FFC Ricerca Edoardo Hensemberger. Insieme hanno fatto visita alla sede "Green Life" del Main Partner Crédit Agricole e poi al reparto di Pediatria dell'Ospedale di Parma. La quarta charity dinner si è tenuta presso Villa Il Canaletto, organizzata da Giuseppe Tarpeo e Monia Mazzanti (per l'occasione con la giacca verde-Fondazione!) che passano da Gruppo di sostegno a responsabili della nuova Delegazione di Crevalcore.

 La torta con logo FFC Ricerca e tagliata con Pisana, moglie del professor Mastella



2
TAPPA

30 settembre, Verona/Parma

A Castelnuovo del Garda una folla di piccoli "sbandieratori" di palloncini verdi ha avviato il secondo giorno di pedalata grazie alla responsabile della Delegazione del Lago di Garda Eleonora Crocè, affiancata dai rappresentanti del Comune e Fidas locale. Completato il passaggio anche in Lombardia fino a Piacenza, dove il vento non ha impedito a Maria Fasoli (ora il Gruppo di sostegno di Codogno e Piacenza è ufficialmente Delegazione!) di allestire un buffet dolce e salato molto apprezzato dai biker (e non solo). Conclusione della giornata in una location unica, animata da un'asta esclusiva presso la Dallara Academy.

 Tortelli di erbe conditi con burro e Parmigiano Reggiano



4
TAPPA

2 ottobre, Imola/Riccione

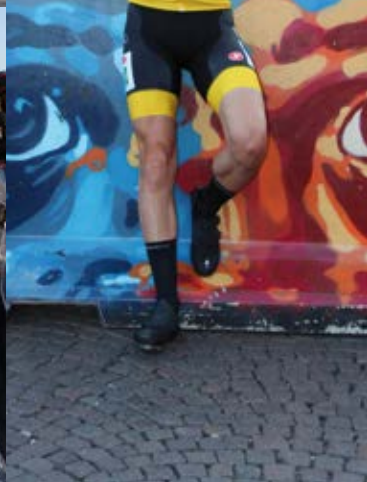
Memorabile partenza dall'Autodromo Enzo e Dino Ferrari di Imola alla volta del mare, attraversando cittadine e città, talvolta scortati dai vigili e con un altro Gruppo di sostegno diventato Delegazione di Parma Fidenza (Paolino Severino). La Delegazione di Imola e Romagna, meglio nota come Patty Baroncini, ha coordinato diverse soste e organizzato la cena conclusiva a Riccione, presso l'Hotel Atlantic. Momento musicale offerto dagli amici della Fondazione: Silvia De Santis, voce, e Farian al pianoforte.

 Risotto ai frutti di mare, pomodoro fresco e spinaci croccanti



BIKE TOUR FUORIONDA

Non abbiamo resistito a mostrarvi qualche frammento di Bike Tour, piccoli pezzi di vita rubati dietro le quinte dei quattro giorni di pedalata in un racconto non ufficiale, colto dall'occhio di un viaggiatore seriale come Loris Camprini, motostaffetta e tradizionale sostenitore di FFC Ricerca.



A grande richiesta... le papere del Bike Tour



Arrugginiti dopo 2 anni senza Bike Tour?

Forse sì e forse no, ma poiché nel 2019 è stato divertente rendere conto anche di qualche pasticcio durante il percorso... cosa dire ora di tre furgoni smarriti tra le colline (con tanto di carrello-bici), ponti interrotti e un biker disperso a Verona senza telefono? E poi lo staff (sia di sede sia del presidente) che si infortuna o s'improvvisa driver di auto non proprie, con allarmi che suonano, parcheggi creativi e playlist da veri rocker? Per non parlare poi di stampanti non funzionanti, di un attestato di benvenuto al nuovo Gruppo di sostegno di "Pavoda" (sarebbe Padova ma da quel momento molti preferiscono chiamarlo così) e ancora di menù spariti e vele che si comportavano da vele e volavano via sul serio!

Gli investimenti Media in uno scenario che cambia

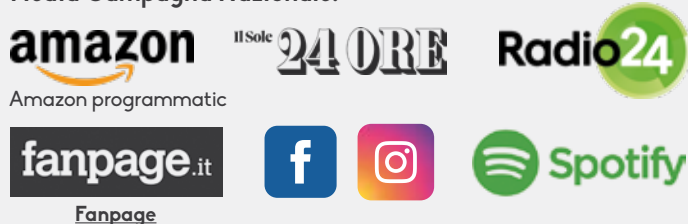
I mezzi di comunicazione evolvono a grande velocità, seguendo il cambiamento dei gusti del pubblico. Se l'obiettivo di Fondazione è quello di conquistare quante più persone disposte a credere nella ricerca, anche gli investimenti in Comunicazione devono distribuirsi in modo sempre diverso: di campagna in campagna gli strumenti diventano più digitali, cresce l'uso dei social network (Facebook e Instagram), si aggiunge la più nota piattaforma di streaming musicale (Spotify), si ottimizza la ricerca su Google, si ricercano canali nuovi come Fanpage, che ha visto una crescita esorbitante con l'emergenza pandemica. E tutto questo senza perdere di vista la tradizionale radio e carta stampata (Radio24 e Il Sole 24 Ore). Nemmeno quest'anno è poi mancato il sostegno solidale delle grandi reti televisive, con passaggi su Rai, Mediaset, La7 e Sky, così come di TV locali, emittenti radio e webradio.

