



Fondazione Ricerca
Fibrosi Cistica - Onlus
www.fibrosicisticaricerca.it

Dal 27 al 29 novembre 2014, all'Hotel Resort Poiano di Garda la XII Convention d'Autunno FFC Onlus

UNA STRATEGIA DI RICERCA DI VASTO RESPIRO

Attesi i nuovi risultati del progetto “Task force” coordinato dal dr. Luis Galiotta dell'Istituto G. Gaslini in sinergia con l'I.I.T. di Genova.

In tempi brevi con la tecnica dello “screening ad alta efficienza” di grandi librerie di molecole sono stati trovati composti che mostrano su modello cellulare efficacia pari o superiore a quelli oggi noti.

E le molecole individuate risultano prive degli effetti negativi recentemente denunciati da altre sperimentazioni nell'uso combinato dei “correttori” e dei “potenziatori”.

Sempre più ridotta l'incidenza della grave malattia genetica in Veneto, grazie ad un progetto mirato che prevede lo screening del test del portatore offerto presso struttura pubblica e con costo a carico del sistema sanitario.

Verona - **L'attenzione verso la fibrosi cistica è progressivamente sempre più alta**, non solo perché è riconosciuta come la malattia genetica grave più frequente ma perché interessa oltre due milioni e mezzo di portatori sani in Italia, in larga parte inconsapevoli e quindi a rischio di trasmettere il gene difettoso ai propri figli.

A focalizzare l'interesse verso la fibrosi cistica, ha lavorato la XII Campagna nazionale per la raccolta fondi promossa dalla Fondazione per la Ricerca sulla fibrosi cistica appena conclusa: **oltre 500 mila euro netti raccolti da più di 7.000 volontari nelle piazze colorate di ciclamini, una crescita del 50 per cento rispetto al 2010 del sito della Onlus, con 49 mila nuovi visitatori nel solo mese di ottobre e un balzo del 65% nelle visualizzazioni Facebook.**

Ma il cuore della ricerca strategicamente promossa e guidata dalla FFC Onlus sta nella scommessa di trovare a breve la cura definitiva, per consentire ai malati di fermare il timer programmato dal gene mutato, responsabile di accorciare molto la vita dopo averla resa molto faticosa.

A Verona, città dove è nata FFC Onlus, riconosciuta dal MIUR come l'Ente Promotore dell'attività di ricerca scientifica sulla fibrosi cistica, si riuniscono in questi giorni tutti i più importanti ricercatori impegnati in progetti finanziati dalla Fondazione diretta dal prof Gianni Mastella, in occasione della XII Convention d'Autunno. L'appuntamento è all'Hotel Resort Poiano, di Garda, dal 27 al 29 novembre. Sette sessioni plenarie e tre dedicate ai Poster, uno dei quali particolarmente atteso perché riguarda i risultati del progetto “Task Force” coordinato dal dr. Luis Galiotta, Responsabile del Laboratorio di Genetica Molecolare dell'Istituto G. Gaslini di Genova in sinergia con il dr. Tiziano Bandiera del Dipartimento di Drug Discovery and Development dell'Istituto Italiano di Tecnologia. Un progetto suddiviso in tre fasi del periodo di tre anni, con un contributo complessivo di 1.250.000 euro.

Come tiene a precisare il **prof. Gianni Mastella, direttore scientifico della Onlus** nata a Verona nel 1997: *“La XII Convention offrirà un panorama di vasto respiro su quello che si muove oggi nel campo*

www.fibrosicisticaricerca.it | fondazione.ricercafc@ospedaleuniverona.it



Fondazione Ricerca
Fibrosi Cistica - Onlus
www.fibrosicisticaricerca.it

della fibrosi cistica, una malattia sotto i riflettori del panorama scientifico internazionale da quando la ricerca ha mostrato possibilità di soluzioni impensabili solo fino a qualche anno fa: intervenire al cuore del difetto genetico.

I progetti di ricerca FFC coprono cinque temi chiave: terapie per il difetto di base, genetica, microbiologia, infiammazione, ricerca clinica. *“Di recente – continua il prof. Mastella – FFC ha voluto imprimere un'accelerazione all'area del recupero della proteina difettosa, ottenuto attraverso farmaci mutazione-orientati (diversi a seconda del tipo di mutazione genetica). È nato così il progetto "Task Force per la scoperta di correttori e potenziatori di DF508", che valorizza competenze eccellenti e risultati in precedenza ottenuti in questo ambito in Italia. È alle prime battute ma presenterà alla Convention risultati estremamente interessanti: in tempi brevi con la tecnica dello “screening ad alta efficienza” di grandi librerie di molecole sono stati trovati composti che mostrano su modello cellulare efficacia pari o superiore a quelli oggi noti e che hanno mostrato in parte dei limiti”.*

