

REPORT SULLE ATTIVITÀ DI RICERCA, FORMAZIONE E INFORMAZIONE SCIENTIFICA DELL'ANNO 2017 E PROGRAMMA PER L'ANNO 2018 (con proposte di investimento)

ATTIVITÀ DI RICERCA 2017

Progetti di ricerca della rete italiana dei ricercatori FFC

Si ricorda che tale attività, coordinata dalla direzione scientifica FFC, si avvale del contributo di orientamento strategico e di valutazione dei progetti da parte del Comitato Scientifico FFC, con la collaborazione di esperti stranieri (*referees*: 95 nel 2017).

Complessivamente, 57 progetti sviluppati nell'annata:

- 25 progetti conclusi al 31 agosto 2017
- 15 progetti *in progress*
- 17 progetti nuovi (dal 1 settembre 2017)

Un progetto strategico:

- *Task Force for Cystic fibrosis (TFCF)* (3 fasi: concluso). Avviato dal 1 settembre 2017 il progetto "*TFCF extension*", in preparazione e supporto allo studio "*TFCF fase preclinica*", che si avvierà al 1 maggio 2018)

Contenuti e risultati più significativi

- Progetti mirati alla scoperta di farmaci atti a correggere e potenziare la proteina CFTR:

I risultati più significativi derivano dal progetto TFCF: identificate e ottimizzate alcune molecole con attività simile o superiore a correttori già noti. Selezionate anche alcune molecole con azione potenziatrice molto attive. Avviata brevettazione italiana ed europea dell'invenzione di due classi di correttori CFTR. Selezionato il composto correttore di CFTR ARN23756: esso sarà oggetto dello studio preclinico "*TFCF Fase preclinica*".

Di interesse l'identificazione di molecole candidate a correggere il difetto dovuto a mutazioni stop (avviata brevettazione di un composto). Innovativi gli approcci di recupero di CFTR-F508del attraverso interventi su chinasi. Identificato un nuovo potenziatore CFTR, il peptide PI3Kgamma. Ulteriori significativi risultati ottenuti da progetti rivolti a conoscere i meccanismi alla base della disfunzione CFTR. Individuato un nuovo bersaglio importante per nuovi farmaci atti al recupero di CFTR mutata (RNF5). Ulteriori sviluppi della messa a punto di organoidi intestinali per lo studio di nuovi farmaci e possibilmente per personalizzare le terapie del difetto di base. Messa a punto di nuovi modelli per predire l'attività di nuovi farmaci sul recupero di CFTR. Nuovi risultati riguardo alla terapia cellulare-genica mediante staminali vascolari, i mesoangioblasti. Individuati bersagli per ridurre gli effetti collaterali di potenziatori CFTR.

- Progetti mirati alla cura dell'infezione polmonare

Continua forte interesse per lo studio del microbioma polmonare (comunità batterica complessa), mentre vi sono proposte di nuovi farmaci attivi contro *Pseudomonas aeruginosa*, tra cui nuovi peptidi antimicrobici, alcuni fagi e il gallio. Completato lo studio di nuove molecole per l'infezione da *B. cenocepacia*, con sviluppo di formulazioni inalabili.

- Progetti rivolti a curare l'eccesso di infiammazione polmonare

Procede l'acquisizione di nuove conoscenze per spiegare i meccanismi e il ruolo devastante dell'infiammazione polmonare FC, con identificazione di nuovi bersagli per possibili cure e

proposte terapeutiche significative: tra queste l'anakinra, la resolvina D1, la Glucocerebrosidasi GBA2, nuovi imino-zuccheri derivati da miglustat e la miriocina.

- Progetti di ricerca clinica

Tra i più rilevanti si segnalano: significativi avanzamenti di uno studio che valuta su larga scala i meccanismi che preparano al diabete FC e le implicazioni cliniche che ne derivano; il completamento di uno studio sull'evoluzione clinica dei neonati con ileo da meconio; ulteriori risultati sulla trasmissione di micobatteri atipici; avvio di uno studio sulla fotoforesi extracorporea per prevenire il rigetto acuto dopo trapianto polmonare in FC.

Servizi alla ricerca centralizzati

- Servizio per i modelli animali (CFaCore).