I primi numeri della Campagna nazionale

Nel momento in cui il Notiziario chiude, contiamo:



Dove abbiamo investito per farci conoscere Media Campagna Nazionale:



Media partnership per il Bike Tour:



e con il supporto dell'agenzia fotografica SGP Italia



Nuovo logo per FFC Ricerca

Se ne parlava da tempo del bisogno di Fondazione di spiegare con immediatezza il ruolo di Fondazione, prima realtà italiana impegnata nella ricerca sulla fibrosi cistica in Italia.

FFC Ricerca, dunque, perché la parola "ricerca" definisce questa organizzazione e dal 1997 è la ragione di ogni iniziativa. Per questo ad agosto è arrivata la comunicazione del presidente Matteo Marzotto che annunciava "una piccola modifica nello storico e amato logo che ci accompagna con successo da ormai quasi 25 anni".

Ed ecco il restyling.

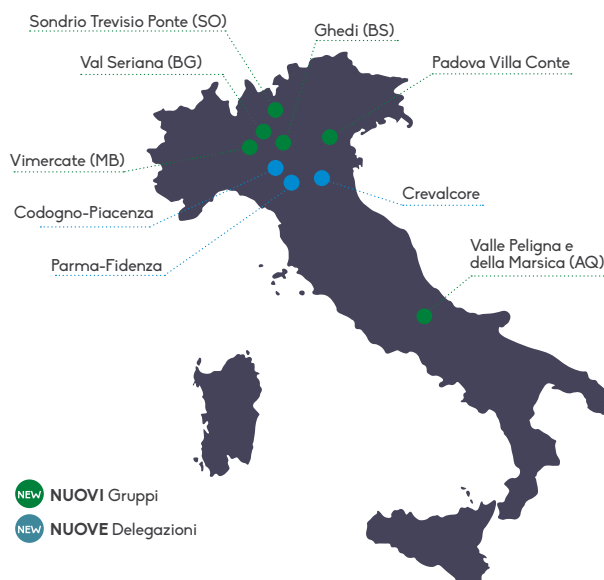


Energie nuove Volontari al via. Superati i 150 gruppi organizzati



Monia Mazzanti e Giuseppe Tarpeo, nuova Delegazione di Crevalcore, con il presidente Matteo Marzotto

Siamo tanti, ma un sorriso e braccia in più fanno la differenza nel difficile lavoro di allargare la cerchia di chi conosce la FC e lavora per sostenere gli sforzi della ricerca. Per questo, in vista della Campagna nazionale 2021, è stata lanciata una campagna su Facebook pensata per condurre persone generose alla pagina "Diventa volontario". Qualcosa si è mosso: già dalla scorsa primavera alcuni volontari hanno gettato il cuore oltre l'ostacolo e "ufficializzato" il proprio impegno diventando Gruppo di sostegno FFC Ricerca. Così abbiamo dato il benvenuto ai Gruppi di Vimercate (MB), della Val Seriana (BG), della Valle Peligna e della Marsica (AQ), di Sondrio Trevisio Ponte "In ricordo di Teresa" (SO) e di Ghedi (BS). E poi è arrivato il Bike Tour che ha fatto nascere il Gruppo di Padova Villa Conte, mentre quelli di Codogno e Piacenza, di Parma Fidenza, di Crevalcore si sono trasformati in Delegazione.





BILANCIO SOCIALE 2020

UN ANNO DI FONDAZIONE: ATTIVITÀ E PERSONE DIETRO I NUMERI

Il bilancio sociale rappresenta la finestra spalancata su un anno di vita di Fondazione. Da questa posizione privilegiata possiamo riconoscere responsabilità, impegno, difficoltà, risultati dell'intera comunità di FFC Ricerca nel corso del 2020. In 68 pagine, oppure in otto per chi preferisce la sintesi, vengono presentate Fondazione, le persone che concorrono al suo funzionamento, la Rete nazionale dei volontari e quella della ricerca.

Si entra nei meccanismi di selezione dei progetti, si seguono i canali attraverso i quali fluiscono i finanziamenti a favore dei laboratori scelti, si descrive lo sforzo della Comunicazione e della Raccolta fondi per alimentare continuamente questo passaggio di linfa vitale dal donatore al progresso della ricerca. Si presentano i numeri ma anche i volti di chi li nutre; la divulgazione scientifica e la sensibilizzazione con le Campagne, le strategie, i successi, le difficoltà e le soluzioni trovate.

