

Notiziario FFC Fondazione Ricerca Fibrosi Cistica - Onlus

ITALIAN CYSTIC FIBROSIS RESEARCH FOUNDATION

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











40



ricerca & congressi

- Quattro strategie di attacco alla fibrosi cistica
- 4 Contro la fc, un'Europa più unita Rapporto da Dublino
- Tradizione anglosassone e fervore italiano Intervista a Giorgio Berton
- Riflettori accesi sui nuovi correttori-potenziatori Se n'è parlato a Firenze
- 9 Firmato accordo Glaxo-FFC Patto per la ricerca
- Tre domande & risposte
 Selezione dal sito
- Adozioni in offerta I progetti 2012

appuntamenti & eventi

- La seconda vita di Marco e altre storie Speciale trapianti
- 30 Istantanee di fine maggio Dal Raduno di Verona
- **33** Fc: to screen or not to screen? La giuria dei cittadini vota per il sì
- **34** Quadro positivo in un anno di crisi Bilancio 2011
- 36 I 100 vincitori della corsa per la ricerca Raccolta fondi 2009-2011
- **38** Ciclamini, sms e corse contro la fibrosi cistica Campagna 2012
- 40 Una corsa per il respiro Nuovo spot e stampa
- **42** La sorpresa di Pasqua Mobilitazione di primavera
- **53** Eventi felici L'album della famiglia FFC

Bollettino quadrimestrale della Fondazione Ricerca Fibrosi Cistica - Onlus presso Ospedale Maggiore

presso Ospedale Maggiore Piazzale Stefani, 1 - 37126 Verona

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

EDITORIALE

QUATTRO STRATEGIE DI ATTACCO ALLA FIBROSI CISTICA



Il Comitato Scientifico FFC riunito a fine giugno per la scelta dei progetti 2012. Da destra, Gianni Mastella (direttore scientifico), Vittoriano Faganelli (presidente FFC), Giorgio Berton (c.s.), Graziella Borgo (vicedirezione scientifica), Lucio Luzzatto (c.s.). In piedi, Roberto Buzzetti (c.s.), Gerd Doering (c.s.), Federica Lavarini (segreteria scientifica)

studio pervenute a seguito del bando FFC del dicembre 2011.

Il Comitato Scientifico FFC, con l'aiuto di oltre 100 esperti internazionali, ha selezionato **20 progetti** distribuiti in quattro aree tematiche. Diamo qui una visione panoramica di come si muove la strategia di ricerca della Fondazione lungo queste linee di sviluppo.

Verso terapie del difetto di base

La prima linea che abbiamo definito include sei progetti di notevole valenza scientifica, mirati ad elaborare nuove proposte terapeutiche per interferire con i meccanismi deviati che stanno alla base della malattia. Segnaliamo in particolare tre progetti che si muovono dentro e intorno al laboratorio di Genetica Molecolare del Gaslini di Genova e puntano a perfezionare l'approccio a nuove molecole potenziatrici e correttrici della proteina CFTR mutata. Infatti non tutto è stato risolto con ivacaftor, limitato alla mutazione G551D o poco più: il problema centrale ora è quello di recuperare funzione della CFTR difettosa causata dalla più frequente mutazione DF508, e già sono a disposizione molecole assai promettenti in tale direzione.

Vi sono altri due progetti finalizzati a correggere gli effetti di altre due categorie di mutazioni CFTR: per le mutazioni "stop" si cercano molecole alternative al PTC124, che ha dimostrato limiti di efficacia nel trial clinico recentemente concluso, mentre proseguirà lo sviluppo, già

avviato con successo negli ultimi anni, delle cosiddette "pallottole molecolari" per raddrizzare l'effetto delle mutazioni di "splicing". Un progetto, infine studierà l'approccio rivolto a limitare l'eccesso di riassorbimento di sodio (canale del sodio), che contribuisce alla disidratazione delle secrezioni bronchiali.

Verso terapie antibatteriche innovative

La seconda linea affronta con sette progetti il problema delle crescenti resistenze agli antibiotici da parte dei batteri responsabili dell'infezione polmonare cronica FC.

Promettenti tre progetti che intendono sviluppare, produrre e sperimentare speciali molecole antibatteriche chiamate "peptidi antimicrobici": si tratta di corte proteine che imitano la struttura e la funzione di analoghe molecole naturali prodotte dagli organismi viventi per le difese di prima linea.

Di rilievo anche lo studio di una molecola con già dimostrata specifica azione in vitro contro B. *cepacia*, e il tentativo di conoscere il più complesso insediamento polmonare di microrganismi (il "*microbioma*") finalizzato in futuro ad un trattamento antibatterico più globale.

Verso terapie dell'inflammazione polmonare

La terza linea include cinque progetti che spaziano sulla conoscenza, ancora limitata, di alcune fasi, rilevanti per interventi terapeutici mirati, della complessa cascata di eventi infiammatori che portano in FC alla cronica e progressiva malattia

polmonare. Si va dai farmaci attivi sul metabolismo degli "sfingolipidi", a quelli legati all'enzima "eme-ossigenasi 1", a molecole modulatrici delle risposte infiammatorie cosiddette "Th17-dipendenti", ma anche a possibili interventi mirati all'endotelio dei vasi sanguigni.

Questo dell'eccessiva infiammazione rimane un campo che merita investimento perché ancora non abbiamo una adeguata terapia antinfiammatoria, mentre il polmone ultrainfiammato rimane l'evento determinante sulla qualità e durata di vita dei malati.

Ricerca clinica ed epidemiologica

Quest'area comprende infine uno studio rivolto ad identificare quali sono i fattori di rischio che possono compromettere l'andamento dei bambini FC diagnosticati per screening neonatale: c'è infatti bisogno di utilizzare al massimo, nei comportamenti terapeutici e assistenziali, il vantaggio dato dalla diagnosi precoce. Di particolare interesse uno studio multicentrico che testerà la possibilità di eradicare lo Stafilococco aureo meticillinoresistente (MRSA), batterio emergente che comincia a dare qualche preoccupazione.

L'area si arricchisce poi di un nuovo servizio basato sulla costruzione di un sistema informatico inserito in un sito web che consente una rapida e sistematica verifica degli studi clinici compiuti o in corso e le evidenze di efficacia e sicurezza degli interventi da essi derivate. La nuova "facility" si aggiunge alle tre già in funzione a sostegno della rete di ricerca FFC.

CONTRO LA FIBROSI CISTICA, UN'EUROPA PIÙ UNITA



avvero fa bene vedere tutte queste nazioni d'Europa ritrovarsi annualmente con le loro rappresentanze a confrontarsi sui passi che si stanno muovendo per dare alle persone con fibrosi cistica un futuro sempre migliore.

In riva al Liffey, il grande fiume di Dublino nel fantasioso Convention Center che si affaccia su un arditissimo ponte, tra il 6 e il 9 giugno la **35ª Conferenza Europea** FC ha contato oltre 2300 partecipanti, incluse peraltro anche alcune delegazioni delle due Americhe e dell'Australia.

Prevalevano nettamente gli addetti alle cure dei numerosi centri europei: medici, infermieri, fisioterapisti, psicologi, nutrizionisti, anche perché gli addetti alla scienza di base si erano riuniti in precedenza a Saint Maxime in Francia; anche i contributi portati erano in gran maggioranza centrati sui problemi dell'assistenza ai malati. Tuttavia molto è stato presentato e discusso su vari problemi diagnostici: dallo screening neonatale, all'analisi genetica, alla diagnostica microbiologica, a quella della funzionalità respiratoria e motoria, a quella radiologica avanzata.

Particolare attenzione è stata dedicata a come gestire l'aderenza dei malati alle cure, alla fisioterapia respiratoria, alla nutrizione. Di rilievo alcuni studi epidemiologici, con dati sulla riduzione di incidenza della malattia, sull'importanza prognostica dei fattori socio-economici, sulla paternità dei malati FC, sull'allungamento della durata di vita dei malati, e sul miglioramento complessivo della funzione respiratoria registrata negli ultimi anni.

Ivacaftor alla prova su più mutazioni

Sono stati presentati interessanti studi clinici con nuovi farmaci. Ivacaftor (nome commerciale Kalydeco) ha avuto naturalmente la parte del leone. Accanto ai grossi trial che abbiamo già conosciuto ed analizzato sono stati prodotti vari studi secondari mirati a confermare i positivi effetti del farmaco in pazienti con mutazione G551D, soprattutto sulla funzione respiratoria, misurata anche con metodi sofisticati di risonanza magnetica, sullo stato nutrizionale e sulla qualità di vita dei malati.

Abbiamo avuto conferma che Ivacaftor agisce in vitro con spic-

cata efficacia terapeutica su almeno altre nove mutazioni di "gating" (quelle che tengono chiuso il canale CFTR), ma anche su alcune mutazioni di classe IV (quelle che pur consentendo l'apertura del canale rallentano il passaggio del cloro), in particolare la R117H. Confermato anche che stanno partendo studi clinici con Ivacaftor sia su pazienti con mutazione R117H che su pazienti con varie mutazioni di "gating" (le une e le altre peraltro rare in Italia).

Effetto Lumicastor su DF508

Di grande interesse le nuove informazioni sullo studio di fase II con la combinazione di Ivacaftor e VX-809 (cui ora viene dato il nome di Lumicaftor) in pazienti con mutazione Δ F508.

Lo studio è ancora in corso e si sta cimentando con dosaggi più sostenuti di VX-809: 200, 400 e 600 mg una volta al dì per 52 giorni, associato a Ivacaftor 250 mg al giorno per 28 giorni. Anticipati alcuni risultati su pazienti ΔF508 omozigoti (lo studio peraltro include anche eterozigoti ΔF508, ma di questi nulla è stato anticipato): il miglioramento del FEV1 in circa la metà dei pazienti è eguale o superiore al 5% del dato iniziale ma in ben il 35% dei casi raggiunge o supera il 10%; nel test del sudore il cloro diminuisce (10 mEg cloro mediamente), in dipendenza anche dalla dose di Lumicaftor.

E' presto per dire se questa associazione di farmaci (correttore più potenziatore) sarà vincente e diverrà terapia per i malati portatori della più diffusa mutazione, ma ciò che i ricercatori ci hanno anticipato lascia intendere che siamo sulla strada buona. Va detto che entrerà in prossima sperimentazione clinica anche l'associazione di Ivacaftor con altro correttore, il VX-661.

Mentre sono allo studio con promettenti risultati in alcuni laboratori, anche italiani, correttori e potenziatori alternativi e molecole che mettono insieme l'effetto potenziatore con quello correttore.

I dubbi su glutathione e Ataluren
Dobbiamo invece segnalare risultati meno favorevoli ottenuti con altri studi clinici, peraltro molto attesi.

Sono stati presentati i risultati definitivi di uno studio tedesco di fase III, multicentrico randomizzato in doppio cieco, sul glutathione (GSH), somministrato alla dose di 646 mg 2 volte al giorno con nebulizzatore e-Flow per 24 settimane. 73 erano i pazienti FC trattati con farmaco e 80 quelli che ricevevano placebo. Nessuna differenza tra farmaco e placebo è stata osservata per quanto riguarda l'esito primario, il miglioramento di FEV1. Ma anche per altri parametri di efficacia (frequenza esacerbazioni, andamento del peso ed altri ancora) nessuna differenza tra farmaco e placebo.

Sono stati presentati sommariamente anche i risultati conclusivi della fase in doppio cieco dello studio di fase III con Ataluren (PTC124) in pazienti con almeno una mutazione stop: 161





pazienti con farmaco e 161 con placebo. Alla fine dello studio (48 settimane), la differenza nel calo di FEV1 tra gruppo Ataluren e gruppo placebo era complessivamente del 3% (punti percentuali di FEV1) a favore di Ataluren: praticamente, il FEV1 del gruppo Ataluren diminuiva in media di 2,5 punti percentuali mentre il gruppo placebo diminuiva di 5,5 punti.



La differenza non è significativa. Sorprendentemente, separando i pazienti che ricevevano contemporaneamente antibiotico per aerosol (quasi sempre tobramicina: erano circa il 50%) da quelli che non lo ricevevano, è risultata una significativa differenza a favore di Ataluren rispetto al placebo per i pazienti che non facevano trattamento antibiotico: la differenza era del 6,7% (riduzione declino FEV1 dello 0,2% con ataluren, del 6,9% con placebo). Questo rimane un aspetto problematico e lascia qualche dubbio sul vero effetto di Ataluren, che peraltro ha ottenuto una significativa riduzione delle esacerbazioni respiratorie rispetto al placebo. Nessuna differenza tra i due gruppi per gli effetti sul test del sudore e sul potenziale nasale.

Va segnalato anche uno studio sul trattamento aerosolico con salina ipertonica in bambini inferiori ai 6 anni: non significativo effetto sulla funzione respiratoria, anche se trattamento ben tollerato.

Confermato il seppur modesto beneficio dell'inalazione di mannitolo (bronchitolo) polvere secca su funzione respiratoria, peraltro non dissimile da quanto ottenuto con salina ipertonica in età superiore a 6 anni.

Luci ed ombre quindi sul piovoso cielo di Dublino in una Irlanda sempre affascinante, ma tante idee innovative e la sensazione di un impegno crescente di tante persone verso le soluzioni che contano.

A destra Fred Van Goor, ricercatore Vertex, al Congresso Europeo di Dublino



TRADIZIONE ANGLOSASSONE E FERVORE ITALIANO PER LA RICERCA SULLA FIBROSI CISTICA

I professore di patologia generale dell'Università degli Studi di Verona non dimentica la sua esperienza formativa ad Oxford e guarda al futuro della ricerca FC in Italia con grande entusiasmo, puntando su interdisciplinarietà dei gruppi di ricerca e internazionalità nella selezione dei progetti.

Qual è stata la sua formazione?

«Mi sono laureato in Medicina e Chirurgia a Trieste nel 1976. Tutta la prima parte della mia attività di ricerca si è concentrata sullo studio delle basi cellulari e molecolari delle difese innate. Dopo quattro anni a Trieste mi sono trasferito a Oxford».

Che tipo di ambiente ha trovato?

«Oxford è una struttura scientifica di dimensioni internazionali. Ovunque si respira un'aria magica di cultura, impegno e dedizione alla scienza. Già all'inizio degli anni Ottanta erano attivi i dottorati di ricerca. A fare la differenza con ogni altro luogo di studio, era la massa critica, la concentrazione in un unico posto di moltissime persone che facevano ricerca.

Se penso all'università italiana devo dire che è migliorata negli ultimi venti-trent'anni con l'introduzione di criteri più selettivi, ma non c'è certo l'atmosfera di tradizione e continuità inglese. Nel mondo anglosassone quello che funziona viene consolidato, di-

versamente da quanto avviene in Italia, dove si cerca sempre di cambiare».

Come aviene il suo incontro con la fibrosi cistica?

Ero appena arrivato a Verona e il professor Mastella aveva coinvolto in una discussione sui meccanismi cellulari e molecolari della fibrosi cistica il professor Filippo Rossi, che dirigeva l'Istituto di patologia generale, nel quale avevo cominciato a lavorare. Erano gli inizi degli anni Ottanta e non si sapeva guasi niente sulle basi cellulari e molecolari. In biblioteca si tennero una serie d'incontri in cui il professor Mastella e il dottor Cabrini presentavano quanto si era compreso. Si stabilì dunque un rapporto intellettuale e umano che ebbe un'accelerata nel 1983, durante un congresso tenutosi a Bristol, in Inghilterra. Andai e subito dopo Gianni Mastella mi propose di dirigere il laboratorio istituito da anni presso il Centro di cura di Verona. Si avviarono delle ricerche e da allora i rapporti non si sono mai più interrotti. Dopo tutto liberarsi del professor Mastella è pressoché impossibile. È difficile dirgli di no. È un sognatore pratico, con una grande capacità di coinvolgere le persone nei progetti».

Cosa caratterizza i componenti del Comitato scientifico FFC?

«L'indipendenza e un'esperienza di ricerca di ottimo livello.

I membri del Comitato scientifico sono liberi in quanto assolutamente non condizionati, per storia personale e risultati raggiunti, da attenzioni particolari e preferenze rispetto un particolare filone o gruppo di ricerca. Il nostro compito è di finanziare ricerche su una malattia importante, pesante, intorno alla quale vertono tante aspettative. Con l'aiuto di tutti, negli anni, siamo riusciti a costruire in Italia un'agenzia per la ricerca in fibrosi cistica con un sistema internazionale di selezione dei progetti. E i risultati si vedono».

Al momento c'è molta enfasi sulla ricerca traslazionale. Lei cosa ne pensa?

«Non c'è dubbio che a livello internazionale si cerchi di favorire la creazione di grosse strutture con competenze variegate e di fare il possibile per favorire la condivisione e l'interazione. Sempre di più bisognerà perseguire la via della ricerca integrata. La costituzione di facilities [l'insieme di servizi, competenze e infrastruture al servizio dei ricercatori impegnati in ricerche finanziate da FFC] è stata una scelta strategica fondamentale anche se difficile da finanziare. È significato fornire servizi che il singolo ricercatore non avrebbe altrimenti potuto garantirsi.

Tuttavia credo che il rapporto tra ricerca di base e clinica non abbia ancora raggiunto quella "traslazionalità" che riesce ad incidere nelle condizioni di salute e di vita dei pazienti. Oggi si lavora su progetti molto focalizzati; la domanda è se a un certo punto si possa delineare una strada per finanziare grossi progetti, finalizzati a un obiettivo il più vicino possibile alla ricerca clinica».

La ricerca di base diventerà una Cenerentola?

«Se è buona la ricerca di base porta comunque all'acquisizione di conoscenze che finiscono con avere un significato anche applicativo».

Si sta aprendo dunque una nuova frontiera nella selezione dei progetti di ricerca.

«Una fase non breve che abbiamo deciso di percorrere è stata di favorire l'ingresso nella ricerca FC di ottimi gruppi vicini alla problematica, ma che tradizionalmente non avevano fatto ricerca sulla fibrosi cistica. Siamo partiti con un numero di gruppi italiani che si contavano su una mano e oggi riceviamo oltre 60 domande l'anno. Credo che nessuno di noi si nasconda che la grande sfida della ricerca medica nel prossimo futuro è proprio quella della creazione di gruppi interdisciplinari in cui competenze biomolecolari e cliniche convergono con l'obiettivo di migliorare la salute dell'uomo».

Ora esiste una rete di ricercatori che si è appassionata alla materia. Di fronte ai progressi della scienza come si spiega l'ostilità ancora molto presente tra la popolazione generale rispetto alla necessità di sperimentare i risultati delle ricerche sui modelli animali?

«La ricerca deve assolutamente passare attraverso modelli



animali che consentano di valutare le reazioni dell'organismo ai farmaci. I legami tra la libertà della ricerca e le sue responsabilità sociali sono complessi. Dal punto di vista culturale una certa diffidenza è accettabile, perché effettivamente l'uomo fa una forzatura usando altre specie. L'atto abbastanza invasivo da parte della specie umana di sperimentare sulle altre specie, in virtù di un processo evolutivo che l'ha portata ad avere gli strumenti intellettuali per studiare le proprie malattie e guarirle, deve però avvenire nel rigoroso rispetto di un protocollo che salvaguarda le creature da inutili sofferenze. Nel caso dei topi da laboratorio c'è anche da dire che sono creature che non potrebbero sopravvivere in libertà come le scimmie o i cani e che negli ultimi vent'anni di scienza, senza il modello murino si sarebbero fatti pochissimi progressi».

Invece di progressi se ne sono fatti molti e le aspettative sono cresciute

«Le attese sono grandi perché le ricerche fanno sperare che si possa arrivare in tempi ragionevoli a un miglioramento sostanziale della vita dei pazienti CF. Le loro aspettative sono assolutamente legittime. Certo, l'emersione di cose nuove richiede tempi superiori rispetto all'approfondimento di conoscenze acquisite e resta lo iato tra i tempi del clinico, che cerca risposte a breve, e quelli che servono al ricercatore per cambiare le cose. Ma la Scienza è una frontiera senza fine e mi piace pensare che in fondo basti un contributo piccolo per farla avanzare».

Lascio l'ufficio e mi ritrovo nel verde del prato che circonda gli istituti biologici. Cerco le chiavi della macchina e riascolto il silenzio seguito alla domanda: «Ha conosciuto qualche ragazzo con fibrosi cistica?». Nel mio sguardo che si annacqua c'è quello bagnato del professore.

Si chiamava Daniele Lissandrini, aveva fatto una tesi in biologia con lui, poi avevano lavorato insieme. Aveva una passione per la ricerca, ma gli è mancato il tempo. Non certo per dare senso all'impegno del suo professore.



Nella pagina accanto - Dicembre 2006, Giorgio Berton nella Biblioteca della Sezione di Patologia Generale del Dipartimento di Patologia e Diagnostica dell'Università di Verona.

Sopra - Autunno 1980, Giorgio Berton nel laboratorio del prof. Siamon Gordon alla Sir William Dunn School of Pathology dell'Università di Oxford.

A lato - Il professor Berton con parte del suo gruppo di ricerca.



i è tenuto il 26 maggio nell'aula magna dell'azienda ospedaliera universitaria Meyer di Firenze, un interessante convegno rivolto a medici, sanitari e ricercatori in campo FC. Lo scopo dell'incontro era quello di fornire una panoramica aggiornata sul tema più caldo del momento: le conoscenze sui nuovi farmaci correttori e potenziatori della proteina CFTR mutata, garantendo così ai medici dedicati alla FC la possibilità di tornare a casa con più chiarezza da offrire ai malati e ai loro familiari. Per la messa a punto delle conoscenze sono state di particolare rilievo le relazioni di Carla Colombo (responsabile del Centro Fibrosi Cistica di Milano) e di Fredrick Van Goor, ricercatore leader della Vertex Pharmaceuticals, l'ormai famosa industria farmaceutica di San Diego (California), alla quale la Fondazione americana ha assegnato il compito di realizzare le ricerche nel campo dei nuovi farmaci attivi sul difetto di base, garantendole fondi elevatissimi.

Le potenzialità di Ivacaftor

Carla Colombo ha preso in esame gli ultimi cinque anni di ricerca "clinica" con le nuove molecole. E' così riuscita a trasmettere bene il percorso fatto per la loro sperimentazione, dal trial di fase I (per testare la sicurezza della molecola), realizzato su piccolo numero di soggetti sani e, successivamente, di fase II - III per provarne l'efficacia e la sicurezza su un numero sempre più ampio di soggetti malati. Gli sforzi compiuti si sono poi tradotti nella dimostrazione di efficacia del potenziatore VX-770 per il trattamento della mutazione G551D.

VX-770 (Ivacaftor è il nome dato alla molecola) è stato poi approvato con procedura speciale in tempi brevi dalla FDA e ha assunto il nome commerciale di Kalydeco: il farmaco che agisce su CFTR-G551D mutata allungando i tempi di apertura del canale del cloro, quindi curando il difetto di gating provocato dalla mutazione genetica . Da qui la (quasi) normalizzazione del test del sudore nei pazienti trattati e gli effetti positivi sui sintomi della malattia (miglioramento della funzionalità respiratoria, riduzione delle esacerbazioni respiratorie).

A questi risultati già conosciuti, Van Goor ha aggiunto che Kalydeco si è mostrato attivo, per ora solo in laboratorio (studi di elettrofisiologia su tiroide di ratto), anche su altre mutazioni con difetto di gating (G187R, S549N, S549R, G551S, G970R, G1244E, S1251N, S1255P, G1349D).

Si fa quindi strada l'idea che possano beneficiare di Kalydeco altre mutazioni più frequenti di G551D (che negli Stati Uniti non supera il 4%), e cioè quelle che non impediscono alla proteina CFTR di posizionarsi sulla membrana cellulare e di conservare in quella sede una certa capacità di funzionamento; funzionamento che potrebbe essere potenziato non solo per quanto riguarda l'apertura del canale (gating) ma anche il meccanismo di "permeabilità" del canale al cloro ("conduttanza"), alterato per esempio nella mutazione di classe IV R117H. Anche alcune mutazioni che agiscono sullo splicing (il meccanismo di "taglia e cuci" del DNA per sintetizzare RNA messaggero) e lo rendono

alternativo a quello usuale (esempio le mutazioni 2789 +5G>A e 3849+10KbC>T), dal momento che arrivano a consentire la produzione di una certa quantità di proteina funzionante, potrebbero giovarsi di Kalydeco, che potenzierebbe proprio questa quota di CFTR funzionante.

Kalydeco sbarca in Europa

Secondo Vertex, si potrebbe stimare che in base al genotipo potrebbe avvantaggiarsi della terapia con Kalydeco quasi un 15% del totale dei pazienti FC americani. Attualmente non sappiamo se questa stima sia frutto di un eccesso di ottimismo da parte di Vertex, che ne trarrebbe ovviamente vantaggi commerciali incalcolabili, dato l'attuale prezzo del farmaco. Kalydeco è stato sperimentato (trial di fase II) anche in pazienti con mutazione ΔF508 in doppia copia, in associazione con il correttore VX809 (si vedano i risultati portati al Congresso Europeo di Dublino a pagina 4-5). Fred Van Goor - il ricercatore di punta di Vertex, coinvolto direttamente nello studio di Ivacaftor - ha annunciato durante il convegno fiorentino che proprio il giorno prima (il 25 maggio 2012) l'European Medicines Agency aveva emesso il documento di raccomandazione all'uso anche in Europa di Kalydeco (per i pazienti con mutazione G551D di età superiore ai sei anni).

La strada per la correzione del difetto è aperta

Guardando al futuro, è probabile che ci siano ulteriori sviluppi positivi: la strada è aperta; il difetto proteico si dimostra "trattabile". E' questo il fatto rilevante.

Certo, la ricerca ha i suoi tempi che non coincidono con le attese dei malati e la pillola in tasca per tutte le mutazioni non è dietro l'angolo, però il passo fatto è enorme.

Il messaggio quindi da trasferire ai malati e ai loro familiari è di ottimismo e fiducia, anche se non deve favorire l'idea di mettere in soffitta il bagaglio delle terapie tradizionali.

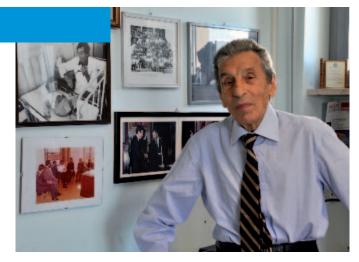
L'aderenza a queste, come ha ben sottolineato Salvatore Donatello del Centro Fibrosi Cistica di Potenza, è molto variabile e va oggi particolarmente sostenuta attraverso nuovi strumenti informativi (Sms, videoconferenze) o grazie alla capacità di comunicazione diretta tra curanti e pazienti.

Purtroppo, sul tema del costo del nuovo (nuovi ?) farmaco, non sono state diffuse comunicazioni certe: nessuno sa come verrà affrontato il problema del loro costo esorbitante, in particolare in nazioni come quelle europee dove il sistema sanitario è pubblico e non è basato sulle compagnie assicurative come negli USA. Come si muoverà il Consiglio Europeo? E come si muoverà l'Agenzia italiana per il Farmaco rispetto ad una normativa europea? Su questi aspetti sarà opportuno un coinvolgimento

precoce delle autorità sanitarie, per arrivare ad una indispensabile armonizzazione delle esigenze: dei malati, del contenimento della spesa sanitaria, dei costi della ricerca, del profitto industriale (Vertex sarà disposta a diminuire il prezzo del farmaco?). E' fondamentale che la logica del profitto si confronti con principi etici irrinunciabili.