Il servizio, finanziato da FFC presso l'ospedale San Raffaele di Milano tramite apposita convenzione, ha concluso il suo 8° anno di vita, rivelandosi prezioso supporto alla ricerca preclinica in tutti quei progetti che dalla fase di ricerca in vitro necessitano di passare alla sperimentazione in vivo su modelli murini normali o FC. Circa un quarto dei progetti FFC hanno fruito di tale supporto

- Servizio Colture Primarie

Il servizio, finanziato da FFC presso l'Istituto G. Gaslini di Genova, ha concluso con successo il suo 6° anno di vita. Il servizio riceve da 2 centri di trapianto polmonare (Padova e Milano) materiale bronchiale ricavato dai polmoni espunti di pazienti FC sottoposti a trapianto polmonare. Da tale materiale si coltivano cellule epiteliali che rappresentano i tessuti bronchiali dei malati, nella loro diversità di mutazioni CFTR (genotipo) e con le caratteristiche funzionali degli epitelii malati. Tali cellule (colture primarie) sono strumento prezioso per studiare in vitro aspetti patogenetici della malattia e per testare potenziali farmaci. Il servizio è stato utilizzato in parecchi dei progetti FFC 2017.

ATTIVITÀ DI FORMAZIONE 2017

Seminario di Primavera

Il Seminario, appuntamento annuale di primavera, ha avuto nel 2017 la 15° edizione, con larga partecipazione, soprattutto di famigliari di malati e di sostenitori FFC. Esso è finalizzato a dare in chiave molto divulgativa informazioni aggiornate sugli sviluppi della ricerca in fibrosi cistica. Il Seminario si è arricchito anche di una brochure contenente i testi delle relazioni: esso è stato diffuso, oltre che ai partecipanti, anche a medici e operatori sanitari dei centri FC italiani.

Convention d'Autunno dei ricercatori della rete FFC

Svoltasi per 3 giorni alla fine di ottobre 2017 presso il centro congressi della Camera di Commercio di Verona, la 15° edizione della Convention ha visto riuniti circa 200 ricercatori. E' stata, come sempre, una occasione di bilancio dell'attività di ricerca della Rete, con relazioni in seduta plenaria e discussione in sessioni poster. Molto apprezzata una sessione centrale, dedicata a fare il punto su due aspetti: attualità e prospettive nell'impiego di modelli animali per la ricerca FC; impiego di modelli di malattia FC *in vitro* ed *ex vivo*, anche per personalizzare le nuove terapie del difetto di base FC.

Altre attività congressuali FC

- Supporto e sponsorizzazione da parte FFC del meeting internazionale di *CF Basic Science* ad Abufeira (Portogallo) con partecipazione di oltre 30 ricercatori della rete FFC e presentazione di ricerche FFC.
- Partecipazione dello staff scientifico FFC a meeting e congressi FFC nazionali e internazionali (4 nel 2017)

ATTIVITÀ DI INFORMAZIONE/DIVULGAZIONE SCIENTIFICA 2017

Attività di informazione scientifica attraverso i media

- Informazione scientifica sul sito FFC. Curate alcune sessioni di informazione scientifica: recensioni su progressi di ricerca, con la collaborazione di alcuni consulenti esterni (circa 80 recensioni nel 2017); commenti di esperti su tematiche di attualità; gestione della rubrica "Domande e Risposte", la sezione più seguita del sito, un servizio aperto al pubblico (circa 400 domande nel 2017); produzione di vari documenti informativi. In questa attività ci si è valso anche di collaborazioni esterne da parte di ricercatori della Rete FFC
- Newsletter elettronica mensile, spedita a circa 8000 abbonati.
- Contributi scientifici per il Notiziario FFC quadrimestrale (versione stampata: 18.000 abbonati, 60.000 lettori)
- Contributi a trasmissioni televisive e radio.
- Articoli e contributi per testate giornalistiche e web.
- Contributi informativi in occasione di eventi e manifestazioni organizzati dalla sede o dai volontari FFC.

Cystic Fibrosis Database (CFDB)

Si tratta di un servizio informativo online al suo 6° anno di vita. È un database completo di tutti gli studi clinici, di varia natura, che vengono pubblicati in tutto il mondo con riferimento alla fibrosi cistica. Gli studi clinici vengono anche commentati con continuo aggiornamento rispetto a 50 tematiche principali. Il sito contenente il database è stato recentemente rifatto con maggiore efficienza di ricerca e navigazione.

PROGRAMMA 2018 per ATTIVITÀ DI RICERCA

Progetti di ricerca di rete

Con bando 15 dicembre 2017 sono pervenute al 15 febbraio 2018 74 proposte di ricerca. 26 di esse sono state scartate in prima istanza dal Comitato Scientifico e una è stata rifiutata per non coerenza con le disposizioni del bando. 47 sono state inoltrate ai referees internazionali: almeno due per ciascun progetto. A fine giugno il Comitato Scientifico proporrà i progetti da finanziare, tenuto conto anche del budget che il CdA metterà a disposizione. Procedono i progetti in corso di attività (32 progetti).

