



Notiziario FFC Fondazione Ricerca Fibrosi Cistica - Onlus

ITALIAN CYSTIC FIBROSIS RESEARCH FOUNDATION

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

n° 52 - settembre 2018



RICERCA & MEETING

- 3 L'abbraccio del nuovo presidente alla famiglia FFC**
L'editoriale
- 4 Le novità della ricerca viste dai Balcani**
Congresso Europeo 2018
- 5 Non solo terapie del difetto di base**
Ricerca clinica
- 6 Kalydeco alla prova in Italia e Usa**
Mutazioni con funzione residua
- 7 Allarme sul costo dei nuovi farmaci FC**
Europa e Stati Uniti a confronto
- 8 Conoscere CFTR per simularne la cura**
Dove va la ricerca FFC
- 9 30 nuove strade per fermare la fibrosi cistica**
Progetti di ricerca FFC 2018

CAMPAGNE & INTERVISTE

- 22 Quando un bambino FC entra in classe**
Ricordi di una maestra
- 24 I volontari superano i due milioni di euro raccolti**
Record per la ricerca 2017
- 26 Volontari uniti a Verona**
Fotoraduno
- 28 Più raccolta fondi, più risorse per la ricerca**
Bilancio 2017
- 30 Come donare vita in più ai malati di fibrosi cistica**
Campagna nazionale per la ricerca 2018
- 31 Alla scoperta del salvadanaio Facebook**
Istruzioni per l'uso
- 32 Gli eventi che rendono forte la ricerca**
Primavera-estate
- 46 Eventi felici**
L'album della famiglia FFC
- 48 Ogni ciclamino un po' di vita in più**
Appuntamento in piazza



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

Redazione Marina Zanolli, Rachele Perbellini, Stefania Chignola
Consulenza scientifica Gianni Mastella, Graziella Borgo
Direttore Responsabile Andrea Sambugaro
Registrazione Tribunale di Verona n. 1533 del 13/3/2003
Grafica e impaginazione Quamproject S.r.l.
Stampa Tipolitografia Artigiana snc di Menegoi Giorgio e Danilo
 Via Monte Carega 8 - S. Giovanni Lupatoto (VR)

L'abbraccio del nuovo presidente alla grande famiglia FFC

Ricordo con emozione quel giorno di gennaio del 1997 in cui nacque la Fondazione. Non potevo nemmeno immaginare dove quella meravigliosa avventura, nata dalla visione di Gianni Mastella e Vittorio Faganelli, ci avrebbe portato.

Sono stati oltre vent'anni di impegno, speranza, dedizione, entusiasmo, resilienza, qualche delusione, tanto amore. E di crescita, in tutti i sensi, che non smetto di definire miracolosa.



IL DIRETTORE SCIENTIFICO GIANNI MASTELLA E IL VICEDIRETTORE GRAZIELLA BORGIO CON MATTEO MARZOTTO

Personalmente ho sempre creduto che ognuno di noi in Fondazione abbia il suo Angelo Custode: mia sorella amatissima insieme a tutti i ragazzi che da lassù ci aiutano e guidano nella battaglia quotidiana contro la fibrosi cistica. Succedere a un gigante come Vitto Faganelli (quasi più padre che amico) è un onore ma ancor più una grande responsabilità: se potessi firmare per anche solo una parte del valore e della reputazione che la sua attività ha creato per Fondazione in questi anni, firmerei. Qui e subito! Parimenti lavorare a fianco del mitico Prof., garante assoluto della solidità e reputazione scientifica della nostra Istituzione e mente di tante intuizioni vincenti (l'adozione dei progetti, la certificazione, le Delegazioni



MATTEO MARZOTTO CON I VOLONTARI FFC AL TRADIZIONALE RADUNO ANNUALE, EDIZIONE 2015

solo per citarne alcune), mi dà una ulteriore iniezione di energia ma anche di tanta umiltà e riconoscenza.

Oggi FFC è un'organizzazione la cui complessità si può evincere solo in parte dai numeri che presentiamo di continuo tentando di illustrarne in sintesi l'attività. È un'organizzazione che ha via via richiesto professionalità specifiche dedicate alle varie attività. Persone che alla competenza non dimenticano mai di affiancare una grande dose di generosità e passione che rende il nostro team unico, col quale è e sarà per me un onore collaborare. Un team che, tra l'altro, si avvale del prezioso contributo di due vicepresidenti molto migliori del precedente! Paolo Faganelli e Michele Romano esprimono infatti grande competenza, esperienza e amore per la nostra Fondazione garantendole un contributo fondamentale.

La nostra grande famiglia è poi sempre più caratterizzata dalla straordinaria azione quotidiana sui territori; le Delegazioni e i Gruppi sono per Fondazione

il motore della raccolta e della comunicazione capillare della nostra mission. A ognuno va la mia ammirazione e il mio affetto oltre alla promessa di met-



DA SINISTRA, VITTORIANO FAGANELLI, MICHELE ROMANO, GIANNI MASTELLA AL SEMINARIO 2017

tercela tutta al loro fianco e al fianco di chi soffre.

E infine il nostro meraviglioso Paese: mai facile, sempre ricco di contrasti ma anche di competenze e di straordinaria generosità. Reputazione, Autorevolezza, Trasparenza, Servire col Cuore: credo che il significato profondo di queste parole chiave debba continuare a illuminare il cammino della Fondazione verso la sconfitta del nostro nemico.

Un affettuoso in bocca al lupo e buon lavoro a tutti noi!

Matteo

Dal 18 aprile 2018, Matteo Marzotto è il nuovo presidente di Fondazione Ricerca Fibrosi Cistica.



AL CENTRO, IL VICEPRESIDENTE PAOLO FAGANELLI

Le novità della ricerca viste dai Balcani

BELGRADO SUL FIUME SAVA

L'idea di portare in Serbia l'annuale congresso europeo sulla fibrosi cistica ha avuto un significato particolare. Come altri stati balcanici, la Serbia ha dovuto segnare il passo, anche sul piano sanitario, a causa di particolari condizioni politiche e, successivamente, delle gravi vicende belliche che negli anni '90 insanguinarono quelle terre.

Non sono mancate iniziative di cura per i malati FC ma è cruciale il fatto che ad oggi non vi sia ancora in Serbia un solo centro specializzato per questa patologia. Il congresso a Belgrado, dal 6 al 9 giugno presso il Sava Centar, un vecchio edificio fatto costruire negli anni '70 dal dittatore Tito, è servito anche a promuovere in quella regione interesse e progettualità verso questo problema. 1.800 sono stati i partecipanti, di cui 106 italiani: molto meno che nelle precedenti edizioni. E tuttavia il congresso è stato anche l'occasione per convogliare operatori sanitari dai paesi dell'Europa orientale, specie dalla Russia, verso quest'area della medicina finora poco sviluppata in quelle nazioni.

Kalydeco, Orkambi, Symdeco alla prova del tempo

Il congresso ha avuto come tematica dominante quella delle terapie del difetto di base FC. Si può dire che l'avvento dei modulatori della proteina CFTR difettosa si conferma la strada vincente. Il primo modulatore, il potenziatore Ivacafor (kalydeco), attivo nei soggetti con almeno una mutazione di *gating* (riducono il tempo di apertura del canale CFTR per il cloro) ha accumulato già qualche anno di esperienze e il beneficio sulla funzione respiratoria si conferma sostanziale e duraturo. Ci sono anche le prime evidenze della sua efficacia e sicurezza nei bambini sotto i due anni, nei quali si ottiene addirittura qualche recupero della funzionalità pancreatica, mentre si

apre l'interesse per l'uso in pazienti con mutazioni a funzione residua.

Comunicati i primi risultati della combinazione Orkambi (lumacaftor + ivacaftor) per doppia mutazione F508del in pazienti di 2-5 anni: il farmaco appare sicuro anche a quest'età e, pure in questo caso, sembra esserci recupero della funzione pancreatica, compresa quella endocrina, con miglioramento della condizione di intolleranza al glucosio. I pazienti che avevano partecipato allo studio clinico sulla combinazione tezacaftor/ivacaftor (Symdeco) mantengono, dopo oltre 48 settimane di trattamento, i benefici respiratori, modestamente superiori a quelli di Orkambi, pur con alcuni effetti collaterali (il 10% dei pazienti ha dovuto interrompere il trattamento), sui quali converrà porre attenzione.

Di interesse l'avvento di una nuova classe di modulatori CFTR, i cosiddetti amplificatori, che consentono di avere maggior quantità di proteina da correggere: la combinazione di un amplificatore con Orkambi mostra dei vantaggi di efficacia nei primi studi clinici.

Ci sono nuove proposte sulla correzione del difetto da mutazioni stop, con nuovi composti già sperimentati con successo su modelli animali (vedi il composto ELX-02).

Il triplice assalto a CFTR

Mostrati i dati preliminari degli studi in corso sulla triplice combinazione del correttore tezacaftor con ciascuno dei correttori di nuova generazione (VX-152, VX-440, VX-659) più il potenziatore ivacaftor nei soggetti FC eterozigoti F508del con una seconda mutazione definita "con

funzione minima". Queste mutazioni a funzione minima - una lunghissima lista - sono in realtà mutazioni che notoriamente non rispondono né al correttore tezacaftor né al potenziatore ivacaftor e sono state inserite negli ultimi studi clinici con lo scopo di verificare se i soggetti che le portano in associazione con F508del ricevano qualche beneficio aggiuntivo dal trattamento, anche se non abbiamo alcuna evidenza di base che questa funzione minima esista. Le nuove triplici combinazioni, negli studi di fase 3 in corso, sarebbero in grado di ottenere una funzionalità



KRISTINA DE BOECK, GIÀ PRESIDENTE ECFS, CHIUDE IL CONGRESSO

della proteina CFTR che si aggira intorno al 50%, almeno negli omozigoti F508del, rispetto alla funzionalità normale di CFTR. In tali studi l'avanzamento più promettente nel campo dei modulatori di CFTR sembra essere quello della possibilità di trattare con efficacia non solo i pazienti omozigoti F508del ma anche gli eterozigoti composti con genotipo (F508del/altra mutazione a funzione minima).

Genoma editing sotto osservazione

Il congresso ha dato informazione anche su altre importanti prospettive di correzione del difetto di base: tra queste, segnaliamo la promessa di intervento su RNA messaggero, il mediatore che riceve dal DNA genico il messaggio per la sintesi della proteina CFTR. Il composto MRT5005, ispirato a tale intento, ha dato significativi risultati su modelli animali. Ed è stata anche aperta la strada di intervento diretto sul DNA genico (*genoma editing*), la nuova terapia genica attuata con la tecnica CRISPR/Cas9: taglio del tratto mutato e sua sostituzione con il tratto normale.

Organoidi per prevedere l'effetto dei farmaci

Largo spazio è stato dedicato anche alle modalità pratiche per predire nel singolo malato l'efficacia o meno dei di-

versi farmaci modulatori: alludiamo all'uso degli organoidi intestinali e a quelli dell'epitelio nasale da piccoli prelievi su singolo paziente, particolarmente promettenti per i pazienti con mutazioni rare, della cui funzione e suscettibilità ai farmaci poco o nulla si conosce ma che potrebbero in qualche caso rispondere alle nuove terapie.

Questi studi sui modulatori CFTR e su terapie di base alternative coinvolgono vari centri di ricerca, statunitensi ed europei, compresi quelli italiani con supporto FFC, e vedono in prima fila alcune aziende di ricerca farmaceutica: dominante Vertex, ma anche altre emergenti come Galapagos, Eloxx, Proteostasis, Flatly, Translate Bio. L'obiettivo, ritenuto non molto lontano, è quello di poter arrivare a curare efficacemente almeno il 90% delle persone con FC e possibilmente a partire dai primi mesi o anni di vita, una meta solo sognata fino a pochi anni fa.

Su varie aree di interesse clinico e assistenziale affrontate largamente nel congresso, si rimanda alle informazioni che seguono su questo Notiziario.

Gianni Mastella

Non solo terapie del difetto di base

Focus su ricerca clinica

Accanto al predominante interesse per le nuove terapie del difetto di base FC, il congresso di Belgrado ha dedicato attenzione al campo della ricerca sui farmaci antinfiammatori e antibatterici, il cui fine è di modulare la risposta infiammatoria e la difesa contro i microbi a livello polmonare.

In particolare la risposta infiammatoria rappresenta un fondamentale meccanismo di difesa nel corso di infezione, ma in FC essa è eccessiva e poco controllata ed è causa di progressivo danneggiamento dei tessuti polmonari. Sono stati presentati composti in diverso stadio di avanzamento rispetto al passaggio all'uso clinico. Come esempio, si sta facendo strada una strategia, proposta come efficace e sicura nell'infezione da *Pseudomonas Aeruginosa*, con un composto che agisce su una componente primaria dell'infiammazione, l'interleukina IL17. Viene anche riproposta la cisteamina, in combinazione con l'anti-ossidante epigallocatechin gallato per una dimostrata azione antinfiammatoria accanto a una non ancora confermata azione di recupero di CFTR. Anche un altro composto, la roscovitina, già indicato come correttore di CFTR, è adesso in fase di sperimentazione clinica (fase 1-2) come antinfiammatorio e antibatterico.

Strategie contro i batteri killer

Nel campo del trattamento dell'infezione batterica, data la relativa mancanza di antibiotici nuovi, la ricerca si muove cercando composti che supportino l'azione di quelli attualmente in uso. Sono soprattutto diretti al cosiddetto biofilm (una specie di corazza che la comunità batterica si costruisce dentro i polmoni per difendersi e resistere), come la molecola OligoG che, in laboratorio, ha dimostrato capacità di contrastare la formazione del biofilm di *Pseudomonas aeruginosa*. Un'azione mista, antinfettiva e antinfiammatoria, presentano alcuni peptidi (peptidi anti-

microbici: cortissime proteine fatte di una ventina di aminoacidi) di derivazione umana. Tra questi, vanno segnalati GVF27, HVA36 e IMY47, derivati da un progetto finanziato da FFC. Azione specifica contro *Pseudomonas* mostra anche il farmaco glatiramer acetato, già in uso nella sclerosi multipla. Entra in fase di sperimentazione clinica il composto ipotiocianato + lattoferrina (ALX-009): la lattoferrina, una glicoproteina dell'immunità innata, è stata oggetto di alcuni progetti di ricerca FFC. Di sicuro interesse è apparsa una molecola del tutto nuova contro *Burkholderia cepacia*, batterio di difficile trattamento in FC: un composto, siglato 11026103, è oggetto di una ricerca internazionale che coinvolge vari laboratori (Praga, Pavia, Mosca, e Manitoba). Rilevanti risultati su modello animale di un altro nuovo composto anti-*Burkholderia*, identificato da progetto sostenuto da FFC, sono stati presentati da ricercatori dell'Università di Pavia.

Considerazione meritano alcuni studi sui Micobatteri Non Tubercolari (NTM), che vengono recentemente segnalati come agenti di infezioni polmonari di difficile diagnosi e di ancor più difficile trattamento, specie in FC. Si è quindi discusso sia sui dati epidemiologici recenti, che ne segnalano il preoccupante aumento di incidenza, sia sulla possibilità di utilizzare anticorpi specifici per facilitare l'iter diagnostico, sia di protocolli terapeutici che utilizzino farmaci tradizionali uniti a tecniche chimico-fisiche di uccisione del microorganismo.

Importante è sembrata una sessione dedicata alla opportunità di eradicare, anche nel paziente asintomatico, alcuni microrganismi al primo isolamento nelle vie aeree. È stata ribadita l'assoluta necessità di tentare l'eradicazione di *P. aeruginosa* è c'è un consenso internazionale quasi unanime anche sulla necessità di eradicare *Staphylococcus aureus* meticillino-resistente (MRSA), anche se non è chiarito a tutt'oggi il protocollo antibiotico più efficace. Non viene invece raccomandata l'eradicazione di *Achromobacter xilodoxidans* e *Stenotrophomonas maltophilia* a meno che questi batteri non siano predominanti nelle colture di escreato o vi sia scadimento importante della condizione respiratoria.

Trapianto: psicologia, gravidanza e statistiche confortanti

Una speciale sezione è stata dedicata al trapianto polmonare in FC. Trattate le problematiche psicologiche ad esso associate e la necessità di formulare un protocollo condiviso per le raccomandazioni al paziente e al gruppo familiare nel periodo post-trapianto. Di particolare rilievo, il tema della possibilità di affrontare una gravidanza da parte delle donne trapiantate. Inoltre, merita rilievo l'osservazione che i pazienti portatori di batteri resistenti a quasi tutti gli antibiotici hanno, a distanza di un anno dal trapianto, una sopravvivenza sovrapponibile a quella dei pazienti portatori di germi più facilmente aggredibili.

Come affrontare il rapporto costi-benefici dei farmaci FC

Il Congresso si è concluso con una relazione volta a illustrare il progetto europeo sugli organoidi (strutture derivate da cellule staminali di mucosa rettale o nasali del malato, utili per testare preventivamente l'efficacia a livello individuale di trattamenti del difetto di base), nella prospettiva di portare le nuove terapie a tutti i pazienti. A tale proposito, considerati i costi elevatissimi delle nuove terapie, sono state discusse le modalità con cui le Autorità che regolano la rimborsabilità dei farmaci possono arrivare a un com-

promesso sostenibile tra evidenze cliniche e impegno di risorse economiche. È stato presentato il modello inglese che ha applicato una valutazione costo-beneficio per decidere quali modulatori di CFTR possono essere rimborsabili dal sistema sanitario nazionale. Secondo il NICE (*The National Institute for Health and Care Excellence*), l'organo regolatorio inglese, un alto costo del farmaco può essere giustificato se produce in tutti i pazienti un sensibile beneficio mentre, se il beneficio è mediamente modesto, non è ragionevole la copertura da parte del sistema sanitario. Su questo, le disparità di comportamento fra i vari Stati rappresentano un notevole problema.

Laura Minicucci

Centro Regionale FC, Ospedale G. Gaslini, Genova



Kalydeco alla prova in Italia e Usa

Come trattare le mutazioni con funzione residua

Le mutazioni del gene CFTR, chiamate mutazioni con funzione residua (MFR), sono quelle che permettono la sintesi di una proteina CFTR che conserva un residuo di funzionamento del canale del cloro. Questo si traduce in una serie di caratteristiche cliniche e di laboratorio: i malati con una MFR nel genotipo presentano al test del sudore un cloro non molto elevato; hanno sintomi della malattia per lo più moderati a livello polmonare e a livello pancreatico, nella maggioranza dei casi con secrezione di enzimi conservata. Nei test di laboratorio la proteina prodotta dalle MFR si presenta in forma matura, posizionata sulla membrana della cellula dove, anche in assenza di terapia farmacologica, svolge in misura ridotta ma non assente la funzione di trasporto del cloro. Sulle MFR è puntato notevole interesse: negli Usa per 28 mutazioni di questo tipo la FDA ha approvato l'uso del potenziatore Kalydeco (Ivacaftor). E l'ha fatto non in seguito alla sperimentazione del farmaco in uno specifico trial, ma sulla scorta dei risultati ottenuti in laboratorio su modelli cellulari, che dimostravano una buona azione di potenziamento di CFTR a funzione residua da parte di

ivacaftor. In Italia questo allargamento dell'indicazione di Kalydeco al trattamento delle MFR non è per ora previsto da AIFA. Allo stesso modo, non è prevista la terapia basata sulla combinazione ivacaftor+tezacaftor (Symdeco in Usa e Symkevi in Europa) per chi ha una mutazione residua assieme a F508del.

Due ricerche collaborative portate al recente congresso di Belgrado, svolte da clinici di centri FC italiani, offrono informazioni interessanti sui soggetti con almeno una MFR nel genotipo. In una ricerca viene evidenziata la particolare frequenza in Italia delle MFR: utilizzando i dati del Registro malattia, sono stati identificati portatori di una MFR (assieme a una seconda mutazione CFTR) ben 806 pazienti su un totale di 5.204 presenti nel Registro (15%). E lo studio delle caratteristiche cliniche conferma il carattere prevalentemente meno grave delle MFR. L'altra ricerca, per contro, descrive un piccolo gruppo di pazienti (9 donne adulte) in cui, nonostante la presenza di una MFR, il quadro polmonare ha avuto evoluzione sfavorevole, per cui i medici hanno deciso di somministrare il potenziatore Kalydeco ottenuto con la modalità d'uso compassionevole. In sei mesi di trattamento, nonostante la pneumopatia severa, il quadro generale è nettamente migliorato.

Graziella Borgo

Dal 22 al 24 novembre a Verona

Le nuove sfide della Convention dei ricercatori FFC

UN MOMENTO DELLA CONVENTION DEI RICERCATORI FFC 2017

La XVI^a Convention dei Ricercatori FFC si terrà dal 22 al 24 novembre presso il Centro Congressi della Camera di Commercio di Verona. È aperta a tutto il mondo scientifico e medico italiano. Saranno presentati e discussi i risultati di 28 progetti di ricerca conclusi nel 2018; saranno illustrate le linee generali di nove studi in via di svolgimento e di 30 di nuova selezione. Il 40% dei progetti conclusi riguarda la ricerca di nuove terapie del difetto di base. I ricercatori hanno indagato in particolare i meccanismi intracellulari responsabili del salvataggio della proteina CFTR-F508del e la possibilità di influenzarli attraverso

approcci terapeutici innovativi. Questo è il tema del momento, dato che anche la ricerca internazionale si muove verso un farmaco basato sull'associazione di più molecole con diverso meccanismo d'azione, in particolare di almeno un paio di correttori combinati con il potenziatore. Queste associazioni potrebbero essere efficaci nei confronti di mutazioni CFTR di vario tipo e quindi di un numero sempre più vasto di malati. Nello sviluppo di queste associazioni si inserisce in modo promettente la famiglia di nuovi correttori individuati dal progetto strategico FFC *Task Force*.

Europa e Usa a confronto

Costo dei nuovi farmaci FC: gli Stati Uniti lanciano l'allarme

Negli Stati Uniti, quando un nuovo medicinale è approvato da FDA (*Food and Drug Administration*), il produttore ne fissa il costo. Ma come si può stabilire se il medicinale vale quel prezzo? Occorre un criterio indipendente di giudizio e a questo serve ICER (*Institute for Clinical and Economic Review*) con sede a Boston. È una struttura che si propone di rispondere a quattro domande chiave sul farmaco: quanto è efficace in termini scientifici, quanto è migliore di ciò che è già disponibile sul mercato, quanto beneficio può portare e quanto costerebbe darlo a tutti coloro che ne hanno bisogno. ICER si rivolge a pazienti, medici, produttori e altri soggetti interessati, in modo che tutti possano dire la propria opinione. Sulla base delle informazioni raccolte, viene stilato un rapporto utile nella negoziazione finale del prezzo del farmaco. Molto ha fatto discutere recentemente il rapporto *ICER Modulator Treatments for Cystic Fibrosis: Effectiveness and Value, Final Evidence Report and Meeting Summary*, pubblicato a Giugno 2018 e riguardante i farmaci modulatori di CFTR, sia quelli in associazione come Symdeko (tezacaftor /ivacaftor) e Orkambi (lumacaftor / ivacaftor), sia in monoterapia come Kalydeco (ivacaftor).