ANTONIO CAO, UNA PERDITA INCOLMABILE

ntonio Cao, il Presidente del Comitato Scientifico della Fondazione Ricerca Fibrosi Cistica, ci ha lasciato nel giorno più luminoso dell'anno, il 21 giugno scorso. Nel lasciarci, ci ha consegnato tuttavia un insegnamento che rimane tra i più significativi nel mondo della ricerca e della cura dei malati. Con lui la ricerca genetica e la sua applicazione per prevenire e curare malattie genetiche, come la talassemia, ha trovato un apripista di valore mondiale. Da lui abbiamo appreso molto in più sul rigore della scienza, sull'onestà intellettuale nell'accostarci alla sfida della ricerca, sulla perseveranza nell'impegno di studio, ma anche un umanissimo predominante interesse per le persone malate e per l'organizzazione sanitaria che le deve sostenere. Con lui la Fondazione ha impostato le strategie di sviluppo della ricerca per la fibrosi cistica ed i criteri di monitoraggio dei suoi avanzamenti. Egli



univa insieme il linguaggio asciutto, essenziale e la dolcezza di un uomo della terra sarda: la sua amicizia autentica è stata un dono che ci sarà ancora di guida. Sarà molto difficile colmare il vuoto che ci lascia ma la fiducia e l'entusiasmo che ha saputo trasmetterci rimangono un patrimonio che ci consentirà di continuare il percorso che con lui abbiamo avviato. Il comitato scientifico FFC

Patto per la ricerca

FIRMATO ACCORDO GLAXO-FFC



'annuncio era stato dato lo scorso 21 marzo: nel primo giorno di primavera, la multinazionale farmaceutica, GlaxoSmithKline aveva reso pubblico il proposito di stringere un accordo con la Fondazione "per valutare le conoscenze prodotte dalla ricerca FFC ai fini della loro traducibilità in farmaco".

Dalla tavola rotonda FFC-Corriere della Sera sulle malattie orfane, il direttore scientifico GSK, Giuseppe Recchia, aveva annunciato la disponibilità della sua azienda a "completare il ciclo di ricerca" su molecole attualmente allo studio della Fondazione. E così è stato. La promessa è stata mantenuta e a fine maggio i cancelli della sede veronese della Glaxo si sono aperti per la sigla di un protocollo di intesa tra l'azienda farmaceutica e FFC.

Due i principali obiettivi dell'accordo che durerà fino a tutto il 2014: promuovere ed ampliare la collaborazione su tematiche e progetti che possano concretamente migliorare la qualità delle terapie della fibrosi cistica; valutare insieme – FFC e Glaxo – specifici progetti di ricerca innovativi con potenziali ricadute industriali di interesse di GSK.

Dalle parole ai fatti, attualmente l'azienda ha attivato l'esa-

me di alcuni risultati di ricerca scientifica recentemente ottenuti da ricercatori FFC, su progetti finanziati dalla Fondazione e, nei prossimi mesi, si conosceranno le decisioni prese. La scelta di arrivare alla firma dell'accordo ha radici profonde: poggia sulla consapevolezza che la fase di sviluppo attuale richiede mezzi tecnici e risorse finanziarie così consistenti che solo la grande industria farmaceutica li può mettere a disposizione.

Dagli oltre 200 progetti sviluppati nell'ultimo decennio dalla Fondazione, "stanno emergendo molecole di significativo potenziale terapeutico. Tali studi - spiega il direttore scientifico FFC, Gianni Mastella - sono stati condotti su modelli cellulari e su modelli animali adeguati. Il passo successivo è ora quello di sviluppare queste molecole, o loro composti analoghi, in farmaci da sperimentare nel malato; passaggio che richiede nuovi mezzi tecnici e ingenti risorse finanziarie aggiuntive, che una charity è difficilmente in grado di affrontare da sola". Con questo passaggio, si avanza adesso nella costruzione del ponte, necessario a traghettare la ricerca di livello preclinico, qual è quella raggiunta dai progetti finanziati da FFC Onlus, al letto del malato.

DOMANDE & RISPOSTE

Abbiamo selezionato dalla rubrica "Domande e risposte" del sito www.fibrosicisticaricerca.it alcune domande che ci sembrano di particolare interesse per buona parte dei nostri lettori. Invitiamo tutti a frequentare questo spazio online e a porci i quesiti, soprattutto quelli riguardanti i percorsi di ricerca nei loro aspetti più difficili da interpretare.



1

Aspettativa di vita: perché non diciamo le cose come stanno? (27/05/2012)

Buongiorno, stamane mi ritrovo sul vostro sito per sottoporvi a riflessione una questione delicata, dopo che ieri ho appreso purtroppo che una famiglia ha perso la propria bambina affetta da fc, di appena 13 anni.

Circa 3 anni fa è venuta a mancare anche un'altra bambina di nemmeno 10 anni sempre con fc, e chissà quante altre così giovani vite spezzate. Chi vi scrive è una mamma con una figlia con fibrosi cistica di appena 3 anni, ma potrei essere qualsiasi altro genitore che in questa situazione, dopo aver appreso queste "disgrazie", sprofonda nel baratro e si sente morire quasi come quelle povere famiglie che hanno perso i propri figli cosi prematuramente.

Vorrei riuscire a capire il metro di misura, vorrei poter comprendere perché, nonostante siamo nel 2012 e nonostante ci venga "inculcato" nella testa che la vita media per i "nuovi nati" è 40/50 anni, continuano a morire piccoli bambini nati pochi anni fa, dove anche li la vita media si aggirava comunque oltre i 30 anni! Sono consapevole che ogni paziente con fc è un caso a sé: già fratelli entrambi malati. entrambi con le medesime mutazioni hanno destino diverso, ma non riesco davvero a capire per quale motivo continuiamo a propagandare una "vita media per i nuovi nati" di 40/50 anni, quando in realtà chi muore di fibrosi cistica ai giorni d'oggi sono ragazzi comunque sempre giovani.

Nei mesi passati se ne sono andati in molti, ho perso il conto, e per la maggior parte l'età si aggirava intorno ai 20 anni! Ma allora qual è il senso di sensibilizzare le persone in questo modo?

La fibrosi cistica è anche chi è in terra adesso e soffre come una bestia!

La fibrosi cistica è anche chi sta morendo adesso e non solo chi nasce d'ora in avanti con la malattia! La sensibilizzazione deve essere fatta "dando vere medie/mediane" per chi sta combattendo adesso, per chi se ne va in giovane età come sta accadendo.

Ho a che fare spessissimo con persone non direttamente coinvolte dalla malattia, essendo una volontaria, e purtroppo le persone che leggono "vita media 40/50 anni" si soffermano e mi dicono che è un ottimo traguardo perché comunque, se la vita media è cosi alta, significa che almeno mia figlia "camperà" fino a 50 anni e con le prospettive "anche oltre". Ma questo non è ciò che succede nel 2012!

La verità è che si muore a 20 anni, la verità è che tra i bambini che hanno appena 10 anni alcuni stanno già male, la verità è che moltissime persone che conosco purtroppo già a 20 anni hanno fev1 al limite dell'ingresso per il trapianto, come anche altri casi intorno ai 12/15 anni. Ma allora dove sta il metro di misura? Perché non diciamo le cose come stanno?

Perche continuiamo a propagandare "numeri" col senno di poi? Scusate lo sfogo, ma ritengo seriamente che le persone debbano sapere cosa c'è dietro, e non una semplice "bella previsione" che nemmeno sappiamo se si avvererà. Ma soprattutto, genitori che con rabbia perdono i propri figli bambini e ritengono tutto una grande presa in giro, e magari pensano che se il messaggio fosse passato diversamente, fosse stato più realistico e non probabilistico i fondi sarebbero stati di più, ecc.

Col senno di poi non si va avanti, ma la rabbia dentro cresce e di già è difficile accettare la malattia, figuriamoci tutto il resto.

Vi ringrazio tantissimo per il lavoro che fate. Buona giornata.

S

Non abbiamo difficoltà a comprendere l'angoscia di chi viene a conoscere la morte di bambini che hanno problemi di salute simili al nostro.

La nostra interlocutrice rivolge al mondo dei comunicatori un appello a dire esattamente come sta la realtà dei malati di fibrosi cistica.

E, tanto per incominciare, crediamo che nessuno voglia nascondere il fatto che la fibrosi cistica, generalmente parlando, sia malattia grave: nel senso che accorcia la vita di chi ne è colpito e la rende in genere molto faticosa, prima o poi, per chi più e per chi meno.

Se non fosse così non si investirebbero tanta energia e tante risorse per porvi rimedio: pazienti, genitori e curanti da un lato, scienziati e promotori di ricerca dall'altro. Sappiamo che questa è una malattia di cui abbiamo progressivamente migliorato il decorso negli anni ma che non abbiamo ancora debellato.

Non va peraltro dimenticato che 50 anni fa (esperienza diretta di chi scrive) i bambini diagnosticati FC morivano per la gran parte nei primi mesi o primissimi anni di vita: oggi il 50% delle persone con FC ha superato i 18 anni e molti di questi hanno un ragionevole stato di salute per un tempo assai protratto.

Ed ora passiamo a qualche aspetto tecnico relativo alle elaborazioni statistiche di mortalità e sopravvivenza. Ci sono due modi per fare questi conti. Il primo è quello di contare semplicemente le persone che sono decedute anno per anno, registrando l'età al decesso.

Così, per stare in Italia e riferendoci al vecchio registro italiano FC (1), che purtroppo ebbe vita limitata dal 1988 al 2004, vediamo che la mediana di età alla morte aveva un incremento progressivo: la mediana è quell'età oltre la quale vive la metà dei pazienti e al di sotto della quale è deceduta l'altra metà.

Nel periodo 1988-1991 l'età mediana al decesso era di 14,7 anni, tra il 1992 e il 1995 era di 18,6 anni, tra il 1996 e il 1999 era di 21,5 anni, nel periodo 2000-2004 era salita a 23,2 anni.

Questi dati sono molto simili a quelli riportati dal registro nordamericano per gli stessi periodi (2).

Questo modo di calcolare la durata della

vita dà peraltro una informazione distorta della realtà generale della malattia, soprattutto perché non tiene conto di come potrebbe essere il decorso per tutti gli altri pazienti che non sono deceduti, mentre considera solo quei pazienti che molto probabilmente avevano forme più gravi di malattia.

Per fare un calcolo corretto bisognerebbe aspettare la fine di vita di tutti i pazienti nati in un determinato periodo.

I lunghissimi tempi necessari per una tale operazione renderebbero inutile una tale informazione, che invece a noi serve per valutare gli effetti delle cure, dell'assistenza, dell'organizzazione assistenziale, su cui poter aggiustare le nostre azioni.

Per queste ragioni gli statistici hanno elaborato un criterio più corretto e più tempestivo che, partendo da dati reali (quanti pazienti vivi e quanti deceduti anno per anno) elabora una tendenza generale nel tempo, che consente una predizione, in generale, della possibile durata di vita dei malati.

Si tratta dell' "analisi delle tavole di vita" secondo il metodo detto di Kaplan-Meier. In pratica, si parte da un grande numero di pazienti considerati al momento della loro nascita e seguiti nel tempo, registrando quanti di essi sono vivi e quanti sono deceduti anno per anno.

Si vede così che i malati viventi alla nascita, quando erano il 100%, diminuiscono anno per anno di età e la percentuale dei sopravviventi tende a calare.

Le curve che descrivono questo andamento sono andate sempre più migliorando nel tempo. Con riferimento ai dati del registro FC USA (report 2010) (2), il più consistente quanto a numero di pazienti (oltre 26 mila), nel 1986 la mediana di vita attesa era di 27 anni ed è salita a 38,3 anni nel 2010.

Alcune statistiche europee sono anche migliori di quella americana e danno valori di mediana che superano i 40 anni. Queste curve di sopravvivenza sono molto diverse se si stratificano i pazienti secondo diverse categorie: ad esempio quelli diagnosticati attraverso screening neonatale (hanno attesa di vita più lunga) confrontati con quelli diagnosticati tardivamente per sintomi, quelli con mutazioni lievi (attesa di vita molto più lunga) rispetto a quelli con mutazioni severe, e così via. In questi andamenti medi, descritti dalle elaborazioni statistiche, c'è infatti una grande variabilità: sappiamo ormai che i malati FC non sono tutti uguali, non solo perché hanno genotipi diversi, ma anche per il modo in cui vivono, per come sono curati, per quanto accettano la malattia e sono aderenti alle cure, etc, etc. Le nuove terapie, con tutta probabilità, modificheranno sostanzialmente l'attesa di vita, magari in misura diversa da caso a caso, ma la modificheranno. Immaginiamo che queste informazioni tecniche consolino assai poco la nostra interlocutrice, ma questo crediamo sia l'unico modo per dire le cose come stanno, almeno in generale.

Nel singolo caso poi i conti si fanno confrontandosi con le persone che conoscono bene quel paziente e se ne prendono cura.

G.M.

1. Orizzonti FC, Nov. 2006. Registro Italiano FC: Report 2004 http://www.sifc.it/images/Documenti/Orizzonti/orizzontifc52_231106nu merospeciale.pdf

2. US Patient Registry. Annual Data Report 2010.http://www.cff.org/Uploaded-Files/LivingWithCF/CareCenterNetwork/PatientRegistry/2010-Patient-Registry-Report.pdf

2

Quanti malati e quanti portatori sani FC in Italia? (27/04/2012)

Quali sono ad oggi i dati sul numero di pazienti affetti da fibrosi cistica e il numero dei portatori sani rispetto a tutta la popolazione, a livello nazionale?

Valentina

Vorremmo poter rispondere a questa domanda con dati statistici precisi ma possiamo invece farlo solo con ragionevoli stime.

Di solito queste informazioni, benché incomplete, derivano da registri nazionali dei pazienti. In Italia funzionò un registro dei pazienti FC dal 1988 al 2004: per varie ragioni quel registro, che metteva insieme i dati dei pazienti allora noti ai centri italiani FC, si interruppe alla fine del 2004. Dopo 8 anni di pausa, il registro quest'anno è ripreso ed è gestito dall'Istituto Superiore di Sanità: ma solo una parte dei centri hanno finora trasmesso i dati dei loro pazienti, per cui temiamo che quel registro non possa dare informazioni utili ancora per parecchio tempo.

Ed ecco quindi le ragionevoli stime.

Al 31 dicembre 2004 il vecchio registro (1) riportava come viventi 4099 pazienti, ma già allora vi erano ragioni che facevano ritenere che il registro fosse alquanto incompleto rispetto all'intera popolazione italiana: non tutti i pazienti FC di tutti i

centri erano regolarmente censiti; vi era ancora qualche limite dell'attitudine diagnostica dei servizi sanitari, per cui è possibile che molti casi fossero sfuggiti a quel registro; tanto più che solo poche regioni avevano un programma di screening neonatale, idoneo a riconoscere precocemente almeno il 90% dei nati affetti; quel registro poi trascurava i pazienti che non erano seguiti dai centri, mentre molti pazienti con forme atipiche di malattia sfuggivano comunque alla diagnosi e quindi al registro.

Oggi l'attesa di vita dei malati si è alquanto allungata, sono aumentate le regioni che fanno screening neonatale (ne mancano ancora 5) e quindi che diagnosticano più malati, è migliorata l'attitudine a riconoscere le forme atipiche o lievi di fibrosi cistica.

E' ragionevole quindi pensare che almeno i pazienti viventi conosciuti ai centri siano oggi sensibilmente aumentati di numero.

Ma una stima corretta si può ricavare anche partendo da quello che si sa della frequenza dei portatori sani FC in Italia. Non abbiamo significative e diffuse indagini su questo ma può essere presa come riferimento una indagine fatta nel Veneto orientale sulla popolazione generale riguardante soggetti senza storia di fibrosi cistica in famiglia (2). Usando un pannello per l'identificazione di 47 mutazioni CFTR su 58.000 individui, si riscontrò una frequenza di portatori sani di 1 su 31. Considerando che quello screening ignorasse il 5-10% delle mutazioni CFTR, si può assumere che la reale prevalenza di portatori sani FC fosse da collocare tra 1 su 25 e 1 su 30: una stima media corretta potrebbe essere di 1 su 27.

Non vi sono ragioni per pensare che la frequenza dei portatori sani in Italia sia molto diversa tra le varie regioni e quindi si può con buona probabilità assumere questo 1 su 27 come la prevalenza media di portatori sani FC in Italia.

Con adeguate elaborazioni statistiche si può risalire dalla frequenza dei portatori all'incidenza attesa di 1 nato affetto da FC su 2900 nuovi nati. Sulla base dei dati ISTAT sulla natalità del 2010 (quasi 600.000 nuovi nati in un anno) ci si attende quindi un numero di nuovi nati con fibrosi cistica in Italia di circa 200 per anno.

Da questa incidenza, combinata con l'attesa media di vita degli ultimi anni (parecchio oltre 30 anni), si può calcolare che le persone con fibrosi cistica viventi oggi e nei prossimi anni siano comprese almeno tra 6000 e 7000.

Sempre partendo dalla prevalenza di soggetti portatori sani di 1 su 27 persone, si può ragionevolmente calcolare che i portatori sani FC in Italia (che ha una popolazione di circa 61 milioni) siano circa 2 milioni e trecentomila.

G.M.

- 1. Dalla rivista online "Orizzonti FC", Anno 2, n.3, 23.11.2006 (Report 2004 Registro Italiano FC). http://www.sifc.it/index.php?option=com_content&task=view&id=177 <emid=89
- **2.** Picci L, et al. A 10-year large-scale cystic fibrosis carrier screening in the Italian population. J Cyst Fibros. 2010 Jan;9(1):29-35. Epub 2009 Nov 7

3 Trapianto di lobo polmonare da vivente (24/06/2012)

Vorrei un chiarimento su una questione relativa al trapianto di polmoni in un bambino affetto da FC. Fosse possibile la donazione da viventi, è pensabile che un genitore doni un solo polmone sano al proprio figlio o comunque sono necessari per il trapianto entrambi i polmoni? Chiedo questo perchè conosco persone che, in seguito ad incidenti, hanno perso un polmone, sopravvivendo comunque bene con il solo rimasto. Ma anche perchè credo che la consanguineità - a patto di avere lo stesso gruppo sanguigno- possa migliorare i problemi di rigetto. Grazie Giuseppe

Non è pensabile che un genitore o qualsiasi altra persona in vita doni un intero polmone. E' vero che in condizioni particolari (traumi, infezioni, tumori) oggi si arriva ad asportare un intero polmone, ma l'intervento comporta una menomazione importante, che è giustificata solo quando particolari condizioni di cattiva salute di partenza lo rendono l'unica scelta possibile. Il tema del trapianto da donatori viventi è stato affrontato nel recente X Seminario di Primavera FFC dal dott. Alessandro Bertani, chirurgo trapiantologo di uno dei più qualificati centri trapianto d'Europa (l'ISMETT di Palermo). Invitiamo a prendere visione della sua relazione e in particolare del dibattito che ne è seguito (1). Ne accenniamo solo alcuni punti. Mentre è troppo rischiosa l'idea della donazione di un intero polmone, le esperienze fino a qui raccolte hanno mostrato che per il donatore il prelievo di un lobo polmonare (di solito quello superiore) comporta probabilità ridotte di complicanze intraoperatorie e postoperatorie, e assenza di menomazioni significative della sua integrità fisica.

Però la donazione di un singolo lobo non è in grado di provvedere alle necessità respiratorie del malato FC con danno polmonare avanzato, perciò si rende necessaria la donazione di due lobi polmonari da due differenti donatori, che andrebbero a sostituire entrambi i polmoni malati. I donatori debbono essere il più sani e il più giovani possibile e. secondo guanto riportato dal dott. Bertani, una legge attualmente in via di approvazione (2) potrebbe contemplare la possibilità che non siano legati al malato da un vincolo di parentela; potrebbero semplicemente nutrire nei suoi confronti una solida motivazione al gesto della donazione. E' indispensabile che abbiano lo stesso gruppo sanguigno del malato, questo è l'unico criterio richiesto; non sono da privilegiare le donazioni di persone con un'affinità genetica o una compatibilità "tissutale" con il malato (come sono i consanguinei) perchè, per quanto fino ad ora si sa, il rischio di rigetto è simile.

G. Borgo

- **1.** (http://www.fondazionericercafc.com/x-seminario/trapianto-polmonare-FC-oggi-2).
- 2. Legge approvata in data 13 settembre 2012

Sul sito della Fondazione, nella sezione dedicata alla fibrosi cistica, potete trovare ulteiori approfondimenti su "Progressi di ricerca", "Commenti di esperti", "Domande più frequenti", "Documenti informativi",



Racconti di pazienti".

PROGETTI FFC 2012

Nella seduta del 29 giugno 2012, il Comitato Scientifico della Fondazione Ricerca Fibrosi Cistica ha selezionato i progetti di ricerca CF da proporre per un finanziamento che inizierà nel corrente anno. È stata la conclusione di un lungo iter di analisi e valutazione di 71 progetti sottoposti alla Fondazione, a seguito del bando annuale emanato il 15 dicembre 2011.

Alla valutazione delle proposte di ricerca hanno collaborato oltre **100** scienziati internazionali, esperti nello specifico di ciascun argomento. Ogni progetto è stato esaminato da un minimo di due fino a un massimo di sei revisori

Il Comitato Scientifico ha composto le proprie valutazioni con quelle dei *referees*, proponendo infine alla Fondazione il finanziamento di **20** nuovi progetti (di cui otto in continuazione di precedenti studi finanziati da FFC): sei nell'area "Verso terapie del difetto di base"; altri sei nell'area "Verso terapie antibatteriche innovative"; altrettanti nell'area "Verso terapie dell'infiammazione polmonare"; due nell'area "Ricerca clinica ed epidemiologica". E' stato inoltre approvato e finanziato un nuovo servizio alla rete di ricerca: un database per la ricerca e l'analisi rapida e comparativa degli studi clinici internazionali e relative revisioni sistematiche (CFDB). La Fondazione ha impegnato per questi progetti la somma complessiva di euro **1.518.000**.

Di seguito, la lista dei progetti selezionati. Essi sono aperti alle adozioni secondo i criteri descritti alla pagina *Adotta un progetto* del sito www.fibrosicisticaricerca.it. Per visualizzare lo stato di adozione dei progetti, andare all'indirizzo http://www.fibrosicisticaricerca.it/Ricerca-e-Formazione/Progetti-di-ricerca/Progetti-anno-2012-/ e selezionare l'anno desiderato: si troverà la descrizione e, fino al 2010, anche la sintesi dei risultati ottenuti.

Verso terapie del difetto di base Towards therapies of the basic defect

Quest'area di ricerca prevede studi finalizzati a conoscere i meccanismi attraverso cui funziona la proteina CFTR normale o non funziona quella alterata in causa del gene CFTR che la produce e che è alterato (mutato) nella fibrosi cistica. L'area comprende ricerche mirate ad individuare sistemi atti a curare o a compensare il difetto di base della malattia.

FFC#1/2012

The read-through approach for the treatment of cystic fibrosis caused by premature termination codons. L'approccio "read-through" (lettura completa del codice DNA) per il trattamento della fibrosi cistica causata da mutazioni stop.

Ricerca di un farmaco per il trattamento delle mutazioni "stop": trovare molecole che superano lo stop e riavviano la sintesi della proteina CFTR, leggendo per intero il messaggio genetico.



Responsabile: Monica Borgatti (Dipartimento Biochimica e Biologia Molecolare Università di Ferrara) Partners: Nicola Altamura (Istituto Biomembrane e Bioenergetica, CNR), Ralph Laufer (IRBM, Science Park, Roma)

Ricercatori coinvolti: 12 Durata: 2 anni Finanziamento: □ 80.000

Monica Borgatti

Obiettivi: Le mutazioni stop (chiamate anche "non senso") introducono nella sequenza del DNA codoni (messaggi in codice) di interruzione prematura della sintesi proteica e sono la causa di circa il 30% delle malattie ereditarie, inclusa la fibrosi cistica (FC). Le mutazioni stop del gene CFTR provocano l'arresto della sintesi della proteina CFTR, che viene prodotta solo in frammenti di lunghezza variabile a seconda del punto in cui interviene l'arresto; questi frammenti vengono poi distrutti.

Esiste un meccanismo di difesa cellulare, noto con il nome di "Decadimento di mRNA mediato dal non-senso" (NMD), mediante il quale le cellule tendono a degradare i frammenti di RNA che portano il messaggio per il blocco prematuro della sintesi. Negli ultimi anni, farmaci come gli antibiotici aminoglicosidici si sono dimostrati attivi nel sopprimere il blocco prematuro mediante un meccanismo detto read-through ("lettura dall'inizio alla fine" del codice genetico per quella proteina), che è in grado di mascherare il messaggio di blocco e riavviare la lettura completa dei codici che portano alla sintesi della proteina tutta intera. Questo progetto prevede di ottimizzare questa strategia utilizzando molecole che agiscono con meccanismo read-through in modelli cellulari sperimentali (cellule di lievito o linee cellulari umane) contenenti mutazioni di stop per la fibrosi cistica. Scopo del progetto è identificare, attraverso screening di librerie chimiche e di aminoglicosidi già in commercio, nuovi composti ad azione "read through".

Inoltre saranno sviluppate strategie per modulare il meccanismo NMD e individuare la migliore combinazione di molecole readthrough e modulatori NMD. Perciò questo studio può essere utile per lo sviluppo di un approccio farmacologico per la cura della fibrosi cistica causata da mutazioni stop.

FFC#2/2012

Development of novel strategies to correct the chloride transport defect in cystic fibrosis. Sviluppo di nuove strategie per la correzione del difetto di trasporto di cloruro nella fibrosi cistica.

Ricerca di farmaci per trattare gli effetti di DF508, la mutazione più frequente del gene CFTR: aminoariltiazoli con azione di correttori e potenziatori insieme. Inoltre, avanzamenti nello studio di TMEM16A, la proteina "canale di riserva" per il cloro, che può compensare la CFTR difettosa.



Responsabile: Luis Galietta (Lab. Genetica Molecolare, Ist. "G. Gaslini", Genova)
Partner: Enrico Millo (Centre of Excellence for Biomedical Research, Università

Durata: 2 anni

Finanziamento: ☐ 160.000

Luis Galietta, primo da sinistra, con il suo gruppo di ricerca

Obiettivi: Il ripristino del trasporto di cloruro nelle cellule epiteliali delle vie aeree è uno dei principali obiettivi per la terapia del difetto di base nella fibrosi cistica (FC). Questo risultato può essere ottenuto direttamente attraverso la correzione farmacologica della proteina mutata, CFTR. Il recupero pieno della funzione di CFTR con la mutazione deltaF508 richiede però il trattamento combinato con due tipi di composti diversi, potenziatori e correttori. Infatti la mutazione deltaF508 provoca due tipi di problemi a carico della proteina CFTR: un difetto di attività e un difetto di maturazione. Una strategia alternativa per la FC passa attraverso la stimolazione di un'altra proteina canale, TMEM16A, anch'essa capace di trasportare cloruro.

Il progetto si propone di: 1) identificare nuovi composti chimici, appartenenti alla famiglia degli aminoariltiazoli (AAT), che hanno la capacità di funzionare sia da correttori sia da potenziatori; verranno sintetizzate nuove molecole di AAT da saggiare su cellule con espressione della proteina CFTR mutata; attraverso modifiche progressive della struttura chimica di tali composti si cercherà di migliorarne l'efficacia terapeutica su cellule epiteliali bronchiali ottenute da pazienti FC. 2) studiare la funzione e regolazione della proteina TMEM16A per valutarne la capacità di compensare il deficit di CFTR nei pazienti FC.