Progetto strategico *Task Force for Cystic Fibrosis (TFCF)*

Conclusa al 31 agosto 2017, con risultati molto promettenti, la III fase. Avviato al 1° settembre 2017 il progetto *TFCF extension*, che ha già permesso di selezionare il correttore ARN23756 per il successivo studio preclinico e nel contempo testarne la candidabilità a farmaco, anche per la sostanziale assenza di effetti tossici secondari *in vitro* e in alcuni

modelli animali, effettuata nelle prime tappe del progetto *TFCF extension*. Si tratta ora di affidare ad una CRO (*Contract Research Organization*, organizzazione per gli studi di sviluppo preclinico e clinico) uno studio preclinico formale, mirato a testare il composto candidato su modelli animali, con esperimenti di farmacocinetica, di saggi di tolleranza in vivo e formulazione di preparato farmaceutico adeguato e in adeguata quantità. Si presume che lo studio preclinico, che si intende affidare alla CRO APTUIT di Verona, possa partire già in maggio 2018 per concludersi alla fine del 2018, con eventuali appendici nel 2019. Quello studio, se darà i risultati attesi, dovrebbe consentirci di decidere, a metà 2019, come procedere per un trial clinico di fase I sull'uomo, probabilmente in collaborazione con una compagnia farmaceutica.

Già avanzato il processo di brevettazione di due classi di correttori CFTR derivati dal progetto TFCF, tra cui il composto selezionato per lo studio preclinico. Formalizzato l'accordo tra i tre partner del progetto (Gaslini, IIT, FFC), assistito dall'avv.to Mina, per la condivisione della proprietà intellettuale e lo sfruttamento eventuale delle invenzioni derivate dal progetto.

Servizi alla ricerca

- Il servizio CFaCore 6 (1 febbraio 2017 – 31 gennaio 2018) è già stato approvato dal CdA nella seduta di novembre 2017, anche per il finanziamento (da includere nel bilancio 2018).
- Il servizio Colture Primarie 5 (1 gennaio – 31 dicembre 2018) è già stato approvato da CdA, nella seduta di novembre 2017, con finanziamento da includere nel bilancio 2018.

PROGRAMMA 2018 PER ATTIVITÀ DI FORMAZIONE E di INFORMAZIONE/DIVUGAZIONE SCIENTIFICA
--

Sono previste attività sostanzialmente sovrapponibili nella forma e nella misura a quelle del 2017:

- **Seminario di Primavera** (Bussolengo, VR) 19 maggio 2018
- **Convention d'Autunno dei ricercatori della rete FFC** Camera di Commercio, Verona, 22-24 novembre.
- **Supporto attività congressuali non FFC** Equivalenti al 2017
- **Cystic Fibrosis Database (CFDB)** Fase 7, 1 luglio 2017 – 30 giugno 2018
- **Attività di informazione scientifica attraverso i media:** il programma si svolgerà sulla traccia di quello del 2017, ma saranno potenziati i servizi informativi, con nuove collaborazioni esterne.

ATTIVITÀ COMUNICAZIONE 2017

Focus:

- **Fornire i contenuti informativi necessari ad allargare il numero delle persone informate sulla malattia:**
più consapevolezza → più disponibilità al dono anche tra pubblici estranei alla fc

- **Riferire gli aggiornamenti nazionali e internazionali della ricerca in campo fc: più informazione scientifica ➔ più attenzione alla malattia tra la popolazione**
- **Accomunare in un'unica strategia nazionale la comunicazione diffusa dalla rete dei volontari FFC: più netta identità di brand ➔ più sinergia per raggiungere gli obiettivi di *mission***
- **Garantire adeguato supporto alla struttura di raccolta fondi: più impatto comunicativo ➔ più risorse da investire in ricerca**

Strumenti:

Sito

Il sito FFC è riferimento in continuo sviluppo per la divulgazione dei contenuti scientifici e della narrazione sociale legata alla rete nazionale dei volontari.

- **Dal 2016 al 2017:**

+27,41% sessioni = tempo in cui l'utente interagisce con il sito

+ 29,26% utenti

+ 24,79% visualizzazioni di pagina

- **Dal 2002 al 2017:**

+ 155% sessioni = da 480 mila a 1.200.000

+ 150% utenti = da 380 mila a 970 mila

+ 73% visualizzazioni di pagina = da 1.100.000 a 1.900.000

- **Ingressi al sito:**

72% accede dal motore di ricerca.

14% da indirizzo FFC.

11% dai social media (+ 200% dal 2016).

2% attraverso AdWords (gratuito per FFC).