Per la prima volta si è levata negli USA una voce critica: secondo il rapporto ICER questi farmaci offrono tutti, seppure in varia misura, vantaggi considerevoli. Tuttavia i loro prezzi non sono trasparenti, non sono coerenti con la reale efficacia clinica e "superano le soglie di costo-efficacia" comunemente utilizzate.

L'analisi conclusiva suggerisce riduzioni fino al 77% per allineare i prezzi dei tre farmaci al loro valore clinico. Come vanno le cose in Europa su questo tema? In maniera molto variegata. Per esempio in Francia, sono da poco ripresi i negoziati tra l'azienda Vertex e le autorità francesi. Ricorrendo a un fondo economico speciale, in un primo periodo la Francia aveva erogato attraverso il servizio sanitario nazionale i modulatori Vertex ma, esaurito il fondo, aveva dovuto confrontarsi con il budget sanitario complessivo e i prezzi erano risultati insostenibili. A metà febbraio era stato dato l'annuncio dell'annullamento delle sperimentazioni cliniche di fase 3 con nuovi modulatori Vertex pianificate nel paese. In seguito, l'associazione *Vaincre la Mucoviscidose*, l'associazione Grégory Lemarchal e la Società Francese di fibrosi cistica si sono adoperate per farli riprendere e per riaprire il tavolo delle trattative sui prezzi. In Irlanda, dopo due anni di strenue discussioni, in parlamento è passato l'accordo per la fornitura attraverso il servizio sanitario di tutti i nuovi modulatori immessi sul mercato. Non è così nel vicino Regno Unito dove sono in corso trattative basate sulla valutazione costi-benefici. In Italia, come in alcuni altri paesi UE, Kalydeco e Orkambi, dopo lunga trattativa, sono erogati a carico del Servizio Sanitario. Purtroppo, nei paesi dell'Est Europa i nuovi farmaci sono assolutamente sconosciuti e non ci sono stati accordi di alcun genere con gli enti regolatori.

FM

Conoscere CFTR per simularne la cura

Oscar Moran ha studiato Biologia e Biofisica a Lima, in Perù e ha conseguito il dottorato di ricerca in Fisiologia e Biofisica presso il Centro de Estudios Avanzados, IVIC, a Caracas in Venezuela. Lo trovo con il suo cane Moka, dagli occhi vispi e attenti, nello studio del CNR di Genova dove lavora come ricercatore dal '92. Studia la struttura della CFTR (*Cystic Fibrosis Transmembrane Regulator*) sia con esperimenti di laboratorio, sia attraverso la "dinamica molecolare" al computer.



Come ha iniziato a occuparsi della proteina CFTR e della sua conformazione?

«Ho iniziato perché mia moglie (brillante ricercatrice prematuramente scomparsa, ndr) lavorava sull'argomento. Io allora ero affascinato dalla possibilità di immaginare, al computer, come fosse fatta la proteina CFTR, prevedendone la struttura. Per cominciare, mi convinsi di realizzare il modello di un pezzo della CFTR, per vedere dove si andavano a legare i nuovi farmaci appena scoperti, i potenziatori. L'ipotesi era che si legassero a una zona della proteina denominata NBD1 (*Nucleotide Binding Domain*). Eravamo tra il 2002 e il 2003. Non c'era nessuna struttura nota della CFTR e tutto era da inventare».

Lei è stato infatti uno dei primi ad analizzare come i potenziatori (Progetti FFC 2/2003, FFC 4/2006, FFC 2/2008) e poi i correttori (FFC 4/2014, FFC 8/2016) interagiscono e modificano la struttura della CFTR.

Ci racconti tutta la storia.

«Abbiamo iniziato costruendo un modello di una parte della CFTR, il dominio NBD1 appunto, cercando di studiare dove potesse avvenire l'attracco, il *docking* del potenziatore. Abbiamo analizzato le energie di legame, correlato esperimenti e simulazioni. Tutto coincideva, per cui le analisi fatte con metodo informatico al computer si rivelavano affidabili. È stato allora che ho iniziato a fare sul serio, preparando in laboratorio i pezzi della proteina (domini) che mi interessavano e studiandoli con una tecnica sperimentale chiamata *scattering* a raggi X (SAXS). Dalle informazioni che SAXS mi avrebbe dato analizzando direttamente atomi ed elettroni, avrei potuto conoscere sperimentalmente la struttura dei domini della CFTR e poi, attraverso il computer, fare le simulazioni con i possibili potenziatori o correttori. Per fare gli esperimenti di SAXS si utilizza la luce emessa da un sincrotrone. I sincrotroni (acceleratori di particelle) sono macchine tecnologicamente molto complesse; quelli usati per emettere luce e studiare la materia hanno strutture circolari con un diametro dell'ordine delle centinaia di metri, non si trovano ovunque: noi siamo andati per lo più al Sincrotrone di Barcellona, ma anche ad Amburgo e a Grenoble».

Dove siamo ora?

«CFTR è una molecola molto grande ed eterogenea. Pezzo per pezzo abbiamo individuato, attraverso la SAXS, la struttura dell'intera proteina (FFC 4/2012, FFC 7/2010). Siamo arrivati a conoscere quale effetto esercitano i farmaci potenziatori di CFTR, su quali parti della proteina intervengono. Tra l'altro abbiamo capito che non toccano una parte della CFTR chiamata dominio regolatore, che risulta quindi farmacologicamente irrilevante. Siamo arrivati anche a capire le differenze strutturali fra CFTR normale e CFTR mutata. Questo è molto importante per la ricerca di nuovi modulatori».

Che prospettive per il futuro?

«I nostri studi ci dicono che è opportuno continuare a cercare correttori migliori di quelli attualmente in commercio. Alcuni di questi non ripristinano la struttura normale della proteina, pur recuperandone parzialmente la funzione. È qualcosa su cui riflettere a fondo. (Mentre lo dice mi mostra l'immagine della struttura di CFTR, sul PC, che rapidamente oscilla tra le sue diverse conformazioni. ndr). Sulla base di modelli informatici costruiti in base alle conoscenze della struttura, molti ricercatori, compresi quelli delle industrie farmaceutiche, sono andati a studiare i punti di attacco di possibili farmaci. Questo perché abbiamo individuato un percorso che, a partire da informazioni sperimentali su come funzionano le molecole, permette di sapere che tipo di molecole dobbiamo cercare di sviluppare. Il computer permette di risparmiare tempo, purché siano disponibili dati sperimentali solidi. Tenendo questo in mente, chi dice che tra cinque anni la maggioranza dei malati avrà una soluzione per la sua mutazione di CFTR e tra dieci anni tutti avranno la molecola adatta, per me non è lontano dal vero».

Flaminia Malvezzi

30 nuove strade per fermare la fibrosi cistica



Nella seduta del 29 e 30 giugno scorso, il Comitato di Consulenza Scientifica FFC ha selezionato i progetti di ricerca per l'anno 2018. Sono 30 quelli prescelti dopo un lungo iter che ha valutato complessivamente 78 proposte pervenute al 15 febbraio 2018 a seguito del bando FFC del 15 dicembre 2017: un esito selettivo molto dibattuto, che ha premiato il 38% delle proposte, con un investimento complessivo di 1.710.000 euro.

Dei 30 progetti, 13 affrontano l'area delle terapie del difetto di base CFTR, con approcci notevolmente innovativi; 12 sono dedicati a infezione e infiammazione polmonare in FC, con proposte importanti di nuovi interventi terapeutici; 5 progetti sono di ricerca clinica e riguardano problemi diagnostici, dallo *screening* neonatale alla precoce identificazione di complicanze broncopolmonari e al monitoraggio del trapianto polmonare.

Nuove strade per correggere i difetti molecolari alla base della malattia

La parte predominante dei progetti si concentra su aspetti ancora oscuri della maturazione e del funzionamento della proteina canale CFTR e delle sue anomalie causate da mutazioni del gene CFTR. Questi progetti puntano ad identificare nuovi bersagli molecolari e nuove molecole atte a correggere il difetto di base, contribuendo alla strategia di ricerca internazionale rivolta a trovare soluzioni terapeutiche per la massima parte delle persone con FC, anche verso soluzioni indipendenti dal tipo di mutazioni in causa. Di rilievo alcuni progetti finalizzati a perfezionare sistemi per personalizzare le cure del difetto di base mediante struttu-

re epiteliali (organoidi) prodotte a partire da cellule staminali del soggetto candidato al trattamento, la cui efficacia possa essere preventivamente valutata, anche in caso di mutazioni CFTR di cui poco si conosca.

Infezione e infiammazione polmonare: una sfida continua che richiede soluzioni alternative

La malattia polmonare, determinata da infezione e infiammazione cronica, rimane ancora centrale nel destino di salute delle persone con FC. Un ben selezionato nucleo di progetti punta a contrastare l'infezione batterica con strategie che integrino l'azione degli antibiotici, limitata dalla crescente resistenza ad essi di buona parte dei batteri in causa. Si tratta di interferire sulla loro virulenza e capacità di proteggersi dalle difese organiche e dai farmaci con la formazione del cosiddetto biofilm. In tale direzione si cerca di trovare soluzioni ricorrendo a farmaci già in uso per altri scopi (il cosiddetto riposizionamento). Anche nuove soluzioni per ostacolare l'infiammazione polmonare progressiva vengono ricercate tra farmaci già sperimentati in altre patologie. Si propone ancora una nuova modalità per valutare precocemente e monitorare lo stato di tale infiammazione. Vie alternative per contrastare l'infezione riguardano il potenziamento di alcuni meccanismi di difesa (immunomodulazione). Oggetto particolare di alcuni progetti è il trattamento delle infezioni da Micobatteri non tubercolari (*M. abscessus* in particolare), agenti infettivi emergenti e di ancor difficile approccio terapeutico in FC.

Dalla nascita al trapianto: come gestire le numerose diagnosi inconclusive dello screening neonatale e come monitorare il decorso post-trapianto polmonare

A livello più direttamente clinico merita segnalare due progetti dedicati al trapianto polmonare: il monitoraggio dei polmoni trapiantati con una nuova applicazione di risonanza magnetica (RMN) per evitare l'eccesso di radiazioni della più usata TAC; l'identificazione di marcatori precoci del rigetto polmonare. Un contributo importante si profila da un progetto che affronta su base epidemiologica il rilevante problema delle numerose diagnosi inconclusive derivate dallo screening neonatale FC.

Gianni Mastella

I 30 PROGETTI SONO PROPOSTI A VECCHI E NUOVI SOSTENITORI PER UN'ADOZIONE CHE CONDIVIDA CON FFC IL SIGNIFICATO, IL PERCORSO E IL SUPPORTO ECONOMICO. APPROFONDIMENTI SU fibrosicisticaricerca.it

Terapie del difetto di base

FFC#1/2018

Nuovi bersagli per il trattamento della FC dall'analisi approfondita del proteoma F508del-CFTR
Proteomic profiling of F508del-CFTR cells to identify new pharmacological targets for CF

Nuovi bersagli molecolari per migliorare il recupero di CFTR-F508del rispetto a quello ottenuto dai primi farmaci correttori.



Responsabile Andrea Armirotti (*Analytical Chemistry Facility, Fondazione Istituto Italiano di Tecnologia, Genova*)

Ricercatori coinvolti 4

Durata 1 anno – progetto pilota

Finanziamento € 44.000

Obiettivi La ricerca, negli ultimi anni, ha individuato molecole capaci di recuperare per buona parte dei malati FC la funzione della proteina CFTR geneticamente mutata, responsabile delle manifestazioni cliniche della malattia. Ma non tutti i malati rispondono efficacemente alle terapie già proposte.

Il progetto si pone l'obiettivo di individuare vie alternative per correggere più efficacemente la proteina CFTR legata alla mutazione F508del. Per questo, intende analizzare, con procedure sofisticate, l'insieme delle proteine (proteoma: 5-7 mila proteine) di cellule bronchiali umane con mutazione F508del, al fine di individuare quelle che giocano ruoli chiave nella maturazione della proteina CFTR e che potrebbero costituire dei nuovi e più appropriati bersagli farmacologici per recuperare CFTR. Su tali bersagli si cimenteranno inizialmente i farmaci già noti, per aprire poi alla possibilità di farmaci alternativi più adatti ai nuovi bersagli. Il risultato atteso da questo studio è una lista di nuovi candidati bersagli per la terapia della FC.

FFC#2/2018

Stabilizzazione della F508del-CFTR sulla membrana mediante ganglioside GM1
Development of ganglioside GM1-based therapy to improve F508delCFTR rescue approaches

Il ganglioside GM1, già in uso come farmaco per altre patologie, può rendere più efficace l'azione di correttori e potenziatori stabilizzando in membrana plasmatica la CFTR-F508del recuperata.



Responsabile Massimo Aureli (Dip. Biotecnologie mediche e Medicina translazionale, Università di Milano)

Partner Anna Tamanini (Lab. Patol. Molecolare, UOC Lab. Analisi, Dip. Patologia e Diagnostica, AOUI Verona)

Ricercatori coinvolti 11

Durata 2 anni

Finanziamento € 78.000

Obiettivi La CFTR con mutazione F508del è una proteina che non matura, non è in grado di raggiungere la membrana plasmatica, presenta un difetto nel trasporto di cloruro ed è instabile in membrana.

Per correggere questi difetti è quindi necessario l'uso combinato di molecole in grado di indurre la normale maturazione della proteina (correttori), attivarne la funzione (potenziatori) e stabilizzarla. Questo progetto parte dall'ipotesi che le combinazioni di farmaci attualmente in uso per il recupero di CFTR-F508del hanno mediamente poca efficacia, perché non rispondono al bisogno di stabilità della proteina in membrana. Tale stabilità dipende molto dall'interazione che la proteina, una volta raggiunta la membrana, deve avere con importanti costituenti della membrana cellulare. Il progetto intende indagare la possibilità che il ganglioside GM1, componente importante della membrana cellulare, probabilmente deficitario nelle cellule epiteliali bronchiali FC, possa aumentare l'efficienza di correttori e potenziatori nel recupero funzionale della CFTR con mutazione F508del. Il progetto parte da dati preliminari che mostrano come la combinazione di GM1 con Lumacaftor e Ivacaftor (Orkambi) sia in grado di aumentare la funzione di CFTR-F508del in cellule epiteliali bronchiali FC. Si intende anche studiare come il GM1 modifichi le interazioni tra CFTR e altre proteine di membrana, per favorirne la stabilità e quindi la durata di azione. Il GM1 avrebbe il vantaggio di essere già in uso per altre patologie (neurodegenerative in particolare).

FFC#3/2018

Analisi del meccanismo d'azione dei correttori della proteina CFTR
Dissecting the rescue mechanisms mediated by CFTR correctors

Conoscenze ancora più approfondite dei meccanismi normali e alterati di maturazione della proteina CFTR al fine di progettare farmaci correttori più efficaci degli esistenti.



Responsabile Debora Baroni (Istituto di Biofisica, CNR, Genova)

Ricercatori coinvolti 5

Durata 2 anni

Finanziamento € 50.000

Obiettivi Il progetto di questi biofisici del CNR di Genova intende proseguire gli importanti studi già condotti con finanziamenti FFC e mirati a comprendere meglio i meccanismi di maturazione, ripiegamento e mobilità della proteina CFTR, quella normale e quella alterata a causa della mutazione F508del.

Alcuni correttori di CFTR mutata sono stati oggetto di studi clinici che hanno evidenziato alcuni benefici terapeutici, ma anche molte

limitazioni. Diventa quindi sempre più pressante la necessità di identificare nuovi e più efficaci correttori. Una migliore conoscenza del meccanismo d'azione dei quelli esistenti, così come la comprensione del difetto di base causato dalla mutazione F508del, consentiranno di compiere un notevole passo avanti nella cura della malattia. L'obiettivo principale del progetto è quello di identificare i domini (parti della proteina) e i sottodomini di CFTR mutata coinvolti nell'azione di recupero dei difetti di ripiegamento e maturazione mediata dai correttori, con l'intento di raggiungere informazioni che consentano la progettazione di correttori più efficaci.

FFC#4/2018

Verso l'identificazione di nuovi correttori basati su sistemi eterociclici azotati
Towards the discovery of new correctors based on nitrogen heterocyclic systems

Sviluppare nuovi correttori della proteina CFTR-F508del capaci di migliorare sinergicamente l'azione dei correttori noti di prima generazione.



Responsabile Paola Barraja (Università degli Studi di Palermo, Dip. di Scienze e Tecnologie Biologiche, Chimiche e Farmaceutiche - STEBICEF, Lab. Sintesi degli Eterocicli)

Partner Paolo Scuderi (Telethon Institute of Genetics and Medicine, TIGEM)

Ricercatori coinvolti 6

Durata 2 anni

Finanziamento € 82.000

Obiettivi Anche questo progetto si inserisce nel programma attivato da FFC e rivolto a identificare farmaci che contribuiscano a sviluppare più efficaci terapie del difetto di base FC. Ci sono evidenze

che il trattamento con un singolo correttore non sia sufficiente a ottenere un recupero del difetto F508del clinicamente rilevante. Una combinazione di correttori con meccanismi complementari è invece auspicabile per massimizzare il recupero della proteina mutata. A questo scopo intende cimentarsi questo progetto, che parte dallo studio di 200 composti precedentemente sintetizzati, da cui è emerso un composto *lead* (capostipite), successivamente migliorato, con la conferma del suo meccanismo d'azione e del recupero funzionale della proteina CFTR-F508del. Il progetto si propone di sintetizzare nuovi derivati che siano dotati di massima efficacia e affinità per la proteina CFTR mutata. Sono in causa nuove classi di composti tricyclici, che saranno testati su linee cellulari FC e cellule epiteliali FC primarie (bronchiali e/o nasali) per verificarne l'attività. Sono previsti anche saggi biochimici e di microscopia al fine di valutare l'effetto sulla maturazione e trasporto della proteina CFTR-F508del. Si prevede di generare una nuova classe di piccole molecole per la correzione del difetto di base FC, con particolare capacità di svolgere azione sinergica con i correttori di prima generazione già noti.

FFC#5/2018

Correzione di mutazioni stop del gene CFTR mediante modifica (*editing*) dell'RNA messaggero
Investigating CRISPR-CAS13b as a tool for the RNA editing of CFTR mRNA with premature stop codons

L'RNA editing trasforma il segnale genetico di stop in uno di senso, codificante per la sintesi completa della proteina CFTR.



Responsabile Aldo Di Leonardo (Università degli Studi di Palermo, Dip. di Scienze e Tecnologie Biologiche, Chimiche e Farmaceutiche - STEBICEF)

Ricercatori coinvolti 3

Durata 1 anno

Finanziamento € 21.000

Obiettivi Le malattie genetiche come la fibrosi cistica sono causate da alterazioni (mutazioni) nella sequenza di lettere (nucleotidi) che compongono il DNA (genoma) delle cellule. Il genoma contiene le informazioni (geni) la cui traduzione in elementi strutturali e funzionali (proteine) richiede un interme-

diario (RNA messaggero - mRNA); mRNA riflette la sequenza del DNA ed è composto di lettere (ribonucleotidi) che vengono lette a tre a tre (triplette codificanti) dai ribosomi (complessi cellulari con questa funzione). A ogni tripletta corrisponde il messaggio per l'inserimento nella proteina di uno specifico aminoacido (la proteina CFTR completa è composta da 1.480 aminoacidi). Le mutazioni non senso (stop) sono dovute alla sostituzione di un nucleotide in una tripletta del DNA: questa sostituzione comporta un'alterazione nella corrispondente tripletta del RNA messaggero, che diventa una tripletta che dà un segnale di arresto (stop) della sintesi della proteina. Per correggere queste mutazioni e ottenere invece la sintesi completa di CFTR, il progetto prevede l'utilizzo di un nuovo approccio di correzione (*editing*) dell'RNA messaggero (*REPAIR= RNA Editing for Programmable A to I Replacement*) sviluppato nel laboratorio del Dr. Feng Zhang (*Broad Institute, USA*). Il sistema REPAIR, tramite il complesso CRISPR-dCas13b/ADAR2, individua e modifica nell'RNA la singola lettera sbagliata, in questo caso l'Adenosina (A) della tripletta di stop UGA. La A viene modificata in Inosina, ribonucleotide riconosciuto come guanosina (G) dal ribosoma. Il segnale di stop UGA diventa così UGG, segnale che permette la prosecuzione della sintesi proteica. L'RNA *editing* è un nuovo e potenziale metodo per la correzione genetica delle mutazioni stop (o non senso) in FC. Inoltre, proprio perché agisce sull'RNA e non sul DNA, riduce i possibili rischi di modifiche permanenti nel genoma.

FFC#6/2018

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

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

Comprendere il ruolo della proteina CFTR mutata nella pancreatite cronica idiopatica per possibili nuovi trattamenti



Responsabile Luca Frulloni (Università degli Studi di Verona, Dip. Medicina, Unità di Gastroenterologia)
Partner Vincenzina Lucidi (Ospedale Bambino Gesù, Roma); Hugo de Jonge (Dept. of Gastroenterology & Hepatology, Erasmus University Medical Center)
Ricercatori coinvolti 12
Durata 2 anni
Finanziamento 81.000 euro

Obiettivi Il progetto parte dalla considerazione che buona parte dei malati di pancreatite cronica idiopatica ha almeno una mutazione CFTR e si propone di analizzare il ruolo della proteina CFTR nel determinismo della malattia, con particolare riferimento al trasporto di bicarbonato. Lo studio si varrà di test clinici, impiegati nelle diagnosi di FC atipica, per valutare la funzione CFTR, come il test dei potenziali nasali, la corrente di corto circuito intestinale, il test del flusso sudorale (*bubble test*). Ma soprattutto ci si varrà degli organoidi intestinali, microscopiche strutture prodotte a partire da cellule staminali di epitelio ricavato da biopsia rettale. Il rigonfiamento degli organoidi in risposta a stimoli del canale CFTR darà la misura di quanto CFTR mutata sia implicata nella genesi della pancreatite. Particolare attenzione verrà dedicata alla misura del flusso di bicarbonato, notoriamente compromesso nei difetti CFTR. Altre tecniche, come la riflettometria confocale e la tecnica FIS, completeranno lo studio sugli organoidi. La finalità ultima del progetto è quella di sviluppare possibili nuovi trattamenti della pancreatite cronica idiopatica.