FFC#3/2012

Study of the pathogenetic and therapeutic role of the Epithelial Na+ channel (ENaC) in CF and CF-like disease. Studio del ruolo patogenetico e terapeutico del canale epiteliale del Na+ (ENaC) nella Fibrosi Cistica tipica e atipica.

Studiare la proteina-canale per il sodio (ENaC) e le mutazioni dei geni che la controllano, per capire se concorrono ai sintomi della malattia FC e se si possono trattare con farmaci.



Responsabile: Marco Lucarelli (Dip. Biotecnologie cellulari ed Ematologia, Università "La Sapienza", Roma) Partners: Cristina Bombieri (Dip. Scienze della Vita e della Riproduzione, Università di Verona), Massimo Conese (Dip. Scienze Biomediche, Università di Foggia) Ricercatori coinvolti: 20 Durata: 2 anni

Finanziamento: ☐ 85.000

Marco Lucarelli

Obiettivi: Nonostante l'elevato numero di variazioni di sequenza identificate nel gene CFTR, in vari pazienti con Fibrosi Cistica (FC) non risultano identificate le mutazioni responsabili della malattia; inoltre, è poco chiara la relazione tra le mutazioni del CFTR e la gravità clinica dei sintomi. Il ruolo di geni diversi dal CFTR nell'insorgenza della FC e nella definizione della sua gravità clinica è rilevante per la diagnosi, prognosi e terapia. La diminuzione della secrezione di cloro e l'aumento del riassorbimento di sodio sono anomalie caratteristiche delle vie aeree nei pazienti con FC. La prima è conseguenza diretta di CFTR difettosa, mentre la seconda è da imputare a un'anomala interazione tra CFTR e ENaC (il canale epiteliale del sodio). Sebbene siano state identificate mutazioni nei geni responsabili del canale ENaC in pazienti con FC classica e atipica, il contributo alla FC di mutazioni dei geni ENaC è poco chiaro. Inoltre, dati sperimentali suggeriscono che la metilazione del DNA (processo che regola l'accensione e lo spegnimento genico) potrebbe controllare la trascrizione dei geni ENaC.

Questo progetto vuole approfondire le conoscenze sul ruolo dell'ENaC nella FC, studiando la possibilità che mutazioni o alterazioni dell'espressione (eventualmente dipendenti da alterazioni della metilazione del DNA) dei 3 geni ENaC, probabilmente in associazione con mutazioni del gene CFTR, possano causare la FC o modularne la gravità clinica. Sarà valutata anche la fattibilità, in sistemi cellulari, di approcci terapeutici rivolti alla riduzione dell'espressione o della funzione dell'ENaC.

FFC#4/2012

The molecular structure and the folding of the whole Cystic Fibrosis Transmembrane Conductance Regulator (CFTR). Studio della struttura molecolare e conformazione della proteina CFTR.

Studiare struttura e forma della proteina CFTR normale e DF508 mutata, quando è in fase di attività e quando è sotto l'effetto di farmaci, per trovare nuove molecole che agiscano come DF508-correttori.



Responsabile: Oscar Moran (Istituto di Biofisica CNR, Genova) Ricercatori coinvolti: 5

Finanziamento: □ 70.000

Oscar Moran, al centro, nel suo laboratorio con due collaboratrici

Obiettivi: La mutazione più frequente in FC è la Δ F508: essa causa un difetto di maturazione della proteina CFTR, che viene distrutta prima di essere inserita nella membrana cellulare.

Come terapia è stata indicato l'uso di composti denominati correttori, che evitano la distruzione della proteina ΔF508 mutata, permettendogli di arrivare in membrana ed esercitare la sua funzione di trasporto di cloro. E' di fondamentale importanza conoscere la struttura molecolare di CFTR impiegando mezzi a risoluzione elevatissima (atomica), ma questo viene impedito da difficoltà tecniche che ostacolano la cristallizzazione (trasformazione in forma solida) della proteina. Questo progetto si propone di studiare la struttura molecolare della CFTR utilizzando metodi di diffusione di raggi–X a basso angolo (SAXS= small-angle X-ray scattering). Con questa tecnica è possibile avere informazione dettagliata sulla struttura molecolare della proteina in condizioni simili a quelle fisiologiche.

L'obbiettivo è quello di mettere a punto un apposito protocollo per l'estrazione e purificazione di CFTR da cellule di mammiferi; quindi studiare con SAXS la struttura della CFTR normale in diversi stati funzionali e di confrontarla con la struttura della CFTR mutata; inoltre trattare (sempre su cellule di mammifero) CFTR mutata con correttori e indagare come questi farmaci ne modificano la conformazione molecolare. I risultati ottenuti serviranno a capire i meccanismi di funzionamento della CFTR normale e le alterazioni patologiche dovute alla mutazione Δ F508, inoltre ad acquisire informazioni che potrebbero essere fondamentali per lo sviluppo di nuovi e migliori correttori per la terapia farmacologica del difetto di base nella FC.

FFC#5/2012

Modulation of post-translational modification and quality control system as a novel therapeutic strategy for Cystic Fibrosis. Modulazione delle modificazioni post-translazionali e dei sistemi di controllo di qualità come nuova strategia terapeutica per la fibrosi cistica.dr

Ricerca di farmaci per il trattamento della mutazione DF508. Scoprire nuovi correttori in grado di intervenire sul difetto di maturazione della proteina (dopo la sintesi) e valutarne gli effetti attraverso sperimentazione preclinica.



Responsabile: Nicoletta Pedemonte (Lab. Genetica Molecolare, Ist. "G. Gaslini", Genova)

Ricercatori coinvolti: 4 Durata: 2 anni Finanziamento:

100.000

Nicoletta Pedemonte, prima da destra, con due collaboratrici del laboratorio

Obiettivi: I trattamenti attuali della FC sono mirati alla cura delle conseguenze della malattia, ma non consentono di correggere il difetto di base. La messa a punto di nuovi farmaci in grado di correggere il difetto di base consentirebbe di fermare la progressione della malattia. Ma ciò richiede più approfondita conoscenza dei meccanismi molecolari che regolano la maturazione o la degradazione della proteina mutata. Questo progetto ha come obiettivi primari: 1) studiare i meccanismi molecolari alla base del difetto di maturazione della proteina F508del-CFTR; 2)verificare se la loro modulazione possa avere una efficacia terapeutica. Obbiettivo finale è l'identificazione di terapie mirate al ripristino della funzione della proteina mutata F508del (presente nel 45-50% dei pazienti in Italia) e possibilmente di altre mutazioni caratterizzate da difetto di maturazione.

Utilizzeremo una tecnologia chiamata "interferenza genica mediata da RNA". Essa ha già permesso di identificare alcuni dei meccanismi che impediscono la maturazione della proteina F508del-CFTR. Verrà validata l'efficacia della modulazione di questi meccanismi sia in vitro, su colture primarie di cellule epiteliali delle vie aeree di soggetti FC, sia in vivo, su modelli animali. Verranno anche identificati ulteriori fattori di regolazione della maturazione di CFTR e verificato se anch'essi risentono di interventi di modulazione.

FFC#6/2012

CFTR splicing correction mediated by Exon-Specific U1 small nuclear RNAs (ExSpe U1).

Correzione dei difetti di splicing del gene CFTR attraverso l'utilizzo di piccoli RNA nucleari.

Ricerca di una terapia per le mutazioni "splicing": trovare all'interno del nucleo della cellula piccole molecole di RNA, capaci di intervenire in vari frammenti mutati del gene CFTR e correggere il difetto.



Responsabile: Franco Pagani (ICGEB, Trieste)

Ricercatori coinvolti: 5 Durata: 2 anni Finanziamento: 70.00

Franco Pagani, terzo da destra, con il suo gruppo di ricerca

Obiettivi: Questo studio si focalizza sulle mutazione di splicing del gene CFTR ed in particolare su alcune mutazioni che causano un difetto chiamato "exon skipping" o salto dell'esone (viene saltata una grossa parte del codice genetico nel suo trasferimento attraverso RNA per la sintesi di proteina).

Lo studio si basa su osservazioni preliminari che mostrano come "in vitro" piccole molecole di RNA presenti nel nucleo della cellula, chiamate ExSpeU1 (Exon Specific U1s), sono in grado di correggere l' "exon skipping". L'obiettivo è quello di sviluppare una nuova strategia terapeutica rivolta alle mutazioni splicin. Perciò sarà necessario: 1) identificare diversi ExSpeU1 attivi sul gene CFTR in grado di correggere più mutazioni di splicing: questo richiederà la creazione di appropriati "minigeni" in grado di intervenire nella maggior parte dei 27 esoni che compongno il gene CFTR; 2) attraverso l'analisi dei meccanismi coinvolti, sviluppare molecole con migliore attività; 3) studiarne l'effetto sulla funzionalità del canale CFTR in cellule geneticamente modificate in modo che contengano mutazioni CFTR splicing.

Verso terapie antibatteriche innovative Novel antibacterial strategies for the pulmonary infection in cystic fibrosis

Quest' area include progetti orientati a conoscere i meccanismi con cui i batteri più comunemente implicati nell'infezione polmonare in fibrosi cistica acquisiscono la capacità di colonizzare l'albero respiratorio determinando infezione e infiammazione.

L'obiettivo generale di questi progetti è quello di individuare nuove modalità terapeutiche per contrastare lo sviluppo, la virulenza dei batteri e la loro resistenza verso gli antibiotici.

L'area si basa su ricerche in vitro e su modelli animali, ma contempla anche studi che si avvicinano di più alla clinica e quindi al malato: diagnosi batteriologica, studi sulla sensibilità agli antibiotici, indicazioni al trattamento e verifica di efficacia della prevenzione e della cura delle infezioni, studi epidemiologici e di trasmissione di infezione.

FFC#7/2012

Metalloproteases released by Pseudomonas aeruginosa clinical strains as virulent factors in CF: clinical correlations and chemical modulators.

Metalloproteasi rilasciate da ceppi clinici di Pseudomonas aeruginosa quali fattori di virulenza in FC: correlazioni cliniche e modulatori chimici.

Studio delle "Metalloproteasi" (enzimi che rendono aggressivo Pseudomonas aeruginosa) e del loro possibile trattamento con l'antibiotico azitromicina.



Responsabile: Gabriella Bergamini (Dip. Patologia e Diagnostica, Sez. Patologia Generale, Università di Verona) **Partner:** Paola Melotti (Centro Regionale Fibrosi Cistica, AOUI Verona) Ricercatori coinvolti: 3

Durata: 1 anno **Finanziamento:**

Obiettivi: Pseudomonas aeruginosa (Pa) è l'agente patogeno più comune della fibrosi cistica (FC). Alcuni particolari ceppi di Pa rilasciano enzimi chiamati MMP (Metalloproteasi di Matrice) che svolgono azione proinfiammatoria e sono da considerare fattori di virulenza di Pa.

Questo progetto ha lo scopo di studiare le Metalloproteasi di Matrice (MMP) prodotte da Ps aeruginosa e stabilire se la loro presenza è in relazione con la presenza sporadica o cronica di Pa nei pazienti. Inoltre, si vuole valutare l'effetto che può avere su queste MMP l'antibiotico azitromicina, conosciuto anche per la sua attività antinfiammatoria.

Oggi non si sa quali siano i pazienti FC che possano rispondere positivamente al trattamento con azitromicina come antinfiammatorio. La determinazione della sensibilità del ceppo di Pa, e in particolare delle sue MMP, ad AZM potrebbe fornire una spiegazione razionale ed un criterio di scelta per il trattamento di singoli pazienti.

FFC#8/2012

Investigation of cystic fibrosis airway microbiome in patients showing a severe decline in lung function and not responding to conventional antimicrobial therapy.

Indagine sul microbioma delle vie aeree nei pazienti con fibrosi cistica che presentano un severo declino della funzione polmonare e non rispondono alla terapia convenzionale antimicrobica.

Studiare l'insieme dei microrganismi (microbioma) presenti nelle vie aeree FC, scoprire quelli abitualmente non diagnosticati e capire se sono importanti nei malati FC in cui terapie antimicrobiche convenzionali risultano poco efficaci.



Responsabile: Annamaria Bevivino (Unità per lo Sviluppo Sostenibile e Innovazione

Sistema Agro-Industriale, ENEA, Roma)

Partners: Alessio Mengoni (Dip. Biologia dell'Evoluzione, Università di Firenze), Giovanni Taccetti (Centro FC, Ospedale "A Meyer", Firenze), Ersilia Fiscarelli (Laboratorio Microbiologia, Ospedale "Bambin Gesù", Roma), Graziana Manno (Dip. di Scienze Pediatriche, Università di Genova)

Ricercatori coinvolti: 24

Durata: 1 anno **Finanziamento:**

Obiettivi: Per "microbioma" delle vie aeree FC si intende l'insieme dei microrganismi, dotati di specifico patrimonio genetico, presenti nelle vie aeree dei pazienti FC. Tra questi pazienti vi sono quelli che nonostante il trattamento terapeutico presentano una rapida e severa diminuzione della funzionalità respiratoria.

Obiettivo principale del progetto è valutare la composizione del microbioma in questo gruppo di pazienti, alla ricerca di patogeni diversi da quelli abitualmente isolati in coltura con i metodi tradizionali.

L'impiego di tecnologie molecolari (classiche e di ultima generazione) porterà alla scoperta di nuovi microrganismi coinvolti nella malattia polmonare e di nuovi geni che li caratterizzano.

Queste conoscenze costituiranno la base per la messa a punto di nuove strategie contro le infezioni respiratorie FC.

FFC#9/2012-

Development, production and characterization of antibacterial peptides (CAMPs) active on the sessile form of the opportunistic human pathogens Pseudomonas aeruginosa and Burkholderia cenocepacia.

Sviluppo, produzione e caratterizzazione di peptidi antimicrobici (CAMPs) attivi sulla forma sessile dei patogeni opportunisti Pseudomonas aeruginosa e Burkholderia cenocepacia.

Ricerca di nuovi antibiotici: avanzamenti nello sviluppo di "peptidi" attivi contro batteri protetti da biofilm (Pseudomonas aeruginosa e Burkholderia cenocepacia).



Responsabile: Eliodoro Pizzo (Dip. Biologia Strutturale e Funzionale, Lab. Struttura e Funzione delle Proteine, Università "Federico II", Napoli)
Partner: Mario Varcamonti (Dip. Biologia Strutturale e Funzionale, Lab. Microbiologia, Università "Federico II", Napoli)
Ricercatori coinvolti: 10

Durata: 1 anno

oro Pizzo, primo da sinistra, con il gruppo di ric

Obiettivi: Le infezioni respiratorie provocate da Pseudomonas aeruginosa e Burkholderia cenocepacia costituiscono un rischio per i pazienti FC e l'emergere di ceppi batterici virtualmente resistenti a tutti gli antibiotici esistenti ha posto l'accento sulla ricerca di nuovi composti. I peptidi antimicrobici (CAMPs) possono rappresentare una valida alternativa. Lo scopo principale di questo progetto è lo sviluppo di CAMPs (in parte identificati nel corso del progetto FFC15#2011), di loro prodotti modificati e di formulazioni multivalenti atte a combattere colonie batteriche nella loro forma sessile, cioè incapsulate in un biofilm. Il biofilm avvolge la colonia e la rende impenetrabile agli antibiotici; il problema di scoprire come aggredirlo è oggi di grande rilevanza per la sanità in generale e per i pazienti FC in particolare, nei quali Ps. aeruginosa e B. cenocepacia circondati da biofilm diventano particolarmente pericolosi. I CAMPs identificati come più promettenti saranno testati in vivo su sistema murino e in vitro su cellule umane.

FFC#10/2012

A very promising drug against Burkholderia cenocepacia. Studio di un farmaco molto promettente contro Burkholderia cenocepacia.

Proposta di terapia innovativa per trattare Burkholderia cenocepacia: derivati della Piridina bloccano meccanismi vitali della cellula batterica (pompe con funzione di trasporto).



Responsabile: Giovanna Riccardi (Dip. di Biologia e Biotecnologie, Università

Partner: Renato Fani (Dip. Biologia dell'Evoluzione, Università di Firenze)

Ricercatori coinvolti: 12 Durata: 2 anni Finanziamento: ☐ 50.000

Obiettivi: Burkholderia cenocepacia è considerato uno dei più seri patogeni che colpiscono i malati di fibrosi cistica, provocando infezioni respiratorie in circa il 3.5% di essi. B. cenocepacia è altamente resistente agli antibiotici, di conseguenza sono necessarie nuove strategie per il suo trattamento. E' importante la scoperta recente (avvenuta nel corso di studi per la terapia della tubercolosi) che derivati della Piridina, composto chimico alla base di molti prodotti farmaceutici, possono agire anche contro B. cenocepacia. Scopo di questo progetto è lo studio dei meccanismi che rendono i composti a base di Piridina attivi contro B. cenocepacia, in particolare lo studio di un trasportatore cellulare (pompa di efflusso RND-4), che ha un ruolo importante perchè conferisce al batterio resistenza agli antibiotici tradizionali. Questa pompa verrà riprodotta in vitro e, poichè alcuni derivati della Piridina si sono dimostrati in grado di neutralizzarla, questi saranno studiati come candidati a diventare nuovi farmaci contro B. cenocepacia.

FFC#11/2012

Development of optimized anti-infective peptides and exploration of a novel drug delivery system for the respiratory infection therapy in an animal model.

Sviluppo di peptidi antinfettivi ottimizzati e sperimentazione di un nuovo sistema di somministrazione di farmaci per la terapia delle infezioni respiratorie.

La ricerca di nuovi antibiotici: perfezionamento di peptidi antimicrobici già saggiati e apparsi promettenti; inoltre sperimentazione di un nuovo sistema di somministrazione di farmaci per le infezioni respiratorie.



Responsabile: Marco Scocchi (Dip. Scienze della Vita, Università degli studi di Trieste) Partner: Giovanni Di Bonaventura (Dip. Scienze Biomediche, Università di Chieti-Peso Maria Laura Costanto (Dip. Ingegneria Strutturale, Politecnico Milano) Durata: 1 anno

Finanziamento: 🗆 50.000

Obiettivi: Spesso i pazienti FC presentano complicazioni dovute a batteri resistenti agli antibiotici. Un'arma che potrebbe essere impiegata contro le infezioni polmonari è rappresentata dai Peptidi Antimicrobici (AMPs), molecole naturalmente prodotte sia da animali che da piante, dotate di azione antibatterica. Gli AMPs da noi precedentemente saggiati (*Alpha helical BMAP27 and BMAP28 AMPs*) si sono dimostrati promettenti, in particolare per la loro capacità di eliminare o ridurre la formazione del biofilm prodotto da alcuni patogeni durante l'infezione. A fronte di questi vantaggi, la maggior parte degli AMPs presenta qualche tossicità che potrebbe danneggiare i tessuti del paziente. Oltre alla resitenza agli antibiotici, un secondo ostacolo all'eradicazione delle infezioni polmonari FC è dato dalla difficoltà di somministrare farmaci alle vie aeree, infiammate e ostruite. Il primo obiettivo del progetto è la produzione e messa a punto di forme modificate di AMPs naturali, progettati per mantenere una buona attività battericida e per ridurre nel contempo gli effetti collaterali. Il secondo obiettivo è sperimentare un nuovo metodo di somministrazione di farmaci, tramite la ventilazione liquida totale (TLV), una procedura di ventilazione meccanica nella quale i polmoni sono riempiti con una miscela composta da perfluorocarburo (PFC) liquido ossigenato, antibiotici e mucolitici, piuttosto che con aria. Il nuovo metodo sarà sperimentato su conigli con infezione polmonare, allo scopo di indagare se sia utile per trasportare farmaci anche nelle regioni meno accessibili delle vie aeree, aiutando l'eradicazione dell'infezione.

FFC#12/2012

Naturally occurring antimicrobials to counteract lung infections in cystic fibrosis patients:

Cecropin A-Melittin (CA-M) hybrid peptides and polymixins.

Antimicrobici di origine naturale per combattere le infezioni polmonari in pazienti affetti da fibrosi cistica: peptide ibridi Cecropina A-Melittina and polimixine.

Studiare i meccanismi d'azione di nuovi antibiotici, peptidi di origine naturale (animale), e sperimentarli contro Pseudomonas aeruginosa e Burkholderia cepacia.



Partner: Giovanni Di Bonaventura (Dip. Scienze Biomediche, Università Chieti-Pescara, Pescara)
Ricercatori coinvolti: 11

sponsabile: Alba Silipo (Dip. Scienze Chimiche, Università "Federico II", Napoli)

Ricercatori coinvolti: 11 Durata: 1 anno Finanziamento: □ 60.000

Alba Silipo, quinta da sinistra, con il gruppo di ricerca

Obiettivi: Il trattamento di infezioni da Pseudomonas aeruginosa da Burkholderia cepacia complex (Bcc) in fibrosi cistica è reso difficoltoso dalla crescente diffusione di ceppi multi resistenti (MDR). E' quindi importante mettere a punto nuove strategie antimicrobiche. I peptidi antimicrobici di origine naturale si stanno affermando sempre di più come composti da cui partire per il design di varianti sintetiche a maggiore efficacia o minore tossicità, da usare da sole o in combinazione con altri antibiotici. Il presente progetto sarà focalizzato sulla messa a punto di nuove strategie antiinfettive basate sull'utilizzo di peptidi antimicrobici (AMP) di origine naturale: il peptide ibrido CecropinaA-Melittina (CA-M, scoperto nell'emolinfa degli insetti) e suoi derivati sintetici, e le polimixine (gruppo di antibiotici aventi struttura di peptidi ciclici derivate dal batterio "Bacillus polymyxus"). Ci poniamo come obiettivi: i) esplorare i meccanismi di interazione del peptide ibrido CA-M con la cellula batterica, al fine di definire i requisiti molecolari alla base della interazione e di eventi quali resistenza, adattamento e modulazione della risposta immunitaria ad opera di batteri opportunisti quali Pseudomonas aeruginosa e Bcc; ii) valutare in vitro e in vivo (topi FC) l'attività dello stesso peptide e dei suoi derivati sintetici, da soli e in combinazione con altri antibiotici comunemente usati (tobramicina e colistina) contro ceppi batterici multiresistenti di P. aeruginosa e di Bcc.

FFC#13/2012

Role of high affinity zinc transporters in Pseudomonas aeruginosa ability to colonize the inflamed cystic fibrosis lung. Ruolo dei trasportatori di zinco ad alta affinità nella capacità di Pseudomonas aeruginosa di colonizzare il polmone infiammato tipico della fibrosi cistica.

Ricerca di nuove terapie contro Pseudomonas aeruginosa: sottrarre lo zinco di cui il batterio si nutre e verificare gli effetti benefici di questa strategia.



Responsabile: Andrea Battistoni (Dip. Biologia, Università Tor Vergata, Roma) Ricercatori coinvolti: 9

Durata: 2 anni Finanziamento: □ 75.000

Andrea Battistoni, al centro, con il suo gruppo di ricerca

Obiettivi: Metalli quali il ferro e lo zinco hanno un ruolo molto importante nella fisiologia dei batteri, in quanto costituenti di numerose proteine essenziali per la loro sopravvivenza. Impedire ai batteri di accedere e di "nutrirsi" di questi metalli è quindi un meccanismo contro la loro disseminazione e contro le infezioni che essi provocano ("immunità nutrizionale").

Alcune proteine della cascata antinfiammatoria sono specializzate in questa azione antimicrobica. Una è la calprotectina (CP), rilasciata dai neutrofili in sede di infezione e capace di sequestrare zinco e manganese. Abbiamo recentemente dimostrato che la capacità di un patogeno intestinale di resistere all'azione antimicrobica della CP è legata alla capacità di esprimere un trasportatore di metalli con altissima affinità per lo zinco. Poiché la CP è la proteina più abbondante nello sputo dei pazienti FC, ipotizziamo che, per colonizzare in modo efficiente il loro polmone, *P. aeruginosa* debba adottare strategie volte a controbilan-

ciare la carenza di zinco indotta dalla CP. Le nostre osservazioni preliminari confermano che questo microrganismo è estremamente resistente ai meccanismi di sequestro dello zinco, probabilmente grazie alla presenza di diversi sistemi di acquisizione dello zinco. Gli obiettivi di questo progetto sono: 1) caratterizzare l'apparato di acquisizione dello zinco di *P. aeruginosa* e la sua capacità di funzionamento anche in condizioni di carenza di zinco; 2) valutare se questo apparato abbia ruolo critico nella capacità di *P. aeruginosa* di colonizzazione il polmone dei pazienti e resistere all'azione antimicrobica della CP.

Il contributo specifico della CP contro P. aeruginosa sarà valutato attraverso saggi in vitro e tramite infezioni in animali resi carenti di neutrofili e quindi con scarso rilascio di CP. Il progetto contribuirà a 1) spiegare il ruolo dello zinco nell'interazione ospite- P. aeruginosa 2) identificare nuovi potenziali bersagli per strategie antimicrobiche.

Yerso terapie dell'infiammazione polmonare Pulmonary inflammation in cystic fibrosis and new strategies of treatment

Quest'area è orientata a conoscere e interpretare i processi coinvolti nella risposta dell'ospite all'infezione (infiammazione), che in fibrosi cistica appare straordinariamente esaltata, particolarmente a livello polmonare. L'intento finale di questi studi è quello di individuare strategie terapeutiche efficaci nel contrastare l'infiammazione e quindi prevenire il danno polmonare cronico responsabile del progredire dell'insufficienza respiratoria nel malato FC.

FFC#14/2012

Structure-activity relationships (SAR) of neoglycoconjugates derived from deoxynojirimycin as possible therapeutic agents for Cystic Fibrosis lung disease, by modulating the metabolism of sphingolipids

Relazione struttura-attività(SAR) di nuovi glicoconiugati, derivati da deoxynojirimicina che agiscono sul metabolismo degli sfingolipidi, come possibili farmaci per la malattia polmonare in fibrosi cistica.

Partendo dal farmaco Miglustat (già in uso per altre malattie), proseguire sulla strada della scoperta di nuove molecole contro l'infiammazione polmonare FC e sperimentarne gli effetti in fase preclinica.



Responsabile: Maria Cristina Dechecchi (Lab. Patologia Molecolare, Laboratorio Analisi AOUI, Verona)

Partner: Fréderic Beck (Inst. Physiologie et Biologie Cellulaires, Universitè de Poitiers, France) Ricercatori coinvolti: 13

Durata: 2 anni Finanziamento: □ 120.000

Maria Cristina Dechecchi, prima da destra, con alcuni collaboratori

Obiettivi: Studi recenti suggeriscono che l'infiammazione polmonare in FC potrebbe essere normalizzata, almeno in parte, interferendo con il metabolismo degli sfingolipidi (SLs, elementi strutturali della membrana cellulare), che sono noti svolgere un ruolo critico nella patogenesi di molte malattie polmonari. Grazie ad un precedente progetto FFC, abbiamo dimostrato che il farmaco n-butil deossinoirimicina (NB-DNJ, miglustat) produce un effetto anti-infiammatorio in vitro e in vivo, riduce l'accumulo dello SL ceramide indotto da Paeruginosa e corregge la funzione della proteina mutata CFTR F508del. Ma l'attività del miglustat su differenti enzimi coinvolti nel metabolismo degli SLs potrebbe avere effetti collaterali indesiderati, diminuendone l'efficacia. Quindi occorre sviluppare nuovi composti sempre più specifici e, possibilmente con effetti avversi limitati. I nostri risultati preliminari, ottenuti utilizzando diversi inibitori di enzimi del metabolismo degli SLs, suggeriscono che l'enzima β-glucocerebrosidasi non lisosomiale (GBA2) potrebbe essere almeno uno dei bersagli dell'effetto anti-infiammatorio del miglustat. Proponiamo di studiare una relazione tra struttura ed attività (SAR) di questi composti, come possibili anti-infiammatori che modulino gli SLs. Analoghi di AMP-DNJ verranno inizialmente valutati in linee cellulari bronchiali per il loro effetto sulla trascrizione della principale chemochina IL-8, come marcatore di risposta infiammatoria all'infezione da P. aeruginosa, e sulla modulazione di ceramidi. I derivati più promettenti saranno poi valutati in colture primarie delle vie respiratorie dei pazienti FC in termini di : i) espressione di geni chiave coinvolti nella risposta infiammatoria a P. aeruginosa, ii) livello di stress ossidativo e analisi di lipidi biologicamente attivi e iii) funzione difettosa della proteina CFTR F508del. Gli analoghi che risulteranno efficaci in colture primarie FC saranno poi analizzati in modelli murini di infezione polmonare da P. aeruginosa. Questa ricerca avrà ricadute che potrebbero in futuro rappresentare il punto di partenza per la scoperta di nuovi farmaci.