0.8% tramite link attivo in altri siti.

- **Con quali strumenti:**

71% accede da mobile (+ 10% in un anno),
di cui 5% da tablet (- 2% in un anno)

22% da computer (-7% in un anno).

Cambiano di conseguenza il tono, i contenuti della comunicazione e le tecniche di engagement usate.

Social Network

Strumento fondamentale per condividere la quotidianità con la rete nazionale dei volontari e per agganciare nuovi sostenitori, anche attraverso le inserzioni a pagamento FB.

- **Facebook**

Crescita costante dei fan della pagina: + 28%

27.735 (1 gennaio 2016) → 35.562 (31 dicembre 2017)

1.000.000 visualizzazioni durante la Campagna di ottobre

- **Instagram**

Genera il 42% degli accessi al sito FFC provenienti da social media

Ha buona resa nel collegamento con gli account Instagram

di testimonial FFC e sostenitori

Tv, radio, stampa, web

500 articoli stampa e web (di cui 260 su quotidiani e riviste nazionali o locali)

650 passaggi Tv e Radio su eventi FFC gestiti a livello nazionale.

Anche per il 2017 – con la sola eccezione della pagina acquistata sul Corriere della Sera a favore dei finanziatori di Task Force – la diffusione dei contenuti scientifici e sociali della Fondazione su Tv, radio, stampa, online è a costo zero. Le uscite sono gratuite, stimulate dall'offerta di contenuti scientifici o sociali suggeriti dalle attività FFC.

2017: Nuovo Press Kit con veste grafica e contenuti completamente rinnovati, a supporto delle attività di diffusione media

Eventi

250 eventi gestiti dalla comunicazione FFC, pubblicati nel sito e social di Fondazione, diffusi sui media, su 350 complessivamente realizzati dai volontari

Prosegue l'impegno per rendere sempre più omogeneo il lavoro di delegazioni e volontari sul territorio nazionale.

Obiettivo: accrescimento della brand identity per una immediata riconoscibilità FFC in tutti gli eventi e le occasioni di raccolta fondi, dal Piemonte alla Sicilia.

Strumenti: assistenza della sede a Delegazioni e Gruppi nella produzione di materiali di comunicazione; gestione testi e comunicati per eventi locali; realizzazione del nuovo manuale di brand per una omogenea e sinergica diffusione di logo e contenuti FFC da parte dei volontari.

Notiziari

Realizzazione del notiziario quadrimestrale letto da oltre 50 mila persone.

Scopo: dare conto degli ultimi aggiornamenti nel campo della ricerca scientifica in FC; riferire l'andamento della raccolta fondi su tutto il territorio nazionale; dare motivazione e senso di appartenenza ai oltre 10 mila volontari impegnati nelle attività FFC; lanciare campagne di raccolta fondi.

Newsletter

Invio mensile a oltre 8.000 indirizzi.

Fornisce aggiornamenti scientifici, istituzionali e novità sulle iniziative della rete sociale FFC. Può avere cadenza quindicinale o settimanale durante le campagne o eventi importanti. Il collegamento con il database consente di ottenere un feedback sul suo gradimento per modulare le successive uscite.

Campagne

Per le campagne di Pasqua, Natale, 5x1000, Campagna Nazionale per la Ricerca, sono state

- definite le strategie di comunicazione legate agli obiettivi di informazione divulgativa e di finanziamento di specifici progetti;

- realizzati strumenti ADV video e radio, materiali grafici e web;
- diffusi i contenuti in forma coordinata sui media televisivi, su riviste e quotidiani, sul sito e sui social FFC.

- **5x1000**

Campagna social multisoggetto (dal 2018 anche nella versione di inserzione a pagamento su FB per testarne il rendimento);
manifesti istituzionali per eventi;
locandina da diffondere nei luoghi di lavoro o e nei negozi;
cartolina con talloncino staccabile come memo per codice fiscale;
lettere per le aziende, per i commercialisti, per i donatori;
banner per intranet aziendali;
memo WhatsApp per amici e donatori;
copertina Facebook per FFC e volontari;
gestione dei contenuti sul sito e inserimento della nuova opzione memo via e-card e sms;
nuovi contributi allo storytelling con i testimonial Alessio, Rachele, Edoardo.

Nella dichiarazione 2016 (su redditi 2015), 19.263 contribuenti hanno scelto Fondazione: sale il numero delle preferenze ma scende del 3.5%, a 630.678 euro, la quota raccolta.

Strumenti aggiuntivi rispetto ai tradizionali: Incrementata la gestione del passaparola social; l'uso di whatsapp come memo per il codice fiscale; l'utilizzo del direct mailing differenziato per target di donatori; l'approfondimento dello storytelling dei pazienti con nuovi contributi.