FFC#7/2018

Caratterizzazione della rete dei fattori di trascrizione microRNA in fibrosi cistica: dalla "terapia microRNA" alla medicina di precisione (CF-miRNA-THER). *Revealing the microRNAs-transcription factors network in cystic fibrosis: from microRNA therapeutics to precision medicine (CF-miRNA-THER)*

Nuova prospettiva terapeutica: interferire con i microRNA che controllano i processi di sintesi della proteina CFTR per aumentarne espressione e stabilità.



Responsabile Roberto Gambari (Università degli Studi di Ferrara, Dip. di Scienze della Vita e Biotecnologia, Sez. Biochimica e Biologia molecolare)
Partner Roberto Corradini (Università degli Studi di Parma, Dip. di Chimica, Scienze della Vita e Sostenibilità ambientale)
Ricercatori coinvolti 12
Durata 2 anni
Finanziamento € 76.000

Obiettivi Il progetto si inserisce nel filone di ricerca mirato ad assistere e potenziare l'efficacia dei trattamenti con modulatori di CFTR, che ancora presentano dei limiti di azione. Qui entrano in causa i microRNA (miRNA), che sono piccole molecole di RNA (acido ribonucleico) attive nel citoplasma cellulare e capaci di influenzare l'espressione e la stabilità in membrana della proteina CFTR, interferendo nei processi cosiddetti di trascrizione. La trascrizione consiste nel trasferimento del codice genetico dal DNA al RNA messaggero (mRNA) per la sintesi della proteina CFTR e di altre proteine che collaborano alla sua maturazione e stabilità. Tale influenza si esercita in genere limitando la trascrizione e quindi l'espressione finale della proteina. Lo studio è finalizzato all'identificazione di particolari microRNA (e relativi mRNA bersaglio) con l'obiettivo di modificare l'espressione genica di cellule da pazienti FC e, in particolare, di aumentare stabilità ed espressione della proteina CFTR. Verrà anche testato il contributo di efficacia terapeutica che la modulazione di miRNA critici, a opera di alcuni acidi peptidonucleici (PNA), può avere in combinazione con i modulatori di CFTR attualmente in uso.

FFC#8/2018

Caratterizzazione dettagliata dei meccanismi molecolari di regolazione del CFTR da parte di PI3Ky
In depth-characterization of the molecular mechanisms underlying PI3Ky-mediated regulation of CFTR

Un peptide derivato dall'enzima PI3Ky, forte potenziatore di CFTR, aiuta a conoscere meglio i meccanismi normali e alterati della funzione CFTR, per disegnare più razionali terapie del difetto FC.



Responsabile Emilio Hirsch (Università degli Studi di Torino, Dip. Biotecnologia molecolare e Scienze per la Salute, Centro di Biotecnologia Molecolare)
Ricercatori coinvolti 7
Durata 2 anni
Finanziamento € 98.000

Obiettivi Il progetto si propone di approfondire i meccanismi che regolano sulla membrana cellulare la funzione della proteina CFTR, ritenendo che la limitata efficacia dei modulatori CFTR oggi disponibili sia dovuta al fatto che essi sono il risultato di un vasto screening di molecole e non il prodotto basato sulla conoscenza dei meccanismi normali e alterati della funzione CFTR. Il progetto intende approfondire l'azione di un peptide messo a punto dal gruppo di ricerca, permeabile alle cellule e derivato dall'enzima PI3Ky, che funziona come attivatore del CFTR, significativamente più efficace dei potenziatori del CFTR attualmente disponibili. Il peptide non solo apre il canale CFTR ma, allo stesso tempo, ne conserva la collocazione sulla membrana plasmatica, dove esercita la sua funzione. Il progetto intende esplorare l'attività di PI3Ky a vari livelli: la maturazione di CFTR, la sua stabilizzazione in membrana, l'apertura del canale e la catena di eventi molecolari che la regolano, l'interazione con altre proteine di membrana e l'ipotizzata azione su altri canali del cloro diversi da CFTR. Tutto questo dovrebbe aiutare a capire il complesso funzionamento della macchina molecolare dedicata a regolare i flussi di acqua e sali a livello degli epitelii, seriamente compromessi in FC, con l'intento di aprire la strada a più razionali

terapie del difetto di base.

FFC#10/2018

Capire il meccanismo d'azione dell'inibitore della TG2, cisteamina, sulla fibrosi cistica
Dissecting the mechanism of action of the TG2 inhibitor cysteamine on Cystic Fibrosis

Cisteamina, farmaco già in uso per altra patologia, potrebbe avere effetto antibatterico nel polmone FC. Studio del meccanismo d'azione in modelli animali.



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

Partner Luigi Maiuri (Istituto Europeo Ricerca Fibrosi Cistica - IERFC c/o Istituto San Raffaele, Milano); Giovanni Delogu (Università Cattolica del Sacro Cuore, Fondazione Policlinico Gemelli, Istituto di Microbiologia, Roma)

Ricercatori coinvolti 16

Durata 1 anno

Finanziamento € 40.000

Obiettivi La transglutaminasi 2 (TG2) è una proteina che si ritiene svolga un ruolo cruciale nella patogenesi della fibrosi cistica (FC). È un enzima multifunzionale coinvolto in una varietà di processi cellulari, tra cui la regolazione della proteostasi, il processo che assicura giusto equilibrio e stabilità delle proteine all'interno delle cellule (biogenesi, maturazione, traffico e degradazione). TG2 è attivata in modo disregolato nelle vie aeree dei pazienti FC ed è causa di infiammazione cronica, costituendo quindi un fattore dannoso invece che benefico nella patogenesi della malattia. Diversi inibitori di TG2 possono migliorare il quadro della malattia: tra questi la cisteamina, una molecola con capacità di controllare l'iperattivazione di TG2 anche migliorando la funzione di CFTR mutata. La cisteamina potrebbe migliorare la rimozione di *Pseudomonas aeruginosa* e di micobatteri patogeni. Lo scopo di questo progetto è quello di chiarire i meccanismi molecolari con cui cisteamina modula la suscettibilità alle infezioni delle vie aeree in FC. Verrà valutata l'attività di cisteamina contro l'infezione batterica in topi infettati con *M. abscessus* e *P. aeruginosa* e su cellule ematiche di pazienti FC. I risultati del progetto definiranno la base molecolare che può supportare l'uso di cisteamina non solo come possibile correttore di CFTR ma anche come terapia contro le infezioni batteriche in FC.

FFC#11/2018

Riposizionamento del farmaco, studi computazionali, risonanza plasmonica di superficie e saggi biologici con culture cellulari: un approccio multidisciplinare per l'identificazione di nuovi farmaci ad azione correttiva su CFTR
Rescuing defective CFTR applying a drug repositioning strategy based on computational studies, surface plasmon resonance and cell-based assays

Riposizionamento di farmaci e prodotti naturali già in uso in altre terapie, per il recupero della funzionalità di CFTR-F508del, con costi e tempi ridotti.



Responsabile Marco Rusnati (Università degli Studi di Brescia, Dip. Medicina Molecolare e Traslazionale, Sez. Oncologia e Immunologia)

Partner Paola Fossa (Università degli Studi di Genova, Dip. di Farmacia); Alessandro Orro (Istituto di Tecnologie biomediche, CNR, Milano)

Ricercatori coinvolti 11

Durata 1 anno - progetto pilota

Finanziamento € 39.000

Obiettivi Ancora un progetto che ricerca vie alternative per superare i limiti dei modulatori CFTR attualmente in uso o in studio. Si propone di valutare una larga serie di farmaci e prodotti naturali già in uso per altre terapie, con l'intento di individuare quelli che potrebbero avere significativo effetto nel recupero della proteina CFTR-F508del. Il riposizionamento di farmaci noti, con il vantaggio di non dover percorrere la lunga e costosa strada dell'invenzione di nuovi, ha già permesso la scoperta di nuovi farmaci per diverse malattie e così può essere per la FC. Lo studio si avvarrà di un duplice approccio tecnologico: bioinformatico e di risonanza plasmonica di superficie (SPR, analisi delle interazioni fra molecole in tempo reale). Questo consentirà anche di caratterizzare il meccanismo d'azione di piccole molecole terapeutiche per FC. Si procederà con l'utilizzo di appropriati modelli cellulari di FC (tra cui colture primarie da bronchi FC), per validare la potenzialità terapeutica dei farmaci selezionati in prima istanza come attivi nel recupero di CFTR. I farmaci riposizionabili per FC verranno presi in considerazione da un consulente clinico per la comparazione con i farmaci già esistenti per la fibrosi cistica.

FFC#12/2018

Generazione di colture di cellule staminali delle vie aeree condizionalmente riprogrammate dall'epitelio nasale di pazienti con fibrosi cistica: valutazione della risposta a farmaci modulatori del CFTR e correlazione con il profilo genetico (*therotyping*) e ripristino della funzione del CFTR mediante approcci di modificazione genica
Establishment of Conditionally Reprogrammed Airway Epithelial Stem Cell cultures from nasal epithelia of Cystic Fibrosis patients: exploring response to CFTR-modulating drugs for correlation with genetic profile (therotyping) and restoring CFTR function through gene editing approaches

Sviluppo di nuovi modelli cellulari derivati da epitelio nasale per saggiare l'efficacia delle terapie del difetto di base FC anche nei confronti di mutazioni CFTR rare.



Responsabile Adriana Eramo (Dip. Oncologia e Medicina Molecolare, Istituto Superiore di Sanità)
Partner Marco Lucarelli (Dip. Biotecnologie Cellulari e Ematologia, La Sapienza, Policlinico Umberto I Roma, Istituto Italiano Pasteur - Cenci Bolognetti Foundation, Roma)
Ricercatori coinvolti 16
Durata 2 anni
Finanziamento € 71.000

Obiettivi Le mutazioni più frequenti del gene CFTR, pur essendo molto studiate, necessitano di ulteriori ricerche al fine di trovare farmaci migliori per correggerle; d'altra parte, un'ampia frazione di mutazioni rare rimangono addirittura inesplorate per quanto riguarda la risposta alle nuove terapie. È quindi importante tenere in considerazione anche le mutazioni orfane di ricerca e studiare approcci terapeutici che risultino efficaci riguardo al genotipo CFTR individuale (questa strategia è chiamata *theratyping*). A questo scopo è necessario disporre di modelli cellulari provenienti da singoli pazienti e testare su questi l'effetto delle terapie. In questo progetto, lavorando su epitelio nasale prelevato con tecnica di spazzolamento (*brushing*) da pazienti con varie mutazioni del gene CFTR (fra cui mutazioni rare), i ricercatori isoleranno ed espanderanno *in vitro* le cellule staminali dell'epitelio nasale, mediante una metodologia basata su condizioni di coltura riprogrammante (CRC). Dalle staminali si otterranno colture di cellule epiteliali e possibilmente organoidi epiteliali (organi in miniatura). Su questi verrà indagato il difetto di funzionamento della proteina CFTR. Infine verrà valutata, sia nelle colture cellulari sia negli organoidi, la risposta ai farmaci modulatori di CFTR attualmente in uso; inoltre saranno sperimentati alcuni approcci di terapia genica, fra cui quella basata sulla tecnica CRISPR/Cas9. Scopo finale del progetto è sviluppare un nuovo modello cellulare epiteliale e una nuova fonte di organoidi derivati da singoli pazienti, su cui riuscire a sperimentare individualmente i nuovi farmaci, prevedendone il livello di efficacia prima di avviare il trattamento.

FFC#13/2018

Analisi di organoidi intestinali per la predizione della risposta a potenziatori e correttori di CFTR utilizzati in clinica
Testing intestinal organoids for the prediction of response to CFTR potentiators and correctors used in clinic

Sviluppare un approccio farmacologico personalizzato in pazienti FC attraverso l'analisi di organoidi intestinali derivati da pazienti candidati a trattamento con Ivacaftor e Orkambi.



Responsabile Claudio Sorio (Università degli Studi di Verona, Dip. di Medicina)
Ricercatori coinvolti 4
Durata 2 anni
Finanziamento € 36.000

Obiettivi La previsione delle risposte individuali ai farmaci modulatori della proteina CFTR mutata è una sfida per la quale gli organoidi (piccoli organi in miniatura) rappresentano un nuovo strumento di ricerca. In presenza di una proteina CFTR funzionante, naturalmente o per effetto di un farmaco, l'organoide intestinale si rigonfia, mentre rimane piatto se CFTR non funziona. Questo gruppo di ricerca ha già messo a punto protocolli per lo sviluppo di organoidi intestinali derivati da staminali provenienti da mucosa rettale. Ora, organoidi di questo tipo, derivati da pazienti candidati a trattamento con Ivacaftor o Orkambi, verranno incubati con questi farmaci per valutare la capacità predittiva della risposta alla terapia prima che sia avviata negli stessi pazienti. L'approccio darebbe anche la possibilità di monitoraggio degli effetti biologici della stessa nel corso del trattamento. I risultati sugli organoidi nel corso del trattamento verranno messi in correlazione con l'andamento del test del sudore, della funzionalità respiratoria (FEV1) e altri dati clinici raccolti negli stessi pazienti. Ci si aspetta di osservare un'entità di rigonfiamento degli organoidi variabile da paziente a paziente e correlata con il risultato degli altri parametri di laboratorio e clinici. Lo scopo finale del progetto sarebbe quello di sviluppare un approccio farmacologico personalizzato in pazienti FC mediante la raccolta, l'espansione, la conservazione e l'analisi di organoidi intestinali umani.

Terapie dell'infezione broncopolmonare

FFC#14/2018

Studio *ex vivo* della risposta mediata dagli interferoni tipo I e III ed interazioni virus-batteri nei pazienti con fibrosi cistica: un nuovo approccio per lo sviluppo di strategie terapeutiche alternative
Ex vivo study on Type I and III interferon response and virus-bacteria interactions in fibrosis cystic patients: a new approach to try to develop alternative therapeutic strategy

Comprendere meglio le interazioni tra batteri e virus nelle infezioni respiratorie FC. Valutare se esiste un profilo di interferoni (IFN, proteine naturali) associato a maggior gravità del quadro clinico respiratorio batterico-virale.



Responsabile Guido Antonelli (Dip. Medicina Molecolare, Lab. Virologia, La Sapienza Roma; Unità di Microbiologia e Virologia, Policlinico Umberto I)
Ricercatori coinvolti 8
Durata 2 anni
Finanziamento € 70.000

Obiettivi È noto che esiste un collegamento tra le infezioni da virus respiratori, la colonizzazione da batteri quali *P. aeruginosa* e la progressione della fibrosi cistica. I ricercatori coinvolti in questo progetto ipotizzano che questa mutua dipendenza tra infezioni virali e batteriche sia correlata al profilo, su base genetica individuale, degli interferoni (IFN), una famiglia di proteine prodotte naturalmente in risposta a virus e batteri che esercita azione antimicrobica. Uno studio approfondito della risposta degli interferoni di tipo I e III potrebbe essere utile a chia-

rire la patogenesi della malattia polmonare FC e a guidare lo sviluppo di terapie più mirate. Il progetto si propone di esaminare una larga serie di campioni di materiale prelevato dalle vie aeree di pazienti FC (circa 1800 tra tamponi faringeo, aspirato orofaringeo, escreato, liquido bronco alveolare - BAL). Su questi campioni i ricercatori indagheranno la presenza contemporanea di batteri e virus e, nelle cellule degli stessi campioni, l'espressione dei geni degli interferoni. I dati raccolti dovrebbero essere messi in correlazione con il quadro clinico dei pazienti. Il progetto mira a individuare i pazienti maggiormente a rischio di sviluppare complicanze respiratorie gravi in base al profilo della risposta IFN e alle coinfezioni batteriche/virali. Inoltre, l'identificazione di geni della risposta dell'IFN potrebbe costituire un potenziale bersaglio per lo sviluppo di nuovi approcci terapeutici.

FFC#15/2018

Effetti non CFTR-dipendenti dei modulatori di CFTR in modelli preclinici di infezione polmonare
Off-target effects of CFTR-modulators in preclinical infection models

Definire se i farmaci modulatori della proteina CFTR abbiano anche un effetto antibatterico - da soli o in combinazione con trattamenti antibiotici standard - o un impatto sulle difese dell'ospite durante l'infezione polmonare cronica.



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

Ricercatori coinvolti 5

Durata 2 anni

Finanziamento € 98.000

Obiettivi L'obiettivo del progetto è studiare se i nuovi modulatori di CFTR, da soli o in combinazione con trattamenti antibiotici standard, esercitano anche un effetto antibatterico, indipendentemente dal loro effetto di correzione della CFTR. Una biobanca di ceppi di batteri patogeni comuni in fibrosi cistica verrà testata in vitro, per indagare se siano ceppi suscettibili ai modulatori della proteina CFTR (ivacaftor e lumacaftor), da soli o in combinazione con gli antibiotici più frequentemente usati in FC. Successivamente, i modulatori di CFTR saranno somministrati per via intraperitoneale e testati in modelli murini di infezione cronica polmonare da patogeni rilevanti in FC, per studiare la loro attività antibatterica e i potenziali effetti sulla risposta dell'ospite. L'impatto dei modulatori di CFTR, da soli o in combinazione con antibiotici, sarà valutato sullo stato generale di salute nel modello murino, sulla funzione polmonare, sull'incidenza e sulla gravità dell'infezione cronica, sulla risposta immunitaria e sul danno tissutale. Questa ricerca ha lo scopo di fornire modelli murini per testare gli effetti indipendenti dalla correzione del canale CFTR con i nuovi modulatori e generare raccomandazioni per il loro uso, con l'intento finale di trasferire in modo ottimale i risultati in ambito clinico.

FFC#16/2018

Studio preclinico *in vivo* di un approccio immunoterapico basato su liposomi bioattivi per il controllo dell'infezione causata da *Mycobacterium abscessus*
Preclinical evaluation of liposomes carrying bioactive lipids as an immune therapeutic tool against in vivo infection with Mycobacterium abscessus

Studio preclinico di un nuovo approccio terapeutico contro l'infezione da *Mycobacterium abscessus* basato su liposomi immunostimolanti.



Responsabile Daniela Maria Cirillo (Unità patogeni batterici emergenti, Div. di immunologia, trapianti e malattie infettive, Istituto San Raffaele Milano)

Ricercatori coinvolti 7

Durata 1 anno - progetto pilota

Finanziamento € 80.000

Obiettivi *M. abscessus* (MA) è un patogeno emergente multiresistente in fibrosi cistica (FC) e può essere responsabile di evoluzione peggiorativa del quadro polmonare. Recentemente sono stati sviluppati dei liposomi (piccole vescicole somministrabili per via aerosolica) contenenti lipidi bioattivi, che a livello preclinico hanno dimostrato capacità di aumentare la funzionalità dell'immunità innata contro le infezioni polmonari dovute a batteri multiresistenti. Con questo progetto saranno testati diversi protocolli di trattamento, con differenti formulazioni di liposomi, in modello murino di infezione cronica da MA, utilizzando ceppi di MA isolati da un paziente FC. Il liposoma più efficace sarà in seguito valutato in combinazione con un antibiotico (amikacina) in un modello murino di infezione cronica, in topi sia di tipo nativo (wt), ossia con CFTR normale, sia privi di CFTR funzionante. L'obiettivo del progetto è identificare una nuova strategia terapeutica basata su liposomi efficaci nel potenziamento della risposta immunitaria naturale contro l'infezione da MA. Dal momento che MA diventa cronico in FC, anche perché le cellule deputate alla risposta immunitaria (i macrofagi) non sanno eliminarlo, altro obiettivo del progetto è migliorare l'attività dei macrofagi con mutazione CFTR.

FFC#17/2018

Vecchi farmaci con una nuova attività antivirulenza contro *Pseudomonas aeruginosa*
Drug repurposing for antivirulence therapy against Pseudomonas aeruginosa

Valutare l'attività di quattro farmaci antivirulenza, già approvati per altri scopi, in una collezione di ceppi di *Pseudomonas aeruginosa* isolati da pazienti FC. Studi su modelli murini del farmaco più promettente.



Responsabile Livia Leoni (Università Roma Tre, Dip. Scienze, Lab. Microbiologie dei microrganismi)

Ricercatori coinvolti 6

Durata 1 anno – progetto pilota

Finanziamento € 31.000

Obiettivi Un approccio alternativo allo sviluppo di nuovi antibiotici è identificare composti che impediscano la virulenza del batterio, piuttosto che la sua crescita o la sua distruzione: sono i farmaci antivirulenza, che diminuiscono l'adattamento del patogeno all'ambiente ospitante, rendendo più semplice risolvere l'infezione. I ricercatori coinvolti nel progetto, esaminando una vasta serie di composti

già approvati da FDA (*Food and Drug Administration*) per altri scopi terapeutici, ne hanno selezionato quattro in grado di inibire la virulenza di *Pseudomonas aeruginosa* (P.a.). Tuttavia, ceppi di P.a. isolati da pazienti FC accumulano nel loro corredo genetico mutazioni che consentono loro di adattarsi e persistere nel polmone, nonostante le intense terapie antibiotiche. Questo implica che l'attività di un farmaco, attivo contro ceppi di P.a. coltivati in laboratorio, debba essere confermata contro una collezione di ceppi isolati direttamente dalle vie respiratorie di pazienti FC, prima di passare a studi clinici. Con questo progetto l'attività antivirulenza dei quattro farmaci sarà valutata *in vitro* in una collezione di 100 ceppi di *P. aeruginosa* isolati da pazienti FC, con infezione respiratoria intermittente o cronica. I due farmaci che risulteranno più promettenti saranno poi testati per la loro capacità di potenziare l'azione degli antibiotici correnti in FC, sia *in vitro* sia in modelli murini di infezione polmonare. L'obiettivo è identificare un farmaco antivirulenza che, essendo già in uso per altre patologie, sia più rapidamente trasferibile a studi clinici in fibrosi cistica.

FFC#18/2018

Efficacia *in vitro* e *in vivo* di un peptidomimetico antimicrobico e antibiofilm contro patogeni polmonari rilevanti nella fibrosi cistica

In vitro and in vivo efficacy of an antimicrobial and antibiofilm designed peptidomimetic against CF lung pathogens

Esplorare l'efficacia su *Staphylococcus aureus* e *Pseudomonas aeruginosa* del peptotide P13#1, un peptide avanzato dotato di attività antimicrobica.