Ma perché facciamo tutto questo?

Ecco alcune risposte alle domande più diffuse.

A cosa serve il Bilancio sociale?

Innanzitutto, serve ad assolvere un obbligo di legge (*decreto legislativo n. 117/2017*) prescritto per enti del Terzo settore con entrate superiori al milione di euro. Ma il suo perché non si ferma qui. L'offerta del Bilancio sociale agli stakeholder, ovvero a tutte le persone che a vario titolo concorrono a realizzare la *mission* di Fondazione, è un'occasione imperdibile di raccontare chi siamo, cosa facciamo, a quale scopo, in base a quali valori di fondo e, anno dopo anno, con quali risultati concreti. In pratica, se FFC Ricerca ha preso un impegno con i propri sostenitori di contribuire ad arrivare a una cura per tutte le persone con FC, attraverso il Bilancio sociale descrive ogni anno i passi avanti (ma anche gli stalli e le difficoltà), l'utilizzo dei fondi donati e le tensioni di sviluppo futuro.

Come posso usare il Bilancio sociale nel mio territorio?

È un documento che ha un uso molto pratico e non va quindi lasciato nel cassetto: serve come presentazione da portare o inviare ad aziende che stanno pensando a FFC Ricerca per una donazione o che cercano un partner non profit a cui affiancarsi in un evento. È uno strumento reputazionale che descrive chi siamo, cosa "produciamo", dove vogliamo andare.

Perché parla dell'anno passato?

Perché è figlio del rendiconto economico che viene chiuso il 31 dicembre di ogni anno. Da quel momento, il Bilancio sociale viene composto, approvato dal Cda e quindi pubblicato sul sito web entro il 30 giugno dell'anno seguente. Ha validità per i successivi 12 mesi.

Viene realizzato tutti gli anni?

L'obbligo di redazione è annuale.

Dove lo posso trovare?

Sul sito FFC Ricerca a questo indirizzo:
fibrosicisticaricerca.it/la-fondazione-ffc/i-bilanci/

Esiste una sintesi?

Al medesimo indirizzo si può trovare la sintesi del Bilancio sociale che in otto schermate riassume i punti salienti, nel caso in cui si voglia dare una scorsa veloce alle attività di Fondazione.

Si può avere una versione stampata?

È possibile, contattando l'area di Raccolta fondi.

Questionario

Piacere, siamo curiosi di conoscervi



Tra le pagine di questo Notiziario troverete una busta con all'interno un questionario a cui Fondazione tiene molto: contiene domande che ci permetteranno di lavorare meglio per voi, rispondendo in maniera sempre più mirata ai vostri bisogni e aspettative, con il comune scopo finale di sostenere la ricerca in modo sempre più efficace. È possibile rispondere al questionario anche in modalità web, scaricando qui il form online





eventi solidali

VOLONTARI & APPUNTAMENTI

LA RINASCITA DEGLI EVENTI

Piano piano, con passi graduali e molta prudenza, i volontari hanno rimesso in moto la grande macchina degli eventi, mai fermata del tutto ma un po' arrugginita rispetto ai tempi in cui ancora non circolava la pandemia. Qui abbiamo selezionato alcuni appuntamenti, per testimoniare quanto forte sia la determinazione della community nel sensibilizzare le persone sulla fibrosi cistica e nel sostenere la ricerca.



FFC Ricerca Charity Partner della Straverona 2021

La 38ª edizione della Straverona ha avuto Fondazione come charity partner ufficiale dell'evento.

La corsa, organizzata dalla Associazione Straverona in collaborazione con il Comune di Verona - Assessorato allo Sport e Tempo Libero, si è snodata domenica 4 luglio nel cuore della città (nella foto il direttore FFC Ricerca, Giuseppe Zanferrari durante la presentazione).

In piazza Bra, ai piedi dell'Arena, il Villaggio Gara ha accolto anche la postazione FFC Ricerca, gestita dalla Delegazione di Verona per le attività di sensibilizzazione e l'offerta dei gadget.

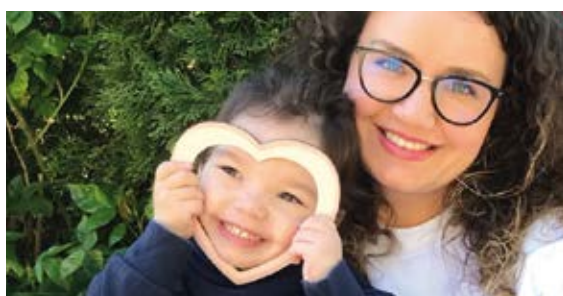


eventi solidali

Festa della Mamma

In occasione della Festa della Mamma, FFC Ricerca ha lanciato un'iniziativa sui suoi canali social per sostenere la ricerca e offrire il DolceCuore, un nuovo dolce a forma di cuore, reso disponibile sull'e-shop in occasione della Pasqua.