- **Campagna nazionale per la Ricerca**

Inaugurata da una conferenza stampa a Milano e dall'avvio del Bike Tour VI edizione.

Per 25 giorni ha avuto il sostegno del numero solidale e dei passaggi gratuiti dello spot radiofonico e televisivo.

Forte impegno nella divulgazione alle aziende e ai privati cittadini del progetto Task Force-fase preclinica, collegato alla Campagna nazionale per la ricerca 2017, con il supporto di una presentazione cartacea e web con taglio scientifico divulgativo.

Campagna Nazionale e Bike Tour

Immagine stampa e web con i testimonial, rilancia il tema della speranza, oggi resa più tangibile dalle nuove prospettive della ricerca, grazie al progetto Task Force e ad altri studi di punta della Rete FFC.

Per le piazze, una *call to action* incentrata sulla storia delle gemelle Azzurra e Benedetta, una sana, l'altra portatrice del gene mutato.

I numeri della Campagna nazionale 2017:

266 passaggi su tv nazionali (Rai, Mediaset, Sky, La7)

159 passaggi su radio nazionali (Radio Montecarlo, Radio S. Marino, Radio 105)

150 emittenti locali, web tv, portali web che hanno trasmesso lo spot

130 radio e web radio che hanno trasmesso lo spot

150 articoli carta stampata e web

1500 piazze con i materiali informativi FFC

50 eventi di Campagna organizzati dai volontari, compresi quelli del Bike Tour

400 negozi che hanno messo in vetrina la ricerca

300 scuole che hanno portato in classe la ricerca

580 mila euro netti di raccolta

- **Natale 2017**

80 mila euro raccolti attraverso il notiziario di dicembre e il sito FFC.

Azzurra e Benedetta parlano del regalo che vorrebbero per tornare a essere due gemelle perfettamente uguali: «Non c'è dono più prezioso del tempo» è il tema del manifesto che le vede protagoniste della Campagna natalizia di raccolta fondi.

61% è la crescita del numero dei panettoni e regali natalizi distribuiti: a 32.600 a 52.700 pezzi dal 2016 al 2017.

58% è la crescita della raccolta netta: da 350 mila a 360 mila euro dal 2016 al 2017.

È il risultato di una straordinaria mobilitazione nelle piazze, aziende, scuole, supportata dalla Campagna di divulgazione sul sito, media, canali social e con i passaparola WhatsApp.

- **Pasqua 2017**

Si rafforza il sostegno della Comunicazione al format di raccolta fondi inaugurato nel 2015: doppio canale con offerta delle uova nelle piazze + distribuzione casa per casa.

Strumenti: oltre alla tecniche di divulgazione tradizionali, forte impulso è stato dato all'uso massiccio di WhatsApp per le ordinazioni e a un forte impegno nella comunicazione social che bene ha risposto a questo stimolo.

73 mila uova distribuite per una raccolta netta di 430 mila euro: + 29% rispetto al 2016.

- **Ventennale**

Strumenti principali per festeggiare i 20 anni di Fondazione:

31 gennaio 2017, Campagna web “Anch’io compio 20 anni” con foto di persone che hanno ruolo nella vita FFC, dai fondatori ai volontari.

Claim “1997-2017. Da vent’anni, più ricerca, più vita”, utilizzato tutto l’anno come payoff del logo istituzionale.

Tre numeri di notiziario sulla ricostruzione di 20 anni di storia e dei contributi di Fondazione nello scenario scientifico internazionale.

Festa a villa Mattarana a maggio con i volontari.

Festa alla Gran Guardia durante la Campagna nazionale con i ricercatori della Rete FFC e con i sostenitori.

Comunicati stampa e produzione di materiali grafici dedicati al ventennale.

Strategia 2018

Aprire il canale della pianificazione media con investimenti adeguati alle necessità di Fondazione di ampliare l’area delle persone sensibilizzate alla malattia e quindi dei donatori.

Rafforzare la Campagna nazionale con interventi di comunicazione che facilitino la divulgazione dell’informazione sulla FC e la raccolta di risorse per la ricerca.

Garantire crescente omogeneità alla comunicazione nazionale con offerta alla Rete sociale FFC di un’area Community completamente rinnovata, con minisiti interni al sito istituzionale per ogni Delegazione e Gruppo di sostegno.

Offrire strumenti di supporto alle Delegazioni per la produzione di una comunicazione su Facebook più coerente con quella FFC (*Brand manual* FB).

Ottimizzare il ruolo del Notiziario anche come strumento di raccolta fondi.