FFC#15/2012

The Heme-oxygenase 1 (HO-1) as modulator of Cystic Fibrosis lung disease
L'eme-ossigenasi 1(HO-1) come modulatore della patologia polmonare associata alla fibrosi cistica

Scoprire perché il polmone FC ha risposte difensive difettose (difetto di risposta HO-1/CO implicata nei processi di ossido-riduzione, infiammazione, reazione ai batteri) e sperimentare farmaci in grado di stimolare queste difese.



Responsabile: Valeria Raia (Dipartimento di Pediatria, Università "Federico II", Napoli)

Partner: Emanuela Bruscia (Dep. Pediatrics, Respiratory Medicine, Yale University School of Medicine), Luigi Maiuri (IERFC, San Raffaele, Milano)

Ricerca (Circinvolti: 15

Durata: 2 anni

Finanziamento: □ 110.000

Valeria Raia

Obiettivi: Come conseguenza del difetto di funzione della proteina CFTR mutata i pazienti FC presentano uno stress ossidativo, una complessa alterazione della fisiologia cellulare e un quadro infiammatorio cronico che predispone ad infezioni e colonizzazione batterica con progressivo danno polmonare. Il nostro gruppo ha scoperto che i polmoni FC esposti a batteri, virus o altri insulti, non sono in grado di indurre in maniera efficiente una particolare risposta difensiva svolta da HO-1 (eme-ossigenasi) e CO (monossido di carbonio). Si tratta di un meccanismo cellulare importante che una volta attivato modula i processi di ossidoriduzione, la risposta infiammatoria, la formazione di autofagosomi e la neutralizzazione dei batteri. Con questo progetto ci proponiamo di studiare quanto il difetto di HO-1/CO contribuisca allo sviluppo della patologia polmonare FC. A questo scopo utilizzeremo: a) linee cellulari isolate da pazienti FC che verranno manipolate geneticamente o farmacologicamente per stimolare la risposta HO-1/CO; b) biopsie da polipo nasale di pazienti con FC e c) modelli murini di FC per studiare l'efficacia ex vivo e in vivo di questo approccio terapeutico. Inoltre intendiamo testare se il trattamento con farmaci che sono in grado di stimolare questa risposta difensiva e sono già utilizzati per altre patologie, possa migliorare la patologia polmonare FC.

FFC#16/2012

Targeting pathogenic pathways leading to inflammatory Th17 responses in cystic fibrosis: a drug discovery approach II ruolo patogenetico dell'ipossia/RAGE nell'infiammazione, suscettibilità a infezioni e risposta alla chemioterapia antibiotica nella fibrosi cistica e studio preclinico di efficacia di farmaci antagonisti specifici dell'asse ipossia/RAGE.

Ricerca dei meccanismi alla base dell'infiammazione polmonare FC: l'ipossia come causa di disregolazione immunitaria e aumento di virulenza dei batteri; sperimentazione preclinica di farmaci per trattarla.



Responsabile: Luigina Romani (Dip. Medicina Sperimentale e Scienze Biochimiche, Università di Perugia)
Ricercatori coinvolti: 9
Durata: 2 anni
Finanziamento:

70.000

Luigina Romani, prima da sinistra, con il suo gruppo di ricerca

Obiettivi: Abbiamo dimostrato che una eccessiva attivazione di linfociti T producenti l'interleukina IL-17A (sottoinsieme Th17) è associata allo stato di infiammazione cronica in modelli sperimentali di CF e che determinati polimorfismi genetici di IL-17A si associano a rischio di infiammazione/infezione nella CF umana. In questo progetto vogliamo proseguire tale studio andando ad indagare su un meccanismo a monte dell'attivazione della risposta Th17, che è l'ipossia. Il razionale del nostro progetto si basa sulle seguenti considerazioni: a) l'ipossia (carenza di ossigeno) è presente in molti stati di infiammazione cronica nell'uomo; b) l'adattamento all'ipossia comporta una serie di modifiche genetiche e non genetiche risultanti in disregolazione immunitaria, infiammazione cronica ed autoimmunità; c) il recettore per l'infiammazione "RAGE" è infatti attivato in condizioni di ipossia, mentre d) la tolleranza immunologica, dipendente dall'enzima "IDO", è diminuita dall'ipossia; infine, e) l'adattamento microbico all'ipossia può determinare un aumento di virulenza e una ridotta sensibilità alla chemioterapia antimicrobica. Per tutte queste considerazioni, abbiamo motivi per ritenere che l'ipossia, per il doppio ruolo giocato sull'ospite e sul patogeno, possa costituire un bersaglio terapeutico unico in CF e superiore al blocco della risposta Th17 che, ancorché eccessiva, è pur sempre fisiologica. La disponibilità di inibitori specifici dell'ipossia permetterà di capire rapidamente se il blocco dell'ipossia sarà di efficacia terapeutica in CF.

FFC#17/2012

The role of vascular endothelium in cystic fibrosis inflammation
Il ruolo dell'endotelio vascolare nell'infiammazione della fibrosi cistica

Ricerca di nuove cause per spiegare l'infiammazione polmonare FC: le cellule endoteliali all'interno dei vasi, quando hanno una CFTR mutata, sono un filtro difettoso che favorisce il passaggio di cellule infiammatorie?



Responsabile: Mario Romano (Dip. Scienze Biomediche, Università Chieti-Pescara, Lab. Medicina Molecolare)
Partners: Licia Totani (Dip. Farmacologia Traslazionale, Consorzio M. Negri Sud, Chieti), Marco Marchisio
(Dip. Medicina e Scienze dell'Invecchiamento, Università Chieti-Pescara), Paolo Moretti (Centro FC, Teramo)
Ricercatori coinvolti: 21
Durata: 1 anno
Finanziamento:

70.000

Mario Romano, al centro, con alcuni collaboratori

Obiettivi: Vi sono evidenze scientifiche che suggeriscono come il difetto della FC colpisca non solo la funzione delle cellule respiratorie, ma anche quella di cellule, come piastrine e leucociti, che partecipano alla risposta infiammatoria.

Con questo progetto intendiamo studiare il ruolo delle cellule endoteliali vascolari (che formano la membrana di rivestimento interna dei vasi sanguini) nell'infiammazione della FC. Questo perché le cellule endoteliali partecipano alla risposta infiammatoria, regolando il traffico dei leucociti nei tessuti infiammati. Se questa funzione di filtro non funziona adeguatamente, si verifica, come nella FC, un passaggio incontrollato dei leucociti nei tessuti, con danno dell'organo colpito.

Le cellule dell'endotelio vascolare esprimono CFTR, il gene mutato nella FC, e sulla base di esperimenti preliminari, riteniamo che un cattivo funzionamento di CFTR possa portare le cellule endoteliali a perdere la capacità regolatoria dei flussi leucocitari nei tessuti. Obiettivi principali del progetto sono: a) chiarire la funzione di CFTR nelle cellule endoteliali; b) definire i meccanismi delle alterazioni prodotte nelle cellule endoteliali dalla disfunzione di CFTR; c) determinare se il monitoraggio delle cellule endoteliali circolanti abbia significato diagnostico e/o prognostico del danno endoteliale nella FC; d) trovare dei correttori per la disfunzione endoteliale nella FC. A tal fine, condurremo esperimenti su cellule endoteliali isolate da vasi polmonari di organi

espiantati a pazienti FC in sede di trapianto, oltre che su cellule endoteliali umane trattate con un inibitore specifico di CFTR. Valuteremo funzioni di queste cellule, correlate alla regolazione della risposta infiammatoria. Studieremo inoltre in almeno 30 pazienti FC le cellule endoteliali circolanti e la loro relazione con lo stato clinico. Infine, esamineremo l'efficacia di alcuni farmaci ("inibitori delle fosfodiesterasi") nel correggere funzioni endoteliali alterate dalla disfunzione di CFTR. Ci aspettiamo di identificare: a) nuovi bersagli per interventi anti-infiammatori mirati nella FC; b) nuovi marcatori biologici del danno infiammatorio nella FC. Ci aspettiamo di aprire una nuova via per l'identificazione di terapie più efficaci contro l'infiammazione polmonare FC.

4

Ricerca clinica ed epidemiologica Clinical Research

Quest'area include progetti basati su aspetti più connessi con la prevenzione, la diagnosi, le cure e l'assistenza al malato. Si tratta di studi che coinvolgono quindi più direttamente le persone malate o che utilizzano dati clinici delle persone malate per ricavare informazioni generali sulla malattia, sulla prognosi e sull'efficacia delle cure (ricerca epidemiologica). Include studi di sperimentazione nel malato con nuovi farmaci o di revisione di trattamenti correnti. Questi studi richiedono collaborazione, forte partecipazione e motivazione delle persone malate, che volontariamente si fanno parte attiva della ricerca.

FFC#18/2012

Cystic Fibrosis liver disease: the role of CFTR as regulator of epithelial innate immunity.

Malattia epatica associata alla fibrosi cistica: ruolo di CFTR come regolatore dell'immunità innata nell'epitelio.

Nuova ipotesi per spiegare la malattia epatica FC: un difetto immunitario e una risposta infiammatoria esagerata delle cellule secernenti bile. Sperimentazione di strategie terapeutiche derivate da questa ipotesi.



Responsabile: Mario Strazzabosco (Dip. Medicina Clinica e Prevenzione, Università Milano-Bicocca, Milano)

Ricercatori coinvolti: 4 Durata: 2 anni Finanziamento: □ 70.000

Mario Strazzabosco

Obiettivi: Alcuni pazienti FC presentano complicanze epatiche che possono comprometterne la sopravvivenza e la qualità di vita. Purtroppo una cura per le complicanze epatiche non e' ancora disponibile. Il difetto di CFTR compromette la capacità di cellule specializzate del fegato di produrre bile in quantità e qualità adeguata. Questa si pensava potesse essere la causa del danno epatico, tuttavia abbiamo visto, in un modello sperimentale di cellule epatiche con difetto di CFTR esposte a endotossine, che il ripristino della secrezione biliare non è sufficiente a migliorare la malattia epatica. Abbiamo quindi ipotizzato che la mancanza di CFTR abbia un impatto sfavorevole sui meccanismi di difesa che, in condizioni normali, proteggono il sistema biliare dalle infezioni (immunità innata). In questo progetto vogliamo dimostrare che il CFTR ha un ruolo nella regolazione dell'immunità innata delle cellule epiteliali e che la complicanza epatica è il risultato di una risposta infiammatoria esagerata delle cellule biliari con difetto di CFTR. Utilizzando modelli murini, ci proponiamo di studiare l'efficacia terapeutica di un intervento mirato ad interferire con proteine sentinella della risposta epiteliale innata. Questa nuova interpretazione della patogenesi della malattia epatica potrebbe portare a nuove strategie terapeutiche per tale complicanza.

FFC#19/2012

Risk factors for poor outcomes in cystic fibrosis newborns diagnosed by neonatal screening in Italy: years 2009 - 2011. Fattori di rischio per esiti sfavorevoli nei neonati FC diagnosticati tramite lo screening neonatale in Italia (anni 2009 -2011).

Scoprire quali sono i fattori che influenzano sfavorevolmente il decorso della malattia FC, anche quando è diagnosticata precocemente attraverso screening neonatale, per intervenire con maggiore efficacia.



Responsabile: Teresa Repetto (Centro Regionale Fibrosi Cistica, AOU "A. Meyer", Firenze)

Ricercatori coinvolti: 20 Durata: 1 anno Finanziamento: □ 50.000

Finanziamento: ☐ 50.0

Teresa Repetto

Obiettivi: Lo screening neonatale per la Fibrosi Cistica è ormai largamente implementato, dal momento che una diagnosi precoce migliora l'andamento della malattia FC. Un nostro precedente studio sullo screening in Italia (FFC#23/2010) ha mostrato una grande variabilità di protocolli adottati, sia clinici che di laboratorio e notevole disomogeneità degli aspetti organizzativi e di comunicazione. Sempre lo stesso studio ha inaspettatamente messo in luce, nella coorte di 124 bambini scrinati nel 2009, una non trascurabile prevalenza di bambini che nel primo anno di vita, nonostante la diagnosi precoce, presentavano deficit di peso (12.7%) e di altezza (15%) e infezione cronica da *Pseudomonas aeruginosa* (6,7%).

L'obiettivo principale di questo studio è identificare quali siano i fattori di rischio associati alla presenza di questi eventi sfavorevoli. A tale scopo saranno inclusi e studiati tutti i bambini diagnosticati FC in base allo screening neonatale negli anni 2009-2010-2011, reclutati presso 16 Centri FC che rappresentano tutte le regioni italiane in cui si fa screening neonatale. Saranno raccolti dati relativi a sesso, etnia, genotipo, pancreas suff/insuff, ileo da meconio, età alla diagnosi, età di inizio terapia; inoltre peso, altezza, stato microbiologico, esacerbazioni polmonari e ospedalizzazioni all'età di 6 mesi e 1-2-3 anni. Saranno anche indagate le terapie individuali, le procedure di trattamento e le misure di controllo delle infezioni nei Centri FC. Verrà condotto anche uno studio "caso-controllo", paragonando 40 casi con caratteristiche cliniche sfavorevoli e 120 controlli con caratteristiche cliniche di buon andamento. Ci aspettiamo di individuare i principali fattori di rischio collegati ai risultati sfavorevoli nei bambini scrinati, allo scopo di pianificare azioni correttive e implementare una buona pratica clinico-assistenziale.

FFC#20/2012

Early antibiotic treatment for MRSA eradication in cystic fibrosis patients: a randomised multicentre study. Eradicazione dell'infezione precoce da Staphylococus aureus meticillino-resistente (MRSA) in fibrosi cistica: uno studio randomizzato multicentrico.

Sperimentazione controllata in malati FC, assistiti presso vari centri, di un trattamento antibiotico contro lo Stafilococco aureo Meticillino-resistente (MRSA), per capire se è utile e possibile eradicarlo.



Responsabile: Giovanni Taccetti (Centro Regionale Fibrosi Cistica, AOU "A. Meyer", Firenze)
Partners: Diana Costantini (Centro FC, Lab. Patologia Clinica, Fondazione IRCSS, Ca' Granda, Milano),
Mirella Collura (CF Centre, Ospedale "G. Di Cristina", Palermo), Giuseppe Magazzù (Centro FC, Messina),
Valeria Raia (Centro FC, Napoli)
Ricercatori coinvolti: 22

Durata: 2 anni **Finanziamento:** □ 70.000

Giovanni Taccett

Obiettivi: La prevalenza delle infezioni da *Staphylococus aureus* meticillino-resistente (MRSA) è in aumento nei pazienti FC e può essere associata a un declino più consistente del FEV1 e a un peggioramento della malattia. Anche se è segnalata la possibilità che il germe scompaia spontaneamente, il trattamento eradicante precoce potrebbe incrementare la percentuale di scomparsa, garantendo a un maggior numero di pazienti un periodo di libertà clinicamente rilevante. L'eradicazione precoce e il seguente periodo di tempo libero dal germe appaiono di particolare rilevanza clinica poiché la persistenza di MRSA è un fattore prognostico negativo. Pochi studi hanno finora analizzato la possibilità di eradicazione precoce di MRSA. Non esistono attualmente dati pubblicati su ampia casistica per comparare l'efficacia del trattamento eradicante rispetto alla sola osservazione. Il primo obiettivo dello studio è comparare con metodi statistici, su un consistente campione di pazienti FC e con un trial multicentrico randomizzato, l'efficacia di uno schema di trattamento eradicante (cotrimossazolo e rifampicina per os per 21 giorni associati a mupirocina nasale per 5 giorni) nei confronti dell'infezione iniziale da MRSA. I farmaci oggetto di studio sono ampiamente utilizzati nella pratica clinica. Il razionale della scelta di tali farmaci è basato sulla loro documentata efficacia in vitro in nostri precedenti studi condotti su isolati di MRSA in pazienti FC. Nello studio verranno inoltre definite le caratteristiche microbiologiche dei ceppi di MRSA responsabili della prima infezione. In prospettiva la prevenzione dell'infezione persistente tramite eradicazione del germe potrebbe rappresentare una possibilità di miglioramento della prognosi a lungo termine.

FFC facility 2012 CFDB

(Cystic Fibrosis Data Base)

Un servizio online offerto a tutta la Comunità Scientifica per una analisi rapida e aggiornata di tutti gli studi clinici FC e relative revisioni sistematiche.



Responsabile: Roberto Buzzetti Ricercatori coinvolti: 6 Durata: 1 anno Finanziamento: □ 50.000

Roberto Buzzetti

Obiettivi: Obiettivo di questo progetto è mettere in grado i professionisti, che si occupano dei problemi clinici e assistenziali dei pazienti FC, di valutare rapidamente e correttamente le informazioni scientifiche sull'efficacia clinica degli interventi in FC, con il duplice scopo A) di fornire una descrizione della situazione della ricerca clinica in FC, B) di presentare, a beneficio di chiunque si apprestasse a progettare nuovi studi, un quadro sintetico di ciò che già si conosce e di ciò che al contrario necessita di studi ulteriori. L'obiettivo specifico primario del progetto consiste dunque nel classificare in un sistema ordinato e facilmente fruibile (database) le Revisioni Sistematiche (RS) della letteratura scientifica, facilitando le risposte ad alcuni quesiti, quali ad esempio: quali interventi si sono dimostrati efficaci, in quali pazienti e relativamente a quali esiti? In quanti e quali casi i risultati delle RS sono sufficientemente robuste, per numero di studi e di pazienti, per rilevanza degli esiti, per intensità e precisione dell'effetto? In che misura i risultati della letteratura permettono di prendere delle decisioni per determinate aree cliniche? Obiettivo secondario è la creazione di un analogo database degli studi originali raccolti nelle Revisioni Sistematiche (studi primari), sia conclusi che ancora in corso, tentando di evidenziare lo stato dell'arte delle evidenze disponibili per affrontare i numerosi quesiti clinici posti dalla FC. Tale database è strutturato in un sito web che viene messo a disposizione di tutta la Comunità Scientifica internazionale.



INTERVISTA A IGNAZIO MARINO



COSA CAMBIA NEL MONDO DEI TRAPIANTI



DOVE FINISCONO I BRONCHI



LA SECONDA VITA DI MARCO

IGNAZIO MARINO

UN UOMO IN CORSA TRA LA MORTE E LA VITA INTERVISTA AL SENATORE, MEDICO DEI TRAPIANTI



gnazio Marino è conosciuto dai più perché senatore della Repubblica, per i suoi interventi fuori dal coro su casi bollenti come le terapie di fine vita, la sperimentazione sugli animali; in questi casi, lo si riconosce perché lui è quello che nuota sempre controcorrente, scegliendo la posizione scomoda, anche a dispetto del proprio "bacino di voto". Se tanti l'hanno notato come politico, non tutti sanno che di mestiere è "un uomo in corsa tra la vita e la morte", ovvero un medico chirurgo specializzato in trapianti.

Senatore Marino, perché tanta passione per i trapianti?

«lo appartengo a una generazione che ha seguito con gli occhi spalancati lo sbarco sulla luna e il primo trapianto di cuore: Volevo dedicare la mia vita ad aiutare la vita di altre persone e la sfida più grande che ci fosse negli anni '70 era il trapianto di fegato che era eseguito solo in due istituti in tutta Italia. Da lì ho cominciato». Parliamo di oggi: il trapianto parziale di polmone tra viventi è legge. Pensa che questa novità potrà alleggerire il problema della scarsità delle donazioni nel nostro paese?

«E' un passo avanti importante ma che non risolve il problema: i numeri delle donazioni per i trapianti polmonari in Italia sono ancora troppo bassi. Se devo pensare a un evento che nel corso del 2012 ha portato davvero un importate progresso per chi nasce con la fibrosi cistica, mi viene piuttosto in mente un altro fatto».

Quale fatto?

«La messa a punto da parte di Vertex del nuovo farmaco, Kalydeco, che per la prima volta può intervenire direttamente sulla mutazione fc. E' il primo risultato di questo tipo dopo la scoperta del gene mutato; un risultato a cui siamo arrivati grazie al contributo che la

Fondazione americana ha donato a un'azienda farmaceutica».

Torniamo alle donazioni di organi. Come si comporta l'Italia? «Abbiamo avuto una crescita notevole tra l'inizio degli anni '90 e il 2004 quando siamo passati da 380 donazioni complessive a 1.100; e poi lì siamo rimasti».

Il Centro nazionale trapianti ha stimato un aumento di donazioni di un paio di punti percentuali ad inizio 2012 e una diminuzione delle opposizioni. Si può fare di meglio?

«Si può. Resta un grande divario tra nord e sud: se nel 2000 c'erano 21.8 donatori per milione di abitanti a nord e 7.9 a sud, oggi siamo ancora a 23 contro 10.9».



In sala operatoria all'Istituto Mediterraneo Trapianti nel 2000

Con punte di eccellenza?

«La Toscana rappresenta un modello: lì si arriva a 33.5 donatori per milione di abitanti contro, ad esempio, la Campania che si ferma a 9.8».

Più di dieci punti oltre la media nazionale; come si fa?

«Lì hanno organizzato la presenza dei "coordinatori trapianti" nelle rianimazioni: sono figure in grado di parlare con i parenti in maniera umanamente attenta e professionalmente lucida. Questo modello funziona e dovrebbe essere esportato».

Esportato nelle altre Regioni, ma a quali costi?

«Esattamente qui sta il problema: se si è deciso di non erogare il fondo da un miliardo e mezzo per le malattie rare, si figuri se poi verranno stanziati nuovi fondi per assumere persone come "coordinatori trapianti"».

Si è imbattuto nella fibrosi cistica?

«Nel mio studio ci sono le foto di tanti pazienti e tra di loro c'è quella di Bryan, scattata negli Stati Uniti nel 1993. Sta sorridendo ma nei suoi occhi si legge la paura, la preoccupazione. Il trapianto di fegato e polmone a cui lo sottoponemmo andò bene e oggi lo immagino andare avanti con la sua vita, nonostante la fibrosi cistica».

Quanto costa un trapianto?

«Tra i 200 e i 400 mila euro».

Ma senta, se il 44 per cento dei trapianti ha come indicazione la fibrosi cistica, a fronte di un impegno finanziario tanto oneroso, per quale ragione il Servizio sanitario nazionale non si impegna con decisione nella ricerca per prevenire il problema e la sofferenza di tante persone?

«Ragionamento lucido, non altrettanto lucidamente compreso dai governi degli ultimi 30 anni. Il parlamento italiano non ha saputo tradurre in investimenti concreti quello che la ricerca può mettere a disposizione».

La legge 548 del 1993 è al sicuro o rischia tagli ad assistenza e ricerca?

«E' un tema che sto affrontando in ogni sede perché temo rischi concreti di riduzione dell'assistenza attraverso il congelamento del fondo per i progetti obiettivo. E sarebbe un errore gravissimo. Se interpellassimo gli italiani, penso che una schiacciante maggioranza vorrebbe bloccare il 15 miliardi di spesa per i cacciabombardieri F35 in favore di qualcosa di cui si senta davvero la necessità nella vita quotidiana».

L'America ha una nuova riforma sanitaria che l'avvicina a logiche di welfare da cui l'Italia si sta invece allontanando con 22 miliardi di tagli alla sanità nei prossimi due anni. Dove stiamo andando?

«Non vorrei che stessimo andando nella direzione sbagliata. Ho





lavorato per dieci anni alla direzione di un dipartimento per i trapianti negli Stati Uniti e mi sono reso conto che quelle regole per l'accesso alla sanità erano intollerabili. Ma mentre oggi l'America – dove in passato un Bryan senza assicurazione avrebbe ricevuto una cortese lettera che gli diceva che senza financial clearing non c'era trapianto – sta trovando le risposte giuste per i suoi cittadini, l'Italia va dalla parte opposta. Da noi si è innescato un processo che rischia di indebolire la sanità pubblica e di legare la salute al censo»

Lei ha ringraziato il babbuino per i test sugli effetti dei farmaci ma questo le ha scatenato addosso un inferno. Perché ha scelto di cimentarsi pubblicamente in un tabù come la sperimentazione animale?

«Un farmaco come il Kalydeco non è approvabile senza essere sperimentato su due specie, di cui una non può essere un roditore. Io ho rispetto per una mamma che rifiuta di curare il proprio bambino con quel farmaco, perché nel prezzo è compreso il sacrificio di un roditore e di altri animali, e che accetta invece la sperimentazione sul proprio figlio».

Paradosso estremo?

«Dimensione culturale diversa dalla mia. Che però rispetto. A questo punto, il passaggio successivo è che tutta la società sia chiamata a decidere se è giusto sperimentare sui bambini o sugli animali. E agire di conseguenza».



COSA CAMBIA NEL MONDO DEI TRAPIANTI



ul tema dei trapianti di polmone in FC, Mirella Collura del Centro fibrosi cistica di Palermo e Alessandro Bertani dell'ISMETT-UPMC di Palermo hanno portato al X Seminario di Primavera FFC alcune novità sia in campo clinico che strettamente chirurgico. Collura ci ha mostrato come negli ultimi vent'anni, secondo i dati del Registro Italiano Trapianti, fra tutti i trapianti polmonari eseguiti è la fibrosi cistica l'indicazione più frequente: 44% del totale, rispetto al 18% dei casi di broncopneumopatia cronica ostruttiva-BPCO. Questo succede anche nelle casistiche internazionali dello stesso periodo, seppure con meno distacco rispetto alle altre patologie: i casi di FC trapiantati sono il 27% dei trapianti, rispetto ad un 26% di BPCO; seguono in quota minore tutte le altre patologie. Il prevalere dell'indicazione per FC sta ad indicare come in Italia si siano sviluppate nel campo del trapianto per questa malattia sensibilità e competenze organizzative-sanitarie di elevato livello.

Lo confermano anche i dati circa la durata della vita dopo il trapianto: c'è un netto miglioramento confrontando diversi periodi storici (91-2000, 2001-2005, 2006-2010). Certo, rispetto al trapianto di altri organi, quello del polmone soffre ancora di maggiori incertezze per quanto riguarda l'andamento a lungo o lunghissimo termine, ma cresce il numero di soggetti con trapianto FC che stanno bene dopo 10-15 anni dall'intervento; traguardo fino a qualche anno fa impensabile. Le ragioni di questo miglioramento sono varie, una di esse è il progresso nelle conoscenze del trattamento della bronchiolite obliterante, principale espressione del rigetto polmonare. Da segnalare anche un dato in controtendenza, data la diminuzione nelle donazioni d'organo verificatasi in Italia negli ultimi anni: nella casistica di 8 grandi

centri FC italiani che hanno collaborato all'indagine di Collura, per 102 soggetti con FC inseriti in lista d'attesa, è notevolmente diminuito il tempo in attesa dell'intervento: 19 mesi nel 2006, 12 mesi nel 2010, 7,7 mesi nel 2011. A questo risultato contribuiscono sicuramente il miglioramento dell'intera organizzazione per l'assegnazione degli organi disponibili e anche nuove tecniche, in parte ancora in fase di studio, che permettono di utilizzare donatori "marginali" (ovvero non ideali, con organi in condizioni non ottimali) che vengono però sottoposti ad un processo di "rivitalizzazione", per diventare idonei al trapianto. Giova anche l'esistenza, dal 2010, di un protocollo nazionale che contempla la possibilità di accedere al trapianto in condizioni di "emergenza", cioè in conseguenza di aggravamenti improvvisi e irreversibili della malattia.