Responsabile Eugenio Notomista (Università degli Studi di Napoli Federico II, Dip. di Biologia)

Partner Eliodoro Pizzo (Università degli Studi di Napoli "Federico II", Dip. di Biologia)

Ricercatori coinvolti 7

Durata 2 anni

Finanziamento € 70.000

Obiettivi I peptidi antimicrobici cationici (CAMP) sono corti frammenti di proteine che fanno parte del sistema immunitario innato; essi svolgono un ampio spettro di attività antimicrobica, ma il loro uso in terapia è limitato dal fatto di non essere somministrabili per via orale in quanto sensibili alla

degradazione tramite proteasi (enzimi presenti nel tratto digerente in grado di rompere i legami delle proteine). Una soluzione promettente è lo sviluppo di peptidomimetici antimicrobici, simili ai CAMP ma resistenti alle proteasi, chiamati peptoidi. Lo scopo principale di questo progetto è esplorare l'efficacia *in vitro* e *in vivo* del peptotide P13#1, una molecola progettata per essere proteasi-resistente e allo stesso tempo mantenere le caratteristiche dei CAMP naturali: attività antimicrobica, antibiofilm e antinfiammatoria. P13#1 ha già dimostrato di essere efficace *in vivo* contro un ceppo di riferimento di *Staphylococcus aureus* (Sa), ora sarà saggiato in un modello murino di infezione polmonare da Sa mediante somministrazione intratracheale. Allo stesso tempo verrà studiata l'efficacia di P13#1 *in vitro* contro altri ceppi di Sa e *Pseudomonas aeruginosa* da pazienti FC. In caso di risultati positivi verrà presa in considerazione la possibilità di brevettare P13#1, anche perché la nuova molecola dispone di una caratteristica particolare, la proteasi-resistenza, che potrebbe renderla vantaggiosa rispetto agli altri peptidi con effetto antimicrobico.

FFC#19/2018

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

New weapons against Mycobacterium abscessus and other nontuberculous mycobacteria

Allestimento e screening di una vasta serie di composti di nuova sintesi per identificare farmaci attivi contro *Mycobacterium abscessus* e altri micobatteri non tubercolari.



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

Ricercatori coinvolti 3

Durata 2 anni

Finanziamento € 58.000

Obiettivi I micobatteri chiamati non tubercolari (indicati con la sigla NTM) stanno emergendo come patogeni importanti nelle infezioni polmonari che colpiscono i pazienti FC. *Mycobacterium avium complex* e *Mycobacterium abscessus complex* sono le specie di NTM più comunemente identificate in FC. Si tratta

di patogeni comunemente presenti nell'ambiente, che si insediano nel polmone FC soprattutto in caso di malattia avanzata, e sono difficili da trattare; inoltre l'eradicazione non riuscita di *M. abscessus* è considerata presso molti centri una controindicazione al trapianto di polmone. Tutto questo rende necessari nuovi farmaci più attivi, in particolare proprio contro *M. abscessus*. Questo progetto verrà realizzato da un gruppo di ricerca italiano esperto di micobatteri della tubercolosi classica, in collaborazione con il *Bakh Institute of Biochemistry (Russian Academy of Science)* di Mosca, che ha già sintetizzato oltre 500 composti diretti al trattamento degli NMT e ne sta realizzando altri. Verrà eseguito uno screening dell'efficacia di questi composti, valutando la sensibilità di ceppi di *M. abscessus* provenienti da pazienti FC; inoltre sarà studiato il meccanismo di azione/resistenza dei composti selezionati. Lo scopo è creare un insieme di composti attivi, da testare *in vivo*, per identificare armi più efficaci contro infezioni da *M. abscessus* ed altri NTM.

FFC#20/2018

Nanoparticelle biocompatibili ed inalabili funzionalizzate con peptidi antimicrobici per contrastare la formazione di biofilm e l'antibiotico resistenza: verso una nuova potenziale terapia per le infezioni correlate alla FC

Biocompatible and inhalable antimicrobial-loaded nanoparticles for the counteraction of biofilm formation and antibiotic resistance: towards a potential new therapy for CF related infections

Sviluppo di un nuovo metodo di somministrazione di farmaci con l'uso di nanoparticelle (dimensioni di un miliardesimo di metro) che trasportano peptidi antimicrobici.



Responsabile Maurizio Sanguinetti (Divisione microbiologia clinica, Università Cattolica del Sacro Cuore, Roma)

Partner Alberto Vitali (Istituto di Chimica del Riconoscimento Molecolare CNR-ICRM); Michele Iafisco (Istituto di Scienza e Tecnologia dei materiali ceramici ISTECC - CNR, Faenza); Daniele Catalucci (Istituto di Genetica e Ricerca biomedica -IRGB, Milano)

Ricercatori coinvolti 15

Durata 2 anni

Finanziamento € 50.000

Obiettivi La ricerca di nuove formulazioni antibiotiche è un obiettivo primario in fibrosi cistica e questo progetto affronta il problema cercando di trovare un nuovo metodo di somministrazione del principio attivo, attraverso piccolissime nanoparticelle (aventi dimensioni lineari di circa un miliardesimo di metro e indicate con NPs). Le NPs di questo progetto sono costruite in modo da trasportare specificamente peptidi antimicrobici (AMPs) al polmone, per via inalatoria. Saranno NPs a base di calcio fosfato (CaP), inalabili e biodegradabili, e veicolano AMPs selezionati fra i composti presenti nella libreria del consorzio dei ricercatori del progetto. Le nanoparticelle CaP veicolanti AMPs saranno testate su ceppi batterici provenienti da pazienti FC e su linee cellulari, per evidenziarne effetti antibatterici e antinfiammatori nonché eventuale citotossicità. Le formulazioni più promettenti saranno sperimentate *in vivo* su modelli murini con infezione da batteri patogeni tipici in FC. L'obiettivo è mettere a punto un nuovo antimicrobico contro l'infezione polmonare FC veicolato attraverso un vettore innovativo, le nanoparticelle NPs-CaP.

Terapie dell'infiammazione polmonare

FFC#9/2018

Studio del potenziale terapeutico di una DNasi polmonare ad azione prolungata per il trattamento della fibrosi cistica
Therapeutic potential of a long-acting lung-specific DNase (DNase2b) for the treatment of CF

Analizzare e produrre un nuovo enzima, la DNasi2b, con azione mucolitica più efficace e protratta sul secreto bronchiale.



Responsabile Gianfranco Pasut (Università degli Studi di Padova, Dip. Scienze Farmaceutiche e Farmacologiche)

Partner Riccardo Percudani (Università degli Studi di Parma, Dip. Scienze Chimiche, della Vita, e della Sostenibilità ambientale)

Ricercatori coinvolti 9

Durata 2 anni

Finanziamento € 40.000

Obiettivi La somministrazione con aerosol di una proteina in grado di degradare le fibre di DNA nel

secreto bronchiale (DNasi) migliora la funzionalità polmonare dei pazienti affetti da fibrosi cistica. L'efficacia di questa terapia è tuttavia limitata dalla scarsa permanenza dell'enzima attivo nella sede bronchiale. Oltre alla DNasi utilizzata per aerosol in FC (DNasi I: prodotto commerciale Pulmozyme), il genoma umano codifica per altre DNasi, il cui potenziale terapeutico nel trattamento della FC è finora inesplorato. L'aggiunta di catene di polietilenglicole (PEG) alle DNasi migliora efficacia e durata del trattamento. Il progetto si propone di esplorare il potenziale terapeutico delle DNasi umane e in particolare di una forma espressa in modo specifico nel polmone. La prospettiva è lo sviluppo di un farmaco basato su una nuova DNasi (DNasi2b), modificata in modo da garantire una azione più efficace e duratura. La nuova DNasi verrà prodotta in forma purificata e caratterizzata per le sue proprietà, quindi sottoposta a un innovativo sistema di PEGilazione e saggiata in laboratorio per l'azione mucolitica su espettorato di pazienti FC. I risultati potrebbero fornire importanti informazioni sul ruolo funzionale delle DNasi polmonari e rendere disponibile un prodotto con migliorate proprietà farmacologiche per la cura dei sintomi polmonari in FC.

FFC#21/2018

Studio su Timosina alfa 1 nella fibrosi cistica
Thymosin alpha 1 in cystic fibrosis: from the lung to the gut

Studio degli effetti di Timosina alfa1 nell'intestino: modulazione dell'infiammazione e recupero del funzionamento di CFTR mutata. Prove sperimentali in cellule intestinali e pancreatiche e in modelli murini con fibrosi cistica.



Responsabile Marina Maria Bellet (Università degli Studi di Perugia, Dip. Medicina Sperimentale)

Ricercatori coinvolti 7

Durata 1 anno – progetto pilota

Finanziamento € 40.000

Obiettivi La Timosina alfa 1 è una sostanza naturale prodotta dalla ghiandola timica e nota già da molti anni. Si tratta di un peptide (frammento di proteina), che si può produrre anche per sintesi. La sua funzione è quella di regolare alcuni processi immunitari. Come immunomodulatore è da tempo usata nelle infezioni virali, nelle immunodeficienze, in alcuni tumori e nell'AIDS. I ricercatori di questo progetto intendono dimostrare che timosina in fibrosi cistica regola la risposta infiammatoria e da questo ne potrebbe derivare anche, attraverso complessi meccanismi molecolari, il miglioramento del funzionamento della proteina CFTR. Si dedicheranno in particolare allo studio degli effetti di timosina sul pancreas e sull'intestino: utilizzeranno cellule intestinali e pancreatiche e modelli murini con fibrosi cistica (topi omozigoti per mutazione F508del). Qui valuteranno entrambi gli aspetti: da un lato la capacità di timosina di attivare il processo dell'autofagia (meccanismo fisiologico della cellula per rimuovere materiale alterato come la proteina CFTR mutata), dall'altro il corrispondente recupero del funzionamento di CFTR (espresso come passaggio di corrente dovuto allo ione cloruro). Lo studio mira a fornire le basi per proporre la Timosina alfa1, già approvata per altre indicazioni, nel trattamento della fibrosi cistica.

FFC#22/2018

Efficacia in modelli preclinici di fibrosi cistica di una molecola già nota e riscoperta come inibitore di HMGB1
Preclinical testing in cystic fibrosis of a repurposed molecule targeting HMGB1

Una molecola che inibisce la proteina nucleare HMGB1 e già in uso per altri scopi terapeutici proposta come nuovo antinfiammatorio in fibrosi cistica.



Responsabile Marco Emilio Bianchi (Div. Genetica e Biologia Cellulare, Unità dinamica della cromatina, Ospedale San Raffaele, Milano)

Ricercatori coinvolti 3

Durata 1 anno

Finanziamento € 65.000

Obiettivi HMGB1 è una proteina, presente nel nucleo della cellula, che scatena l'infiammazione quando viene rilasciata. È presente in quantità elevata nell'espettorato di pazienti con fibrosi cistica, ed è stata segnalata come marcatore di andamento sfavorevole della funzionalità polmonare. Ricerche precedenti

hanno indicato come l'inibizione di HMGB1 con anticorpi monoclonali possa esercitare positivi effetti antinfiammatori e antifettivi in modelli preclinici di fibrosi cistica. Poiché la somministrazione di anticorpi monoclonali è costosa e poco pratica, i ricercatori di questo progetto hanno avviato un processo di scoperta di nuovi inibitori di HMGB1. Hanno identificato un composto, l'acido pamoico (chiamato nel progetto composto FC1), in grado di legarsi direttamente a HMGB1, di agire a concentrazioni estremamente basse e già in uso per altri scopi terapeutici. Sarà sperimentato in modelli di topi FC con infezione respiratoria acuta e cronica da *Pseudomonas aeruginosa*. Lo scopo specifico del progetto è dimostrare a livello preclinico che l'acido pamoico, inibitore della proteina HMGB1, è efficace nel ridurre l'infezione polmonare, l'infiammazione e il complessivo danno polmonare conseguente.

FFC#23/2018

Studio di trattamenti antinfiammatori per la patologia polmonare della fibrosi cistica, in modelli murini di infezione delle vie aeree

Evaluation of anti-inflammatory treatments for CF lung disease in murine models of lung infection in vivo

Nuove terapie contro l'infiammazione polmonare in fibrosi cistica: ulteriore avanzamento dei dati preclinici per i composti betasitosterolo e L-miglustat, farmaci già in uso per altre patologie.



Responsabile Maria Cristina Dechecchi (Dip. Patologia e Diagnostica, Lab. Patologia Molecolare, AOUI Verona)

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

Ricercatori coinvolti 12

Durata 1 anno - progetto pilota

Finanziamento € 50.000

Obiettivi L'infiammazione contribuisce in maniera rilevante alla progressione del danno polmonare in fibrosi cistica, di qui la necessità di identificare nuovi antinfiammatori efficaci e privi di effetti collaterali. In

precedenti progetti finanziati da FFC questo gruppo di ricerca ha indagato l'efficacia contro l'infiammazione polmonare di due composti, il betasitosterolo (BSS) e il miglustat, già in uso per altri scopi terapeutici. I ricercatori hanno mostrato che BSS esercita effetto antinfiammatorio in cellule bronchiali FC e che un derivato del miglustat, L-miglustat, è attivo in topi con infezione da *Pseudomonas aeruginosa*. Ora intendono compiere un avanzamento della loro ricerca sperimentando BSS, che è disponibile in commercio, anche su modelli murini, e inoltre sintetizzando e purificando la molecola dell'L-miglustat per l'uso sempre su questi modelli. L'effetto dei composti sarà studiato riguardo alla sicurezza, all'effetto antinfiammatorio e al potere antimicrobico e quello che risulterà più promettente sarà poi sperimentato in topi FC. L'obiettivo finale del progetto è fornire dati utili al riposizionamento di BSS e L-miglustat in fibrosi cistica per passare quindi alla progettazione di trial clinici.

FFC#24/2018

Uso e sviluppo di derivati indolici, quali attivatori del recettore AhR, per via inalatoria nella fibrosi cistica
Pharmacology and therapeutics of inhaled indoles, as aryl hydrocarbon receptor ligands, in cystic fibrosis

Derivati indolici (postbiotici naturali) formulati per via inalatoria contro infiammazione/infezione polmonare in fibrosi cistica.



Responsabile Luigina Romani (Università degli Studi di Perugia, Dip. Medicina Sperimentale)

Ricercatori coinvolti 7

Durata 2 anni

Finanziamento € 60.000

Obiettivi Questo progetto intende portare un contributo nuovo nel campo dell'infezione e infiammazione in fibrosi cistica (FC). I ricercatori propongono uno studio sulle proprietà antimicrobiche e antinfiammatorie di un derivato indolico chiamato indolo-3-aldeide (3-IAld). Gli indoli, composti che rientrano nella famiglia dei cosiddetti postbiotici, sono un prodotto del metabolismo esercitato dai microbi sugli alimenti ed è stata

riportata la loro attività antinfiammatoria e regolatrice dei processi immunitari. In particolare 3-IAld agisce attivando AhR, che è un recettore chiave nella modulazione della risposta infiammatoria. Nell'ambito dello studio sarà sviluppata una formulazione farmaceutica di 3-IAld da somministrare per via inalatoria e sarà condotta una serie di studi preclinici volti a saggiarne l'effetto in modelli sperimentali di FC (topi con mutazione F508del) nonché in cellule epiteliali derivate da pazienti con fibrosi cistica. L'obiettivo finale è stabilire se 3-IAld possa essere utilizzato in FC quale farmaco biologico capace di alleviare la sintomatologia infiammatoria e contrastare le infezioni.

FFC#25/2018

Veicolazione polmonare di siRNA nel trattamento dell'infiammazione polmonare in fibrosi cistica: potenziale terapeutico di nanoparticelle ibride a base di lipidi e polimeri. *Enabling pulmonary delivery of siRNA in cystic fibrosis lung inflammation: therapeutic potential of hybrid lipid/polymer nanoparticles*

Nanoparticelle per inalare siRNA, frammenti di RNA inibenti geni responsabili dell'infiammazione polmonare in fibrosi cistica.



Responsabile Francesca Ungaro (Università degli Studi di Napoli Federico II, Dip. Farmacia)

Partner Olivia Monica Merkel (Dept. Pharmazie, Ludwig-Maximilians Universität, München)

Ricercatori coinvolti 12

Durata 1 anno – estensione progetto pilota

Finanziamento € 35.000

Obiettivi La somministrazione per inalazione di corti frammenti di RNA (siRNA) in grado di inibire selettivamente l'espressione di singoli geni coinvolti nella patogenesi della malattia, rappresenta una nuova proposta terapeutica in fibrosi cistica. Per favorirne il trasferimento alla pratica clinica è importante sviluppare adeguate formulazioni di tali particelle. Questo progetto studia la possibilità di veicolare siRNA al polmone mediante nanoparticelle ibride a base di polimeri biodegradabili e fosfolipidi endogeni. In particolare sarà indagata questa strategia per il rilascio controllato di un siRNA in grado di inibire NF- κ B, un mediatore cruciale dell'infiammazione polmonare FC. Le nanoparticelle veicolanti siRNA NF- κ B saranno sperimentate nella loro capacità di superare il muco bronchiale FC; inoltre, su modelli cellulari e animali sarà studiata sicurezza ed efficacia del composto. L'obiettivo è un avanzamento nello sviluppo di nanoparticelle specifiche per l'inalazione di siRNA in FC. Questa strategia potrebbe essere applicata a bersagli terapeutici (altri geni importanti nella malattia polmonare FC) oggi non ancora raggiungibili.

importante sviluppare adeguate formulazioni di tali particelle. Questo progetto studia la possibilità di veicolare siRNA al polmone mediante nanoparticelle ibride a base di polimeri biodegradabili e fosfolipidi endogeni. In particolare sarà indagata questa strategia per il rilascio controllato di un siRNA in grado di inibire NF- κ B, un mediatore cruciale dell'infiammazione polmonare FC. Le nanoparticelle veicolanti siRNA NF- κ B saranno sperimentate nella loro capacità di superare il muco bronchiale FC; inoltre, su modelli cellulari e animali sarà studiata sicurezza ed efficacia del composto. L'obiettivo è un avanzamento nello sviluppo di nanoparticelle specifiche per l'inalazione di siRNA in FC. Questa strategia potrebbe essere applicata a bersagli terapeutici (altri geni importanti nella malattia polmonare FC) oggi non ancora raggiungibili.

Ricerca clinica ed epidemiologica

FFC#26/2018

Malattia polmonare da *Aspergillus* nei pazienti affetti da fibrosi cistica: studio multicentrico osservazionale prospettico basato sull'utilizzo di nuovi test diagnostici per valutare il ruolo prognostico sulla malattia polmonare dei pazienti con FC. *Aspergillus pulmonary disease in cystic fibrosis (CF) patients: multicentre perspective observational study based on new diagnostic tests to evaluate the prognostic value on the CF disease*

Conoscere e diagnosticare meglio le manifestazioni patologiche polmonari dovute al fungo *Aspergillus* in fibrosi cistica, per applicare terapie antifungine più mirate.



Responsabile Alessandro Bartoloni (Unità Infezione e Malattie Tropicali, Azienda Ospedaliero-Universitaria Careggi, Firenze)

Partner Claudio Viscoli (Div. Malattie Infettive, Università di Genova, Ospedale San Martino, Genova); Lisa Cariani (Lab. Analisi, Microbiologia FC, Fondazione IRCSS Ca' Granda Ospedale Maggiore Policlinico, Milano); Ersilia Vita Fiscarelli (Lab. Microbiologia FC, Ospedale Bambino Gesù, Roma)

Ricercatori coinvolti 23

Durata 2 anni

Finanziamento € 75.000

Obiettivi *Aspergillus* (la specie di questo genere più implicata in FC è *Aspergillus fumigatus*) è un fungo ubiquitario che solo in situazioni particolari risulta patogeno. Può essere isolato nell'escreato dei pazienti FC in assenza di sintomi associati, oppure accompagnato da manifestazioni respiratorie non distinguibili da quelle provocate da altri più comuni agenti patogeni. L'obiettivo di questo progetto è conoscere la prevalenza di *Aspergillus* nei bronchi FC e valutare la sensibilità diagnostica di una batteria di test volti a individuare i pazienti in cui *Aspergillus* assume ruolo patogeno. Il progetto è multicentrico (vi collaborano 4 fra i maggiori centri italiani FC: Firenze, Genova, Milano, Roma) e si propone di raccogliere prospetticamente, in due anni, una vasta casistica di pazienti adulti FC. Per ogni paziente verrà richiesto un campione di espettorato, sul quale verranno eseguiti esami microbiologici, biomolecolari (real-time-PCR per *Aspergillus*) e sierologici (livelli di galattomannano nel siero), nonché un esame ematico per la ricerca di anticorpi specifici per *Aspergillus*. In base al risultato di tali test, verrà stabilita la necessità di un trattamento antifungino e ne sarà valutata l'efficacia. Lo studio può fornire una guida utile ai clinici per prescrivere in maniera mirata la terapia antifungina.

FFC#27/2018

La risonanza magnetica multivolume come tecnica di *imaging* non ionizzante nella sorveglianza dei pazienti con fibrosi cistica sottoposti a trapianto di polmone. *Use of multivolume MRI instead of ionizing imaging techniques for surveillance in young patients after lung transplantation for cystic fibrosis*

Dimostrare la validità di una speciale risonanza magnetica come tecnica priva di radiazioni ionizzanti e meno invasiva rispetto alla TAC, per seguire il decorso del polmone trapiantato.



Responsabile Alessandro Palleschi (Fondazione IRCCS Ca' Granda – Ospedale Maggiore Policlinico, Milano)

Partner Andrea Aliverti (Politecnico di Milano, Dip. Elettronica, Informazione e Bioingegneria)

Ricercatori coinvolti 12

Durata 2 anni

Finanziamento € 40.000

Obiettivi Per migliorare il tasso di successo del trapianto polmonare in FC è fondamentale il monitoraggio clinico, che prevede per la visualizzazione dei polmoni trapiantati l'uso periodico di indagini TAC (Tomografia Assiale Computerizzata). Gli autori di questo progetto intendono studiare la possibilità di usare, al posto della TAC, la RMN (Risonanza Magnetica Nucleare), che è tecnica priva di radiazioni ionizzanti. In particolare propongono una RMN avanzata (1HRM), efficace nel descrivere la distribuzione della ventilazione polmonare e in particolare i fenomeni di intrappolamento d'aria che si verificano in caso di malattia da rigetto polmonare o di esacerbazione infettiva. Per due anni, presso il Centro Trapianti di Milano, nel controllo dei pazienti trapiantati sarà usata la doppia tecnica (TAC e 1HRM nello stesso giorno), saranno confrontate le informazioni ottenibili dalle due tecniche, correlandole anche con l'andamento clinico e il risultato della biopsia transbronchiale. L'obiettivo finale è dimostrare il vantaggio della 1HRM e diffondere una tecnica non ionizzante, meno invasiva e più sensibile nella diagnosi precoce delle complicanze post-trapianto FC.

FFC#28/2018

Identificazione di biomarcatori molecolari precoci del rigetto acuto e cronico nei pazienti con fibrosi cistica sottoposti a trapianto polmonare mediante l'uso delle tecnologie omiche

Identification of early molecular biomarkers of acute and chronic rejection in cystic fibrosis patients with lung transplant through the application of omics technologies

Identificare con tecniche innovative biomarcatori precoci del rigetto polmonare acuto e cronico in pazienti con fibrosi cistica per migliorare il trattamento antirigetto.