La risposta della community di Fondazione è stata calorosa e tempestiva: sono arrivate moltissime fotografie che ritraggono le mamme con i loro figli mentre creano un cuore con le mani!



Gare e solidarietà: gli impegni di Rachele

Dal Rally delle Azzorre alla vittoria della Coppa Femminile del Campionato Italiano Rally con il Rally 1000 Miglia, i mesi estivi sono stati costellati da competizioni e successi per la nostra Rachele Somaschini, testimonial FFC Ricerca, pilota di rally e ideatrice del progetto solidale #CorrerePerUnRespiro.

È stato un inizio di campionato difficile, ma sicuramente molto utile – commenta – perché ho acquisito maggiore consapevolezza del lavoro da fare. Ora si tratta di affinare aspetti tecnici della guida, ed è anche questo il motivo per cui ho scelto una serie come il Campionato Terra che offre ottime gare, con fondi mutevoli e sfide molto diverse da affrontare. Inoltre, sono felice di poter portare in questo contesto il mio progetto charity #CorrerePerUnRespiro legato alla sensibilizzazione sulla fibrosi cistica, malattia da cui sono affetta dalla nascita. Questa è la mia missione più importante, nelle competizioni e nella vita. Ringrazio tutti i partner e gli sponsor che mi sostengono in questo, permettendomi di essere qui e di realizzare il mio sogno.



Nella foto di Luca Riva, Rachele all'arrivo del Rally 1000 miglia col navigatore Nicola Arena

Bentornato Together For Life

Lo scorso 24 settembre è tornato l'atteso evento *Together for Life* che, al suo terzo appuntamento, ha coinvolto gli imprenditori e i cittadini di Bergamo in un progetto di ripartenza e solidarietà: come colonna sonora, una selezione di brani cult del repertorio internazionale e, come impegno centrale, il fattivo sostegno alla ricerca di una cura per tutte le persone con FC. L'appuntamento – nato da un'idea di Luana Piazzalunga, referente della Delegazione di Villa d'Almè, fondata nel 2007 da Manuela Martinelli – è diventato negli anni un punto di riferimento e un esempio per quanti vogliono abbracciare progetti di responsabilità sociale d'impresa a favore della ricerca in fibrosi cistica. Una serata partecipata ed emozionante, che ha visto anche il ricordo del professor Gianni Mastella.



Nelle foto, il presidente di Fondazione Matteo Marzotto con Nora Shkreli e Luana Piazzalunga

950 km di emozioni e un premio nazionale

L'Associazione Ciclistica A.S.D. Bike Torrese, in collaborazione con la Delegazione di Brindisi-Torre e il patrocinio del Comune di Torre Santa Susanna, ha organizzato la seconda "Pedalata del messaggio" per sensibilizzare e raccogliere fondi per la ricerca sulla fibrosi cistica. I chilometri percorsi sono stati 950, da Torre Santa Susanna (BR) a Firenze, seguendo la via di Loreto.

Un successo - dice Oronzo De Tommaso, responsabile della Delegazione - a livello di informazione e sensibilizzazione sulla malattia. Ancora mi emoziono quando ripenso all'accoglienza che ci hanno riservato le varie Delegazioni al nostro arrivo: persone calorose e disponibili che hanno creato in me un vortice di sensazioni. Ora molti capiscono quello che mia figlia sta passando, conoscono la malattia e ci riconoscono per strada grazie alla risonanza che ha avuto l'iniziativa. Era quello che volevamo, ho la pelle d'oca mentre ne parlo!

Le emozioni per Delegazione di Brindisi-Torre non finiscono qui: il 4 ottobre, in occasione del Giorno del Dono, promosso dall'Istituto Italiano della Donazione (IID), il premio #DonareMiDona per la categoria Non Profit è stato assegnato a "La pedalata del messaggio". Per l'occasione è stata trasmessa una diretta streaming sui canali social di IID, nel corso della quale sono state premiate le iniziative più votate sul sito giornodeldono.org.

Così, in collegamento da Torre Santa Susanna, Oronzo, Vincenzo e Fabio hanno ringraziato e condiviso il riconoscimento con quanti li hanno supportati, con i volontari di Fondazione e con gli amici dell'A.S.D. Bike Torrese, ricordando l'impegno quotidiano di tutti – e in particolare nel mese di ottobre con la Campagna Nazionale – per diffondere conoscenza sulla fibrosi cistica.