Per quanto riguarda i **trapianti da vivente**, Bertani ha portato informazioni corrette per ridimensionare un tema talvolta strumentalizzato dai media: la nuova tecnica va considerata un' opzione in fase di definizione in Italia (la legge approvata dalla Commissione Affari Sociali della Camera attende di essere esaminata al Senato); è tecnicamente e organizzativamente complessa, perché ci vogliono due donatori, ciascuno dei quali dona un lobo polmonare al ricevente; è indicata estrema cautela nella scelta dei donatori e del ricevente appropriato.

Tutto questo fa sì che nell'esperienza internazionale solo meno del 10% dei casi studiati per un possibile trapianto da vivente sia effettivamente idoneo per esservi sottoposto: infatti, oltre alla compatibilità del gruppo sanguigno, i lobi donati debbono avere dimensioni tali da occupare adeguatamente il torace del ricevente e rispondere alle sue esigenze di funzionalità respiratoria. Questa è una delle ragioni per cui i naturali candidati a questa procedura sono bambini o soggetti di piccola corporatura. D'altro canto, la nuova tecnica è un'opzione che potrebbe rappresentare un contributo positivo al problema della scarsità di donazioni d'organo, dal momento che i risultati finora ottenuti con il trapianto di lobi polmonari, in termini di successo operatorio e aspettativa di vita dopo l'intervento, sono simili a quelli ottenuti con il trapianto degli interi polmoni.

Per i donatori, i rischi e le conseguenze determinate dall'intervento di asportazione del lobo risultano modesti. Non si esclude la possibilità che, nel cammino ancora in atto della legge, sia aperta la possibilità che donino i lobi polmonari **non solo i parenti** del malato ma anche persone che, seppure prive di legami di parentela, gli sono legate da profonda motivazione alla donazione.



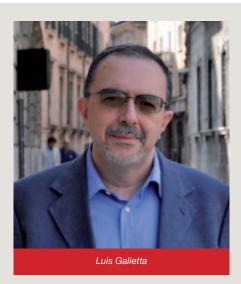
Per scoprire le ultime novità in tema di trapianto polmonare in fibrosi cistica in Italia, le notizie sul trapianto polmonare da vivente, i dati epidemiologici e clinici, le norme legislative e le prospettive in materia, basta accedere al link: http://www.fibrosicisticaricerca.it/Fondazione/Area-stampa/.

Troverete le registrazioni degli interventi della dottoressa Mirella Collura, responsabile del Centro Regionale FC di Palermo e coordinatrice della Commissione Trapianti istituita dalla Società Italiana Fibrosi Cistica, e del dottor Alessandro Bertani, chirurgo presso il Centro Trapianti ISMETT di Palermo, intervenuti in occasione del X Seminario di Primavera FFC per la divulgazione dei progressi recenti e gli sviluppi futuri della ricerca in fibrosi cistica.

Da non perdere anche le relazioni dell'applauditissimo Giuseppe Castaldo, affascinante affabulatore e divulgatore delle possibilità della genetica, e del ricercatore-faro Luis Galietta sui progressi nella farmacoterapia del difetto di base.

PRIMI RISULTATI DAL GASLINI: LE CELLULE PRIMARIE LAVORANO PER NOI

n aspetto molto importante della ricerca nel campo della fibrosi cistica è lo studio della proteina CFTR nel suo contesto naturale, cioè nelle stesse cellule epiteliali che la esprimono normalmente. Questo però non è sempre possibile. Molto spesso si preferisce far esprimere la proteina CFTR in linee cellulari che in laboratorio crescono facilmente e in maniera illimitata. Molti risultati ottenuti su linee cellulari devono però essere confermati in cellule primarie ottenute direttamente dai pazienti. Questi studi possono comprendere ad esempio la valutazione dell'efficacia di farmaci correttori e potenziatori, lo studio dei meccanismi dell'infiammazione oppure l'interazione tra cellule epiteliali e batteri. Le cellule primarie sono però molto difficili da ottenere e da coltivare. Per questi motivi, la Fondazione per la Ricerca sulla fibrosi cistica si è fatta promotrice, da circa un anno e mezzo, di un Servizio di raccolta di cellule primarie ottenute da pazienti



che siano stati sottoposti a trapianto di polmone. I bronchi rimossi presso i Centri Trapianto di Padova e Milano sono stati trasportati in poche ore all'Istituto Giannina Gaslini di Genova dove le cellule epiteliali sono state isolate, coltivate e congelate. In questo modo è stato possibile ottenere da ogni singolo bronco un gran numero di cellule che sono state conservate a freddo in azoto liquido. Quando è necessario, le cellule possono essere risvegliate per essere utilizzate nei laboratori italiani che ne fanno richiesta per i propri studi, che devono essere ovviamente strettamente collegati alla FC. Dopo una prima fase di collaudo di circa un anno, il Servizio ha preso il via ufficiale da circa sei mesi. I risultati finora sono promettenti. Sono arrivati i bronchi di quasi trenta pazienti e le cellule sono state distribuite a cinque laboratori italiani. Non è difficile prevedere che molti altri laboratori presto si uniranno a questa iniziativa. Ci sentiamo di assicurare i pazienti che hanno beneficiato del trapianto di polmone, che le loro cellule sono in buone mani. Quelle stesse cellule che hanno dato loro tanti problemi, stanno ora lavorando per altri pazienti, fornendo risultati che potranno essere utilizzati per lo sviluppo di nuove terapie. Luis Galietta, Laboratorio di Genetica

Luis Galietta, Laboratorio di Genetica Molecolare, Istituto G.Gaslini, Genova

Documentario The power of two ADDIO AL GIAPPONE, PER CONTINUARE A VIVERE



le gemelle Ana e Isa

Due gemelle affette da FC sono costrette a lasciare il Giappone per cambiare il destino e oggi, con la loro testimonianza, vogliono smuovere le coscienze del mondo. La fibrosi

cistica continua a incontrare l'interesse della settima arte. L'ultimo documentario sul tema è stato realizzato da Marc Smolowitz, con l'intento primo di sensibilizzare l'opinione pubblica mondiale al problema della donazione d'organi. La narrazione si snoda attraverso le vite di due sorelle gemelle giappo-americane con FC che, a distanza di quattro anni l'una dall'altra, hanno ricevuto un trapianto di polmoni; possibilità molto remota se fossero vissute in Giappone, dove la donazione d'organi resta ai margini della cultura. Per alimentare il dialogo e aumentare la consapevolezza sulla malattia Ana e Isa, ricevuto il trapianto, hanno iniziato a portare in tutto il mondo la loro testimonianza scritta, prima ancora che girata. È infatti dal loro libro che prende il titolo e le mosse il documentario *The power of two*. (www. thepoweroftwomovie.com/home/)

facebook

opzione organ donor SEI DONATORE DI ORGANI? DILLO SU FACEBOOK

Mark Zuckerberg mette a disposizione il potere di connessione di Facebook per potenziare la donazione d'organi. L'idea, nata parlando con la fidanzata Priscilla Chan, studentessa di medicina, ha suscitato l'entusiasmo di Zuckerberg anche nel ricordo dell'amico Steve Jobs che, grazie a un trapianto di fegato, poté spostare un poco più in là il suo tramonto. L'opzione "organ donor" è al momento disponibile solo negli Stati Uniti e nel Regno Unito, ma fra qualche mese verrà estesa anche ad altri paesi. Gli utenti potranno scrivere sul loro diario, alla voce "avvenimento importante", la loro volontà di donare gli organi e, se non fossero iscritti alla lista del centro nazionale trapianti, accedere automaticamente ai link dei registri dei donatori e farlo in pochi click. In Italia, causa privacy e requisiti di legge precisi per la registrazione della volontà, l'opzione potrebbe non arrivare mai. Noi ci auguriamo che Facebook possa sovvertire le regole una volta di più.



LA SECONDA VITA DI MARCO IL RISVEGLIO, IL NUOVO RESPIRO, L'ALTRUISMO DI CHI GLI HA DONATO UN FUTURO

on ha sbagliato una curva, nonostante il rombo cupo della neve e il vento gelido a sospingerlo. Non si è voltato, non è caduto e la valanga è precipitata altrove. Marco Menegùs, a meno di due mesi dal trapianto bipolmonare, racconta la sua esperienza raffrontando la sua vita prima e dopo l'intervento.

Come prendesti la proposta della messa in lista per il trapianto?

«Il 10 gennaio 2011, quando il dottor Pradal me ne parlò, era già da oltre due mesi che vivevo una situazione di difficoltà. Dovevo pensare per me al trapianto perché era la soluzione unica e necessaria che mi si prospettava e perché andasse al meglio era necessario arrivarci stando bene, ovviamente all'interno di un quadro di patologia che si stava aggravando.

In un mese e mezzo sono passato dal non fare ossigeno a esserne dipendente e a finire in lista di trapianto. Non avevo mai pensato alla rapidità con cui ci sarei arrivato, ma c'era quella possibilità e quella andava presa».

Hai avuto paura?

«Non credo di avere mai avuto paura, né di avere pensato in modo ossessivo alla chiamata. Ero sicuro sarebbe arrivata. Non ho mai nemmeno pensato di non arrivare al trapianto. Mi svegliavo la mattina e dopo le terapie ero già sfinito, pago della giornata, pronto per tornare a letto. E invece andavo al lavoro. Non mi sono arreso all'evidenza. Nel frattempo ho sciato, arrampicato, cacciato, camminato e sono andato anche in bici».

Quanto la vita-attaccata-all'ossigeno ti ha condizionato?

«Quando il professor Mastella mi disse: "Dovrai trovarti altri cimenti", ho tolto almeno mille metri di quota ai miei desideri. Ci ho rimuginato pochi giorni e poi mi sono detto: "Dove sta scritto che perché ho bisogno dell'ossigeno non posso camminare? Basta provare e vedere come va". Sono partito con lo stroller e ho camminato cinque chilometri. Presto sono andato in montagna: prima per una camminata di un'ora e mezza, poi sul Col Visentin, poi ai Cadini di Misurina e alla fine in Marmolada. La quota più alta raggiunta in vita mia l'ho conquistata con l'ossigeno».

Dove sei arrivato?

«Alla cresta di Punta Rocca, 3300 metri».

Con chi?

Da solo.

E dove ti doveva portare l'ascesa?

«Da me stesso. Ho obbligato i miei limiti ad adattarsi ai miei orizzonti e alla fine ho avuto ragione io».

Il tuo medico era preoccupato?

«Il dottor Pradal dicendomi: "Affidati alle tue sensazioni", mi fece

un grandissimo regalo».

Un giorno hai detto che "respirare male fa marcire i pensieri". Ora pensi meglio?

«Ho vissuto un lungo inverno, come un letargo, in cui mi sono concentrato su me stesso per non disperdere energia. Molto di quello che sentivo era filtrato dal mio stare male fisico. Dentro di me ero altro da quello che appariva all'esterno, ma non avevo risorse per mostrarlo».

Quanto un paziente ha una percezione reale della propria condizione?

«Prima non mi rendevo conto di quanta fatica facessi. Valutavo il mio stare male basandomi sulle cose che riuscivo a fare: la mia percezione era dunque che la malattia fosse ancora clemente nei miei confronti e che ci fossero ampi margini di peggioramento; ma il senso della realtà della malattia a un certo punto si perde. Non so se sono stato io a impedirle di impedirmi o se si sia fatta impedire».

Hai parlato della conoscenza "come arma, medicina e carezza consolatoria" per affrontare la tua situazione che si comprometteva. Quanto bisogna essere coraggiosi per scegliere la consapevolezza?

«Capire mi ha sempre aiutato ad affrontare le cose. Informarmi è una mia necessità di sempre. D'altra parte indipendenza e libertà si ottengono attraverso la conoscenza. È come arrampicare: lo si può fare alla cieca o sapendo la via. lo avevo bisogno di sapere dove stavo andando per poter scegliere e sono certo che tutto sia stato così lieve e naturale perché mi sono sforzato di sapere e capire. Che le cose siano poi andate esattamente come mi avevano detto è stato anche un favore della cabala».

Eri in vacanza quando hai ricevuto la chiamata. Com'è andata?

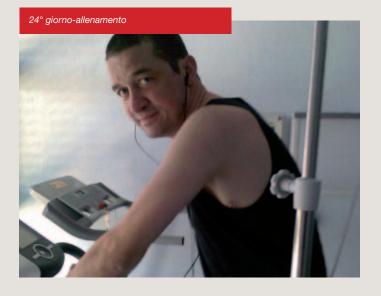
«È stato tutto talmente fuori dall'ordinario che l'ho vissuto come una cosa poco legata alla malattia e all'ospedale. Stavo fotografando una collina a Montepulciano quando è iniziato a suonare "Fortunate son", il suono che avevo scelto per la dottoressa Loy. Ho capito prima di rispondere di cosa si trattava. La foto poi non l'ho fatta».

Quali sensazioni hanno animato il tuo risveglio?

«Dall'addormentamento al risveglio è un istante di buio. Da sveglio, se chiudevo le palpebre vedevo cose che non esistevano. Si chiamano stati di alterazione percettiva e sono indotti dalla morfina e dall'anestesia. L'ambiente della rianimazione si confondeva con le cose che avevo visto in Toscana. File di cipressi e pini marittimi viola si fondevano con l'ambiente dell'agriturismo e quello della rianimazione. Colori vivissimi come il verde dei poggi, i rossi delle terre di Siena, il giallo dei fiori del sito etrusco e i toni calmi dell'azzurro e del bianco dell'ospedale animavano una realtà fluida. Una cosa molto buffa».

Riesci a dire com'era il tuo respiro ieri e com'è ora?

«Prima il respiro era un senso di fatica, ora è un senso di libertà





4 aprile 2012, Forcella Dolada, 1750 mt, l'ultima montagna salita con l'ossigeno

e pienezza, ma il passaggio non è spiegabile a parole perché è troppo radicale. Mi è stata tolta di dosso la fatica. Ora ascolto il mio respiro e sono in pace con me stesso. Anche il mio corpo lo sento molto diverso. Non ho praticamente più nessun dolore, soprattutto, non ho più la perenne fame d'aria che mentalmente è difficile da contrastare. Mi sono accorto delle limitazioni che avevo quando me le hanno tolte».

Come vivi i tuoi nuovi polmoni?

«Non li ho mai pensati come qualcosa di estraneo dal mio corpo o un'addizione. Prima ero io tutto intero con dei polmoni che, per quanto mi appartenessero, erano una parte di me che tendeva alla caducità e mi mutilava. Adesso che paradossalmente ho dentro di me qualcosa che, almeno per un istante, si può pensare essere stata partecipe della morte, mi sento intero e ho solo pensieri di vita e di pienezza».

Cos'hai in progetto?

«Progetto di comperare una moto, ricostruirmi fisicamente e fare un passo alla volta. Sono consapevole della complessità del tutto e che il trapianto è la prosecuzione della fibrosi cistica con altri mezzi – parafrasando Carl von Clausewitz. Io, di fatto, resto malato con dei polmoni sani di cui devo essere attentissimo custode. Ho una fiducia razionalissima nei progressi della ricerca scientifica e credo che con gli sviluppi che ci saranno nella medicina, la teorica aspettativa di vita di adesso evolverà con me. Dunque a maggior ragione devo essere attento a gestire le risorse che ho. La mia progettualità è di vivere a lungo».

Ti chiedessero di esprimere tre desideri oggi?

«Un desiderio duplice è che le altre persone in lista di trapianto possano affrontare l'attesa e tutto il resto nello stesso modo in cui è capitato a me e che dalle ricerche sui polmoni espiantati arrivino presto risposte importanti.

Sono stato fatto oggetto di un altruismo che non potrò restituire, né ringraziando chi mi ha donato gli organi né donando a mia volta i miei. Dal 18 aprile io conto in addizione ogni istante della mia vita. Ma nella vita si conosce per differenza: il pieno contro il vuoto, il bene a confronto del male, la luce prima del buio. Per questo, ogni giorno, non posso dimenticare che altri, dal 18 aprile, vivono in sottrazione, nella privazione di una vita, di un'esistenza, di un uomo. Voglio sperare e augurare loro che sappiano e possano ritrovare ogni giorno, in loro stessi, parte del coraggioso amore e dell'altruismo che gli ha permesso di avere la forza di consentire la donazione degli organi del loro figlio, marito, fratello. Vorrei che la famiglia, e il mondo che ha perduto un uomo e tutto ciò che rappresentava e sognava, sapessero pensare, seppur nel dolore e nell'assenza, alla pienezza e alla vita che hanno saputo dare. Se così fosse, la mia felicità potrebbe essere ancora più profonda. E la mia felicità, coi fiori delle mie montagne, è il modo in cui ogni giorno rendo omaggio ad una tomba che per me sarà sempre senza nome».

IMMAGINI

Abbiamo chiesto a quanti hanno partecipato al raduno dei volontari FFC di primavera di fissare in poche righe l'immagine più emozionante, quella che si è impressa nella memoria come una foto, oppure un messaggio che li ha colpiti, o ancora un incontro, un insegnamento. Hanno risposto in pochi ma i contributi raccolti sono tanto espressivi da compensare quelli che resteranno inespressi.



Claudia Rinaldi

Gli occhi lucidi di Berti quando gli ho detto in lacrime: «Noi malati aspettavamo da tempo il patto Lega - FFC, ma deve essere un patto d'onore e non solo sulla carta perchè di fibrosi cistica moriamo noi e i vostri figli, per cui certe lotte di casta sono veramente inutili e sconfortanti. Grazie».

Angela Concas

Il professor Mastella che si lancia in un vero e proprio casquet con una graziosa dama.

Antonio Alati

L'immagine che conservo è quella del professor Mastella che balla simpaticamente con tutti noi. Ogni volta sento di più la sua vicinanza e quella forza che non ti fa smettere mai di sperare che in un futuro non molto lontano possa accadere qualcosa d'importante.

Mimmo Pricci

L'immagine più emozionate è della festa del sabato sera. In quello spazio eravamo tanta gente colpita direttamente o indirettamente dalla fibrosi cistica, ma nonostante tutto si respirava serenità e positività. Abbiamo ballato, scherzato, scambiato pareri, emozioni, disavventure, opinioni. È stato bello.

Rachele Perbellini

C'era una presenza che riempiva la sala. Aveva lampi celesti nello sguardo e una pelle morbida e chiara che irradiava luce tutto intorno. Una mamma come un sole: esuberante e tenace, con gli occhi di bambina e il corpo sensuale di donna.

Adriana De Santis

L'immagine che mi compare se chiudo gli occhi è la tavola imbandita in modo così elegante per noi e la frenesia del ballo che ci ha uniti.

Annamaria Anelli

Ricordo una lacrima scesa sulle guance di una mamma. Quanta sofferenza in un viso giovane e carino!

Dario Antoniazzi

Esponenti della Lega e della Fondazione assieme, sorridenti, come se nulla fosse successo. Meglio così, ma quando sono entrato a far parte del direttivo dell'Associazione e tutti sparavano a zero sulla Fondazione riempiendomi di parole, nessuno condivideva quello che stavo facendo.

Margherita Lambertini

L'immagine di persone di ogni età – genitori, figli, amici, sani, malati – che ballavano e cantavano insieme durante la cena.

Marina Zanolli

Una foto incancellabile di quei due giorni di raduno l'ho scattata mentalmente la sera della festa: c'erano le donne che ballavano da sole in mezzo alla sala. Eleonora, Katia, Tamara, nessuno le aveva ancora viste e loro si stavano divertendo. Ho pensato che la vita vince su tutto. Come si sconfigge la morte stavamo cercando di capirlo tra aggiornamenti scientifici, dati e relazioni, ma quel flash notturno è stato più potente di tutto.





Daniele La Lota

Attendo tutto l'anno l'arrivo di maggio. Vengo a Verona con gioia per ricaricarmi, mettere le ali e volare verso il traguardo della ricerca. L'emozione che provo? È come guidare una Ferrari verso un orizzonte di sole radioso all'alba di un nuovo giorno, lasciando alle spalle il grigiore e il fumo della fibrosi cistica.

Graziella Borgo

Ho partecipato in qualità di osservatrice al laboratorio di comunicazione. Mi ha colpito il confronto molto vivace fra le due anime dei partecipanti: quella della comunicazione spontanea e spontaneista, realizzata con tecniche quasi familiari, rispetto a quella più organizzata e professionalizzata; quella che cerca parole e numeri, spesso crudeli, che colpiscano le gente e quella che non vuole ferire la sensibilità di nessuno, prima di tutto dei malati stessi. E noi dobbiamo dare voce a tutti.

Un altro laboratorio ha analizzato punti di forza e di debolezza del fatto di essere volontari per un'organizzazione come la Fondazione FFC. Tra i punti forti non era mai citato il valore scientifico di FFC, che a me sembrava dovesse essere in testa alla lista. Mi sono chiesta perché. Chissà qual è la risposta.

Adriana Chevalier

Un momento che mi ha colpita in modo particolare è stato durante il gruppo di lavoro sulla comunicazione, quando Salvatore La Lota, per rispondere a qualcuno che lamentava un'eccessiva burocratizzazione della Fondazione, ha parlato di «cuore organizzato» sottolineando il fatto che se si cerca di razionalizzare le procedure non vuol dire che si debba dimenticare la parte più importante, che è il motore della Fondazione, ovvero il cuore.

Claudia Rinaldi

Mi ha colpito l'incontro con la dottoressa Rosa Lanzetta. Una persona splendida che mi è rimasta nel cuore per la passione con cui parlava e la familiarità che aveva con tutti. Sembrava ci conoscessimo da una vita, in quel salottino con il professor Mastella, Pisana, le volontarie della Delegazione di Bologna e il professor Mazzei con la moglie. È stato un momento fuori dal tempo, che ha raccolto intorno ad un unico scopo diverse generazioni, in un'atmosfera ovattata in cui arrivava da lontano la musica del gruppo che suonava.

Giovanni Goldin

Mi è rimasta impressa la positività dei ragazzi con Fc presenti al raduno. La grande voglia di combattere che hanno dentro. Questo mi dà ancora più forza per continuare a impegnarmi come volontario: vinceremo!

Mimmo Pricci

Il messaggio che più mi ha colpito è stato sicuramente quello di Daniele La Lota, delegato di Vittoria - Ragusa, che lotta come tutti noi per un futuro migliore, ma ha raccontato che quando chiede il teatro o dei soldi per i suoi eventi va sempre con il cuore.

Angela Concas

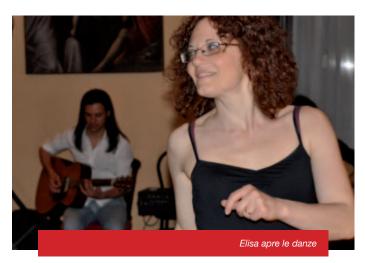
Il messaggio che mi è arrivato dritto al cuore sono le parole di un giovane padre: «Grazie alla fibrosi cistica ho imparato ad amare veramente la vita».

Marina Giacopuzzi

Nei raduni dei volontari trovo sempre tanto calore. Sono l'occasione per stare insieme: incontrare persone che conosci da anni e dare un volto a quanti senti spesso, ma solo per telefono. Sono rimasta colpita dall'entusiasmo di Marco Venturini, ora responsabile della Delegazione di Cecina, che si è subito attivato e non smette di organizzare cose e dalla dolcezza di Angela Concas, una mamma che ha saputo trasformare un dolore grande in qualcosa di buono per gli altri e per se stessa.

Marco Venturini

Mi sono portato a casa le parole di un padre che ha condiviso questo pensiero: «Se penso a tutti quelli che fanno tanto per avere figlioli senza riuscirci e io ho una bambina che quando mi sorride ho tutto il mondo, non importa se sia malata».



LA GIURIA DEI CITTADINI CHIEDE LO SCREENING PER LA FIBROSI CISTICA



I Servizio sanitario deve o no organizzare uno screening nella popolazione con lo scopo di individuare persone sane che potrebbero avere figli malati di fibrosi cistica? Lo scorso 5 maggio, una giuria di cittadini, inserita nel progetto finanziato dalla Fondazione FFC, ha emesso il proprio verdetto. Dopo avere ascoltato relazioni esplicative sulla malattia e un serrato faccia a faccia tra ragioni del sì e del no, i giurati hanno votato unanimemente a favore di uno screening delle persone sane che potrebbero generare figli affetti da fibrosi cistica. La richiesta andrà in seguito sottoposta al Servizio sanitario nazionale che prenderà la propria decisione. Nel frattempo, vi sottoponiamo una sintesi del confronto che si è tenuto a maggio nella sede della Società Letteraria di Verona, dove le ragioni del no (indipendentemente dalle personali posizioni in proposito) erano sostenute da Carlo Castellani del Centro Fibrosi Cistica Ospedale di Borgo Trento di Verona; quelle del sì da Luciano Flor, direttore generale Azienda provinciale per i servizi sanitari di Trento. Il progetto - promosso dall'Istituto di Ricerche Farmacologiche Mario Negri, da Zadig Agenzia di Editoria Scientifica e dal Centro Fibrosi Cistica dell'Ospedale Borgo Trento di Verona - è descritto sul sito www. PartecipaSalute.it dove sono scaricabili anche le motivazioni che hanno portato la Giuria a rispondere positivamente alla domanda. Il video è disponibile alla pagina www.partecipasalute. it/cms_2/node/1882 o attraverso il sito della Fondazione: www. fibrosicisticaricerca.it/News/Eventi-sociali/Cystic-Fibrosis-toscreen-or-not-to-screen-La-giuria-dei-cittadini

Si deve o meno organizzare il test, cioè proporre lo screening ed individuare i portatori sani?

Le ragioni del SI: il Sistema Sanitario Nazionale organizza da tempo gli screening soprattutto in campo oncologico rivolti a popolazione sana che potrebbero avere diagnosticata precocemente la malattia con conseguente diminuzione della mortalità. Il Sistema Sanitario Nazionale garantisce a suo carico questi screening nell'interesse collettivo.

Le ragioni del NO: lo screening del portatore sano ha lo scopo di offrire alla popolazione in età fertile un'indagine da cui trarre i

maggiori benefici. C'è da considerare la complessità di offrire a tutti questo test, sia per motivi organizzativi sia perché è necessario informare e formare le persone - non solo quelle che fanno il test - ma anche formare gli operatori sanitari che offriranno il test, i ginecologi o i medici di base. Poi bisogna spiegare il test, oltre alla necessità di una consulenza genetica che dura circa 30 minuti. Un altro motivo importante è il limite del test: il test non trova tutti i portatori, solo la maggior parte.

Il test così com'è è valido o sarebbe opportuno avere in più di informazioni?