Responsabile Federico Rea (Dip. Scienze Cardiologiche, Toraciche e Vascolari, Div. Chirurgia toracica, AOU Padova)

Partner Francesco Paolo Schena (Schena Foundation – Omics Research)

Ricercatori coinvolti 15

Durata 1 anno – progetto pilota

Finanziamento € 35.000

Obiettivi Il rigetto è l'evento che condiziona la durata e la qualità della vita dei pazienti FC sottoposti a trapianto polmonare. Le cause di un diverso andamento clinico post-trapianto che portano a rigetto acuto o cronico non sono ancora ben conosciute. In questo progetto viene studiata l'ipotesi che geni facenti parte del genoma individuale, responsabili di specifiche modalità di risposta al trapianto, condizionino la diversa evoluzione. Questi geni e i loro prodotti, se identificati e correlabili con il differente andamento clinico, potrebbero costituire biomarcatori utili per una più precoce diagnosi del rigetto e una migliore personalizzazione delle strategie antirigetto. Lo studio è retrospettivo e sfrutta il materiale biologico già raccolto presso una biobanca del Centro Trapianti di Padova, proveniente da soggetti FC trapiantati e suddivisi in: trapiantati senza rigetto (che fungeranno da controlli), con rigetto acuto (cellulare o anticorpale) e con rigetto cronico. Su sangue, BAL (liquido broncolaveolare) e biopsie transbronchiali saranno cercati i possibili biomarcatori della diversa evoluzione del trapianto.

FFC#29/2018

Identificazione e validazione dell'analisi di microvescicole circolanti come un nuovo metodo *ex vivo* per monitorare la fibrosi cistica

Identification and validation of circulating microvesicles analysis as a new ex vivo assay to monitor cystic fibrosis disease

Proposta di analisi di microvescicole circolanti nel sangue come possibile nuovo marcatore dell'infiammazione polmonare in fibrosi cistica.



Responsabile Mario Romano (Dip. Scienze Mediche, Orali e Biotecnologiche, Lab. Medicina Molecolare, CeSIMEt Università Chieti-Pescara)

Partner Paola Lanuti (Dip. Medicina e Scienze dell'Invecchiamento, Lab. Citomorfologia, Università Chieti-Pescara)

Ricercatori coinvolti 14

Durata 2 anni

Finanziamento € 55.000

Obiettivi L'infiammazione è causa rilevante della progressione del danno broncopulmonare in fibrosi cistica. Non ci sono marcatori specifici che segnalino in che misura sia presente e come evolva in relazione alle terapie. Questo gruppo di ricerca studia se possano essere utilizzati come marcatori d'infiammazione polmonare particolari vescicole (microvescicole), che le cellule del sangue, dei vasi e degli epitelii rilasciano come risposta all'infiammazione. L'ipotesi è che più le cellule siano attivate dallo stimolo infiammatorio/infettivo, più microvescicole producano, riversandole nel sangue, dove sono individuabili e misurabili. Saranno inclusi nel progetto pazienti FC con genotipo diverso e malattia polmonare di diversa gravità; saranno seguiti per due anni

con periodici dosaggi delle microvescicole nel sangue, allo scopo di capire come correlino con l'andamento dei parametri clinici e in particolare con lo stato di esacerbazione respiratoria. L'obiettivo è individuare un nuovo biomarcatore dell'infiammazione e più in generale della malattia polmonare in fibrosi cistica, da utilizzare per il monitoraggio delle condizioni cliniche e della risposta alle terapie.

FFC#30/2018

Diagnosi inconclusive di fibrosi cistica (CFSPID): studio osservazionale multicentrico per valutare prevalenza, dati clinici, gestione ed outcomes in 6 centri italiani di riferimento regionale

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

Diagnosi incerta di fibrosi cistica allo screening neonatale: studio multicentrico per valutarne la prevalenza, la gestione clinica e gli esiti, con l'intento di fornire utili suggerimenti operativi ai centri FC.



Responsabile Vito Terlizzi (Centro FC, AOU A. Meyer, Firenze)

Partner Rita Padoan (Centro supporto FC, Spedali Civili, Brescia); Antonella Tosco (Centro FC, Università Federico II, Napoli); Laura Elisabetta Claut (IRCCS Ca' Granda Ospedale Maggiore Policlinico, Milano)

Ricercatori coinvolti 17

Durata 2 anni

Finanziamento € 42.000

Obiettivi La diagnosi precoce di fibrosi cistica, attraverso screening neonatale, modifica l'evoluzione della malattia assicurando tempestività di strategie terapeutiche. L'uso di test di genetica molecolare molto approfonditi (comprendenti mutazioni CFTR di incerto significato) e la disomogeneità fra centri delle procedure di screening, portano però a identificare un discreto numero di neonati in cui la diagnosi rimane incerta (il quadro è chiamato CFSPID, *Cystic Fibrosis Screening Positive Inconclusive Diagnosis*). Il problema è rilevante sul piano sanitario per le scarse conoscenze sull'evoluzione di queste forme e sull'eventuale necessità di cure, nonché per il peso psicologico per i familiari. Questo progetto, realizzato in collaborazione fra 6 centri FC italiani, mira a conoscere la prevalenza e confrontare l'andamento clinico dei neonati classificati come CFSPID rispetto a quelli diagnosticati come FC in modo conclusivo nel periodo 2011-2018 (parte retrospettiva dello studio). Il progetto prevede anche una parte prospettica riguardante bambini che, attraverso indagini genetiche omogenee, saranno diagnosticati come CFSPID nel periodo 2018-2020. L'obiettivo finale è fornire conoscenze e indicazioni ai centri di screening neonatale e ai centri FC per una gestione univoca dei bambini con diagnosi di CFSPID.

Progetto strategico 2014-2019



DONDUP



NommoNanni



LOIFUR

Marida

METROPOLE

SAINT-GOBAIN

Sfogliaprino

6 Sei



Progetto FFC/TFCF Task Force for Cystic Fibrosis (prime tre fasi)

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

Costo Complessivo € 1.250.000 - Fase 1: € 200.000 - Fase 2: € 370.000 - Fase 3: € 680.000

FFC/TFCF Extension and preclinical phase

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

Partner Nicoletta Pedemonte (Lab. Genetica Molecolare, Istituto G. Gaslini, Genova);

Principale consulente esterno Luis Galiotta (Telethon Institute of Genetics and Medicine - TIGEM, Napoli)

Finanziamento complessivo € 2.000.000

Adottato parzialmente da: Evento "Marafibrositona 2017" promosso dalla Delegazione FFC di Como Dongo (€ 56.000), Il cuore degli amici di Bergamo (€ 40.000), Piazzalunga srl (€ 10.000), Quota parziale Cinque per mille 2015 (€ 100.000), Dondup (€ 10.000), Fondazione Bruno Maria Zaini (€ 35.000), Marcella e Lorenzo Turazza (€ 22.000), Donazioni Campagna di Pasqua 2017 finalizzate Task Force (€ 50.000), "Dai energia alla ricerca" (€ 100.000), Lascito Famiglia Scarpa (€ 20.000), Evento "Insieme per donarti un respiro" 4^a ed. promosso dalla Delegazione FFC di Vittoria Ragusa (€ 10.000), Evento "Artisti per un respiro" 4^a ed. promosso dalla Delegazione FFC di Catania Mascalucia (€ 10.000), "Alla ricerca di un sorriso 6" promosso da Gruppo di Sostegno FFC di Seregno (€ 25.000), SEI Toscana (€ 12.000), Saint Gobain (€ 10.000), Amici per la Ricerca di Bassano (€ 31.500), Loifur (€ 10.000), Latteria Montello (€ 15.000), Ma.Gia srl (€ 10.000), Progetto "Tredici/43" promosso dalla Delegazione FFC di Vicenza (€ 20.000), Proventi libro "Smeraldi a colazione" - 2017 (€ 20.000), #CorrerePerUnRespiro 2018 (€ 20.000), Metropole (€ 21.000), Famiglia Calabrese De Feo (€ 20.000), Bike Tour FFC 2017 (€ 47.000), Sfogliaprino srl (€ 10.000), Evento "Verdi legge Verdi", omaggio a Marta Marzotto (€ 11.000), Amici della ricerca di Milano (€ 10.000), "In ricordo di Dani Copes". Raccolta fondi promossa dall'Associazione Trentina Fibrosi Cistica - Onlus (€ 10.000), quota parziale Campagna Nazionale FFC 2017 (€ 50.000) Numero Solidale 2017 (€ 17.471), quota parziale Campagna di Natale FFC 2017 (€ 100.000), "La Camminata del Respiro" e altri eventi promossi dalla Delegazione Sondrio Valchiavenna (€ 30.000), "Project Hope - Rosa Pastena" (€ 35.000).

Adottabile per € 952.029

Servizi alla Ricerca 2018 - 2019



Servizio CFaCore (Cystic Fibrosis animal Core Facility) 6 (2018-2019)

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

Finanziamento € 180.000

Adottato parzialmente da: Gruppo di Sostegno FFC di Franciacorta (€ 12.000), Gruppo di Sostegno FFC di Magenta Milano (€ 8.000), Delegazione di Montescaglioso Matera (€ 8.000). **Adottabile per: € 152.000**

CFDB Cystic Fibrosis Data Base 7 (2018-2019)

Responsabile Roberto Buzzetti

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

Finanziamento € 18.000

Adottabile



Quando un bambino FC
entra in classe.

Ricordi di una maestra

**“Le rose hanno
le spine
e non gliele
si può togliere”**

Gabriella è una maestra in pensione, con una storia colorata come il disegno di un bambino, di cui le è capitato di prendersi cura, affezionarsi e restargli vicino, finché il tempo non è mancato.

Mi accomodo sul grande divano di un'ampia sala affacciata sul mare, piena di libri, quadri e arredi di gusto antiquario. Il contrasto degli interni con la giornata assolata è già il preludio di un racconto a luci e ombre, su cui luccica per tutto il tempo una vela, bianca. Gabriella siede con lo sguardo penetrante come una sfinge. È una donna colta, intensa, con una voce bassa e rotonda, che vivifica i ricordi. «È stato un quinquennio bellissimo e felice della mia esperienza didattica quello che ha portato nella nostra classe Matteo Patrone. La sua presenza ci ha stimolato al massimo. È stato una spinta e ha rappresentato una componente della soddisfazione di quella stagione – racconta. Trent'anni fa, quando iniziai il ciclo della scuola elementare con Matteo, non conoscevo l'esistenza della fibrosi cistica, ma anche ora mi capita spesso di trovare persone che non l'hanno mai sentita nominare. Io e la collega Alberta facevamo il tempo pieno. Ci contattò una coppia, che con una comunicazione telefonica molto vaga ci invitava ad andarla a trovare una domenica pomeriggio. Ci spiegarono cos'era la malattia e la loro situazione di genitori. Matteo doveva andare a scuola: l'ingresso nella comunità scolastica avveniva solo in prima elementare. Restammo

stupite. Era un dovere e un piacere accogliere tutti i bambini. Documentandoci, ci si rese conto che era una cosa seria. Non si trattava dell'ansia dei genitori e basta. Ci chiesero di seguire il figlio stando attente all'alimentazione e controllando la somministrazione dei farmaci. Incontrarono la nostra disponibilità, ma avrebbero dovuto guidarci. Sapevamo che oltre all'aspetto medico dovevamo curare anche l'inserimento di questo bambino particolare. Non aveva fatto un solo giorno di scuola materna, quindi aveva esperienze limitate e aspettative enormi. Voleva stare con gli altri. Tra noi si creò subito un feeling e un legame. Matteo era una bella meletta con la pettinatura a caschetto; veniva a scuola fiducioso, desideroso di apprendere. Eravamo sempre tese, preoccupate che non si stancasse».

Nessuno doveva sapere della malattia. «I genitori volevano che Matteo fosse il più sereno possibile. Ogni manovra che facevamo con lui, per esempio l'aerosol o le battiture, doveva sembrare normale. Ne abbiamo rispettato il desiderio. Ci era stato anche chiesto di curare particolarmente un aspetto: detergerlo se fosse stato sudato. E ci avevano dotato di un asciugacapelli. Alla fine della ricreazione tutti i bambini si asciugavano col fohn – sorride Gabriella. Era un alunno eccezionale, con un'intelligenza viva, capitato in una situazione ideale. Io e la mia collega eravamo giovani abbastanza da avere entusiasmo ed esperienza. Ma ci domandavamo sempre se stessimo facendo la cosa giusta. Per certo, il massimo. Quel bambino se lo meritava».

A metà anno della prima elementare Matteo si ammalò. «Aveva la febbre, ma non voleva allontanarsi dalla classe. Me lo ricorderò per tutta la vita. Stava aggrappato al banco. Un evento che mi ha dato le misure del piacere che aveva di stare con noi e che ci ha commosso. Per un insegnante è la massima dichiarazione. C'era un gruppo classe eccezionale – prosegue Gabriella. Nacquero spontaneamente delle situazioni per cui i bambini si volevano vedere anche il sabato e la



MATTEO IN UNO DEI SUOI VIAGGI

domenica. Facevamo delle scampagnate. Anche i genitori diventarono amici tra loro, ma nessuno seppe mai niente della salute di Matteo. Avere un occhio di riguardo per lui non è stato difficile. Quando me lo consegnarono, i genitori dissero: "il nostro obiettivo è di portarlo fino a 14 anni". Contro ogni previsione Matteo cresce. «Con le medie sono iniziati i problemi. Ha cominciato a farsi domande e ha avuto accesso al PC e a internet. Qualche ombra si è insinuata nella sua esistenza – riflette Gabriella. Penso a tutto quello che la madre mi ha riferito, soprattutto della scuola superiore, al male che si portava dentro. Parte della sua vita è stata



A DESTRA, MATTEO AL VIOLINO

molto sofferta per la consapevolezza che non gli avrebbe riservato granché. Matteo era un ragazzo intelligente e sensibile. Forse ha patito più nell'anima che nel corpo. Per un periodo aveva anche deciso di non curarsi. Non voleva andare alle visite di controllo, fare fisioterapia, prendere certi farmaci. Faceva resistenza. Finché non è stato più in condizione di opporsi.

Andare in sala rianimazione non è stato facile, per il rapporto affettivo insegnante-alunno che ci univa. Io ero lì, e la mia funzione era quella di alleviare il dolore di Sandra, la madre, e starle vicino, ma non si sa dove arrivare, quando fermarsi, cosa dire. Il fatto che abbia dovuto partecipare ai funerali di Matteo mi dà tanta tristezza». Gabriella abbassa lo sguardo. È come se i pensieri addensassero la penombra e incendiassero l'aria intorno. Fisso l'orizzonte. Lontano, sempre quella vela accesa di luce.

Cosa fare per evitare una reazione rabbiosa alla malattia, la ribellione e l'isolamento? «Di fronte alla patologia grave con sintomi conclamati è la natura delle persone che decide se verrà negata o meno. La reazione è individuale e molto soggettiva. Credo si debba discutere, ragionare, riuscire, con le modalità più diverse a fare accettare la diversità, per far sì che non condizioni il gruppo sociale intorno al bambino. Che sia grasso, claudicante, con le orecchie a sventola o con qualsiasi malattia che non si veda all'esterno e si nasconda con più facilità, penso che l'informazione possa essere importante per non vivere la diversità come qualcosa di cui ci si debba vergognare. I bambini non hanno difficoltà ad accogliere se non sono manipolati dagli adulti. Qualunque spiegazione venga data, perché il bambino la chiede o dimostri esigenza di conoscenza, bisogna sempre rispondere la verità. Non sono così difficili le risposte che si devono dare. La difficoltà è trovare le parole giuste per dare le risposte giuste, ricordando che spesso i bambini non ci chiedono tutte le cose che sappiamo. Hanno bisogno di risposte molto più semplici. Bastano pochissime parole. Se non restano soddisfatti faranno ulteriori domande. L'importante è verificare se quello che è stato spiegato è stato compreso con controdomande di verifica».



21 SETTEMBRE 1987, IL PRIMO GIORNO DI SCUOLA

Occorre trovare le forme per riuscire a conoscere tutti il più possibile la malattia. «Bisogna parlarne, aiutarne l'accettazione – insiste Gabriella. Il supporto psicologico alla famiglia e al paziente ci vuole. E Matteo non l'ha avuto. Purtroppo ci si focalizza sulle cure e le attenzioni che la malattia impone dal punto di vista medico e ci si dimentica di tutti gli altri problemi. Se ne risolvono molti trattando questi ragazzi come tutti. È il modo migliore per dire *tu sei come gli altri. Non hai un trattamento privilegiato, perché non te lo dobbiamo*. Non si possono togliere tutte le spine delle rose di un giardino perché un bambino è cieco, ma c'è da lavorare molto, al di là della fibrosi cistica, per la formazione dei genitori. Perché ci si diventa. Non c'è una scuola in cui si impari ad esserlo. Bisogna avere delle informazioni. L'ignoranza, il non sapere, impediscono di essere liberi. Purtroppo c'è un'ostentazione generale di sicurezza nell'educazione dei bambini, quando bisognerebbe essere attraversati dai dubbi».

Il suono del campanello costringe a tornare al tempo dell'orologio. Sono trascorse quasi tre ore, non per il mare, nel blu immobile di questa giornata senza nuvole. Gabriella conclude: «nella nostra cultura il lutto è difficile. Se pensassimo più spesso che la vita ha un termine e ragionassimo sul fatto che là ci arriviamo tutti, l'accettazione della morte come un fatto naturale ci porterebbe ad agire nel quotidiano con maggiore saggezza. A me piace pensare alla morte come se il corpo non ci fosse più, ma esistesse in quelli che restano qualcosa di chi se n'è andato. Credo sia vero quello che dice Pessoa: *La morte è la curva della strada, / morire è solo non essere visto. / Se ascolto, sento i tuoi passi / esistere come io esisto. / La terra è fatta di cielo. / Non ha nido la menzogna. / Mai nessuno s'è smarrito. / Tutto è verità e passaggio*».

Rachele Perbellini



SANDRA GARAU, AL CENTRO, MAMMA DI MATTEO, RESPONSABILE DELLA DELEGAZIONE DI GENOVA

Record 2017

I volontari superano i due milioni di euro di raccolta



VOLONTARI AL RADUNO 2018
DI DELEGAZIONI E GRUPPI DI SOSTEGNO FFC

Il nostro è un lavoro straordinario: ci consente di essere testimoni ogni giorno di imprese incredibili e di essere al vostro fianco per aiutarvi a portarle al successo.

Non si tratta solo di numeri, che sono comunque importanti: i volontari FFC nel 2017 hanno superato, per la prima volta, i due milioni di euro di raccolta fondi.

Con gli eventi, sempre più numerosi, ricchi di fantasia e tanto impegno, nel 2017 sono stati conquistati oltre 560 mila euro. Con la promozione di lasciti, e attraverso occasioni liete e tristi, sono stati raccolti oltre 200 mila euro. Le campagne social attuate tramite Facebook si sono rivelate una grande opportunità con risultati già considerevoli a favore della ricerca.

Sempre forte è l'impegno nelle attività di coinvolgimento delle scuole e delle aziende, bacini preziosi per sensibilizzare e raccogliere fondi.

E poi le entusiasmanti Campagne, momento prezioso di sensibilizzazione e raccolta, che anche quest'anno hanno ottenuto risultati mai raggiunti prima: Pasqua e Natale vanno alla grande, ma teniamo desta l'attenzione sulla nostra prima e più caratteristica iniziativa, la Campagna Nazionale di Ottobre. Cerchiamo di riempire le piazze di tutta Italia con il ciclamo della ricerca (vi aspettano grandi sorprese!).

Noi tutti abbiamo un solo obiettivo, l'unico vero scopo per cui facciamo il massimo per raccogliere sempre più fondi: sostenere la ricerca, donare più vita agli ammalati e sconfiggere infine, al più presto, la fibrosi cistica.