Da sinistra: Oronzo De Tommaso (Delegazione Brindisi Torre), Vincenzo D'Adamo e Fabio Moccia (presidente e tesoriere dell'A.S.D. Bike Torrese)

eventi solidali

Marafibrositona 2021, un nuovo successo per Angi

Torna per la seconda volta in formato virtuale la mitica Marafibrositona, la corsa solidale sul lago di Como, nata nel 2015 da un'idea di Angelica Angelinetta e dell'amica Elisa Palo. Ogni partecipante ha preso parte all'iniziativa individualmente, correndo nel giorno e all'ora desiderati, tra il 19 aprile e il 15 giugno.

Nonostante l'emergenza pandemica, l'evento è stato un successo! La sorella di Angelica, Serena, responsabile della Delegazione di Como Dongo, racconta l'emozione di vedere una comunità così forte e unita per la ricerca.

Si continua a lottare per lei e per tutti i malati di fibrosi cistica presenti e futuri. Ringraziamo l'Atletica Alto Lario per l'idea. In tantissimi si sono riuniti per fare pura beneficenza, in onore di Angi e degli altri malati. Mi commuove sapere che mia sorella ha toccato i cuori di così tante persone: ricevo tutt'ora messaggi in suo ricordo da sconosciuti che si sono legati alla sua storia.



Un arcobaleno per trasformare il dolore in energia

"Per non restare ferme davanti alla fibrosi cistica, per trasformare il dolore in energia".

Nicoletta Mapelli, volontaria della Delegazione di Milano, ha organizzato l'iniziativa insieme ad altre mamme. Tre sono stati gli appuntamenti di sport e solidarietà gestiti dal G.S. Virtus Inzago, con il patrocinio del Comune di Inzago, allo stadio comunale.

Il tutto - racconta Nicoletta - è partito dal campo di calcio perché Davide, il mio secondo figlio, gioca in una squadra professionistica di Serie C. In collaborazione con alcuni genitori abbiamo dato vita al primo torneo nel giugno 2019. È stata un'emozione vedere mio figlio giocare con la sua squadra per sensibilizzare e raccogliere fondi a sostegno della ricerca in fibrosi cistica, malattia che ha colpito Veronica, la mia primogenita. Un'esperienza fantastica.

Nel 2021 arriva la seconda edizione, dopo un anno di chiusura in casa con le restrizioni e la paura del Covid. Quindi una birra, una salamella e una partita erano una mancanza per tutti! Condividere queste emozioni ormai dimenticate, sostenendo una buona causa, ci ha fatto volare. Abbiamo raccolto quasi duemila euro ed è uscito anche l'arcobaleno!



Da tutta Italia per correre insieme a Samantha

Una corsa e camminata solidale è stata organizzata lo scorso giugno dalla Delegazione della Franciacorta e Valle Camonica in ricordo dell'amica Samantha, per raccogliere fondi da destinare alla ricerca sulla fibrosi cistica.

L'idea - racconta Nicla Bonardi, responsabile della Delegazione - nasce dalla mamma di Samantha, Cristina, per ricordarla nel giorno del suo compleanno; e da me, per coinvolgere le persone in un evento benefico e dire a tutti che la fibrosi cistica ha bisogno di una cura.

Quindi abbiamo unito le nostre forze, sparso la voce e... alla fine abbiamo raccolto circa 1.100 iscrizioni. Ci hanno dato una mano anche i gruppi sportivi e gruppi di cammino di paese, partecipando e diffondendo a loro volta l'iniziativa.

Mamma Cristina ha dato vita anche al Gruppo di sostegno di Ghedi, di cui è ora la referente (vedi la sua intervista a pagina 23).



Una serata sotto le stelle a sostegno della ricerca

Serata benefica a favore della ricerca sulla fibrosi cistica con la Delegazione di Franciacorta e Val Camonica e il patrocinio del Comune di Polpenazze del Garda, in provincia di Brescia.

Durante l'evento dell'11 settembre sono intervenute Marialma Berlendis (Dir. FF Pneumologia e Fisiopatologia Respiratoria, Asst Spedali Civili di Brescia), Barbara Fiora (Psicologa-Psicoterapeuta, ambulatorio adulti del Centro FC di Brescia), Nicla Bonardi (Responsabile Delegazione Franciacorta e Val Camonica) e Sara Bertanzetti, persona con FC e trapiantata. Sara, organizzatrice dell'evento, racconta:

È stata una serata commovente, soprattutto dopo la mia testimonianza, ma anche all'insegna del divertimento e dell'informazione. Ho trovato delle persone veramente altruiste che mi hanno aiutata ad organizzare il tutto, un bellissimo evento!