“La ricerca da noi promossa – aggiunge il vicedirettore scientifico FFC, la dr.ssa Graziella Borgo – sta selezionando molecole prive degli effetti negativi di recente denunciati. Si è visto infatti che alcuni potenziatori somministrati per periodo prolungato neutralizzano l'effetto dei “correttori”: invece i composti appena identificati sono immuni da questo svantaggio. F508 è la mutazione più frequente, ma altri progetti FFC sono rivolti a mutazioni che agiscono con meccanismi diversi, come le mutazioni stop e le mutazioni splicing: messe insieme esse costituiscono un'altra vasta fetta di malati (circa il 20%). E per arrivare ad una terapia radicale viene esplorata anche la strada delle cellule staminali, con un progetto che si propone di ripopolare il polmone FC con cellule epiteliali derivate dalle staminali del malato stesso, però geneticamente normalizzate”.

Una panoramica dettagliata riguarderà il mondo dell'infiammazione polmonare FC, complicanza precoce e di grave significato. La dimostrazione che alcuni composti agiscono sia come antiinfiammatori che come “correttori” della proteina mutata conferma la connessione esistente nella cellula FC fra il difetto genetico e l'esagerata a risposta infiammatoria. L'approfondimento dei meccanismi alla base di questa connessione può portare ad approcci alternativi rispetto ai farmaci mutazione-orientati.

Nell'area della ricerca clinica alcuni progetti porteranno risultati d'impatto al letto del malato. E sarà annunciata una clausola speciale del bando per la ricerca che FFC emanerà alla metà di febbraio 2015, finalizzata a supportare ulteriormente quantità e qualità delle ricerche cliniche

“Trovare la cura per vincere la malattia è sicuramente lo scopo della ricerca FFC.” – conclude il prof Mastella – “Ma c'è comunque interesse anche per quelle iniziative che possono aumentare la conoscenza della malattia a livello della popolazione comune, in particolare dei giovani e delle coppie che progettano di avere figli. Nell'area nord est della Regione Veneto, unica in Italia, si sta svolgendo un'esperienza di grande importanza: qui il test per il portatore sano viene offerto gratuitamente presso la struttura sanitaria pubblica. Uno studio finanziato da FFC ha monitorato gli effetti di questa strategia e ha potuto osservare che l'incidenza della malattia si è dimezzata. Ciò apre nuove prospettive in materia di prevenzione della fc, che le istituzioni sanitarie dovranno considerare”.

La strategia FFC "a vasto raggio" si traduce anche nella scelta di allestire "servizi per la ricerca": strutture logistiche/organizzative che possono facilitare la realizzazione delle idee dei ricercatori, offrendo loro risorse che altrimenti non troverebbero o che avrebbero costi esorbitanti.

L'impegno che FFC sostiene sul piano finanziario per questi servizi è molto elevato e va a coprire lacune e/o integra funzioni tipiche di strutture di ricerca. Per mettere a disposizione dei ricercatori risorse all'avanguardia, sono nati i servizi per i "modelli animali", per le "cellule primarie", cui saranno

www.fibrosicisticaricerca.it | fondazione.ricercafc@ospedaleuniverona.it



**Fondazione Ricerca
Fibrosi Cistica - Onlus**
www.fibrosicisticaricerca.it

dedicati due meeting specializzati. È nato inoltre il "CFDB", biblioteca elettronica per la consultazione della letteratura scientifica FC.

In una sessione generale sarà presentato un servizio ulteriore, chiamato "ILO" (Industry Liaison Office). Si propone di dare supporto ai ricercatori nella fase di brevettazione dei prodotti di ricerca e soprattutto **intende mettere in contatto con l'industria farmaceutica quelli fra di loro che hanno risultati maturi. La prospettiva è quella di una valorizzazione dei risultati e una velocizzazione dei tempi verso le cure. In maniera più rilevante rispetto ad altri anni saranno presenti alla Convention anche osservatori dell'industria farmaceutica.**

2002 2014 - Grazie alle attività di Ricerca della FFC Onlus	
260 Progetti e 4 servizi speciali finanziati	250 Contratti o borse di ricerca
170 Gruppi/Istituti di Ricerca	300 Revisori internazionali
210 Principal Investigators e Partners	360 Pubblicazioni su riviste internazionali
550 Ricercatori complessivi	450 Presentazioni congressuali
120 Delegazioni e Gruppi di sostegno	7.000 Volontari
18.000.000 di euro investiti in ricerca	

www.fibrosicisticaricerca.it

Ufficio Stampa FFC Onlus
Patrizia Adami
patrizia@clabcomunicazione.it
348 38 20 355

Responsabile Comunicazione FFC Onlus
Marina Zanolli
marina.zanolli@fibrosicisticaricerca.it
045 812 70 26

www.fibrosicisticaricerca.it | fondazione.ricercafc@ospedaleuniverona.it