Le ragioni del SI: si parla di screening sulla popolazione, non sul singolo. Ci sono due casi di malattia ogni 5.000 nati, l'obiettivo è di ridurre questo numero. Il test individua il portatore in una percentuale vicina all'80%, è un risultato molto alto e molto sicuro, il problema è che il 20% rimane fuori, cioè la sensibilità del test non è del 100%, ci sono poi i falsi positivi o falsi negativi. I casi sono due: o vogliamo ridurre il numero di casi di malattia ed estendiamo a tutta la popolazione, oppure selezioniamo la popolazione a cui è diretto lo screening. Le coppie in età fertile potrebbero essere il target oggetto dello screening. Mediamente su una popolazione di 1 milione di abitanti ci sono 10.000 nati all'anno: vuol dire che dovremmo fare il test a 10.000 coppie con l'obiettivo di individuare i portatori sani della malattia.

Le ragioni del NO: il punto della sensibilità del test è un punto chiave perché dobbiamo avere dei requisiti di base sicuri, dato che mettiamo in una situazione difficile un numero importante di persone. Questo si può fare con un buon test attendibile su un tipo di popolazione (tipo Trentino). Ci sono varie strategie per fare il test: si può fare anche su una sola persona della coppia; se è negativo non si procede con l'altro.

Qual è l'obiettivo effettivo dello screening?

Le ragioni del SI: il fatto di sapere di essere portatore sano non deve tranquillizzare né preoccupare. E' importante come obiettivo della sanità pubblica ridurre il numero dei malati; lo facciamo con il metodo della prevenzione. La logica delle prevenzione è questa: devo individuare il rischio e lavorare per eliminarlo o almeno diminuirlo. Se vogliamo ridurre in assoluto il numero di neonati

con questa patologia, cerchiamo di avere la possibilità di ridurre il rischio attraverso lo screening del portatore sano facendo leva sull'informazione e responsabilizzazione della popolazione, mettendola così in grado di fare una scelta responsabile.

Le ragioni del NO: il punto chiave per quanto riguarda il singolo è favorire delle scelte consapevoli sulla procreazione attraverso l'informazione. La fibrosi cistica è una frazione infinitesimale, anche se la più frequente, delle malattie genetiche che conosciamo. Per quanto riguarda la riduzione dell'incidenza (scelte di politica sanitaria che non riguardano il singolo individuo), fino a 20-30 anni fa nessuno diventava adulto con questa malattia, mentre oggi la metà delle persone colpite supera i 18 anni: il controllo della malattia sta dunque migliorando, la strada è segnata e gli investimenti devono tener conto di questa evoluzione.

Dal punto di vista economico il costo del test può essere supportato dal nostro Sistema Sanitario?

PORTATORI SANI, QUANTI SONO?

- √ I portatori sani del gene CFTR mutato sono in Italia circa 2 milioni e mezzo
- √ C'è un portatore sano ogni 25 persone circa
- √ Una coppia su 600 circa è composta da due portatori sani
- Ad ogni gravidanza quella coppia ha il 25% di probabilità di avere un bambino malato di fibrosi cistica

IN CONCLUSIONE:

Le ragioni del SI: il nostro Sistema Sanitario Nazionale ogni giorno deve sapere come spendere al meglio i soldi che ha a disposizione. Il ruolo del cittadino non è più un ruolo di suddito passivo ma un ruolo di protagonista a cui bisogna dare informazione. Questa è un'opzione disponibile che ci consente di fare un salto in avanti e mettere in atto i risultati ottenuti in anni di ricerca.

Le ragioni del NO: non abbiamo una chiara esperienza di questo test all'interno di un programma di screening organizzato. In Italia si può fare in una popolazione selezionata e in un territorio limitato, disegnando un buon programma di screening, supportato da una corretta e completa informazione. Superata questa fase, si può pensare di estenderlo a una popolazione più ampia.

Adozione di Venetobanca PIÙ TEST, MENO FIBROSI CISTICA

Le ragioni del SI: il contesto economico è difficile da stimare, dobbiamo fare delle scelte efficienti, efficaci, sicure per il cittadino e che abbiano caratteristiche di priorità all'interno delle scelte di politica sanitaria. Lo screening rientra nel settore della prevenzione, è un bene collettivo. I costi di un malato sono molo alti sia per il Sistema Sanitario Nazionale che per le famiglie. Il costo dello screening è alto (anche se ora non quantificabile) ma inferiore ai costi di gestione di un malato di fibrosi cistica.

Le ragioni del NO: Se l'obiettivo dello screening è informare le coppie sul rischio di poter avere un bambino malato, i conti sono altissimi perché la spesa è molto importante a fronte dell'informazione; se invece ci si concentra sulla riduzione dell'incidenza del rischio, il costo è sostenibile anche se è difficile dirlo perché sappiamo che una persona malata di fibrosi cistica costa molto, ad un prezzo in divenire.



Paola Mosconi, Istituto ricerche farmacologiche Mario Negri



la sinistra, il vicepresidente FFC Matteo Marzotto; il presidente della Fondazione Veneto Banca, Franco Antiga; il direttore scientifico Gianni Mastella, alla presentazione del progetto di screening del portatore FC.

La fibrosi cistica non si combatte soltanto con provette, studio di molecole e farmaci ma anche attraverso la prevenzione. Tra i progetti concentrati su questo obiettivo – oltre allo studio sullo screening del portatore FC descritto in questo pagine e adottato dalla Bottega delle Donne-Delegazione di Montebelluna – FFC ha finanziato un altro importante progetto di screening, adottato interamente dalla Fondazione Veneto Banca. Il suo scopo è quello di verificare se possa essere effettivamente confermata la correlazione tra la diffusione dello screening e la diminuzione del numero di neonati malati di fibrosi cistica. In caso di risposta positiva, sarebbe dimostrata l'efficacia del test per la prevenzione della malattia e l'esperienza potrebbe essere presa in considerazione dall'autorità sanitaria a livello nazionale.

Lo studio parte dal presupposto che lo screening è già largamente praticato nel **Veneto orientale** e che, in questa zona, l'incidenza della fibrosi cistica è negli ultimi anni diminuita. Il dato interessante, sottolineato dal responsabile del progetto Carlo Castellani del Centro regionale FC di Verona, è che dalla metà degli anni '90 è iniziata a nordest l'offerta del test al portatore a quanti desiderano avere un figlio. **In 15 anni sono state controllate 80 mila persone e individuate 80 coppie portatrici sane**. Al tempo stesso, **il numero dei bambini nati con fc è passato da uno ogni 2.500 a uno ogni 10.000**. Un calo estremamente vistoso e incoraggiante che, a occhio nudo, fa pensare che quanti sono stati sottoposti al test in fase preconcezionale abbiano utilizzato il risultato positivo per fare altre scelte e non rischiare di avere un figlio malato di fibrosi cistica. L'ipotesi sarà ora verificata: «Pensiamo ci sia una correlazione tra la crescita di offerta del test e la diminuzione di incidenza della malattia – dice il dottor Castellani – ma non ne abbiamo la certezza. Dobbiamo quindi coprire questo gap così da gettare solide basi per partire con una campagna omogenea nazionale di screening al portatore».

QUADRO POSITIVO IN UN ANNO DI CRISI

RACCOLTA SUPERIORE AL 2010 CON DUE MILIONI 390 MILA EURO



I 2011, anno di profonda sofferenza per i bilanci delle famiglie, ha portato alla Fondazione un regalo inaspettato: la progressiva crescita dei proventi. Un passo avanti piccolo ma significativo che ha consentito a FFC di impegnarsi con decisione sui suoi tre obiettivi istituzionali fondamentali: ricerca scientifica, formazione, informazione (tab. 1).

In questo modo, la Fondazione si conferma in grado (come ormai da diversi anni) di raccogliere donazioni superiori ai 2 milioni di euro, frutto dell'impegno e della fiducia dei donatori, del lavoro di Delegazioni, Gruppi di Sostegno, Volontari e di un efficace coordinamento e promozione delle attività da parte della Sede. Risultati di queste dimensioni sono il prodotto della molteplicità degli eventi, manifestazioni, incontri, spettacoli che le nostre Delegazioni e Gruppi di Sostegno hanno organizzato nel corso del 2011.

Il tutto sostenuto da un crescente impegno della Sede che per il 2012 si pone l'obiettivo di essere ancora più vicina alle diverse realtà locali. Anche quest'anno integriamo i dati di bilancio con una breve relazione che spiega il funzionamento della nostra organizzazione sotto l'aspetto economico.

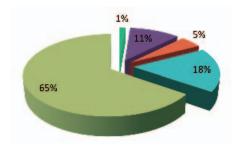
Questi dati costituiscono un indicatore, seppure parziale, dell'impegno e della rinnovata passione dei Volontari e di tutti gli Amici che hanno contribuito a mantenere alto il livello della nostra raccolta fondi e ad accrescere gli investimenti nella ricerca scientifica di qualità che questa Fondazione garantisce. Sono numeri che vanno letti con il cuore; solo così possono esprimere il valore, il grado di coesione e l'impegno di tutta la nostra organizzazione.

Tabella 1. Rendiconto di gestione al 31.12.2011 Prospetto di sintesi (euro)

	Aggregato 2010	Aggregato 2011
Proventi		
Donazioni	196.693	143.652
Raccolta fondi	2.141.321	2.215.613
Finanziari	5.084	25.140
Altri proventi	-	6.548
Totale proventi	2.343.100	2.390.953
Oneri		
Progetti di ricerca	1.355.311	1.355.311
Formazione	61.695	85.612
Informazione/comunicazione	121.372	130.094
Raccolta fondi	179.077	141.184
Personale di sede	260.225	355.650
Spese generali di gestione	59.228	29.746
Totale Oneri	2.036.908	2.093.441
Avanzo di gestione	306.193	297.512

La torta dei proventi

Il totale dei proventi del 2011 è stato di □ 2.390.953, lievemente aumentato rispetto all'anno precedente. Un contributo molto rilevante alla raccolta fondi del 2011 è stato dato dalla Campagna Nazionale, mentre l'SMS solidale ha registrato una significativa flessione. Anche i contributi provenienti dal 5 per mille hanno visto un lieve calo - € 416.000 nel 2011, rispetto ai □ 445.000 del 2010 - dovuto in parte alla sforbiciata di 80 milioni di euro della quota nazionale effettivamente distribuita; un dato comunque che conferma la forte necessità di investire maggiormente nell'attività di promozione di queste attività.

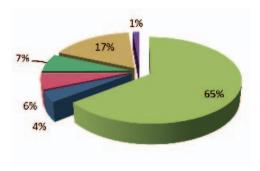


- INTERESSI + ALTRI: □ 31.688
- CAMPAGNA NAZIONALE: □ 266.406
- SMS SOLIDALE: □ 115.174
- 5 X MILLE: □ 415.988
- RACCOLTA E DONAZIONI: □ 1.561.697

Dove vanno le spese

Nel 2011 si è verificata una piccola crescita degli oneri dovuta principalmente all'aumento dei costi del personale, all'aumento dei costi di formazione e informazione, originati principalmente dal progetto CFDB (Cystic Fibrosis Data Base).

L'incremento della raccolta fondi è stato ottenuto con una riduzione dei costi relativi, a conferma dell'avvio di un processo di maggior efficienza organizzativa. Si evidenzia anche quest'anno che i costi delle tre componenti fondamentali della nostra mission - ricerca, informazione e formazione - assommano complessivamente al 75% degli oneri complessivi dell'anno a testimonianza della serietà e concretezza con cui portiamo avanti le nostre attività.



- PROGETTI DI RICERCA: □ 1.351.154
- FORMAZIONE:

 85.612
- INFORMAZIONE-COMUNICAZIONE: □ 130.094
- RACCOLTA FONDI: ☐ 141.184
- PERSONALE SEDE: ☐ 355.650
- SPESE GENERALI DI GESTIONE:
 □ 29.746

L'avanzo finale di € 297.512, risultato del nostro bilancio per cassa, si riferisce in realtà a progetti di ricerca già in corso per i quali i costi non sono stati ancora effettivamente sostenuti nel 2011.

La raccolta fondi per la ricerca

5X1000: PIÙ PREFERENZE, MENO INTROITI

Le onlus certificate in Italia nel 2007 erano 23.906 e nel 2010 erano diventate 30.832. Nonostante la concorrenza, FFC è riuscita a mantenersi in alta classifica, esattamente alla cinquantesima posizione, per contributi assegnati dalla Agenzia delle Entrate con il 5x1000.

Podio dei big, senza sorprese: Emergency, Medici senza frontiere e AIRC spopolano. Il dato interessante è che circa il 3,5 per cento delle realtà iscritte all'albo per l'assegnazione dei benefici non riceve alcun contributo. Dà molta soddisfazione il significativo incremento delle preferenze per FFC: +37 per cento dal 2007 al 2010. In particolare, nel 2009 erano state 11.942, nel 2010 sono arrivate a 13.491, con un investimento pubblicitario FFC di soli 2.767,60 euro. Gli inglesi direbbero: "Well done, everybody!". Piccola spesa grande introito.

I CENTO VINCITORI DELLA CORSA PER LA RICERCA FFC

uesta tabella riporta numeri aridi, se non cercassimo di interpretarli; semplicemente ordinabili dal più grande al più piccolo o viceversa, se ci limitassimo a guardarli. Ma chi di ogni cifra conosce la storia, conosce il valore di quella somma progressiva che negli ultimi tre anni ha portato a questi risultati, certo guarda questi numeri con occhi diversi. Ed è così che il "grande primo" catapultato in cima alla classifica da una straordinaria forza d'animo e da un ammirevole dominio della fatica quotidiana ma anche "l'ultimo della lista", pronto a mettersi in gioco e vigile sui traguardi che lo aspettano, non sono più cifre di una graduatoria ma i segni di un unico programma: realizzare qualcosa che resterebbe impossibile senza il ripetuto sforzo di chi prende l'iniziativa di donare un euro del suo denaro e del suo tempo per sostenere la ricerca scientifica italiana sulla fibrosi cistica. Questa corsa non è una gara ma una sfida dove l'attenzione non è rivolta al concorrente ma al traguardo. E se l'ammirazione di tutti va giustamente al grande merito delle fortissime Delegazioni di Vicenza, Belluno e Bologna, la considerazione finale è per quel totale che campeggia in fondo alla lista, somma di un'innumerevole serie di gesti di solidarietà a cui si affida tutto il nostro impegno.



SOGGETTO	2009	2010	2011	ULTIMO TRIENNIO
Delegazione FFC di Vicenza	87.278	65.732	54.320	207.330
Delegazione FFC di Belluno	84.255	67.910	55.125	207.290
Delegazione FFC di Bologna	50.339	70.202	64.585	185.126
Delegazione FFC del Lago di Garda	45.303	51.695	55.170	152.168
Delegazione FFC di Treviso-Montebelluna	40.455	54.378	35.000	129.833
Delegazione FFC di Roma 2	28.308	49.350	31.450	109.108
Delegazione FFC di Torino	51.236	35.481	19.620	106.337
Delegazione FFC di Roma 1	14.573	21.600	50.019	86.192
Gruppo di sostegno "Ass.ne Trentina FC"	39.477	15.660	27.680	82.817
Delegazione FFC di Milano	4.826	25.290	47.546	77.662
Delegazione FFC di Latina	20.052	20.025	24.713	64.790
Delegazione FFC di Vittoria-Ragusa	13.326	30.265	20.173	63.764
Delegazione FFC di Imola	8.122	14.070	33.584	55.776
Delegazione FFC di Ferrara	22.516	16.509	11.364	50.389
Delegazione FFC di Genova	11.002	20.830	15.230	47.062
Delegazione FFC di Catania	8.706	20.843	6.218	35.767
Delegazione FFC di Novara	12.351	12.576	10.803	35.730
Delegazione FFC di Villa D'Almè - BG	11.253	12.512	10.277	34.042
Delegazione FFC di Lecce		11.305	16.090	27.395
Delegazione di Valpolicella NEW *			27.175	27.175
Delegazione FFC della Valdadige	8.682	1.550	16.681	26.913
Delegazione FFC di Como	5.504	18.862	170	24.536
Delegazione FFC "Il sorriso di Jenny" VR	8.548	7.500	8.110	24.158
Delegazione FFC di Cosenza 2	9.592	4.518	6.633	20.743
Delegazione FFC di Avellino	8.400	4.500	7.030	19.930
Gruppo di sostegno "Ivrea"	4.470	11.704	3.525	19.699

SOGGETTO	2009	2010	2011	ULTIMO TRIENNIC
Delegazione FFC di Verbania e V.C.O.	272	8.130	11.002	19.404
Delegazione FFC di Rovigo	6.416	6.906	5.245	18.567
Delegazione FFC di Treviso-Trevignano	4.795	4.512	6.237	15.544
Delegazione FFC di Pavia	2.431	7.316	5.372	15.119
Delegazione di Varese NEW *			14.631	14.631
Delegazione di Legnago NEW *	1 000	7.100	14.502	14.502
Delegazione "Monterotondo" RM Delegazione di Reggio Emilia NEW *	1.306	7.160	5.530	13.996 12.775
Delegazione di Reggio Emilia NEW Delegazione FFC di Molfetta	E E0E	4 001	12.775 1.500	12.775
Gruppo di sostegno "Savona -Spotorno"	5.595	4.831 3.866	4.640	11.809
Delegazione FFC di Foggia	5.010	1.500	4.552	11.062
Gruppo di sostegno "Seregno" Monza Br	3.010	4.697	6.300	10.997
Delegazione FFC di Teramo	6.126	2.868	1.843	10.837
Gruppo di sostegno "Brugherio - Milano"	4.608	4.270	1.808	10.686
Delegazione FFC di Parma	4.000	4.500	6.000	10.500
Delegazione di "Lucca"		4.894	5.402	10.296
Gruppo di sostegno "Comacchio" Ferrara	1.730	4.593	3.681	10.004
Delegazione FFC di Sondrio Valchiavenna	1.700	3.156	6.666	9.822
Gruppo di sostegno "Genivolta" Cremona	2.814	2.544	4.244	9.602
Gruppo di sostegno "Riola Sardo"	2.014	4.934	4.392	9.326
Delegazione FFC di Biella	2.063	3.255	3.857	9.175
Delegazione FFC di Bussolengo	2.665	3.422	2.834	8.921
Delegazione FFC di Vibo Valentia	2.015	2.825	3.831	8.671
Gruppo di sostegno "Valle Scrivia" AL	1.165	3.655	3.267	8.087
Gruppo di sostegno "Rita" Verona		3.000	5.000	8.000
Delegazione FFC di Cosenza	312	6.470	1.100	7.882
Gruppo di sostegno "Isola bergamasca"	331	63	7.486	7.880
Delegazione FFC di Romagna	2.082	1.155	3.033	6.270
Delegazione FFC di Venezia	1.919	639	3.604	6.162
Gruppo di sostegno "Crotone"	3.125	1.851	1.163	6.139
Gruppo di sostegno "Adria" Rovigo	800	850	4.168	5.818
Gruppo di sostegno "Dongo" Como	1.100	650	3.987	5.737
Delegazione FFC di Livorno	1.057	2.823	1.815	5.695
Gruppo di sostegno "Bussero - Milano"	1.020	1.918	1.830	4.768
Delegazione di Verona NEW *			4.719	4.719
Delegazione di Soverato NEW *			4.592	4.592
Gruppo di sostegno "Ospedaletti - IM"	1.000	2.798	496	4.294
Gruppo di sostegno "Arcugnano" VI	4.221			4.221
Delegazione di Napoli NEW *			4.172	4.172
Delegazione di Messina NEW *			4.132	4.132
Gruppo di sostegno "Val Badia" BZ	1.827		2.279	4.106
Delegazione FFC di Cagliari		525	3.252	3.777
Gruppo di sostegno "Sarcedo" VI	3.715			3.715
Gruppo di sostegno La Spezia Sarzana NEW *			3.713	3.713
Delegazione FFC di Trescore Baln - BG	1.723	580	982	3.285
Delegazione di Monselice NEW *			2.921	2.921
Gruppo di sostegno "Barletta"		400	2.499	2.899
Gruppo di sostegno di Arezzo NEW *			2.747	2.747
Delegazione FFC di Pescara	498	1.419	799	2.716
Gruppo di sostegno "Val d'Alpone"	2.000	300	175	2.475
Delegazione FFC di Salerno		250	1.980	2.230
Delegazione FFC di Fermo	735	714	771	2.220
Delegazione FFC di Viterbo	500	815	771	2.086
Gruppo di sostegno "Chivasso"	130	1.506	420	2.056
Gruppo di sostegno "Venezia"	275	705	982	1.962
Gruppo di sostegno "Genova"	916	701	300	1.917
Delegazione di Trapani Marsala NEW*			1.853	1.853
Delegazione di Pesaro NEW * Gruppo di sostegno "Città di Castello" PG	420	1.380	1.800	1.800
Gruppo di sostegno "Otta di Castello" PG Gruppo di sostegno "Monte S.Pietro" Bo	420	1.739		1.739
Gruppo di sostegno "Monte s.Pietro" Bo Gruppo di sostegno "Samarate" Varese		830	800	1.630
Delegazione di Taranto NEW *		000	1.500	1.500
Gruppo di sostegno Gorizia Grado NEW *			1.490	1.490
Gruppo di sostegno Gonzia Grado "NEW" Gruppo di sostegno "Cicciano-Napoli"	230	1.150	1.730	1.380
Delegazione di Pompei NEW *	200	1.100	1.202	1.202
Gruppo di sostegno Brindisi Latiano NEW *			1.185	1.185
Gruppo di sostegno Foggia Manfredonia NEW *			1.035	1.035
Gruppo di sostegno Foggia Marinedonia NEW *			719	719
Gruppo di sostegno Montescaglioso Matera NEW *			598	598
Delegazione di Cuneo Alba NEW *			543	543
Gruppo di sostegno "Pianazzola" VI	500		0-70	500
Gruppo di sostegno "Spinea" Venezia	291	104		395
Gruppo di sostegno Genova Cavi di Lavagna			210	210

CICLAMINI, SMS E CORSE PER FERMARE LA FIBROSI CISTICA



el momento in cui il Notiziario va in stampa, nella grande famiglia FFC fervono i preparativi per la X Campagna nazionale per la ricerca sulla fibrosi cistica promossa dalla Fondazione, che si svolgerà dal 14 al 28 ottobre. In questo periodo sarà attivo il numero solidale 45591 con il quale sarà possibile donare un euro per ogni sms inviato da cellulari TIM, Vodafone, Wind, 3, PosteMobile, CoopVoce e Nòverca oppure due euro per ciascuna chiamata fatta da rete fissa Telecom Italia, Infostrada, Fastweb e TWT. L'sms solidale 2012 è stato associato all'adozione del progetto di ricerca FFC#2/2012: Sviluppo di nuove strategie per la correzione del difetto di trasporto di cloruro nella fibrosi cistica. Il traguardo di 160 mila euro, per arrivare a finanziarlo in toto, sarà arduo da raggiungere, ma non impossibile: si dice che la Fortuna aiuti gli audaci e punisca gli indecisi, e noi abbiamo delle ottime credenziali per vincerne il bacio.

Perché un sms da un euro?

Un euro, diversamente dai due dello scorso anno, nella speranza che i tempi austeri non impediscano anche a chi la fibrosi cistica la conosce poco o affatto di contribuire in modo pressoché indolore alla causa. Si tratta di un gesto apparentemente impercettibile, che nella ripetizione ha però il potere di generare un effetto vistosissimo. Noi contiamo sui grandi numeri, pensando al vasto pubblico come primo interlocutore da conquistare perché la fibrosi cistica smetta

di essere una malattia poco conosciuta e non abbastanza sostenuta.

In bici sugli Appennini

Quali gli eventi in pentola a formare una grande bolla salva-crisi? Oltre al fine settimana del 20 e 21 ottobre, in cui dal Nord al Sud verrà offerto in centinaia di piazze il ciclamino della ricerca; oltre alle iniziative locali sotto forma di cene, spettacoli, eventi sportivi finalizzati alla raccolta fondi e al lancio dell'sms, quest'anno il nostro vicepresidente Matteo Marzotto si cimenterà in una corsa a tappe in bicicletta, con partenza il 18 ottobre da Milano e arrivo il 21 a Roma, con cene charity a Bologna e a Roma ed eventi sostenuti dalle Delegazioni lungo il percorso. Oltre a questo, per concentrare l'attenzione dei media sulla mission della Fondazione, in occasione della campagna nazionale verrà diffuso il nuovo spot FFC: 30 secondi che hanno l'obiettivo di accrescere la conoscenza della fibrosi cistica tra le persone e di raccogliere quante più risorse possibile a favore della ricerca scientifica.

Tutti in corsa per la ricerca

Coerentemente con il tema conduttore della campagna di comunicazione, ispirato alla corsa e al respiro, quest'anno FFC si affianca infatti come charity partner alle più importanti corse non competitive, family run ed eventi podistici autunnali. I volontari ci parteciperanno correndo, a testimonianza dell'impegno per sostenere la ricerca scientifica FFC, e organizzando circuiti amatoriali e postazioni di sensibilizzazione e informazione

sulla patologia.

30 sono i secondi del nuovo spot FFC1000 sono i contatti media attivati9250 sono i fan Facebook interessati

650 sono i km di Matteo Marzotto in bici per la ricerca

Per conoscere date, luoghi e avere informazioni aggiornate sulle corse basta accedere al sito www.fibrosicisticaricerca. it, per entrare nel cuore della manifestazione a voi più vicina o che più accende il vostro spirito di viaggiatori, visto che i percorsi si snodano per vicoli pittoreschi e dominano paesaggi suggestivi in località turisticamente attraenti.

Novità in sala stampa

Nella trasmissione dello spot a livello nazionale, a Rai, Mediaset e Sky, nel 2012 si aggiunge anche La7. Inoltre, per la prima volta, Mtv comunicherà la notizia della Campagna negli spazi dedicati all'informazione. Capillare, come nei due anni trascorsi, la veicolazione dello spot attraverso le radio e le tv locali. Ma non solo: è stato attivato un lunghissimo elenco di contatti per mobilitare quotidiani e periodici locali, i portali d'informazione nazionali e non, quelli femminili, di moda, quelli dedicati alla salute, nonché la stampa e i siti per gli italiani all'estero. L'obiettivo resta quello di comparire nel maggior numero di siparietti nei programmi più seguiti e di collezionare buone interviste di ricercatori e pazienti nelle trasmissioni. Il sito Community e la pagina Facebook FFC lavoreranno a pieno regime facendo da propulsori dell'informazione social, che potrà contare anche sull'apertura di un account Twitter e di una pagina Google+. Inutile dire non mancherà la pubblicità sul motore di ricerca Google. Pronti a partire?



FFC e LIFC, insieme per vincere la fibrosi cistica

I 19 maggio a Verona, in occasione del X Seminario di primavera, in molti si chiedevano cosa sarebbe concretamente nato da quella firma che suggellava lo storico accordo fra FFC e LIFC. L'occasione per mettere in pratica la teoria si presenta adesso - nel fine settimana del 20 e 21 ottobre - quando nelle piazze italiane verrà offerto il ciclamino della ricerca sulla fibrosi cistica. Per la prima volta, le due organizzazioni si mobiliteranno insieme per raccogliere fondi a favore della ricerca: i volontari LIFC organizzeranno postazioni in autonomia o affiancando i volontari FFC e si mobiliteranno per incentivare la partecipazione alle maratone e alle corse podistiche non competitive che si snoderanno di regione in regione, per diffondere la conoscenza della malattia e sostenere la campagna di raccolta fondi tramite sms solidale. I volontari FFC si spenderanno con altrettanta partecipazione nella primavera del 2013 a sostegno della campagna di raccolta fondi promossa da LIFC. Siamo fiduciosi che l'unione d'intenti e di forze porterà risultati entusiasmanti per tutti.



UNA CORSA PER IL RESPIRO





La fibrosi cistica ferma la vita.