Aspettando la neve, ceniamo sul mare

Ospiti speciali alla cena per FFC Ricerca, organizzata dal Gruppo di sostegno di Crotone con lo Sci Club Crotone Ermes, Fisi-Comitato regionale Calabro Lucano e Giorgio Rocca Sky Academy. L'appuntamento, fissato per l'11 settembre al Kuta Restaurant Winehouse di Isola di Capo Rizzuto (KR), ha visto la presenza del campione del mondo di sci Giorgio Rocca, della food blogger Teresa Balzano, dei fashion blogger Giulia Gaudino e Frank Gallucci.

La serata - ricorda Giulia Vrenna, responsabile del Gruppo di sostegno - è andata veramente bene nonostante ci fosse allerta meteo! Un ringraziamento speciale va alla Boutique Vitale per aver offerto il premio della lotteria che ha animato l'iniziativa. Radio Studio 97 ha intrattenuto i partecipanti, raccontando cosa accadeva durante l'evento e intervistando gli ospiti. A fine evento siamo anche stati premiati con targhe create dallo Sci club Ermes che desidero ringraziare di cuore. Per chiudere in bellezza, il Maestro Orafo Gerardo Sacco ha donato un gioiello come ricordo della serata, unito a una copia del suo nuovo libro. Una giornata da ricordare!

Giorgio Rocca



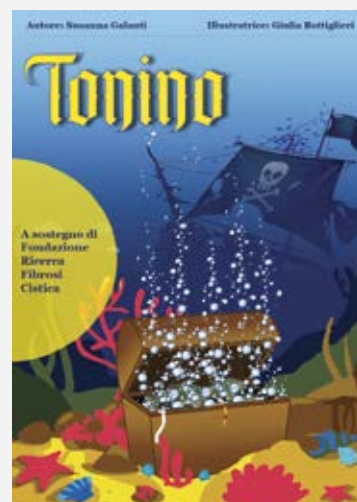
Liriche di solidarietà

Concerto lirico "Nessun dorma..." a sostegno di FFC Ricerca nella Cattedrale di Santa Maria Assunta a Montalto delle Marche (AP). Il 31 luglio si è svolta una serata di musica e solidarietà che ha offerto al pubblico alcune tra le più belle arie d'opera di Mozart, Rossini, Puccini, Mascagni, Verdi, Tarrega, Lehar e Capua.



Tonino

Susanna Galanti è mamma di un bambino con fibrosi cistica e volontaria della Delegazione FFC di Genova. Pensando a suo figlio, ha scritto un racconto intitolato "Tonino", illustrato da Giulia Bottiglieri, studentessa all'Accademia di Belle Arti di Genova, per raccogliere fondi a favore della Fondazione. Racconta una storia di amicizia tra bambini che inseguono il sogno di vivere insieme un'avventura speciale. Più informazioni su mondoffc.it



Durona & Capitei Night Trail 2021

Un percorso da veri trail runner quello che si è tenuto sabato 17 luglio, organizzato da Duronatrail Team con il patrocinio dei Comuni di Chiampo e di Nogarole Vicentino (VI).

L'evento sportivo "Durona & Capitei Night Trail 2021" ha contribuito a sostenere la ricerca sulla fibrosi cistica. L'intero ricavato della manifestazione, al netto delle spese, è stato infatti devoluto al progetto di ricerca FFC 4/2020 adottato dalla Delegazione di Vicenza, guidata da Anamaria e Dario Antoniazzi (*al centro nella foto*).



La Notte europea dei Ricercatori torna a Palermo

Venerdì 24 settembre, la Delegazione di Palermo e Trapani ha preso parte alla Notte Europea dei Ricercatori - SHARPER (*Sharing researchers' passion for engaging responsiveness*) che si è tenuta al campus dell'Università degli Studi di Viale delle Scienze a Palermo; una delle 15 tappe italiane dell'iniziativa puntata ad avvicinare i cittadini al mondo della ricerca e al mestiere di ricercatore.

I volontari di FFC Ricerca erano presenti per fornire informazioni sulla malattia e per offrire i gadget solidali che sostengono la ricerca. Già disponibili anche i ciclamini, fiore simbolo della Campagna Nazionale di ottobre. Nella foto, i ricercatori del dipartimento STEBICEF di Palermo, e titolari di progetti finanziati da FFC Ricerca, Laura Lentini e Aldo Di Leonardo con giovani collaboratori.

Con la maglietta VI-TA, i responsabili della delegazione di Palermo, Emiliano Lomonaco e Stefania Costagliola.

Laura Lentini

Aldo Di Leonardo



eventi

Lampade di sale per illuminare la ricerca

A partire da inizio maggio, la Delegazione di Monterotondo Roma propone delle originali lampade di sale, personalizzabili con decori, scritte o sculture in legno realizzate in esclusiva dagli artigiani dell'Associazione Nazionale Persone Autistiche.

Le donazioni raccolte, al netto delle spese, saranno devolute a favore di uno dei progetti di ricerca in fibrosi cistica adottati dalla Delegazione guidata da Massimiliano Rosazza.