FC

RACCOLTA FONDI DI DELEGAZIONI E GRUPPI FFC	2015	2016	2017	ULTIMO TRIENNIO
Delegazione FFC di Milano	€ 132.221,68	€ 107.691,07	€ 124.423,83	€ 364.336,58
Delegazione FFC di Palermo	€ 105.250,13	€ 114.457,00	€ 113.168,00	€ 332.875,13
Delegazione FFC di Bologna	€ 78.845,00	€ 90.109,61	€ 119.150,69	€ 288.105,30
Delegazione FFC di Como - Dongo	€ 33.545,00	€ 55.437,56	€ 139.539,17	€ 228.521,73
Delegazione FFC di Verona - Lago Di Garda	€ 74.413,00	€ 73.194,90	€ 79.534,54	€ 227.142,44
Delegazione FFC di Imola e Romagna	€ 69.205,27	€ 69.119,70	€ 77.805,99	€ 216.130,96
Delegazione FFC di Cuneo - Alba	€ 35.180,00	€ 50.477,00	€ 91.067,70	€ 176.724,70
Delegazione FFC di Ragusa - Vittoria - Siracusa	€ 37.155,37	€ 63.994,00	€ 68.424,68	€ 169.574,05
Delegazione FFC di Torino	€ 42.242,00	€ 41.492,00	€ 57.738,82	€ 141.472,82
Delegazione FFC di Varese - Tradate Gallarate	€ 32.686,07	€ 48.369,40	€ 49.797,77	€ 130.853,24
Delegazione FFC di Livorno - Cecina e Rosignano	€ 37.953,00	€ 45.499,26	€ 44.217,05	€ 127.669,31
Delegazione FFC di Vicenza	€ 32.641,60	€ 37.033,33	€ 48.311,85	€ 117.986,78
Delegazione FFC di Genova	€ 47.732,50	€ 23.083,00	€ 41.059,72	€ 111.875,22
Delegazione FFC di Verona - Valpolicella	€ 32.012,62	€ 38.396,57	€ 38.646,46	€ 109.055,65
Delegazione FFC di Verona	€ 39.002,40	€ 44.593,78	€ 23.821,23	€ 107.417,41
Delegazione FFC di Treviso - Montebelluna	€ 40.067,00	€ 25.000,00	€ 40.000,00	€ 105.067,00
Gruppo FFC di Milano - Seregno	€ 30.016,41	€ 41.354,00	€ 32.305,00	€ 103.675,41
Delegazione FFC di Pesaro	€ 25.828,00	€ 38.144,50	€ 36.178,50	€ 100.151,00
Delegazione FFC di Sassari - Castelsardo	€ 37.754,40	€ 16.713,90	€ 38.861,00	€ 93.329,30
Delegazione FFC di Belluno	€ 32.050,00	€ 24.880,00	€ 29.100,00	€ 86.030,00
Delegazione FFC di Verona - Boschi S. Anna - Minerbe	€ 22.498,60	€ 25.865,00	€ 33.611,00	€ 81.974,60
Delegazione FFC di Catania - Mascalucia	non costituito	€ 36.735,00	€ 43.167,00	€ 79.902,00
Delegazione FFC di Olbia	€ 31.700,00	€ 22.150,00	€ 25.775,00	€ 79.625,00
Delegazione FFC di Verona - Val D'alpone	€ 13.295,77	€ 25.699,80	€ 37.352,02	€ 76.347,59
Gruppo FFC di Genova - Mamme Per La Ricerca	€ 7.341,60	€ 36.055,85	€ 32.307,95	€ 75.705,40
Delegazione FFC di Ancona - Fabriano	€ 16.423,28	€ 25.400,00	€ 30.898,22	€ 72.721,50
Delegazione FFC di Sondrio - Valchiavenna	€ 20.735,65	€ 25.256,90	€ 24.930,50	€ 70.923,05
Delegazione FFC di Latina	€ 26.395,00	€ 24.104,50	€ 20.408,55	€ 70.908,05
Delegazione FFC di Torino - Rivarolo	€ 20.353,00	€ 25.333,00	€ 19.713,00	€ 65.399,00
Delegazione FFC di Bergamo	€ 10.820,00	€ 42.980,00	€ 9.841,00	€ 63.641,00
Delegazione FFC di Lecce	€ 20.085,00	€ 19.582,00	€ 22.735,00	€ 62.402,00
Delegazione FFC di Taranto - Massafra	€ 18.174,62	€ 21.997,20	€ 16.855,40	€ 57.027,22
Delegazione FFC di Roma - Pomezia	€ 10.270,00	€ 12.339,40	€ 33.163,30	€ 55.772,70
Delegazione FFC di Siena	€ 17.846,12	€ 18.083,10	€ 18.600,30	€ 54.529,52
Delegazione FFC di Reggio Calabria	€ 16.660,00	€ 25.926,50	€ 11.345,10	€ 53.931,60
Delegazione FFC di Matera - Montescaglioso	€ 23.215,70	€ 24.395,50	€ 3.751,00	€ 51.362,20
Delegazione FFC di Pavia	€ 16.687,80	€ 8.873,00	€ 25.501,55	€ 51.062,35
Gruppo FFC di Trento - Ass.ne Trentina Fc	€ 20.850,00	€ 20.000,00	€ 10.000,00	€ 50.850,00
Gruppo FFC di Milano - Magenta	€ 15.718,24	€ 19.950,57	€ 14.994,67	€ 50.663,48
Delegazione FFC di Ascoli Piceno	€ 7.300,00	€ 12.979,00	€ 21.950,00	€ 42.229,00
Delegazione FFC di Alessandria - Valle Scrivia	€ 11.644,00	€ 15.404,00	€ 14.797,00	€ 41.845,00
Delegazione FFC di Vercelli	non costituito	€ 11.441,00	€ 30.065,00	€ 41.506,00
Delegazione FFC di Alberobello	non costituito	€ 10.475,00	€ 30.600,00	€ 41.075,00
Gruppo FFC di Pavia - Vigevano	non costituito	€ 12.103,00	€ 27.879,00	€ 39.982,00
Delegazione FFC di Roma	€ 15.691,00	€ 12.518,00	€ 11.496,00	€ 39.705,00
Delegazione FFC di Lecco - Valsassina	€ 5.755,00	€ 16.186,40	€ 17.744,36	€ 39.685,76
Gruppo FFC di Firenze - Reggello	€ 13.201,19	€ 14.243,60	€ 12.199,40	€ 39.644,19
Delegazione FFC di Messina	€ 11.194,15	€ 12.812,00	€ 15.579,00	€ 39.585,15
Delegazione FFC di Lucca	€ 12.182,00	€ 10.908,00	€ 15.920,37	€ 39.010,37

Gruppo FFC di Messina - Tremestieri	€ 9.274,00	€ 10.048,00	€ 18.574,50	€ 37.896,50
Delegazione FFC di Verbania e V.C.O.	€ 11.308,48	€ 9.543,70	€ 16.298,00	€ 37.150,18
Delegazione FFC di Catania - Paternò	€ 26.239,00	€ 3.638,80	€ 6.472,00	€ 36.349,80
Delegazione FFC di Grosseto - Manciano	€ 14.098,40	€ 11.382,00	€ 10.565,00	€ 36.045,40
Delegazione FFC di Ferrara	€ 9.909,24	€ 17.436,50	€ 8.595,40	€ 35.941,14
Delegazione FFC di Napoli - S. Giuseppe Vesuviano	€ 4.100,00	€ 4.950,00	€ 23.978,00	€ 33.028,00
Gruppo FFC di Bari - Altamura	€ 14.750,10	€ 7.798,50	€ 9.410,00	€ 31.958,60
Delegazione FFC di Novara	€ 9.667,75	€ 10.943,60	€ 10.889,00	€ 31.500,35
Delegazione FFC di Cosenza Sud	€ 8.427,75	€ 12.864,00	€ 9.545,60	€ 30.837,35
Gruppo FFC di Nuoro - Siniscola	non costituito	€ 12.000,00	€ 18.276,00	€ 30.276,00
Gruppo FFC di Perugia-Umbertide-Città di Castello	€ 10.532,80	€ 9.831,00	€ 4.741,20	€ 25.105,00
Gruppo FFC di Cagliari - Isili	€ 16.396,00	€ 3.609,73	€ 4.225,00	€ 24.230,73
Delegazione FFC di Verona - Valdadige	€ 9.323,01	€ 6.591,82	€ 7.688,56	€ 23.603,39
Gruppo FFC di San Giovanni Rotondo	non costituito	€ 1.530,00	€ 21.478,00	€ 23.008,00
Gruppo FFC di Milano - Lainate	€ 9.157,59	€ 5.512,82	€ 8.150,50	€ 22.820,91
Delegazione FFC di Rovigo	€ 7.800,00	€ 8.590,00	€ 4.315,00	€ 20.705,00
Delegazione FFC di Franciacorta	non costituito	€ 3.691,00	€ 16.402,00	€ 20.093,00
Delegazione FFC di Brindisi Torre	€ 4.413,00	€ 7.173,00	€ 7.473,00	€ 19.059,00
Delegazione FFC di Verona - Bovolone	€ 6.600,00	€ 9.011,50	€ 2.301,00	€ 17.912,50
Gruppo FFC di Macerata - Civitanova Marche	non costituito	€ 15.636,00	€ 2.184,00	€ 17.820,00
Gruppo FFC di Oristano - Riola Sardo	€ 9.697,45	€ 3.360,51	€ 4.480,50	€ 17.538,46
Delegazione FFC di Foggia	€ 2.047,00	€ 11.798,00	€ 3.650,00	€ 17.495,00
Delegazione FFC di Taranto "A Carmen La Gioia"	€ 8.462,00	€ 4.637,50	€ 4.169,40	€ 17.268,90
Gruppo FFC di Nichelino	non costituito	€ 5.851,00	€ 11.341,00	€ 17.192,00
Delegazione FFC di Catanzaro - Soverato	€ 15.521,00	€ 1.216,40		€ 16.737,40
Delegazione FFC di Verona - Cerea "Il Sorriso di Jenny"	€ 7.000,00	€ 5.000,00	€ 4.500,00	€ 16.500,00
Delegazione FFC di Roma - Monterotondo	€ 6.526,00	€ 5.172,00	€ 4.726,00	€ 16.424,00
Delegazione FFC di Treviso - Trevignano	€ 4.250,00	€ 6.925,00	€ 5.170,00	€ 16.345,00
Gruppo FFC di Torino - Chivasso	€ 5.445,00	€ 5.200,00	€ 4.655,00	€ 15.300,00
Delegazione FFC di Fermo	€ 4.776,88	€ 4.696,00	€ 5.349,00	€ 14.821,88
Delegazione FFC di Lodi	€ 2.865,00	€ 2.965,00	€ 8.540,00	€ 14.370,00
Gruppo FFC di Cremona - Genivolta	€ 4.805,00	€ 4.613,00	€ 3.025,00	€ 12.443,00
Gruppo FFC di Bari - Bitritto	€ 3.675,00	€ 5.460,00	€ 3.300,00	€ 12.435,00
Gruppo FFC di Martinsicuro - Teramo	non costituito	€ 5.195,00	€ 6.290,00	€ 11.485,00
Gruppo FFC di Prato	non costituito	€ 5.200,00	€ 5.330,00	€ 10.530,00
Gruppo FFC di Foggia - Manfredonia	€ 4.375,15	€ 3.660,00	€ 2.250,00	€ 10.285,15
Gruppo FFC di Morbegno	non costituito	€ 2.520,00	€ 7.640,00	€ 10.160,00
Gruppo FFC di Savona - Spotorno	€ 2.378,00	€ 2.300,00	€ 5.417,00	€ 10.095,00
Gruppo FFC di Barletta	€ 3.400,00	€ 3.555,00	€ 2.600,00	€ 9.555,00
Gruppo FFC di Imperia	€ 3.140,00	€ 3.795,00	€ 2.490,00	€ 9.425,00
Gruppo FFC di Bolzano - Val Badia	€ 5.322,96	€ 4.003,79		€ 9.326,75
Gruppo FFC di Crotone	€ 3.692,50	€ 3.016,00	€ 2.610,00	€ 9.318,50
Gruppo FFC di Siracusa - Melilli	con Del. Vittoria	€ 2.953,00	€ 6.320,00	€ 9.273,00
Delegazione FFC di Reggio Emilia	€ 6.050,00	€ 3.000,00		€ 9.050,00
Gruppo FFC di Milano - Casarile	non costituito	€ 2.827,20	€ 5.933,20	€ 8.760,40
Gruppo FFC di Gorizia - Grado	€ 2.505,00	€ 4.507,00	€ 1.670,00	€ 8.682,00
Gruppo FFC di Ravenna Faenza	€ 0,00	€ 3.190,00	€ 5.195,50	€ 8.385,50
Gruppo FFC di Moncalvo	non costituito	non costituito	€ 7.905,00	€ 7.905,00
Gruppo FFC di Benevento	€ 1.025,00	€ 2.420,00	€ 3.812,00	€ 7.257,00
Delegazione FFC di Vibo Valentia San Costantino Calabro	€ 3.375,80	€ 1.962,50	€ 1.265,00	€ 6.603,30
Gruppo FFC di Brindisi - Latiano	€ 2.080,00	€ 1.842,00	€ 2.244,00	€ 6.166,00
Gruppo FFC di Parma Fidenza	con Del Pesaro	€ 2.135,00	€ 3.158,00	€ 5.293,00
Delegazione FFC di Napoli e Pompei	€ 2.140,00	€ 2.450,00		€ 4.590,00
Gruppo FFC di Sassari - Alghero	non costituito	€ 2.380,00	€ 2.070,00	€ 4.450,00
Gruppo FFC di Frosinone	non costituito	€ 1.400,00	€ 2.842,00	€ 4.242,00
Delegazione FFC di Pescara	€ 1.224,00	€ 1.520,00	€ 1.320,00	€ 4.064,00
Gruppo FFC di Verona "Rita"	€ 0,00	€ 2.000,00	€ 2.000,00	€ 4.000,00
Delegazione FFC di Trieste	€ 3.920,00			€ 3.920,00
Delegazione FFC di Biella	€ 900,00	€ 1.685,00	€ 1.260,00	€ 3.845,00
Gruppo FFC di Torino - Ivrea	€ 1.000,00	€ 1.250,00	€ 1.365,00	€ 3.615,00
Gruppo FFC di Padova - Urbana	€ 1.850,00		€ 1.650,00	€ 3.500,00
Delegazione FFC di Varese	€ 2.930,00	€ 357,00		€ 3.287,00
Gruppo FFC di Roma Vaticano	non costituito	€ 1.560,00	€ 1.605,00	€ 3.165,00
Delegazione FFC di Padova - Monselice	€ 1.562,00	€ 1.474,00		€ 3.036,00
Gruppo FFC di Alessandria - Acqui Terme	€ 287,00	€ 440,00	€ 1.853,00	€ 2.580,00
Gruppo FFC di Modena - Sassuolo	€ 2.000,00	€ 390,00		€ 2.390,00
Gruppo FFC di Ferrara - Comacchio	€ 820,00	€ 1.282,00	€ 250,00	€ 2.352,00
Gruppo FFC di Campobasso	€ 1.705,60	€ 470,00		€ 2.175,60
Gruppo FFC di Ancona Falconara	€ 1.858,50			€ 1.858,50
Gruppo FFC di Venezia - Mirano	non costituito	€ 934,00	€ 914,00	€ 1.848,00
Gruppo FFC di Medio Campidano	€ 1.840,00			€ 1.840,00
Delegazione FFC di Cagliari	€ 1.720,00			€ 1.720,00
Gruppo FFC del Golfo di Policastro	non costituito	non costituito	€ 1.684,00	€ 1.684,00
Gruppo FFC di Rovigo - Adria	€ 280,00	€ 280,00	€ 910,00	€ 1.470,00
Delegazione FFC di Cagliari - Villasimius	€ 1.390,00			€ 1.390,00
Gruppo FFC di Arezzo	€ 1.175,00	€ 100,00		€ 1.275,00
Delegazione FFC di Viterbo	€ 670,00	€ 476,00		€ 1.146,00
Delegazione FFC di Trapani - Marsala	€ 80,00	€ 279,70	€ 626,00	€ 985,70
Delegazione FFC di Avellino		€ 525,00	€ 280,00	€ 805,00
Delegazione FFC di Cosenza Nord	€ 380,00	€ 380,00		€ 760,00
Gruppo FFC di Bergamo - Isola Bergamasca	€ 420,00	€ 300,00		€ 720,00
Gruppo FFC di Alessandria - Casale Monferrato			€ 705,00	€ 705,00
Delegazione FFC di Livorno	€ 0,00	€ 700,00	€ 0,00	€ 700,00
Delegazione FFC di Brescia	€ 520,00			€ 520,00
Gruppo FFC di La Spezia - Sarzana	€ 405,00	€ 60,00		€ 465,00
Delegazione FFC di Bergamo - Trescore Balneario			€ 50,00	€ 50,00

1.717.328,13 1.958.288,47 2.294.314,05 5.969.930,65

Il raduno *più riuscito di sempre*

Due giorni per un distillato di emozioni, che una giovane mamma sarda, Eleonora Cattrocci, riassume così: «abbracci, lacrime e sorrisi condivisi con persone sconosciute fino al giorno prima, ma che senti di conoscere da sempre; nelle cui parole ritrovi la tua stessa storia, la battaglia che combatti ogni giorno e di cui vorresti festeggiare la vittoria». Il mese di maggio fa giungere da ogni parte d'Italia i volontari che nel corso dell'anno sono impegnati a fare conoscere la fibrosi cistica negli angoli più remoti e a raccogliere fondi a sostegno della ricerca, la sola ad avere la forza di cambiare le cose.

Una voce su tutte, quella del professor Gianni Mastella, anima della Fondazione: «mi auguro che quanto emerso dai contenuti e dagli scambi informativi, in un contesto umanamente caldo ed entusiasta e in un ambiente confortevole e ben preparato, sia di nuovo incitamento al nostro quotidiano lavoro e a ciò che lo ispira».

CAMBIO DI PRESIDENZA. DA DESTRA: MATTEO MARZOTTO, PRESIDENTE ENTRANTE; VITTORIANO FAGANELLI, PRESIDENTE USCENTE, ORA PRESIDENTE EMERITO, E MICHELE ROMANO, VICEPRESIDENTE ALLE RELAZIONI ISTITUZIONALI.



STANDING OVATION PER IL PRESIDENTE USCENTE



BENVENUTA SICILIA!



DONNE SPECIALI, DA DESTRA CLAUDIA, PATTY, ELISA



LA FAMIGLIA ANTONIAZZI CON IL PRESIDENTE EMERITO



GRUPPO MISTO NORD, CENTRO E SUD



ANTONIO, BEATO TRA LE DONNE

DALLA SVIZZERA ALLA PUGLIA:
INSIEME PER FARE LA DIFFERENZA

UNA DELLE NOSTRE
MAMME CORAGGIO,
ALESSANDRA ELMI,
LA MAMMA DI MIMMI,
CON FABIO CABIANCA

MOMENTO KARAOKE
CON MASSIMILIANO
ROSAZZA AL MICROFONO
A FOMENTARE GLI ANIMI



AMICI DI LUNGA DATA. SULLA DESTRA, CON LA MASCHERINA,
ANGELICA ANGELINETTA CHE ANCORA UNA VOLTA HA TOCCATO
IL CUORE DI TUTTI: «A ME VIENE MOLTO NATURALE QUELLO CHE
FACCIO, LA FONDAZIONE È LA MIA VITA. PER ME È UN ONORE
ESSERE QUI E POTERVI CONOSCERE TUTTI. PROVO PER VOI GRANDE
AMMIRAZIONE, PERCHÉ SO QUANTO POSSA ESSERE IMPEGNATIVO
E DIFFICILE IL NOSTRO LAVORO»

SCATTI AFFETTUOSI: MAMMA FRANCESCA RACCOMANDATO CON GIANNI MASTELLA

PIU' RACCOLTA FONDI PIU' RISORSE PER LA RICERCA SCIENTIFICA

Continua la crescita della Fondazione anche nel 2017, un anno speciale per i risultati della raccolta fondi e per le rilevanti risorse economiche messe a disposizione dei progetti di ricerca 2018.

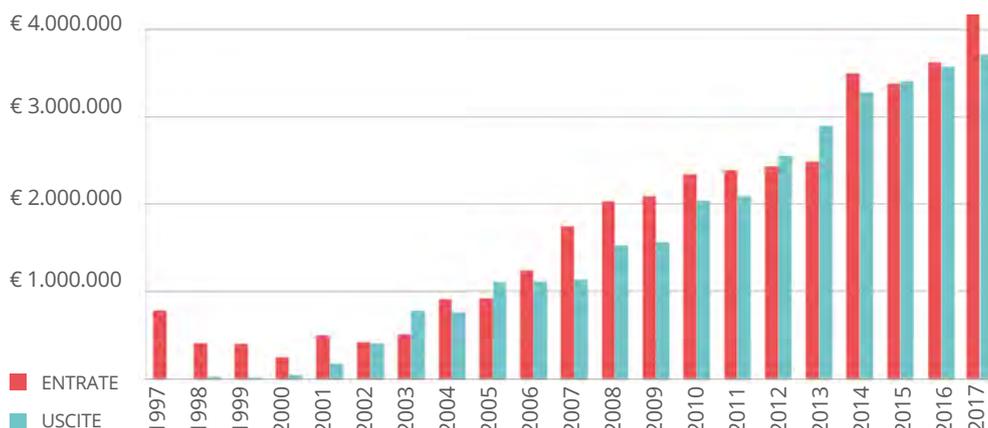
Il bilancio 2017 si chiude con proventi per 4.237.051 euro e oneri per 3.711.596 euro. Ciò ha determinato un avanzo di gestione di 525.465 euro.

ONERI	ANNO 2016	ANNO 2017
Oneri da attività tipiche		
Ricerca	€ 1.947.123,00	€ 1.928.914,00
Formazione	€ 78.474,00	€ 62.386,00
Comunicazione	€ 149.990,00	€ 119.037,00
Personale di sede	€ 162.840,00	€ 181.542,00
Oneri da attività di raccolta fondi e supporto generale		
Raccolta fondi	€ 856.075,00	€ 1.016.959,00
Supporto generale e struttura	€ 46.803,00	€ 54.187,00
Personale di sede	€ 246.422,00	€ 265.341,00
Oneri finanziari, patrimoniali e fiscali	€ 84.162,00	€ 83.230,00
Totale Oneri	€ 3.571.889,00	€ 3.711.596,00
PROVENTI	ANNO 2016	ANNO 2017
Proventi da attività tipiche		
Donazioni	€ 197.245,00	€ 157.888,00
Proventi da attività di raccolta fondi		
Raccolta Fondi	€ 2.742.423,00	€ 3.395.037,00
5 per mille	€ 653.985,00	€ 630.679,00
Proventi finanziari, patrimoniali e straordinari	€ 29.614,00	€ 53.447,00
Totale proventi	€ 3.623.267,00	€ 4.237.051,00

Per la prima volta nella storia della Fondazione è stata superata la soglia dei 4 milioni di euro raccolti. Le maggiori entrate (+ 653 mila euro rispetto al 2016) derivano principalmente da una raccolta fondi più ricca, legata alle tre campagne: Pasqua, Nazionale e Natale. Con un'accelerazione crescente, negli ultimi anni si è puntato a moltiplicare per tre il potenziale di informazione e raccolta risorse precedentemente delegato alla sola Campagna nazionale per la ricerca.

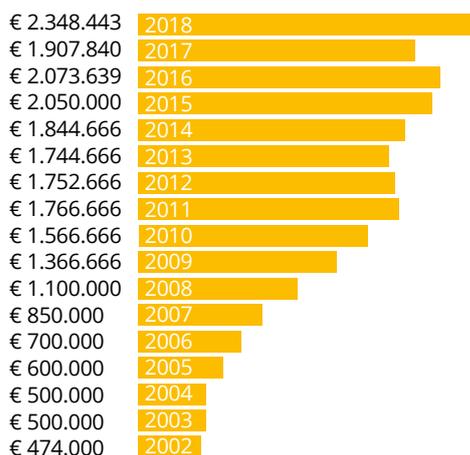
Con interventi di comunicazione e marketing, si sono aggiunti gli appuntamenti di Pasqua, Natale e gli eventi collocati in ogni momento dell'anno, tutti strutturati in modo da rispondere alle crescenti esigenze di spesa della ricerca FFC. Campagne ed eventi sul territorio, unitamente alle iniziative di sede, in particolare legate al coinvolgimento di nuove aziende, hanno portato a un ulteriore salto di qualità nei risultati del nostro lavoro.

L'impegno, l'entusiasmo dei nostri volontari e la loro capacità di coinvolgere un numero sempre maggiore di donatori è stato premiato non solo dall'aumento complessivo della raccolta ma anche da una maggiore efficienza di tutta la nostra organizzazione.



Investimenti in ricerca

Tutto ciò ha reso possibile un avanzo di gestione che il nostro Consiglio ha messo completamente a disposizione per i progetti di ricerca 2018. Quest'anno la somma stanziata supera infatti i 2 milioni 300 mila euro.



Unitamente alla crescita della raccolta fondi si è lavorato molto sul contenimento degli oneri per le attività di supporto generale che sono rimasti invariati rispetto all'anno precedente. Crescono i costi della raccolta fondi come inevitabile conseguenza dell'aumento degli oneri delle Campagne.

L'impiego delle risorse



Per quanto riguarda la gestione, è stata posta particolare attenzione al miglioramento dell'organizzazione interna, all'analisi dei risultati e dell'efficienza dei diversi progetti, al flusso delle informazioni con Delegazioni, Gruppi di sostegno e volontari.