Fermiamo la fibrosi cistica.

a Campagna d'autunno per la ricerca si presenta quest'anno con un'immagine tutta nuova della Fondazione FC. Il cambiamento ha richiesto un accurato lavoro di riflessione sugli obiettivi della Fondazione, sull'evoluzione negli anni della sua missione, sul linguaggio da usare e le persone da coinvolgere nella causa. Alla fine, dopo confronti che hanno coinvolto Fondazione, l'agenzia responsabile della creatività, alcuni malati e le loro famiglie, siamo arrivati a una sintesi che ci auguriamo possa essere uno strumento utile per la diffusione della conoscenza della fibrosi cistica e quindi per la raccolta di risorse da puntare sulla ricerca.

Già da tempo si sentiva l'esigenza di fare un passo avanti nella descrizione della missione FFC. L'immagine a cui tutti siamo affezionati e che bene ha rappresentato in tanti anni gli obiettivi della Fondazione, adesso ha bisogno di crescere ancora, di raccontare maggiormente la malattia, di coinvolgere una cerchia sempre più grande di persone. E questo perché abbiamo davanti un momento promettente per la ricerca sulla fibrosi cistica; una corrente ottimistica che attraversa i principali punti di ricerca mondiali, all'interno della quale la Fondazione FC è presente con il proprio significativo contributo.

Più respiro, più vita

Quest'anno, come anticipato durante l'ultimo Raduno a Verona, ce l'abbiamo fatta: abbiamo a disposizione un nuovo spot televisivo che sarà diffuso in Rai, Mediaset, La7, Mtv, Sky durante la Campagna d'autunno, e una nuova immagine per la stampa. Ovviamente, anche in questa versione Matteo Marzotto è il testimonial, mentre a Gianluca subentreranno ragazzi più grandi.

Lo spot in arrivo ha come soggetto la corsa e il respiro: un valore vitale che le persone sane danno per scontato ma che, per un malato di fibrosi cistica, è un bene sfuggente; la sua assenza fatale.

L'obiettivo principale del filmato è quello di fare cambiare prospettiva alle persone sane, rendendole direttamente partecipi del problema di alcuni: non riuscire a respirare significa rallentare, fermarsi, restare indietro rispetto alla corsa della vita. E spesso restare soli.

Il racconto non si rivolge solo a chi già conosce la malat-

tia ma si spinge in mezzo a tutti gli altri: a quelli che non sanno, che non si sono mai posti il problema, che non immaginano cosa voglia dire vivere una quotidianità sotto i peso della fibrosi cistica; un peso che ha una sola via d'uscita: una ricerca scientifica in grado di dare risultati. Nel nuovo spot cerchiamo di raccontare tutto questo, nel tentativo di colpire più persone, accostare nuova gente alla causa FFC, far conoscere meglio la fibrosi cistica così da rendere più efficace la raccolta dei fondi a favore della ricerca.

In sinergia, c'è il messaggio contenuto nei materiali stampa che riprendono il tema della corsa e del respiro. Su manifesti, locandine, pieghevoli, cartoline c'è scritto "La fibrosi cistica ferma la vita. Fermiamo la fibrosi cistica": un allarme molto chiaro, estremamente crudo per chi vive la malattia da vicino, che ha lo scopo di smuovere l'attenzione di chi guarda, invitando all'azione.

Spot da 30 secondi, filmati 3 e 15 minuti

Accanto a questi strumenti, è stato predisposto un filmato di circa tre minuti che ha lo scopo di spiegare in modo sintetico cosa sia la fibrosi cistica e quale sia il ruolo della Fondazione FFC nell'individuare e nel sostenere finanziariamente le ricerche più promettenti. Questo spot è pensato per essere agganciato in coda a quello da 30 secondi e mostrato nel corso di eventi di raccolta fondi o di incontri divulgativi per offrire informazione sulla realtà della fibrosi cistica. Prossimamente sarà messo a punto un terzo filmato di 15 minuti, dal taglio più scientifico, dedicato a chi cerchi una conoscenza più approfondita sull'argomento.

Per la creatività di video e stampa, la Fondazione ha avuto il supporto di un'agenzia di comunicazione di valore internazionale, la Saatchi&Saatchi, che lo scorso giugno ha vinto un Leone d'oro al Festival internazionale della creatività di Cannes grazie a uno spot della onlus Coordown a favore dell'integrazione delle persone con Sindrome di Down.

Ad un "costo onlus" ora sono stati realizzati i 30 secondi e i tre minuti sulla fibrosi cistica, il nuovo spot radio, i manifesti e tutti i materiali stampa. Il regista ha richiesto un rimborso spese per il suo intervento; il musicista è intervenuto gratuitamente; la casa di produzione ha offerto macchine più sofisticate di quelle concordate.

Ciack si gira CRONACA DI UNO SHOOTING

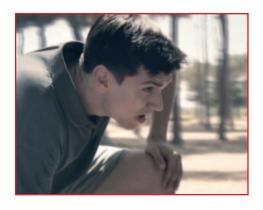
L'appuntamento era alle 5 del mattino del 19 luglio nel parco secolare di Villa Pamphili, a Roma. La sveglia all'alba l'aveva richiesta il regista, Maurizio Caduto, produttore di campagne pubblicitarie famose, orecchini, scelta di vita in Malesia e la voglia di spendersi per la fibrosi cistica.

Alle sei in punto si comincia a girare perché la luce deve essere quella più fredda e radente del mattino, perché dell'immenso parco della nobile famiglia romana andava colto il silenzio: solo cicale, l'ombra di pini secolari e i ragazzi raccolti attorno al regista per le spiegazioni prima dello shooting.

I giovani hanno tutti tra i 18 e i 20 anni, arrivano dal Centro sperimentale di cinematografia di Roma, la scuola da cui escono Claudia Cardinale tra i primi, Riccardo Scamarcio tra gli ultimi in ordine di tempo. Sono seri, molto concentrati su quanto devono interpretare. Tra loro viene scelto Giuseppe Orsillo: è lui il protagonista dello spot.

Molte parole vengono dedicate a spiegare cos'è la fibrosi cistica, cosa provoca nel corpo di un ragazzo, come spezza il respiro, come lo allontana dal resto degli amici che continuano a correre. La comprensione profonda è preziosa per immedesimarsi nella parte.

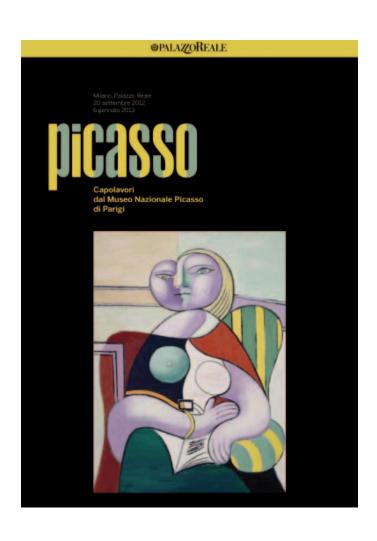
Ciack, si gira. Parte la corsa; la si ripete più e più volte per trovare il ritmo giusto, che deve essere lo stesso tra tutti i ragazzi. Carlo Giudice, il produttore, ha deciso di fare le cose in grande e di portare a Villa Pamphili i macchinari che userebbe per girare un film. La steadycam, per esempio, è un regalo per la Fondazione; consente di seguire i movimenti della corsa senza sobbalzare, garantendo un'inquadratura sempre stabile. E la differenza si vede. Col passare delle ore il parco si riempie di bambini, gente che corre, cani, voci, e il caldo che cresce. Ma nessuna delle comparse si distrae, perde concentrazione. Chi ha molti shooting alle spalle, assicura che l'atmosfera creata attorno a questo spot è diversa; come se tutti, anche quelli che non avevano mai sentito parlare di fibrosi cistica, avessero capito il peso e la gravità di questa malattia.









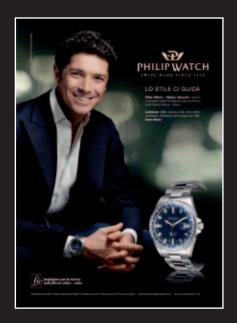


Dal 20 settembre a Milano Picasso contro la fibrosi cistica

La Fondazione FC è charity partner dell'attesissima mostra dedicata a Pablo Picasso, ospitata nelle sale di Palazzo Reale a Milano a partire dal 20 settembre: un'occasione importante per attirare l'attenzione sulla fibrosi cistica, per diffonderne la conoscenza tra un pubblico ampio - 700 mila visitatori - com'è quello atteso nel bellissimo scenario di piazza Duomo. Ma la divulgazione, benché molto importante, da sola non basta: l'iniziativa avrà anche un importante ritorno economico a favore della ricerca sulla FC. Chi andrà ad ammirare le 200 le opere esposte, molte delle quali mai uscite dal Museo Picasso di Parigi, potrà scegliere di acquistare il biglietto charity al costo di un solo euro in più (10 euro anziché nove; otto euro e mezzo invece di sette e mezzo per i ridotti). Un piccolo sforzo che, per la ricerca FFC, può fare una grande differenza. I volontari FFC, coordinati dalla Delegazione di Milano, offrono al pubblico le informazioni necessarie, per favorire la scelta del biglietto charity; nel bookshop della mostra sono inoltre presenti gadget FFC e materiali illustrativi del lavoro della Fondazione. La mostra, pensata come un excursus cronologico sulla produzione dell'artista, mette a confronto le tecniche e i mezzi espressivi con cui si è cimentato nel corso della sua lunga carriera, coprendo tutte le fasi fondamentali della sua creatività poliedrica e i diversi mezzi espressivi e mediatici attraverso i quali al suo genio visuale piacque esprimersi.

La mostra chiuderà il 6 gennaio 2013. Tutte le informazioni all'indirizzo: www.mostrapicasso.it e attraverso il sito FFC.

Cresce la donazione Philip Watch



Primarie, creato presso l'Istituto Gaslini di Genova per fornire materiale biologico di alta qualità alla comunità scientifica impegnata nella ricerca in Fc. Matteo Marzotto, vicepresidente FFC, presta il volto alla nuova campagna di comunicazione Philip Watch, firmata dal celebre fotografo Giovanni Gastel, e ancora sceglie di devolvere l'intero compenso destinatogli come testimonial a beneficio di due progetti (FFC#21/2011 e FFC#22/2011) incentrati sull'analisi di nuove strategie contro l'infiammazione polmonare, complicanza molto comune nei malati di fibrosi cistica e che influenza drammaticamente la loro attesa di vita.

L'intesa tra Philp Watch e FFC si rinnova. La più antica marca di orologi svizzeri presente in Italia, dopo avere destinato 150 mila euro nel 2010, a finanziamento di due innovativi progetti di ricerca sulla fibrosi cistica, nel 2012 ne stanzia altri 220 mila per l'adozione totale di due nuovi progetti e il sostegno del Servizio Colture

Il progetto 21 coordinato dal dott. Virgilio Evangelista, in collaborazione col dott. Mario Romano, coinvolgerà per due anni 11 ricercatori e studierà una classe di farmaci antinfiammatori in fase avanzata di sperimentazione per altre gravi patologie polmonari. Il progetto 22, invece, coordinato dal dott. Riccardo Ghidoni, coinvolgerà per due anni quattro ricercatori e studierà gli effetti di due nuovissime molecole che a livello preclinico hanno dimostrato di agire come antinfiammatori. Un investimento importante quello del Gruppo Morellato & Sector ma soprattutto lungimirante, che sospinge la ricerca in fibrosi cistica verso l'alto traguardo della cura definitiva della malattia.

LA SORPRESA DELLA PASQUA FFC CONCORSI PER MISS, BALLI E CONIGLIETTI DI CIOCCOLATO PER LA RACCOLTA FONDI 2012

L'esperimento del 2011 aveva lasciato ben sperare e così per questo 2012 si è deciso di tentare un maggior coinvolgimento dei volontari FFC nell'organizzazione di postazioni e occasioni di offerta di uova di Pasqua e cioccolato solidale. Nonostante gli errori di dispaccio di corrieri talmente di fretta da arrivare in ritardo, gli indirizzi erronei, le uova, le galline, i conigli e le pecore arrivati rotti o crepati, il risultato è stato incoraggiante. Sono stati 53 i gruppi di volenterosi impegnati, per 5.573 uova e 2.261 animaletti offerti che, al netto delle spese, hanno portato alla ricerca 58.173 mila euro: una sorpresa dolcissima, considerata l'amarezza dei tempi.



Il gruppo degli esplosivi di Campofilone. Da sinistra: Marco Mellini, Rossella Verdecchia, Massimo Magnaguadagno e Simona Ramini, arrivati a mettere l'ultimo uovo all'asta













Genova

Ottava edizione per "Sapore di sale", la serata di gala che ogni anno prende forma nell'incanto della Baia di Paraggi, a Portofino, presso "Le Carillon", e che ritrova come conduttore d'elezione il giornalista e presentatore televisivo Roberto Rasia dal Polo, affiancato da Federica Moro, madrina della serata. La crisi economica ha impedito a molti affezionati di essere presenti, ma contro ogni timore l'incasso della serata è stato cospicuo: 9000 euro, versati a sostegno del Servizio Colture Primarie, di cui è responsabile Luis Galietta del Laboratorio di genetica molecolare dell'Istituto "G. Gaslini" di Genova. genetica molecolare dell'Istituto G. Gasili di Genova.

Molta parte della riuscita dell'evento va attribuita a Claudia
Mattioli, infaticabile organizzatrice, che ha ricevuto anche un
riconoscimento per la sua abnegazione e il suo impegno.

A partire da sinistra: Roberto Rasia dal Polo, Claudia Mattioli,
l'ambasciatore illuminato Paolo Faganelli in rappresentanza di FFC e Federica Moro



Novara
È uscito il quinto volume della serie "La scuola fa la differenza", realizzato dai ragazzi della scuola secondaria di primo grado "Carlo Calcaterra" di Bellinzago, per ricordare Andrea Goldin, che era malato di fibrosi cistica, e raccogliere fondi a favore della ricerca scientifica. Il ricavato delle vendite contribuirà a finanziare il progetto adottato dalla Delegazione FFC di Novara. Il tema sviluppato quest'anno dagli studenti è stato quello dei cinque sensi. Pensiamo che Giovanni e Lorena, da anni impegnati nella battaglia contro la malattia, siano testimoni dell'esistenza di un sesto senso: quello del cuore, che insegna la gratuità del sentimento volta a generare condivisione e gioia.

Varese

Non è sfuggita allo sguardo dei giornalisti Non è stuggita allo sguardo dei giornalisti Rachele Somaschini, mascotte della Fondazione in occasione della seconda edizione del "Gran Galà del Ballo delle Debuttanti", tenutosi il 31 marzo all'hotel Regina Palace di Stresa. Non sarebbe stata tipa da trine, merletti e giri di valzer, ma per fare conoscere la fibrosi cistica e sostenerne la ricerca è stata disposta a prendere lezioni di bon ton, ballo e portamento: a sottoporsi a pre di "trucco e e portamento; a sottoporsi a ore di "trucco e

parrucco"; e a farsi 250 chilometri al giorno per una settimana da Cusano Milanino a Stresa (ringraziamo la mamma Monica che ha fatto da autista). Loquacità, spontaneità e brillantezza non gliele hanno dovute instillare. Racconta Rachele, 18 anni da poco compiuti, affetta da Fc: «Ero lì per dare un esempio e per dare coraggio anche ad altri. Oltre alle interrogazioni, non avevo avuto altre esperienze di discorso in pubblico, ma mi pare di essermela cavata bene durante le cinque conferenze stampa. È stata belli cinque conferenze stampa. to bellissimo ma, mentre le altre ragazze su Facebook continuavano a scrivere "il sogno racebook continuavano a scrivere "il sogno diventa realtà" e si sentivano super realizzate, io ho altri interessi: vado in supermotard, sono in attesa di una ktm, corro in pista, amo i kart e la fotografia. Il babbo è un ex pilota e da lui ho preso la passione per i motori e la velocità». Le domando dei cadetti. «L'arrivo confessa ma la divisa veiocità». Le domando del cadetti. «L'arrivo è stato traumatico – confessa – ma la divisa li ha trasformati. Sono comunque tutti super intelligenti, super educati e super teneri. Ci hanno riempite di complimenti. Quelli belli erano tre. La più bruttina si è beccata il cadetto più bello». Nessuna ha però ricevuto in

dono, com'è invece capitato a Rachele, una gioia. In un istante di folgorazione, un gioielliere milanese presente alla manifestazione si è offerto di realizzare per lei una collana, sulla quale ha inciso never back down: non

mollare mai

Nell'ordine, in senso orario: foto di gruppo delle debuttanti; Rachele Somaschini con Gina Mulè, responsabile della Delegazione FFC di Varese; le Cenerentola accompagnate dai Cadetti della Scuola Militare Teuliè di Milano; Rachele con i suoi scintillanti ge nitori









La serata al "Bobino Club", organizzata dalla Delegazione FFC di Milano grazie alla collaborazione con Andrea Granata, il titollario grazie alla collaborazione on America Grandazione tolare del locale, si rivela per il secondo anno un grandissimo successo. In Darsena, il 7 giugno, si sono affollati tantissimi giovani amici della Fondazione, pieni di voglia di festeggiare e della consapevolezza di trovarsi insieme per un grande progetto. La serata si è aperta con un cocktail buffet, è proseguita

getto. La serata si e aperta con un cockali bunet, e proseguita con la musica dal vivo di Rudy Smaila & Band e si è attardata con il DJ set targato Davide Povia.
Rudy, figlio d'arte di Umberto Smaila, ha coinvolto il pubblico facendolo cantare a squarciagola sulle note dei grandi classici degli anni Sessanta e Settanta e sulle hit dei sempreverdi del rock e del pop italiano e straniero. Novità importante di questa difficiale del rock e del popi taliano e straniero. edizione è stata l'estrazione del premio della lotteria "È tua se

edizione e stata i estrazione dei premio della lotteria "E tua se dici si! Sì alla ricerca!": una Lambretta Pato 50. I volontari: Alberto, Andrea, Anna, Antonella, Claudio, Cristina, Erminia, Franca, Gabriele, Gigi, Giorgio, Giulia, Giuliana, Guido, Katia, Laura, Marianna, Martina, Riccardo, Silvia, Tamara e Valeria hanno lavorato febbrilmente alla vendita dei biglietti. Ne hanno distribuiti più di 5 mila, per 10.818 euro raccoli; che contribuiranno a finanziare il progretto di Picerca EEC#10/2011 contribuiranno a finanziare il progetto di Ricerca FFC#10/2011, coordinato dalla dottoressa Alessandra Bragonzi presso l'Ospedale S. Raffaele di Milano.



Nell'ordine: Rudy Smaila; la contesa Lambretta; Andrea Granata, proprietario del "Bobino", con i fratelli Reggiani







Bergeggi (SV), 19 maggio, Davide Portinaro dello staff di "Bergeggi Diving School" e il volontario FFC super Riccardo, sorridenti nonostante il maltempo abbia compromesso la buona riudenti nonostante il matempo abbia compromesso la buona nu-scita della manifestazione "Un tuffo per la ricerca". Ci sono stati pochi partecipanti ma temerari. Tutti hanno ricevuto il "battesi-mo del mare" facendo immersione nell'Area Marina Protetta di Bergeggi. Per l'occasione è stato anche inaugurato il concorso fotografico "Uno scatto per la ricerca", che si concluderà l'1 settembre con regolamento e modalità d'iscrizione e votazione presenti sul portale www.superscuba.it. E chissà che l'anno a venire il tempo sia dalla postra parte venire il tempo sia dalla nostra parte



€ 3.500,00

Florenzo Carradon

Valpolicella

L'assegno di 3.500 euro raccolti in occasione della manifestazio-ne di ciclismo su strada "Gran Fondo della Valpolicella Zen Air" e donati alla Delegazione FFC della Valpolicella. Promotrice e orga-nizzatrice della gara è stata l'azienda Sant Luis Calzature. Ospite speciale: Gilberto Simoni, due volte maglia rosa, campione non solo nel ciclismo, ma pure nella solidarietà



Fumane, "Mercatino delle meraviglie di primavera": alcune delle mille meraviglie, che hanno raccolto a sostegno del progetto di ricerca FFC#13/2011 ben 3.850 euro. Evviva!

26 maggio, "Un concerto per la ricerca" nel cortile di casa Cottini. Racconta Laura: «Se l'avessimo pubblicizzato un po' di più non avremmo saputo come sistemare tutta la gente. È stata una serata memorabile». Hanno aperto le porte di casa e fatto entrare la musica e il cielo stellato delle colline della vallata di Marano di Valpolicella. Grazie a un magico passaparola, 400 persone si sono ritrovate insieme per fare festa e dare il proprio contributo di partecipazione per una causa, quella della lotta alla fibrosi cistica, che di partecipazione ne abbisogna ancora molta. Raccolti 3700 euro.

Nella foto Laura Cottini, in camicetta nera, e i suoi fedelissimi





Pescantina

Pescantina
Il 3 giugno, gli amici della Delegazione di Bussolengo-Pescantina, guidati dalla volitiva Pasquina
Pachera, insieme per porgere un fiore a favore
della ricerca FFC, in occasione della "XXXI Caminada di Pescantina'



Vicenza

Li impegna a tempo pieno due mesi prima dell'inizio "FFC Estate", ed è una delle manifestazioni più importanti organizzate dagli Antoniazzi. Una tradizione che si ripete dal 2005, con eventi a mortaretto per un mesetto e mezzo, e una necessità di programmazione da professionisti: gli Antoniazzi lo sono e così fanno le richieste alle varie amministrazioni comunali; trovano le compagnie teatrali, le band, gli artisti, gli sponsor, i premi per la lotteria, i volontari; incastrano date e impegni; pensano all'impostazione grafica dell'opuscolo, lo stampano, lo distribuiscono, programmano la pubblicità attraverso locandine, spot radio, articoli sui quotidiani e i mensili locali, attirano migliaia di persone agli eventi. Nessuna sfugge alla parola "fibrosi cistica", ché la leggono dappertutto ma poi, selezionando gli scatti per il notiziario, scrivono che «non riescono a rappresentare tutto lo sforzo e il lavoro che c'è dietro». L'invito e il suggerimento nostro è dunque semplicemente quello di partecipare, perché sono bravissimi.





Nell'ordine: 8 luglio, "Il Talentiere italiano" a San Pietro Mussolino, con canzoni, musica, spettacolo e un'anteprima della selezione casting "Ragazza in pelle" e "Miss Valchiampo 2012". Poi 15 luglio, Brendola, "Pesce, musica e solidarietà": i cuochi che hanno preparato la magica paella. Grazie alla grande sensibilità di Claudio Bortolati, alla sua passione per la musica, alla sua abilità culinaria e ai suoi amici che lo hanno seguito nell'avventura e hanno permesso la riuscita della serata. Grazie per l'ospitalità anche alla "Fattoria didattica" di Paolino Massignan che ha messo a disposizione gratuitamente la struttura per l'evento. Infine, i pochi, ma inseparabili e indispensabili, collaboratori della Delegazione di Vicenza







Sanata Margherita all'Adige

Folta e coloratissima partecipazione per la "Caminada solidale tra i do campanili", organizzata per il 25 aprile dalle Pro Loco di Santa Margherita d'Adige e Taglie (PD). L'iniziativa ha raccolto 270 euro e fatto conoscere la malattia dove la Fondazione non è presente con alcun gruppo di volontari strutturati.

Evviva dunque per gli uomini di buona volontà che anche sporadicamente aiutano la ricerca e la diffusione dell'informazione sulla fibrosi cistica.



Adria
Il 5 maggio, in occasione della "Notte Verde" di Adria, Sara Pozzati e le sue inseparabili collaboratrici, nonché dottoresse in biologia e neurofisiopatologia, Piera Pozzati e Fabiana Lorenzoni, si sono appostate lungo le rive del Canalbianco per far conoscere la Fondazione. Le ringraziamo per aver messo a disposizione la loro professionalità, facendo incontrare scienza e volontariato. facendo incontrare scienza e volontariato





Trento

Trento, 16 maggio, foto di gruppo con parte del direttivo dell'Associazione Trentina Fibrosi Cistica. Al centro, con in braccio la sua bambina, Loretta Ioriatti, la scrittrice che ha donato alla ricerca FFC la fiaba "Il Villaggio di Natale"







"Scacco matto alla fibrosi cistica", piazza Fiera, Trento, 24 giugno. Nell'or-dine: Claudia Rinaldi mentre racconta la propria testimonianza, un momento della partita a scacchi viventi e il gruppo dei volontari trentini in costume



Villazzano Soccer Camp: i partecipanti al campo estivo calcio giovani, nati tra il 2003 e il 2005. Loro, come tutte le squadre del campionato provinciale di calcio, hanno giocato con le magliette con lo slogan "insieme per vincere la fibrosi cistica" e noi li ringraziamo

La presentazione della collaborazione tra l'Unione Sportiva Villazzano Calcio e l'Associazione Trentina FC, per la sensibilizzazione del pubblico alla fibrosi cistica durante le partite giocate in casa, con una serata informativa presso la Circoscrizione di Villazzano e un torneo dedicato alla ricerca



Ferrara

Avevano deciso di ritagliarsi un fine settimana libero dai so-liti mille impegni che Claudia e Lorenzo immancabilmente hanno. Un fine settimana libero anche dalla fibrosi cistica, nanno. Un fine settimana libero anche dalla fibrosi cistica, dedicato a inaugurare la supermoto arrivata ancora nel settembre 2011 e inevitabilmente parcheggiata in garage. La gita tra San Leo e Urbino con gli amici del "Motoclub Delta" si è però conclusa con una sorpresa. Il pranzo della domenica aspettava solo il dolce prima dei saluti e dell'augurio di buon ritorno, quando «Claudio Marchisio, il Doc, e altri ragazzi del direttivo si sono alzati da tavola - racconta Claudia. Avevamo mangiato molto bene, visto cose belle, Claudia. Avevamo mangiato molto bene, visto cose belle, conosciuto nuovi socievoli amici; mi stavo godendo l'atmosfera di "Casa Zanni", pensando a quanto l'organizzazione di Massimo Govoni (Max) fosse stata curata nei minimi dettagli, quando Alessandro Sarti (Ale) ha iniziato a battere sul bicchiere per richiamare l'attenzione. In quel momento ho iniziato a insospettirmi. Mi sono ritrovata attorniata dai ragazzi del direttivo che mi hanno consegnato, come responsabile della Delegazione FFC di Ferrara, 240 euro collezionati grazie all'ottimizzazioni dei costi di organizzazione. Li ho cominciato a piangere.

Non sapevo cosa dire. Proprio non me l'aspettavo. Questa sorpresa è stato un arcobaleno di colori in una giornata di pioggia e nuvole»

pioggia e nuvole»





25 aprile, "Ciclodelta della libertà", tra le Valli di Comacchio. Nella foto in basso a sinistra, Claudia e Lorenzo in vespa con Mattia Todisco, simpa-ticissima mascotte dell'evento. Alla fine della biciclettata i partecipanti si sono rinfrancati con panini alla salsiccia e torte, quindi hanno partecipato sono rinfrancati con panini alla salsiccia e torte, quindi hanno partecipato alla lotteria con un sacco di premi donati dai commercianti di Comacchio. Li ringraziamo tutti quanti e ad uno ad uno per avere contribuito al sostegno della ricerca scientifica. Nella foto in basso, il gruppo iscritto come "Libertà di respirare", vincitore della maglietta autografata e spedita appositamente per l'iniziativa da Francesco Moser, sempre estremamente sensibile e vicino alla causa Fc, al quale mandiamo il nostro più sincero grazie!