Da Colorado Café alla solidarietà

Davide D'Urso, noto al grande pubblico per aver calcato il palcoscenico del programma televisivo Colorado, mette in scena "Live, è proprio D'Urso": serata di cabaret a Ticineto (AL), il cui ricavato è stato in parte devoluto a Fondazione. Anche in questa occasione gli instancabili volontari di Fondazione erano presenti con un banchetto di gadget a sostegno della ricerca.

Davide D'Urso



Eva Herzigova per FFC Ricerca

Il torneo di calcio per bambini "Amici per la ricerca", quest'anno ha avuto Eva Herzigova come madrina.

La seconda edizione - promossa dalla Scuola Calcio CBS di Torino che ha destinato parte della raccolta fondi alla Fondazione Ricerca Fibrosi Cistica - è stata programmata per la stagione autunnale da sabato 18 settembre a sabato 9 ottobre. Grazie anche alle volontarie Marta Parusso e Zenda Zoda, l'iniziativa ha fatto eco alla Campagna Nazionale FFC Ricerca, con la possibilità di fare un'offerta per i Ciclamini e altri gadget a sostegno della Fondazione.

Marta

Zenda



Eventi felici



14 luglio, Monserato (CA). Congratulazioni a Gigi e Patrizia che quest'estate hanno festeggiato i loro 50 anni di matrimonio: un giorno di festa reso ancora più bello grazie alla solidarietà a favore della ricerca.



23 maggio e 13 giugno, Poirino (TO). Valentina e Stefano hanno deciso, in occasione del battesimo del figlio Giulio e della Prima Comunione della sorella Alessia, di sostenere la ricerca in fibrosi cistica.



23 giugno, Casarile (MI). Tanti auguri ad Alessio, già protagonista di diverse campagne di Fondazione, per i suoi 6 anni! Nella foto con i genitori Francesca, responsabile del Gruppo di sostegno di Casarile, e Paolo.



6 giugno, Padova (PD). Congratulazioni a Mattia per la sua Prima Comunione e Cresima (nella foto con lo zio Stefano). Anche in questa occasione i genitori hanno scelto di sostenere la ricerca e hanno dedicato il loro pensiero a Sabrina Bullaro, grande amica di mamma Iria e "zia" di Mattia.



30 maggio, Palermo. Felicitazioni a Giuseppe Pecoraro per la sua Prima Comunione e un affettuoso ringraziamento ai genitori per aver sostenuto la Fondazione.



Congratulazioni a Eleonora Rita che il 16 maggio ha celebrato la sua Prima Comunione.



Un brindisi a Matteo e Valentina, sposi lo scorso 28 agosto a Valsamoggia (BO).



22 settembre, Ferrara. In occasione della laurea in Biotecnologie, Patrizia ha scelto di supportare la ricerca in fibrosi cistica. Grazie!



27 agosto, Acireale (CT). Un ringraziamento ad Antonio e Pinuccia che quest'estate hanno celebrato il loro matrimonio, scegliendo di sostenere la ricerca scientifica in fibrosi cistica. Auguri!



In occasione del Battesimo di Martin, avvenuto a Napoli, un grazie ai genitori per essersi impegnati nel sostenere la ricerca in fibrosi cistica anche in questo momento speciale.



Giulia e Frank si sono sposati a Balestrate (PA) lo scorso 10 settembre. A loro le felicitazioni di FFC Ricerca e un ringraziamento per la donazione che hanno voluto fare.



30 giugno, Serravalle Pistoiese (PT). Foto ricordo del pensionamento di Marco Fedi, ritratto con i colleghi dell'azienda ECM S.p.A durante i festeggiamenti. Un sentito grazie anche a Maurizio Bernini e Claudio Tognarini che hanno lasciato l'azienda prima di Marco e donato il ricavato delle offerte dei colleghi alla ricerca in fibrosi cistica.



Ragusa. Felicitazioni per il terzo anniversario di matrimonio a Damiano e Melania Garaffa che, anche in questa occasione, hanno voluto sostenere la ricerca di Fondazione.

Festeggia sostenendo la ricerca

Su regalisolidali.mondoffc.it nella sezione "Lieta Eventi", troverai tutto quello che serve per rendere ancora più allegra la festa: inviti, bomboniere, pergamene e pensieri da accompagnare alle tue giornate speciali.

Vieni a vedere su regalisolidali.mondoffc.it/categoria-prodotto/lieta-eventi/ e contatta Francesca Morbioli francesca.morbioli@fibrosicisticaricerca.it per avere informazioni sulle personalizzazioni!