Ciò non vuol dire che non vi siano ulteriori spazi di crescita, in particolare legati alla raccolta fondi *corporate* e alla razionalizzazione dei costi delle nostre Campagne. Su questi aspetti si concentra l'impegno della nostra Onlus nel 2018.

Rispetto al 2016 si sono avuti minori costi per le attività di formazione e di comunicazione per complessivi 46 mila euro. Questo lascia aperto un buon margine di intervento sulle voci di spesa nella comunicazione istituzionale e in quella a supporto di Campagne ed eventi sul territorio per i quali sono in programma investimenti nel corso del 2018.

Pur con oneri di comunicazione contenuti, volti a concedere maggiori spazi di crescita alla spesa per la ricerca, nel 2017 si registrano importanti risultati sul fronte della divulgazione tramite *new media* e strumenti tradizionali. Nei 12 mesi il sito ha aumentato del 29% il numero degli utenti, con positivo allungamento delle sessioni di consultazione, sfiorando la soglia del milione di utilizzatori (970 mila è la media del 2017). In salita anche i fan di Facebook (+28%) con punte da un milione di visualizzazioni nel corso della Campagna Nazionale per la Ricerca FC. I media tradizionali riportano 650 passaggi Tv e radio su FFC e 500 articoli tra stampa (260) e web. Notizie sull'andamento della ricerca FFC arrivano anche dalle newsletter e dal notiziario quadrimestrale, sempre più impegnato a fungere da utile strumento per la raccolta dei fondi, oltre che per la divulgazione delle informazioni sulla fibrosi cistica. I risultati raggiunti nel 2017 sono da interpretare come una costante capacità di innovazione interna, di rafforzamento e professionalizzazione del volontariato sul territorio. Il tutto orientato come quest'anno a mettere a disposizione sempre maggiori risorse per i nostri progetti di ricerca e per rendere sempre più concreto il nostro contributo alla cura di questa malattia.

Giuseppe Zanferrari

5x1000:

numeri e speranze

Com'è andata nel 2017

La cifra complessiva assegnata alla Fondazione dall'Agenzia delle Entrate, per la dichiarazione del 2017 sui redditi accumulati nel 2016, è stata di 623.605 euro, parzialmente destinati a sostegno del progetto *Task Force for Cystic Fibrosis*, che punta a correggere il difetto alla base della fibrosi cistica. 17.718 le preferenze accordateci, in lieve calo rispetto all'anno precedente, ma grazie alla crescita del reddito medio di quanti ci hanno sostenuto, senza un proporzionale decremento della somma raccolta.

Quest'anno, per l'ultima campagna 5x1000 di cui avremo i risultati nella primavera 2019, abbiamo scelto le testimonianze di chi è entrato indirettamente e casualmente in contatto con la fibrosi cistica. Lo abbiamo fatto per allargare il raggio di osservazione, per entrare nei canali social di chi non frequenta normalmente la comunità FFC, per diffondere conoscenza anche tra chi non è colpito dalla malattia. Dalle parole di queste persone abbiamo capito quanto sia sconcertante l'incontro con un malato fc, per la gravità della malattia a dispetto dell'aspetto apparentemente sano, della sua diffusione e delle limitazioni pesanti che impone nella quotidianità. Le storie raccontate sono state pubblicizzate per la prima volta con una campagna Facebook a pagamento della durata di tre mesi. Oltre 1.250.000 impressioni per quasi 600.000 persone raggiunte e la speranza di averne toccate tante con le vostre parole.

La sfida della prossima dichiarazione

Il 5x1000 è l'opportunità che lo Stato italiano mette a disposizione per aiutare (anche) la ricerca scientifica. Scrivere il numero e firmare sono gesti che non comportano alcuna spesa (è una quota d'imposta a cui lo Stato rinuncia). Ciò nonostante, negli ultimi dieci anni, quasi 700 milioni di euro destinati dallo Stato al 5x1000 non avevano una onlus a cui essere assegnati.

Accade infatti che, con buona frequenza – nel 17%, dei casi, per la precisione – le persone non scrivano un codice fiscale a cui destinare la somma, né firmino. In pratica non scelgono.

Al momento della prossima dichiarazione dei redditi, non lasciamoci sfuggire questa opportunità che lo Stato ci offre: i malati di fibrosi cistica ne hanno vitale bisogno.

Ottobre 2018: come donare vita in più ai malati di fibrosi cistica

Arrivano l'autunno e la XVI^a Campagna Nazionale per la Ricerca sulla Fibrosi Cistica, organizzata dalla Fondazione per parlare al pubblico della malattia genetica rara più diffusa in Italia, che conta due milioni e mezzo di portatori sani.

Per raggiungere l'obiettivo di fare conoscere a quante più persone possibili la realtà di questa complessa malattia, sono in atto numerose iniziative disseminate in tutta Italia; dalle tradizionali postazioni nelle piazze, all'iniziativa ciclistica - Bike Tour FFC - ideata nel 2012 dal presidente Matteo Marzotto, alla presentazione del nuovo libro dedicato alle ultime quattro tappe di questa iniziativa *charity*. E a sostegno degli eventi e delle attività di piazza, è in atto un piano media di copertura nazionale che coinvolge tv, radio e canali digitali, a cui è affidato il compito di fare conoscere e amplificare il lavoro di FFC sul territorio, potenziando il riconoscimento della onlus e sensibilizzando l'*audience* nei confronti della malattia.

La Campagna è inaugurata dal Bike Tour, giunto alla settima edizione: dal 2 al 6 ottobre vede impegnato Matteo Marzotto in compagnia dei campioni e degli amici sportivi Mario Cipollini, Max Lelli, Iader Fabbri, Fabrizio Macchi in un nuovo capitolo dell'iniziativa solidale che dal 2012 accompagna il gruppo lungo la Penisola per attirare l'attenzione sulla fibrosi cistica. Ogni tappa è animata da eventi e dalla presenza di Delegazioni, Gruppi di sostegno e volontari, uniti nel sostegno al progetto *Task Force for Cystic Fibrosis* - fase preclinica, promosso dalla Fondazione in sinergia con i Gruppi di ricerca di eccellenza mondiale, Istituto Italiano di Tecnologia e Istituto Giannina Gaslini di Genova. Quattro giorni sui pedali, per 15 tappe intermedie e cinque cene di gala: a Balestrate, Ragusa, Catania, Messina e Palermo.

Bike Tour e Campagna sono annunciati ai media nazionali nel corso di una conferenza stampa a fine settembre a Milano che ha il compito di inaugurare il mese di festa nelle piazze. Ai volontari FFC il compito di offrire il Ciclamino della Ricerca dal Nord al Sud, per le strade, nei negozi, nelle case, nei centri commerciali e sportivi, nei circoli culturali e nelle scuole di tutta Italia, raccontando la fibrosi cistica e l'importanza del sostegno alla ricerca. Per riuscirci in modo pervasivo è importante l'aiuto di tutti.

All'attività nelle piazze faranno da vetrina anche i social con una campagna dedicata al tema del tempo di vita da conquistare e della responsabilità che la ricerca ha di arrivare presto alla soluzione. Il tono della campagna è scherzoso nelle immagini e serio nel testo. Anticipiamo solo il contenuto del post: *Grazie alla ricerca, la vita media dei malati di fibrosi cistica continua a crescere. Vieni a trovarci in ottobre nelle piazze italiane. Se sostieni noi, stai regalando tempo. Ogni ciclamino, un po' di vita in più.*

Una volta partita la campagna, l'invito è a rilanciarla condividendo su Facebook e Instagram i vostri scatti o brevi video con lo stesso contenuto.



Ora dopo ora, mentre va in stampa il notiziario, nuove iniziative prendono forma. Per essere aggiornati in tempo reale visitate i siti **fibrosicisticaricerca.it** e **mondoffc.it**, la nostra pagina Facebook e il profilo Instagram **fondazioneffc**.





Bike Tour in pillole

Quando: dal 2 al 6 ottobre 2018

Dove: in Sicilia, da Palermo a Palermo

Con chi: Matteo Marzotto con Mario Cipollini, Max Lelli, Iader Fabbri, Fabrizio Macchi insieme alle Delegazioni FFC, ai volontari e a tanti sostenitori

Charity dinner: Martedì 2 a Balestrate (vicino a Palermo); mercoledì 3 a Ragusa; giovedì 4 a Catania, venerdì 5 nei pressi di Messina, sabato 6 a Palermo.

Come puoi donare vita in più

- Organizzando una postazione di offerta del Ciclamino della Ricerca nella tua città.
- Diventando distributore autorizzato di ciclamini, raccogliendo prenotazioni tra amici, parenti, conoscenti, colleghi di lavoro, compagni di squadra e di lavoro.
- Portando il ciclamino nelle scuole, coinvolgendo studenti, insegnanti e personale degli istituti scolastici.
- Se hai un'attività commerciale, esponendo in vetrina e offrendo ai clienti il fiore simbolo della Ricerca FFC.
- Condividendo sui profili social i contenuti pubblicati da FFC.

Per unirti ai volontari FFC contatta:

Fabio 045 8123605 – fabio.cabianca@fibrosicisticaricerca.it;

Francesca 045 8127029 – francesca.morbioli@fibrosicisticaricerca.it;

Laura 045 8127032 – laura.fratta@fibrosicisticaricerca.it.



Ultimissima ora



Assegnato a FFC il numero solidale 45581

Dal 2 al 20 ottobre 2018 si possono donare

- **2 euro da cellulari** Wind Tre, TIM, Vodafone, PosteMobile, CoopVoce e Tiscali;
- **5 euro con chiamate da rete fissa** TWT, Convergenze e PosteMobile;
- **2 o 5 euro da rete fissa** TIM, Wind Tre, Fastweb, Vodafone e Tiscali.

Il salvadanaio Facebook



In sei mesi, da quando Facebook ha dato agli utenti la possibilità di fare donazioni e organizzare raccolte fondi benefiche, abbiamo raccolto quasi 44 mila euro, che hanno contribuito al finanziamento del progetto *Task Force*. In molti ci chiedono se davvero riceviamo il denaro: certamente! Con cadenza quindicinale FB bonifica ogni centesimo raccolto, senza addebiti per il servizio.

Per non indebolire l'efficacia dello strumento, raccomandiamo di non sovrapporre la richiesta di sostegno con altre iniziative di raccolta fondi. Consigliamo anche di spendere qualche riga per spiegare con parole vostre le ragioni per cui gli amici dovrebbero donare.

Come avviare una raccolta? Basta accedere a FB; selezionare la voce *Raccolte fondi*, che si trova in fondo alla colonna di sinistra della pagina Fondazione per la Ricerca sulla Fibrosi Cistica; cliccare sul pulsante *Raccogli denaro* presente a destra e poi su *Inizia*, quindi seguire passo passo le istruzioni.

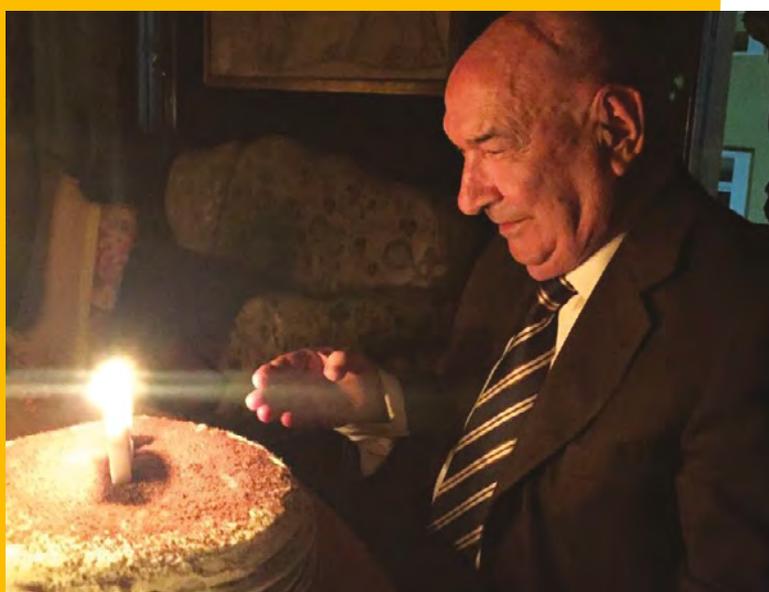
Non solo Bike Tour



Il 21 ottobre, in provincia di Taranto, torna "Pedalando per la ricerca", giornata charity sulle due ruote organizzata dalla Delegazione FFC di Massafra. Matteo Marzotto e Max Lelli, con Andrea Gurayev e Paola Gianotti, percorreranno l'affascinante scenario delle cento masserie di Crispiano con amanti e amatori della bicicletta, per tenere alta l'attenzione sulla fibrosi cistica.

24 ore in sella per dare slancio alla ricerca

530 chilometri in 24 ore. Li ha percorsi, tra l'8 e il 9 giugno, il presidente FFC Matteo Marzotto alla 24h Castelli di Feltre, a sostegno della ricerca. Per ogni giro completato la famiglia Cremonese, a capo del brand Castelli, aveva messo in palio 30 euro di donazione. A fine gara il bottino raccolto a favore della ricerca sulla fibrosi cistica è stato di 8.250 euro. «Io non l'ho fatto da solo – commenta Marzotto. Sono sempre stato a ruota. Mi hanno accompagnato dei grandi campioni. La bicicletta è un mezzo straordinario per portare il nostro messaggio a moltissime persone. 7 giorni della settimana per 24 ore al giorno, siamo impegnati a sconfiggere la malattia. Continuiamo a pedalare!».



I 90 anni di Vittoriano Faganelli, presidente emerito FFC

Doveva essere un compleanno speciale e Paolo Faganelli è riuscito nell'impresa di renderlo unico, organizzando per il padre una festa a sorpresa presso il ristorante milanese The Stage. «Hanno partecipato novanta ospiti che hanno avuto un ruolo lavorativo e affettivo importante nella vita di Vittoriano. Amici che lo hanno accompagnato negli anni – racconta Giuseppe Zanferrari, direttore di gestione FFC. Era emozionatissimo. Da persona empatica e generosa, nella vita ha costruito relazioni umane intense. Ha ricevuto una grande accoglienza, indicativa di amicizie profonde e della stima che gode da parte di tutti». Per l'occasione sono stati raccolti oltre 10.500 euro, destinati alla ricerca FC.

FFC su Sky grazie ai Campionati di Ginnastica Artistica 2018

Il sodalizio *charity* tra FFC e i Campionati di Ginnastica Artistica ha portato una preziosa visibilità mediatica, soprattutto su Sky, indispensabile a fare conoscere la fibrosi cistica. Positivo anche il risultato del *charity* dinner di sensibilizzazione rivolto agli imprenditori e alle aziende italiane di rilievo, per fare conoscere mission e attività di ricerca FFC, in particolare il progetto *Task Force*, per il quale sono stati raccolti circa 7.500 euro.



Coppa famiglia

Il 25 aprile, al Circolo Golf e Tennis Rapallo, si è rinnovato l'appuntamento con la Coppa Famiglia, torneo di golf a scopo benefico a sostegno della Fondazione. L'iniziativa è stata organizzata con la collaborazione del vicepresidente FFC Paolo Faganelli, della Delegazione di Genova e di Workin-progress Communication. «Una giornata costruttiva - commenta la volontaria Sandra Garau. Con noi c'era anche Giulia Di Benedetto, che ha colpito i presenti per la sua forza e la carica di positività con cui affronta la vita». Quanto raccolto nel corso della giornata è stato destinato al progetto FFC 9/2017



Cultura ricerca e charity: asta Eyes Open parte seconda

In collegamento Skype ci sono Paola Ferlini e Rachele Somaschini. «L'asta è nata dalla collaborazione con Barbara Silbe, grande amica di Rachele - dice Paola. Ha fatto un lavoro incredibile, oltre a dedicare sempre alla Fondazione le pagine centrali del trimestrale *EyesOpen! Magazine*. Ai primi dell'anno, con l'idea di fare una cosa piccola, Barbara ha pensato di lanciare su FB la richiesta ai fotografi di scatti da battere all'asta. Hanno aderito in tantissimi. Per rispondere a tutti 167, farsi mandare le opere, catalogarle, metterle online, ha fatto un super lavoro di coordinamento». Per battere ogni pezzo ci sono volute due date: il 5 aprile, ospitata al teatro Franco Parenti, e il 17 maggio presso Bottega Immagine, che ha appoggiato l'iniziativa, mettendo a disposizione lo studio fotografico sia come deposito sia come esposizione in mostra sia per la seconda asta. Alla fine sono stati raccolti oltre 20 mila euro. 56 opere non assegnate sono ancora acquistabili online sul sito eyesopen.it.

A battere l'asta c'era Carlo Negri. «Lo aveva già fatto e il suo contributo è stato importante - commenta Rachele. È molto divertente, un istrione. Aveva chiaro l'obiettivo: raccogliere donazioni per la ricerca e lo ha trasmesso ai donatori». Aggiunge Paola: «tutti i volontari storici di Milano hanno partecipato. Sembravamo una casa d'asta rodada, anche se ci siamo inventati tutto dalla A alla Z. È stata una condivisione e una messa insieme di persone incredibile ed è andato tutto liscio. Un evento che ha prosciugato di energia emotiva noi e Barbara, sempre sul palco. Ha raccontato ogni foto e ha intervistato gli autori. Hanno partecipato collezionisti, fotografi, parenti, amici e persone che seguono i nostri eventi. Siamo grati per il trattamento impareggiabile a Gorini Catering, Vini Biagi per i rossi e Colsaliz per gli spumanti».

È capitato anche un episodio singolare. Racconta Rachele: «la ricercatrice Alessandra Bragonzi, sempre al nostro fianco come volontaria, per parlare di ricerca e lavorare fisicamente, si è contesa un'opera con la persona che ha fatto la donazione più alta per una foto di Galimberti e che si è aggiudicata il maggior numero di scatti. Dopo tre-quattro battiture abbiamo scherzato, raccomandando di trattarla bene, perché era una ricercatrice del San Raffaele. Allora l'altro ha rilanciato il prezzo altissimo. Non lo conosceva nessuno questo signore. Si è alzato, è andato da lei e le ha regalato la foto. Lei era imbarazzatissima, non se l'aspettava. Un gesto estemporaneo, inaspettato, che ci ha commosso tutti».

Da Nord a Sud

Gli eventi che colorano la primavera-estate FFC

Senza sosta, nascono in ogni stagione e in ogni angolo d'Italia le iniziative che spingono avanti la ricerca nel suo complicato viaggio alla scoperta di una cura per la fibrosi cistica.

Migliaia di chilometri a piedi, incontrando i volontari FFC



Zaino in spalla e t-shirt FFC che diceva *La speranza si fa strada*. Questa volta, per fare conoscere la fibrosi cistica, Paolo Previato ha percorso 2.470 chilometri sulla Via Francigena, da Roma a Canterbury. Dopo il cammino di Santiago, in ricordo di Francesca Menin, Paolo ha scelto di farsi portavoce della storia di Maria, bambina di dieci anni affetta da FC. Racconta: «è stata mia sorella a farmi scoprire la realtà di chi vive con la fibrosi cistica. All'inizio ho vissuto il mio impegno con grande positività, negli anni i problemi delle persone che ho incontrato mi hanno fatto comprendere più a fondo il significato di convivere con questa malattia e oggi la fibrosi cistica è diventata anche un mio problema». Lungo il percorso Paolo è stato accolto dai volontari FFC, che hanno promosso iniziative di informazione e raccolta fondi sulla malattia e gli hanno dato lo spunto per la prossima avventura: «mi piacerebbe affrontare un itinerario tutto italiano, per ritrovare le persone che ho conosciuto in questi anni, da Montebelluna a Udine, da Trieste a Roma, e poi ricongiungermi al cammino francigeno, a Brindisi, proseguendo per Calabria e Sicilia».

Cinque ragazze verso Santiago

«Con orgoglio indossiamo la maglietta FFC, perché ogni nostro respiro sia un respiro per gli altri», scrivono Cinzia, Paola, Manuela e Rita (Cintya non è riuscita a partire), le amiche della Delegazione FFC di Genova, che per il terzo anno consecutivo hanno deciso di affrontare una parte del Cammino di Santiago de Compostela per lanciare un messaggio di speranza e sostenere la ricerca sulla fibrosi cistica. Sono partite il 5 luglio da Burgos, dove avevano concluso il viaggio l'anno scorso, indossando la maglietta di Fondazione.



#CanoforCF

La Canottieri Mincio il 26 agosto ha organizzato una serata benefica che ha permesso di donare 5.000 euro a sostegno del progetto di ricerca Task Force for Cystic Fibrosis. «I malati di fibrosi cistica sono ragazzi e ragazze che portano con sé una incredibile grinta e forza di volontà. La Canottieri ha deciso di affiancare la Fondazione Ricerca Fibrosi Cistica per dare il suo piccolo contributo alla speranza di questi ragazzi», afferma Massimo Dal Forno, presidente della Canottieri Mincio.



Festa grande in Valpolicella

Il 16 e il 17 giugno sono tornati i due giorni di festa per la ricerca FC organizzati dalla Delegazione della Valpolicella (VR). Una settima edizione piena di soddisfazioni. Racconta Laura Cottini, la responsabile del gruppo: «siamo diventati una forza della natura. Tante persone ci sostengono e aspettano questo evento come un appuntamento imperdibile per la buona cucina e l'atmosfera. Sembra sia il grande entusiasmo che ci anima a fare da motore all'evento e da catalizzatore dell'affetto delle persone. Un grazie sincero a tutti i volontari, bambini compresi, che si sono adoperati per la pulizia dei tavoli, e ai gruppi musicali Ottozerodue e Macho Koala per l'intrattenimento. Noi ci mettiamo il cuore e la ricerca si fa strada».





Vicenza, il libro che sfida la FC

Dopo la prima, le presentazioni del libro *Tredici/43* si sono moltiplicate. Dario e Annamaria Antoniazzi non si fermano nell'attività di sensibilizzazione e raccolta fondi a favore della ricerca in fibrosi cistica. Sono stati a San Pietro Mussolino; ospiti di Round Table Vicenza, del Lion Club Valdagno e del Rotary Club Arzignano; a Ponte dei Nori, Valdagno, con Matteo Marzotto; a Torri di Quartesolo e a Cornedo Vicentino, all'enoteca La Corte, in occasione dell'evento organizzato a favore di FFC dall'amico Claudio Bortolati e il suo gruppo musicale Ondacustica. *Tredici/43* vuole essere uno strumento a disposizione di tutti per raccontare una realtà difficile da percepire, quella di chi convive con la malattia; mostrare i progressi della ricerca e trovare risorse per continuare a finanziarla.