Bologna

Chi può battere Morena e le sue donne nell'allestimento dei mercatini? Nessuno. Ecco dunque uno scatto sui gerani imperiali, le rose, le surfinie, le begonie e i cespugli di erbe aromatiche offerti in occasione della discesa in città della Madonna di S. Luca, che ogni anno lascia il colle della Guardia e si ferma per una settimana in Cattedrale. «Un delirio di profumi», ha detto chi è passato attraverso la nuvola di fiori, protagonisti anche del "Mercatino di Pasqua": cinque giorni di vendite destinate alla bella stagione, in un tripudio di colori e uova personalizzate con regali e peluches, il cui ricavato ha finanziato il progetto di ricerca FFC#17/2011. Le giocatrici di burraco sono invece state immortalati nel bellissimo giardino di un'amica della Delegazione di Bolo-gna, che vi ha organizzato un torneo di burraco per la ri-cerca FFC



Fosse di Sant'Anna D'Alfaedo (VR)
È tornato alla Malga Fanteboni "Mani di Fata", il mercatino dell'artigianato della Lessinia organizzato da Rita Pasquato, che da anni, instancabilmente, sostiene la ricerca sulla fibrosi cistica. L'inaugurazione è avvenuta sulle note del coro "Fiorelin del bosc", che ha intonato canti originali del luogo raccolti dal simpaticissimo maestro. Due i progetti scientifici finanziati nel tempo dal Gruppo di Sostegno "Rita", per un totale di 20 mila euro versati, ed è qià iniziata "Rita", per un totale di 20 mila euro versati, ed è già iniziata l'adozione del terzo progetto. Evviva!





Imola

ione di Patrizia Baroncini per la musica ha trovato di che alimentarsi nei tre concerti

La passione di Patrizia Baroncini per la musica ha trovato di che alimentarsi nei tre concerti di Natale in due giorni sfuggiti al Notiziario 33 per vizio della casella di posta. Una trottola d'impegni, che ha visto le nostre volontarie correre da un campanile all'altro. Grande partecipazione al concerto della "Banda S. Ambrogio" di Castel del Rio, che ha replicato poi nella chiesa di Borgo Tossignano. L'evento si è svolto in ricordo di Andrea nella chiesa del Carmine di Imola. Presenti fra il pubblico la moglie e i figlioletti; fra i musicisti, il fratello di Andrea che, accompagnato dalla voce dell'organo, ha suonato con la tromba il brano "Mission" del maestro Morricone, commuovendo l'intera platea. La Delegazione FFC di Imola ringrazia la famiglia di Andrea che, nonostante il momento diffice, ha voluto che la solidarietà avesse la meglio sul dolore. Il ricavato della serata, oltre mille euro, ha contribuito al finanziamento del progetto FFC#15/2011, adottato dalla elegazione di Imola. Chiesa gremita anche per il concerto del coro "Casual Gospel" di Castel S. Pietro, tenutosi nella chiesa di Fontanelice, per 418 euro raccolti. Apprezzatissima la cioccolata calda preparata dalle volontarie FFC e distribuita in piazza a fine concerto.





17 marzo, Teatro Moderno di Fusignano, i New Classics Band finalmente in concerto a sostegno della ricerca FFC. La povera Patrizia, responsabile della Delegazione imolese, ha dovuto rinviare per due volte l'evento a causa della neve caduta copiosa su tutta la Romagna, ma l'attesa ha accresciuto il desiderio e gremito il teatro. Sono stati raccolti circa 2 mila euro, che hanno contribuito all'adozione del progetto FFC#15/2011. Aspettiamo il prossimo!

24 marzo, Hotel Mulino Rosso di Imola, settima cena organizzata dalla Round Table 62 insieme alla Delegazione FFC di Imola. Presenti 120 invitati per 9 mila euro raccolti e brindisi alla chiusura del finanziamento del progetto di ricerca adottato per 35 mila euro. Loris Camprini, membro onorario RT, ha presentato il libro "Un milione di chilometri in moto" di cui è l'autore e che si apre con la prefazione di Matteo Marzotto. Il ricavato della vendita del libro verrà devoluto a FFC. La piccola Beatrice, come da tradizione, ha allietato la serata suonando alcuni brani con il suo flauto traverso. A sorpresa, invece, la cantante Silvia e il pianista Farian del gruppo "New Classics Band", hanno regalato ai presenti una loro canzone.



Come non volere bene al Massimiliano nazionale? È sempre di buon umore e anche quando tutto va storto non si perde d'animo e continua a tessere la sua di conoscenze, amicizie, relazioni che lo aiutano a fare ogni volta di meglio e di più. Il metodo-Rosazza funziona, tant'è che tutti gli eventi realizzati dal mirabolante capogruppo insieme all'alter ego Tonino Semeraro non troveranno posto sufficiente su queste pagine, ma saranno navigabili nel sito.

15 giugno, Sala Pontificia dell'Istituto di Musica Sacra del Vaticano. Jacopo Giovannini, 15 anni, artista del piano, incanta le quasi 200 persone invitate ad ascoltare il suo straordinario talento nelle note di Beethoven, Chopin, Brahms, Liszt. Sono stati raccolti 1.500 euro, che contribuiranno al finanziamento del progetto di ricerca FFC#16/2011 adottato dalla Delegazione di Monterotondo. Nella foto, da sinistra: Max, Jacopo Giovannini, la brillante presentatrice Donatella Romagnoli e Tonino Semeraro





Albano Laziale, 19 maggio, teatro Alba Radians, i ragaz-zi del coro "All Over Gospel Choir" trascinano il pubblico con il loro entusiasmo

22 maggio, Stadio Olimpico di Roma, foto di gruppo con tanti nuovi amici della Delegazione di Monterotondo in occasione del "Derby dei Campioni del



Roma, Campidoglio, Sala delle Bandiere, Toni-no Semeraro (al centro) e Massimiliano Rosazza (secondo a partire da destra) ritirano l'assegno di 850 euro donato in seguito al "Derby dei Campio-ni del Cuore". FFC è stata infatti una delle onlus beneficiarie di parte del ricavato della serata di collidariatà solidarietà



Latina

11 maggio, "Danzando per la ricerca": l'esuberanza della gioventù e delle danze latino americane e caraibiche per fare avanzare più in fretta i progressi della ricerca. Adriana De Santis, responsabile della Delegazione di Latina, scova nuove scoppiettanti collaborazioni. In questo caso con l'associazione "Foot loose" che, attraverso l'impegno di Enesio Iudicone, ha animato un'effervescente serata "a corpo libero"





6 giugno, Stadio Francioni, manifestazione conclusiva di un progetto di solidarietà promosso dall'Associazione degli studenti delle scuole superiori di Latina, pretesto per far conoscere la Fondazione e sensibilizzare i ragazzi alla fibrosi cistica



Nella foto sopra, alcuni dei protagonisti del torneo di calcio "Dai piedi al cuore": il sindaco di Latina (al centro), alla sua destra lo studente Matteo Damiano, organizzatore della giornata con l'Amministrazione comunale, e un gruppo di calciatori della squadra dei rifugiati politici. Nella foto a destra, la squadra studentesca del "Liceo Scientifico Grassi", vincitrice della competizione a tutto colore e allegria

SUD



Latiano

La dolcissima Katia, giovane promessa, responsabile del Gruppo di Sostegno FFC di Latiano (BR), con alcune partecipanti al torneo di burraco organizzato il 18 marzo presso il "Moonlight Pub" del paese



Grottaglie

La giovane Delegazione di Taranto, che ha per responsabile Elisabetta Trani, si sta dando molto da fare nonostante il territorio ostico e gli impostori che hanno messo a prova la fiducia della popolazione.

Siamo certi che la caparbietà di questi genitori e la loro onestà vincerà il meritato riconoscimento



Cosenza

Le famiglie Coscarella e Pellegrini in piena fioritura di primavera, sorrisi e gioventù, in occasione del primo torneo di burraco organizzato dalla Delegazione FFC di Cosenza per finanziare l'adozione parziale del progetto di ricerca FFC#20/2011



Assemini (CA

Dall'altra parte del telefono una mamma, Angela Concas. Ha bonificato 3000 euro a sostegno della ricerca FFC. Si chiede se siano giunti, ma soprattutto le preme di condividere una gioia. La sua personale raccolta fondi "Un fiore per Valeria" aveva subito una battuta d'arresto, ma dopo avere letto l'appello di Marco Menegùs a sostegno del Servizio Colture Primarie qualcosa è cambiato. «Marco mi ha scosso dentro. La FC mi ha dichiarato guerra 30 anni fa. L'ho persa. Ora è il dopoguerra e voglio ricostruire quello che ho demolito dentro di me. Le parole di Marco sono il messaggio di mia figlia che mi sprona a vivere e a mettere a frutto il dolore per altri ragazzi come lei», racconta Angela. Ad aiutarla nell'impresa il suo «piccolo grande esercito: Anna mani-di-fata, che con nonna Angelina sferruzzano e dipingono un po' di tutto a tempo pieno; Nevi, Bruna, Gualti, Tere, Dario, Lucia, Paolo, Silvia, Stefy e Simonetta, ma sopratutto chi ha acquistato "un fiore per Valeria"». Davvero le parole hanno il potere di cambiare le cose qualche volta.

Nonna Angelina e Angela Concas (le ali sono solo invisibili)

Vittoria-Ragusa

Quando Daniele La Lota dice che non esistano confini nella sua lotta quotidiana alla fibrosi cistica, poi lo dimostra anche. La Delegazione si è ingrandita, raggiungendo non solo la provincia di Siracusa, ma anche Catania, provincia e città. Così, a condividere il suo ruolo di responsabile si è aggiunta Michela Puglisi: l'Etna fatto donna.

fatto donna. "Correte incontro a quei due" viene da consigliare: faranno tesoro del vostro tempo. Tra i nuovi numerosissimi volontari che continuano a raggiungerli un grazie speciale va a Giusy Clarke Vanadia, per avere ideato il "Progetto Peter Clarke" di educazione alla salute, alla solidarietà e al teatro nelle scuole superiori in collaborazione con il "Piccolo Teatro di Catania", e ad Anna Piantadosi, autrice di due testi in cui la fibrosi cistica ha parte fondante. Dieci mesi e l'adozione per 20 mila euro del progetto FFC#2/2011 è stata completata. Com'è stato possibile? Dice Daniele: «Mettendo sempre di mezzo noi stessi e il nostro cuore e grazie al nostro impegno fatto mezzo noi stessi e il nostro cuore e grazie al nostro impegno fatto di sacrifici e di umiltà. Oltre a partecipare alla campagna nazionale di sacrifici e di umiltà. Oltre a partecipare alla campagna nazionale natalizia e a quella pasquale, a organizzare banchetti e interventi nelle scuole, siamo anche riusciti a realizzare tre grandi eventi». Il 26 maggio c'è stato "Insieme per donarti un respiro", che ha avuto per cornice il teatro comunale di Vittoria (quello dove hanno girato tante scene de "Il commissario Montalbano"): partecipazione gratuita di 42 artisti e tutto esaurito. A complimentarsi c'è stato pure il sindaco Giuseppe Nicosia. Sono stati 4200 gli euro raccolti, per una lunghissima lista di persone da ringraziare (le trovate online, nominate tutte nella pagina della Delegazione, all'interno della Community FFC, tra gli eventi). Qui citeremo soltanto i giornalisti La Lota Pippo e Nadia D'Amato, che tanto si sono spesi per far conoscere l'evento.

conoscere l'evento.

Il 13 maggio Michela, che non sta mai ferma, era pronta a coordinare la presenza di uno sciame di volontari in 12 scuole catanesi. Le aveva contattate e sensibilizzate al problema della Fc a partire da febbraio, per ottenere di poter offrire piantine fiorite ai bambini da donare alle mamme in occasione della loro festa. Sono stati porti 2700 fiori per 4000 euro raccolti. Un vulcanico grazie alla famiglia Puglisi - Cunsulo, per essersi scissa in tutte le sue cellule per aiutare. Due battute sul "Progetto Peter Clarke". Dice Daniele: «I ragazzi, se sensibilizzati, hanno un grande cuore. In una mattina abbiamo raccolto 1500 euro. Mi ha commosso la stima dimostrata nei nostri confronti».

Una parte dello stormo di volontari sollevato da quella movimentatrice di solidarietà che è Michela Puglisi, in occasione della festa della mamma



26 maggio, teatro comunale di Vittoria (RG), foto ricordo della se-conda edizione di "Insieme per donarti un respiro", lo spettacolo a tutta musica ideato da Daniele La Lota



Da sinistra: l'attivissima professoressa Giusy Vanadia Clarke, mente e cuore del "Progetto Peter Clarke", Daniele La Lota, il professor Magazzù, la piccola Giada e Michela Puglisi



Soverato

Il calcio rosa ha giocato la sua partita contro la fibrosi cistica il 13 maggio a Cenadi (CZ). Le ragazze dell'Athena Calcio e quelle dello Sporting Locri hanno dato spettacolo. Numeroso il pubblico accorso. Vinta anche la simpatia delle istituzioni cittadine che hanno patrocinato l'evento. I 500 euro raccolti hanno contribuito al finanziamento del progetto di ricerca adottato dalla Delegazione di Soverato, che è nata da poco, ma si sta dando moltissimo da fare con tenacia, costanza, pazienza e grande spirito di condivisione. Nelle foto le calciatrici e il gruppo di volontari FFC





Il "Bingo della Solidarietà" organizzato da Francesca Mandaliti con il fantastico gruppo Scout del Satriano 1 (CZ), in occasione della XX Giornata Mondiale del Malato.

Communicativo de l'Malato. La manifestazione si è svolta presso la parrocchia di Santa Maria della Pace, sotto la carismatica guida del parroco don Michele Fontana. Tre giri di tombola per 440 euro raccolti a sostegno del progetto FFC#10/2010





Palermo

Emiliano Lo Monaco, fresco responsabile del Gruppo di Sostegno di Palermo, è uno che dice sempre "grazie", senza accorgersi che sono quanti lo incontrano a sentirsi in debito di gratitudine con lui. Organizzatissimo, puntuale e preciso come un orologio svizzero, ha Organizzatissimo, puntuale e preciso come un orologio svizzero, ha però la caparbietà dei vini siculi e così, per il 29 marzo, ha realizzato presso il prestigioso teatro palermitano "Politeama" una serata dedicata alla ricerca sulla fibrosi cistica straripante di ospiti e di pubblico. Sono intervenuti Giulio Migliaccio e Massimo Donati de "Il Palermo Calcio", Paolo Belli, i Tinturia con Lello Analfino, Edoardo Musumeci, Gianpiero Risico, Domenico Cacciatore, Angelo Spataro. Ha brillantemente condotto la serata Massimo Minutella. Grazie anche agli amici attori Antonio Pandolfo, Stefano Piazza e Sergio Vespertino. L'incasso della serata, di quasi 12 mila euro, ha sostenuto il Servizio Colture Primarie.

10 giugno, piazza Rettore Evola, Balestrate (PA), alcuni volontari del Gruppo di Sostegno di Palermo con Salvo Sassadoro, autore del libro "E chista 'un la sapia", che racconta del paesino di Balestrate dalle origini ai nostri giorni, interrogandosi sulle prospettive della ridente località sul mare. L'autore ha voluto devolvere l'intero ricavato della vendita del libro alla Fondazione FFC. Lo ringraziamo per la grande sensibilità e con lui il sindaco di Balestrate Totò Miliargolla. Miliargolla di propietta Carlo a Roberta Gostano a Mariangola Miliargolla di Carlo a Roberta Gostano a Mariangola di Carlo a Roberta Gostano a Roberta Gostan disponibilità e i volontari Carlo e Roberta, Gaetano e Mariangela, Mi-chele e Marianna, Giuseppe e Rossella, Michela e Gianni per esserci stati e avere terminato tutti i libri a disposizione



I calciatori del Palermo Giulio Migliaccio e Massimo Donati, in rappresentanza della squadra, allo spettacolo "Donaci un respiro", hanno donato due maglie autografate, messe in asta a favore della ricerca FFC



Davide Della Morte, responsabile della Delegazione di Ca-gliari, era al suo primo grande evento. Non ci ha dormito la notte per riuscire a metterlo in piedi ma il risultato è valso la veglia. L'11 maggio, il Teatro Massimo di Cagliari ha accolto lo spettacolo "Racconto di Suoni" con inaspettato calore. Dice Davide: «In Sardegna non era mai stato fatto un even-

to così grande, in un teatro così importante, per promuovere la ricerca sulla fibrosi cistica. La malattia è an-

promuovere la ricerca sulla fibrosi cistica. La malattia è ancora poco conosciuta e per questo siamo soddisfatti anche per essere riusciti a fare informazione attraverso interviste radio, televisive e per i giornali».

Toccante l'intervento di Cristina Loche, che ha raccontato la sua esperienza di vita con la FC focalizzando l'attenzione sulle speranze che ogni paziente ripone nella ricerca: l'unica speranza. Tutti gli artisti sono intervenuti a titolo completamente gratuito. Per questo, e per l'energia di cui hanno fatto dono, siamo loro grati. Ugualmente in debito di professionalità e gentilezza siamo nei confronti del signor Karim Galici, responsabile del Teatro Massimo, che ancora ringraziamo per la grande sensibilità dimostrata. ringraziamo per la grande sensibilità dimostrata.



SARAS S.p.a. Raffinerie Sarde

Il fascino di Antonella Contini avrà certo aiutato a con-vincere Giovanni Angioni e gli amici del Centro ricrea-tivo aziendale SARAS a versare parte delle loro quote a favore della ricerca sulla fibrosi cistica. In realtà sappiamo con quanta passione siano stati avvicinati alla causa. Diamo loro il benvenuto e li ringraziamo per la donazione di 500 euro, che ha contribuito all'adozio-ne del progetto di ricerca finanziato dalla Delegazione FFC di Cagliari.



eventi felici



26 luglio 2012

Buon compleanno a nonna Elpidia Tammetta, che il 26 luglio è diventata centenaria!



Duomo di Cosenza 2 giugno 2012

Cresima di Giorgia Gallo



Basilica di san Giuseppe, Seregno (MI) 18 settembre 2011

Battesimo di Sofia



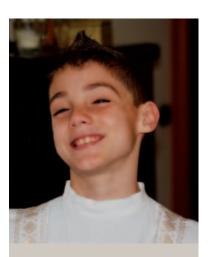
Nemi (RM) 13 maggio 2012

Prima comunione dei gemelli Giulia e Simone Sidera



Castellanza (VA) 6 maggio 2012

Prima comunione di Andrea Potenza



Varese 6 maggio 2012

Prima comunione di Tommaso Matta



Chiesa di Cristo Re, Trento 3 giugno 2012

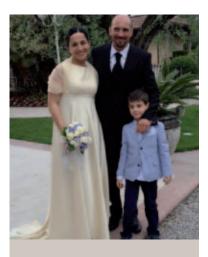
Battesimo di Sofia Cestari

Nei momenti felici, basta poco per essere più felici: dona alla ricerca.



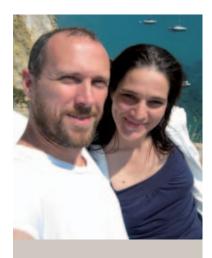
Sanarica (LE) 9 giugno 2012

Cresima di Davide Damiano



Montebelluna (TV) 25 maggio 2012

Eleonora Faggiana e Marco Cagni nel giorno del loro matrimonio



Sermoneta (LT) 6 maggio 2012

Gli sposi Georgia Cardosi e Ben Charest



Università La Sapienza di Roma 23 febbraio 2012

Complimenti alla dottoressa Vanessa Tuccio, per la laurea magistrale in Biologia cellulare, conseguita con tesi sulla fibrosi cistica



Gli sposi Sara Nevolo e Antonio Rota





Chiesa di santa Maria di Loreto, Guidonia (Roma) 19 novembre 2011

Battesimo di Matteo Lamberti

Contatta la Fondazione, tel 045-8123604 - fondazione.ricercafc@ospedaleuniverona.it



fondazione per la ricerca sulla fibrosi cistica - onlus

presso Ospedale Maggiore, Piazzale Stefani, 1 - 37126 Verona

Codice fiscale: 93100600233

Consiglio di Amministrazione Presidente Vittoriano Faganelli Vicepresidente Matteo Marzotto Consiglieri Eugenio Bertolotti, Andrea Bolla, Luigi Bozzini, Sandro Caffi, Paolo Del Debbio, Giuseppe Ferrari, Anna Maria Giunta, Gianni Mastella, Michele Romano, Luciano Vettore

Direzione scientifica Direttore scientifico Gianni Mastella

Comitato di consulenza scientifica **Presidente** Lucio Luzzatto Consulenti Giorgio Berton, Paola Bruni, Roberto Buzzetti, Gerd Doering

SERVIZI FFC

Presidenza e Segreteria (V. Faganelli, G. Cadoni, F. Lavarini)

Tel.: 045 8123438-3597 - Fax 045 8123568 fondazione.ricercafc@ospedaleuniverona.it gabriella.cadoni@fibrosicisticaricerca.it federica.lavarini@fibrosicisticaricerca.it

Direzione Scientifica (G. Mastella) Tel. 045 8123567

gianni.mastella@ospedaleuniverona.it Vicedirettore Scientifico (G. Borgo)

Tel. 045 8127027 - 346 5126013 borgograziella@gmail.com

Direzione di Gestione (G. Zanferrari) Tel. 045 8127028 – 333 3665597

giuseppe.zanferrari@gmail.com

Amministrazione (E. Fabietti, G. Cadoni)

Tel. 045 8123597 - 7029

gabriella.cadoni@fibrosicisticaricerca.it

Comunicazione

(M. Zanolli, R. Perbellini,

F. Lavarini, M. Cevese)

Tel. 045 8123599 - 7026 - 7025 - 3438 comunicazione.ffc@ospedaleuniverona.it

Ufficio stampa (P. Adami)

Tel.: 045 581893

patrizia@clabcomunicazione.it

Eventi/fund raising (G. Buemi, L. Fratta)

Tel. 045 8127033-7032

giusy.buemi@fibrosicisticaricerca.it

346 5121780

laura.fratta@fibrosicisticaricerca.it

346 5122996

Coordinamento delegazioni, Gruppi, Volontari FFC (J. Bianchetti, M. Giacopuzzi, A. Chevalier)

Tel. 045 8123605-3604

346/5115225

jessica.bianchetti@fibrosicisticaricerca.it marina.giacopuzzi@fibrosicisticaricerca.it

sito internet:

www.fibrosicisticaricerca.it



DONARE CON FIDUCIA

Certificazione IID 2008/10 Aderiamo agli standard della Carta della Donazione



Presidente VITTORIANO FAGANELLI



Vicepresidente MATTEO MARZOTTO

240 2040740



Direttore Scientifico GIANNI MASTELLA

Delegazioni	della	Fondazion	е
Avellino			

Avellino	349 3940749
Bari - Molfetta	347 6174356
Belluno	0437 943360
Bergamo - Trescore Balneario	338 4276716
Bergamo - Villa D'alme'	335 8369504
Biella	334 2763589
Bologna	348 1565099
Cagliari	329 6241193
Catania	340 7808686
Catanzaro - Soverato	347 5283975
Cecina	340 6113886
Cosenza	349 0519433
Cosenza 2	347 9041138
Cuneo - Alba	333 6301943
Fermo	339 4758897
Ferrara	347 4468030
Foggia	320 4848190
Genova	348 1634818
lmola	
Latina	328 8042186
Lecce	
Livorno	0586 808093
Lodi	347 0969534
Lucca	340 3436289
Mantova	335 7077280
Messina	240.7400275
Milano	005 450000
AT II	000 0000017
Napoli - Pompei	081 679151
Novara	331 7287449
Novara Padova - Monselice	042 974085
Parma	0521 386303
Pavia	338 3950152
Pesaro	347 0191092
Pescara	0.47 0500400
Ragusa - Vittoria	338 6325645
Reggio Calabria	
Reggio Emilia	0522 874720
Roma 1	06 30889168
Roma 2	339 7744458
Roma - Monterotondo	
Romagna	338 8041788
Rovigo	349 1252300
Salerno	220 4220442
Sondrio - Valchiavenna	338 3133275
Taranto	320 8715264
Teramo	349 6067242
Torino	328 8352087
Trapani - Marsala	333 7240122
Treviso - Montebelluna	
Treviso - Trevignano	340 6749202
Verona	347 8480516
Verona	

Gruppi di sostegno della Fonda		
Viterbo	339	2107950
Vicenza	338	9055306
Vibo Valentia	347	0896060
Verbania E V.C.O.	338	2328074
Venezia	347	9241940
Varese	347	8347126
Verona - Valpolicella		3316451
Verona - Valdadige		6750646
Verona - Legnago		7140334
Verona - Lago Di Garda		7632784
Verona - Cerea "Il Sorriso di Jenny"		4312185
Verona - Bussolengo		2316828

Gruppi di sostegno della Fondazione				
Arezzo	331 3700605			
Barletta	0883 519569			
Bergamo - Isola Bergamasca	349 5002741			
Bologna - Monte S. Pietro	051 6760729			
Bolzano - Val Badia	0474 520127			
Brindisi - Latiano	329 7027837			
Como - Dongo	333 6846302			
Cremona - Genivolta	347 9345030			
Crotone	340 7784226			
Ferrara - Comacchio	339 6511817			
Foggia - Manfredonia	347 50125700			
Foggia - San Severo	334 9370137			
Genova	010 3538371			
Genova - Cavi Di Lavagna	349 3152910			
Genova - Valle Scrivia	347 3095778			
Gorizia - Grado	328 6523404			
Imperia	333 2163849			
Imperia - Ospedaletti	335 5881657			
Torino - Ivrea	335 7716637			
La Spezia - Sarzana	388 6036651			
Matera - Montescaglioso	329 6016214			
Milano - Brugherio	338 9521124			
Milano - Bussero	340 5327647			
Milano - Seregno	338 4848262			
Napoli - Cicciano	335 6551613			
Oristano - Riola Sardo	349 2550467			
Palermo	338 4124077			
Perugia - Citta' Di Castello	320 9273469			
Rovigo - Adria	377 1025710			
Savona - Spotorno	338 8775863			
Torino - Chivasso	011 9172055			
Trento - Ass.Ne Trentina Fc	340 5228888			
Varese - Samarate "Terremoto Team"	345 2287044			
Venezia	349 8707627			
Venezia - S. Maria Di Sala "Andrea"	347 4677611			
Venezia - Spinea	338 1787189			
Verona "Rita"	347 6064471			
Verona - Val D'alpone	328 9688473			
Vicenza - Sarcedo	333 2679212			

PER DONAZIONI E VERSAMENTI

- c/c postale n. 18841379
- SWIFT-BIC code (per pagamenti dall'estero) UNCRITM1N58
- Bonifico Unicredit Banca (senza commissione presso questi sportelli): IT 47 A 02008 11718 000102065518
- Bonifico Banco Popolare di Verona: IT92H0503411708000000048829
- On-line sul sito: www.fibrosicisticaricerca.it
- 5x1000 alla FFC n. 93100600233

Le donazioni sono deducibili fino al 10% del reddito complessivo e comunque non oltre 70.000 euro/anno (art. 14 legge n. 80/2005) 10^a settimana della ricerca italiana per la Fibrosi Cistica

Un ciclamino per vincere la Fibrosi Cistica.

Nelle piazze italiane 20-21 ottobre 2012



Invia uno o più SMS da 1€ o CHIAMA da rete fissa e dona 2€ al 45591 dal 14 al 28 ottobre 2012.





















www.fibrosicisticaricerca.it



Il ricavato sarà devoluto interamente alla Fondazione Ricerca sulla fibrosi cistica



FFC e LIFC insieme per la ricerca. Più respiro, più vita.