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 Ricerca n. 93100600233

In Italia la legge agevola la persona fisica o l'azienda che decide di donare a una onlus: più dai, meno versi.
Per approfondire: fibrosicisticaricerca.it/benefici-fiscali-per-le-donazioni



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



Presidenza Matteo Marzotto
Segreteria di presidenza: Gabriella Cadoni
Tel. 045 8123597
presidenza@fibrosicisticaricerca.it

Consiglio di Amministrazione
Presidente: Matteo Marzotto
Presidente emerito: Vittoriano Faganelli
Vicepresidenti: Paolo Faganelli, Michele Romano
Consiglieri: Giorgio Berton, Riccardo Boatto, Raffaele Boscaini, Cesare Braggion, Callisto Marco Bravi, Sandro Caffi, Francesco Cobello, Michele Gangemi, Giuseppe Lauria Pinter, Giuseppe Magazzù, Laura Minicucci, Patrizia Volpato

Direzione scientifica
Direttore: Giorgio Berton
Segreteria scientifica: Federica Lavarini
Tel. 045 8127037 - federica.lavarini@fibrosicisticaricerca.it

Presidente del Comitato scientifico
Carlo Castellani
carlo.castellani@fibrosicisticaricerca.it

Gestione e promozione attività di ricerca clinica
Cesare Braggion
cesarebraggion.133@gmail.com

Gestione bandi e progetti di ricerca
Ermanno Rizzi
Tel. 344 0221751 - ermanno.rizzi@fibrosicisticaricerca.it

Comunicazione scientifica
Responsabile: Luisa Alessio
luisa.alessio@fibrosicisticaricerca.it

Comitato scientifico
Presidente: Carlo Castellani
Consulenti: Paolo Bernardi, Cesare Braggion, Paola Bruni, Roberto Buzzetti, Oscar Moran, Gian Maria Rossolini

Direzione di gestione
Giuseppe Zanferrari
Tel. 045 8127028
giuseppe.zanferrari@fibrosicisticaricerca.it

Amministrazione
Responsabile: Gabriella Cadoni
M. Bergamaschi, M. Giacomuzzi
Tel. 045 8123597 - 7034 - 7025
gabriella.cadoni@fibrosicisticaricerca.it
michela.bergamaschi@fibrosicisticaricerca.it
marina.giacomuzzi@fibrosicisticaricerca.it

Comunicazione
Responsabile: Valeria Merighi
I. Boarato, G. Bovi, S. Chignola
Tel. 045 8123599 - 7026
valeria.merighi@fibrosicisticaricerca.it
isabella.boarato@fibrosicisticaricerca.it
giulia.bovi@fibrosicisticaricerca.it
stefania.chignola@fibrosicisticaricerca.it

Progetti editoriali: Marina Zanolli
marina.zanolli@fibrosicisticaricerca.it

Ufficio stampa: Patrizia Adami
Tel. 348 3820355
patrizia@clabcomunicazione.it

Raccolta fondi e rapporti con il territorio
Responsabile: Fabio Cabianca
G. Buemi, L. Fratta, P.F. Micara, F. Morbioli
Tel. 045 8123605 - 7032 - 7033 - 7029
fabio.cabianca@fibrosicisticaricerca.it
giusy.buemi@fibrosicisticaricerca.it
laura.fratta@fibrosicisticaricerca.it
pierfrancesco.micara@fibrosicisticaricerca.it
francesca.morbioli@fibrosicisticaricerca.it

Fondazione Ricerca Fibrosi Cistica
c/o Azienda Ospedaliera Universitaria Integrata
Piazzale Stefani, 1 - 37126 Verona
Tel. 045 8123438 - fondazione.ricercafc@aovr.veneto.it

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
Bologna - Crevalcore	380 6570161
Brescia - Franciacorta Valle Camonica	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
Codogno e Piacenza	348 1113384
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 e Trapani	338 4124077
Parma	0521 386303
Parma - Fidenza	334 6994359
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
Treviso - Montebelluna	335 8413296
Treviso - Trevignano	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
Bergamo - Val Seriana	393 1462537 NEW
Bolzano	327 9151521
Bolzano - Val Badia	333 6911430
Brescia - Ghedi	333 6743788 NEW
Brindisi - Latiano	347 6350915
Cagliari - Isili	388 8925391
Campobasso	346 8744118
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
L'Aquila - Valle Peligna e Marsica	351 91974606 NEW
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
Monza Brianza - Vimercate	349 6706611 NEW
Napoli - Saviano	339 3185405
Nuoro - Siniscola	320 7953209
Padova - Urbana	347 0814872
Padova - Villa del Conte	333 9304431 NEW
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
Sondrio - Tresivio Ponte	366 7338007 NEW
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

fibrosicisticaricerca.it



Fondazione Ricerca Fibrosi Cistica



fondazioneffcricerca



Fondazione Ricerca Fibrosi Cistica



*Fondazione per la Ricerca
sulla Fibrosi Cistica - Onlus
fibrosicisticaricerca.it*

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

**ANCHE
A NATALE**



**UNA CURA PER TUTTI
NATALE PER
FFC RICERCA 2021**

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