Il grande respiro di Campodolcino

Enorme successo per la terza edizione de "La Camminata del Respiro", iniziativa sportiva solidale organizzata dalla Delegazione FFC della Valchiavenna, che ha raccolto 20.658 euro netti, destinati al progetto Task Force for Cystic Fibrosis. 450 gli iscritti alla camminata, 277 i partecipanti al pranzo e ancora molti altri i sostenitori presenti a Campodolcino (SO), che hanno contribuito a fare parlare della malattia e alla straordinaria raccolta fondi. L'evento nasce da un'idea di Greta, giovane volontaria della Delegazione e paziente FC, che anno dopo anno, insieme alla sua famiglia e a un gruppo di amici, si è impegnata per farlo crescere fino a raggiungere il sorprendente risultato dello scorso 22 luglio.



Una camminata per Dany

15 aprile, Nuova Olonio (SO), giornata in memoria di Daniela Copes, per portare avanti la sua battaglia e non lasciare morire la speranza in tutte le persone costrette ad affrontare ogni giorno la fibrosi cistica. Scrivono i familiari: «un ringraziamento molto speciale a quei ragazzi che chiamano dal nulla spiegando che vogliono donare il loro contributo al progetto di ricerca scelto da Daniela. Uno dei segni che ci dimostra come abbia vinto lei nonostante tutto». Sono stati devoluti oltre 7.200 euro a favore del progetto FFC 24/2017.



Morbegno (SO)

3 giugno, *La speranza si fa strada* con la camminata non competitiva per la ricerca sulla fibrosi cistica promossa dal Gruppo di Sostegno FFC di Morbegno in collaborazione con Pro Loco Morbegno e Team Valtellina. Scrive la giovane volontaria Cristina Curti: «bisogna partire da qualche parte per provare ad andare lontano, provare a fare la differenza. Grazie a chiunque abbia creduto con noi che fare del bene ne crei più di quanto ne dia».

Grado

Aggregare per condividere, questo lo spirito del 6° Motoraduno della solidarietà, svoltosi il 1° maggio, al palazzetto dello sport di Grado. L'evento, nato nel 2013 per unire la voglia di stare insieme, ascoltare musica dal vivo, mangiare bene e sostenere un importante progetto sociale, quest'anno ha scelto di supportare con i 10.000 euro raccolti la Fondazione Ricerca Fibrosi Cistica. Ringraziamo i tanti, motociclisti e non, che hanno reso un successo l'iniziativa.





Festa della mamma

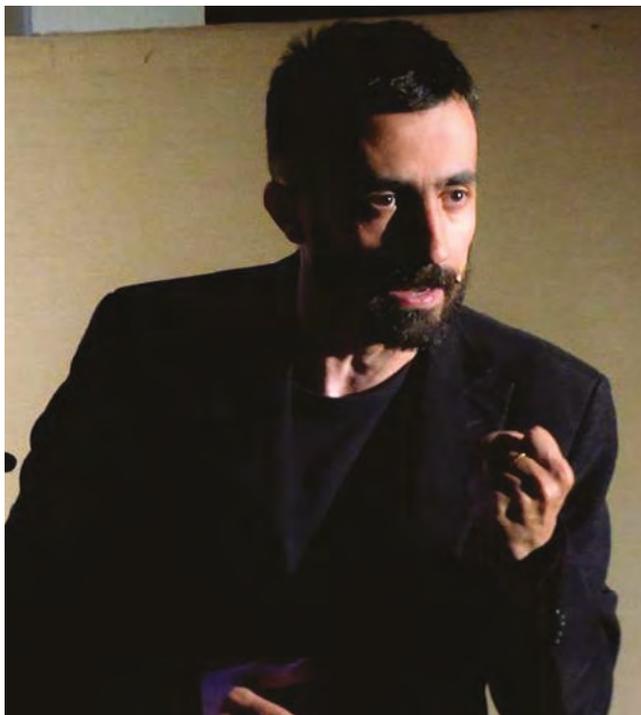
Non è mai celebrata abbastanza, ma la festa della mamma resta un appuntamento che genera attesa tra quanti, negli anni, hanno coltivato una tradizione. Prima fra tutte la Delegazione FFC di Belluno, che in questo 2018 raccoglie ben 10.000 euro offrendo piccole rose, ma anche a Catania, Lecce, Biella e Verona, ci sono gruppi di volontari che hanno trasformato l'occasione in un'opportunità per dare respiro alla ricerca.



Mamme per la Ricerca (GE)

Peccato per la pioggia, perché "Coccolasino" è un evento ludico-sportivo molto amato, che avvicina gli asini ai bambini. «Una giornata fantastica - dice la volontaria Simona Moreni. Grazie a tutti quelli che hanno partecipato. Insieme si può fare molto per fare progredire la ricerca».





Acqui Terme (AL)

Pierpaolo Baingiu durante lo spettacolo da se stesso scritto e interpretato *Senza fiato, una risata vi seppellirà. A me la fibrosi cistica. Forse*, ospitato l'8 maggio, al teatro dell'Istituto Santo Spirito di Acqui Terme (AL). Baingiu porta in scena la propria storia e racconta con un po' di umorismo la vita di chi è affetto da fibrosi cistica, per sensibilizzare l'opinione pubblica nei confronti della malattia genetica grave più diffusa in Italia ma ancora a molti sconosciuta.

Torino

Settima edizione per il "Festival della musica in note solidali". L'iniziativa, organizzata dalla Delegazione FFC di Torino con il patrocinio del Comune, è dedicata agli studenti di scuole medie ed elementari, per scambiare e stimolare le loro conoscenze a livello musicale e culturale. I vari gruppi si alternano sul palco dando vita a un concerto di generi misti. L'incontro diventa l'occasione per fare conoscere la fibrosi cistica, grazie alla presenza dei volontari FFC.



Verbania

È stata accolta con entusiasmo la seconda edizione di Sorso in bici, pedalata solidale su asfalto e sterrato. Un percorso da ripetere tre volte, tra giochi, travestimenti e bicchieri di birra versati a ogni passaggio dal via. «Abbiamo triplicato il risultato dello scorso anno - commenta Nathalie soddisfatta. Incassati 2.205 euro con 118 iscrizioni». Alla prossima!



Franciacorta (BS)

Il 30 giugno e il 1° luglio, a Passirano (BS), si è tenuta la sesta edizione del Palio dei Campanili, che ha sostenuto la Fondazione FFC con una donazione di oltre 7.000 euro. Dopo 13 anni di stop, la storica manifestazione è tornata per due giornate dall'animo solidale. Complimenti a Nicla Bonardi, caparbia responsabile della Delegazione della Franciacorta, e al gruppo di volontari che la affianca, per la passione con cui hanno organizzato questo evento e la camminata solidale del 29 luglio a Cazzago San Martino.



Genivolta (CR)

Il 16 e 17 giugno, presso il bar trattoria La Speranza, a Genivolta (CR), si è rinnovato l'appuntamento con la solidarietà a favore della ricerca sulla fibrosi cistica. Anche quest'anno i volontari del Gruppo di Sostegno FFC locale hanno organizzato due serate di festa, per una raccolta di 2.900 euro, destinati all'adozione di un avanzato progetto scientifico. Grazie a quanti hanno partecipato al successo dell'iniziativa!



Asolo (TV)

Il 19 aprile villa Pasini-Danieli ha ospitato il quinto torneo di burraco, patrocinato dal club Amici Burraco Treviso sezione di Montebelluna, a favore della ricerca sulla fibrosi cistica. I 68 giocatori sono stati accolti dalla squisita accoglienza di Anna Danieli, la padrona di casa, che con il suo staff ha saputo mettere ognuno a proprio agio. Magistrale la preparazione delle pietanze, dagli aperitivi, al ricchissimo buffet dolce e salato. Il contributo per la ricerca è stato di 2.385 euro.





Legnago (VR)

La Delegazione FFC di Boschi S. Anna – Minerbe, in collaborazione con CSD Art Dance School di Villa Bartolomea e ASD Togheter Dance School di Legnago, in occasione dello stage di danza moderna con il ballerino Kledi Kadiu.

Ferrara

Ostellato di Ferrara, 28 aprile. Una serata per festeggiare 25 anni di musica e dimostrare che insieme si può fare molto per gli altri. Dice Roberto, del gruppo "Le Favole": «noi conosciamo solo una persona con fibrosi cistica, Claudia Rinaldi. È del nostro paese e non sembra appartenere al mondo dei malati. Lei però è molto diretta e ci fa capire che la cosa migliore per un malato non è il conforto ma l'esserci. Per dimostrarle che ci siamo abbiamo voluto organizzare una serata musicale a favore di FFC».



Cecina (LI)

230 persone hanno partecipato al tradizionale appuntamento benefico presso il ristorante Sole Mare di Vada, organizzato dalla Delegazione FFC di Cecina e Rosignano a sostegno della Ricerca FFC. Un grazie speciale alla Pasticceria Dolce Vita per avere offerto la megatorta!



Falvaterra (FR)

Anche quest'anno gli amici del gruppo di scrittura di Falvaterra hanno deciso di destinare il ricavato del loro impegno collettivo a favore della ricerca sulla fibrosi cistica.



Albano (RM)

27 maggio, "Albano insieme in festa". Un ringraziamento speciale ad Antonia Iurescia, Clementina Ioculano e a tutte le persone che hanno partecipato alla giornata di festa e sensibilizzazione per la ricerca FFC.



Caserta

21 aprile, Stadio del Nuoto di Caserta, "Una bracciata con Massimiliano Rosolino" per diffondere la conoscenza sulla fibrosi cistica e sensibilizzare sull'importanza del sostegno alla ricerca scientifica.

Nella foto Ciro De Blasio con Massimiliano Rosolino.



Pomezia (RM)

17 giugno, Viterbo Chapter Italy e Harley-Davidson Viterbo Like Brothers, in collaborazione con la Delegazione FFC di Pomezia, per una domenica on the road a sostegno della ricerca FC.



San Giuseppe Vesuviano (NA)

29 giugno, la giovanissima Delegazione FFC di San Giuseppe Vesuviano, ospite alla festa conclusiva dell'Estate ragazzi 2018, organizzata dal Centro Giovanile dei Giuseppini del Murialdo.



San Giovanni Rotondo (FG)

Dopo il grande successo della prima edizione, il 5 maggio si è rinnovato l'appuntamento con "Musica per la ricerca sulla fibrosi cistica", concerto spettacolo nato dall'idea di Teresa Chiara Melchiorre, ventenne allieva della Scuola di musica Novecento, che ha portato sul palco del Cineteatro Palladino i ragazzi della scuola per un entusiasmante serata benefica a suon di brani pop rock. I 3.400 euro raccolti contribuiscono al finanziamento di un avanzato progetto di ricerca.



Policastro (SA)

29 aprile, Sapri, il coro "Una voce per gli angeli" presenta "Jubilate Deo", concerto benefico a sostegno della ricerca FC.



Palermo chiama Mumbai

Metà giugno, il prestigioso Circolo TeLiMar festeggia 30 anni. Lo fa a fianco della Fondazione con una degustazione di deliziosi piatti indiani e siculi commistionati da influenze d'Oriente. «Una bellissima serata tra cucina eccellente e solidarietà – commenta Emiliano Lo Monaco, responsabile della Delegazione palermitana. In occasione del trentennale del centro sportivo, si rinsalda il nostro sodalizio grazie a Federica, Marcello e tutto l'impeccabile staff». Parte del ricavato della serata è stato devoluto in adozione del progetto di ricerca finanziato dalla Delegazione FFC di Palermo.

Torre Santa Susanna (BR)

8 aprile, "Il giorno dei desideri, eventi per un respiro", una giornata di sport, giochi, informazione e raccolta fondi per la ricerca FFC, che contribuisce con 1.994 euro a finanziare un progetto di ricerca. 70 bikers hanno partecipato alla pedalata di 53 km e moltissime famiglie alle iniziative pensate per i bimbi: il laboratorio di bolle di sapone, per la costruzione di aquiloni riutilizzando l'involucro dell'uovo di Pasqua, per la realizzazione di bacchette scintillanti e braccialetti; la caccia al tesoro a tema piratesco, con accessori per il travestimento; l'area giochi con scivoli, dondoli, disegni da colorare e simpatiche mascotte.



Tu doni, io respiro

“Tu Doni, Io Respiro”, l’evento organizzato dal Gruppo di Sostegno FFC di Siniscola Nuoro, giunge alla terza attesissima edizione, conclusasi alla grande, con una raccolta di 8.500 euro. «Abbiamo raccolto tanti fondi che serviranno ad aiutare la ricerca – dice Veronica Solinas. Tutto si è svolto grazie alla comunità di Siniscola e dintorni. Sono tantissime le persone che ci hanno aiutato: commercianti, artigiani, giornalisti, operai, artisti. Voglio ringraziare i volontari e le persone di buon cuore che hanno speso il loro tempo per venire a divertirsi con noi. La risposta è stata grandissima e ci auguriamo di potere fare meglio ogni anno. Grazie a tutta la città!».



Per Cristina e Marco, “diamoci una mossa”

È giunto alla settima edizione il torneo di calcio a sette organizzato dal Gruppo di Sostegno FFC di Riola Sardo (OR) in ricordo dei fratelli Loche. «La parte più emozionante è stata quando abbiamo aperto lo striscione *Diamoci una mossa. Insieme possiamo sconfiggere la fibrosi cistica*, con i volti di Cristina e Marco – racconta Giulia Dolenz. Rita, la loro mamma, proprio non se l’aspettava. Si è voltata e lo ha visto. Lei ci ha sempre detto “ragazzi, se ve la sentite di fare qualcosa, fate quanto più riuscite. Io sto dietro le quinte, ma ci sono, pronta a darvi una mano. In realtà è sempre in prima fila. Anche per questo abbiamo voluto farle una sorpresa. È difficile continuare a trovare la spinta per impegnarsi, dopo avere perso due amici, ma in famiglia siamo tutti portatori sani – aggiunge Giulia. Se il nostro impegno non può più essere per Cristina e Marco, aiuterà comunque qualcun altro».



eventi felici



Prima comunione di Marta Lo Iacono, 22 aprile 2018, Palermo.



Prima comunione di Giuliano Sanzo, 3 giugno 2018, Palermo.



Prima comunione di Francesca e Adriana Renzi, 13 maggio 2018, Palermo.



Complimenti alla giovane volontaria e campionessa FC Giorgia Ferroni, di San Giuseppe di Comacchio, arrivata terza nella gara di nuoto provinciale 100 metri dorso.



W gli sposi Gaia e Stefano, 9 giugno 2018.



Auguri agli sposi Mariano e Alice, 23 giugno 2018, Barcellona Pozzo di Gotto (ME).



Grazie a Nonna Bruna e a Vittorio per avere sostenuto la ricerca in occasione delle nozze d'oro.



Battesimo di Marta

Per donare

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

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

Per approfondire: fibrosicisticaricerca.it/sostieni-la-fondazione nella sezione benefici fiscali



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



Consiglio di Amministrazione

Presidente Matteo Marzotto

Presidente emerito Vittoriano Faganelli

Vicepresidente Paolo Faganelli,

Michele Romano

Consiglieri Michele Bauli, Sandro Caffi,

Francesco Cobello, Paolo Del Debbio,

Francesco Ernani, Giuseppe Ferrari,

Gianni Mastella, Donatella Treu,

Luciano Vettore, Patrizia Volpato

Direzione scientifica

Direttore Gianni Mastella

Vicedirettore Graziella Borgo

Comitato di consulenza scientifica

Presidente Giorgio Berton

Consulenti Paolo Bernardi, Paola Bruni,

Roberto Buzzetti, Gian Maria Rossolini

Presidenza e Segreteria

(G. Cadoni, F. Lavarini)

Tel. 045 8123438-7037 – Fax 045 8123568

Ospedale Maggiore, Piazzale Stefani 1

37126 Verona

fondazione.ricercaffc@aovr.veneto.it

gabriella.cadoni@fibrosicisticaricerca.it

federica.lavarini@fibrosicisticaricerca.it

Direzione Scientifica (G. Mastella)

Tel. 045 8123567

gianni.mastella@aovr.veneto.it

Vicedirezione Scientifica (G. Borgo)

Tel. 045 8127027

borgograziella@gmail.com

Assistente: Flaminia Malvezzi

Tel. 339 5740729

flaminia.malvezzi@fibrosicisticaricerca.it

Direzione di Gestione (G. Zanferrari)

Tel. 045 8127028

giuseppe.zanferrari@gmail.com

Amministrazione (G. Cadoni, M. Bergamaschi, M. Giacomuzzi)

Tel. 045 8123597 - 7034 - 7025

gabriella.cadoni@fibrosicisticaricerca.it

fondazione.ricercaffc@aovr.veneto.it

marina.giacomuzzi@fibrosicisticaricerca.it

Comunicazione

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

Tel. 045 8123599 - 7026

comunicazione.ffc@aovr.veneto.it

Ufficio stampa (P. Adami)

Tel. 348 3820355

patrizia@clabcomunicazione.it

Raccolta Fondi e Rapporti con il Territorio

(F. Cabianca, L. Fratta, G. Buemi, F. Morbioli)

Tel. 045 8123605 - 7032 - 7033 - 7029

fabio.cabianca@fibrosicisticaricerca.it

laura.fratta@fibrosicisticaricerca.it

giusy.buemi@fibrosicisticaricerca.it

francesca.morbioli@fibrosicisticaricerca.it

fibrosicisticaricerca.it

 **Fondazione per la Ricerca sulla Fibrosi Cistica**

 **fondazioneffc**



Presidente
MATTEO MARZOTTO



Direttore Scientifico
GIANNI MASTELLA



Presidente Comitato Scientifico
GIORGIO BERTON

Delegazioni della Fondazione

Alessandria - Valle Scrivia	347 3095778
Ancona - Fabriano	347 8638704
Ascoli Piceno	320 4792114
Avellino	349 3940749
Bari - Alberobello	348 2632041
Belluno	0437 943360
Bergamo - Trescore Balneario	338 4276716
Bergamo - Villa D'almè	335 8369504
Biella	331 9028525
Bologna	348 1565099
Brescia	030 5233919
Brescia - Franciacorta	340 6589530
Brindisi - Torre	327 2056244
Cagliari - Villasimius	348 7162291
Catania Mascalucia	333 1909983
Catania - Paternò	348 7237760
Catanzaro - Soverato	347 5283975
Cecina e Rosignano	340 6113886
Como - Dongo	333 7737473
Cosenza Nord	349 0519433
Cosenza Sud	347 9041138
Cuneo - Alba	333 6301943
Fermo	339 4758897
Ferrara	347 4468030
Foggia	320 4848190
Genova	348 1634818
Grosseto - Manciano	333 8221877
Imola e Romagna	347 9616369
Latina	328 8042186
Lecce	388 3498587
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
Padova - Monselice	042 974085
Palermo	338 4124077
Parma	0521 386303
Pavia	338 3950152
Pesaro	347 0191092
Pescara	347 0502460
Ragusa - Vittoria Siracusa	338 6325645
Reggio Calabria	342 5618929
Reggio Emilia	0522 874720
Roma	339 7744458
Roma - Monterotondo	349 6500536
Roma - Pomezia	349 1538838
Rovigo	349 1252300
Sassari - Castelsardo	338 8437919
Siena	348 5435913
Sondrio - Valchiavenna	333 7063142
Taranto "A Carmen La Gioia"	320 8715264
Taranto - Massafra	329 2025039
Torino	328 8352087
Torino - Rivarolo Canavese	347 9672344
Trapani - Marsala	333 7240122
Treviso - Montebelluna	335 8413296
Treviso - Trevignano	340 6749202
Trieste	348 4959691
Varese	347 8347126
Varese - Tradate Gallarate	347 2441141
Verbania e V.C.O.	338 2328074
Vercelli	335 1264091

Verona	347 8480516
Verona - Bovolone	348 3395278
Verona - Cerea "Il Sorriso di Jenny"	339 4312185
Verona - Lago di Garda	348 7632784
Verona - Boschi Sant'Anna Minerbe	328 7140333
Verona - 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	347 5490769
Alessandria - Acqui Terme	366 1952515
Alessandria - Casale Monferrato	392 6657566
Ancona Falconara	347 3329883
Arezzo	331 3700605
Asti - Moncalvo	339 5819218
Bari - Altamura	334 7295932
Bari - Bitritto	340 1618950
Barletta	0883 519569
Benevento	347 4722532
Bergamo - Isola Bergamasca	349 5002741
Bolzano - Val Badia	0474 520127
Brindisi - Latiano	347 6350915
Cagliari - Isili	388 8925391
Campobasso	346 8744118
Cremona	389 1191703
Cremona - Genivolta	347 9345030
Crotone	340 7784226
Ferrara - Comacchio	339 6511817
Firenze - Reggello	328 7043136
Foggia - Manfredonia	347 5012570
Foggia - San Giovanni Rotondo	340 8789661
Frosinone	320 7277330
Genova " Mamme per la ricerca"	333 4761744
Gorizia - Grado	328 6523404
Imperia	339 5073139
La Spezia - Sarzana "Natalina"	349 7665757
Macerata - Civitanova Marche	349 3746720
Medio Campidano	349 7829841
Messina - Tremestieri	328 5541071
Milano - Casarile	339 2055787
Milano - Lainate	348 3807009
Milano - Magenta	339 4887552
Milano - Seregno	338 4848262
Modena - Sassuolo	333 5862932
Nuoro - Siniscola	320 7953209
Oristano - Riola Sardo	342 5133252
Padova - Urbana	347 0814872
Parma - Fidenza	334 6994359
Pavia - Vigevano	339 2001843
Perugia - Città di Castello Umbertide	320 9273469
Prato	328 9076797
Ravenna - Faenza	0546 44310
Roma - Vaticano	328 2442701
Rovigo - Adria	377 2077527
Salerno - Golfo di Policastro NEW	328 8660690
Sassari - Alghero	329 2096790
Savona - Spotorno	334 3368141
Siracusa - Melilli	333 2005089
Sondrio - Morbegno	349 6852688
Teramo - Martinsicuro	388 9400461
Torino - Chivasso	011 9172055
Torino - Ivrea	335 7716637
Torino - Nichelino	333 2923955
Trento - Ass.ne Trentina Fibrosi Cistica	340 5228888
Venezia - Mirano	340 1668645
Verona "Rita"	347 6064471



Fondazione Ricerca
Fibrosi Cistica - Onlus
fibrosicisticaricerca.it

tita



*Fibrosi cistica.
Ogni ciclantino,
un po' di vita in più.*

In questi anni, grazie alla ricerca tanti bambini sono diventati grandi. Ogni anno che passa, la ricerca allunga la vita dei malati di fibrosi cistica. Aiutala a continuare. A ottobre cerca i ciclantini FFC nelle piazze italiane e sostienici.

La fibrosi cistica blocca i polmoni. Dai respiro alla ricerca.

Info su **fibrosicisticaricerca.it**