Notiziario FFC

Fondazione Ricerca Fibrosi Cistica - Onlus

ITALIAN CYSTIC FIBROSIS RESEARCH FOUNDATION
Presso Ospedale Maggiore - P.le Stefani 1 - 37126 Verona

n° 37 - settembre 2013

Bollettino quadrimestrale della Fondazione Ricerca Fibrosi Cistica - Poste Italiane SPA -Spedizione in A. P.- DL 353/2003
(conv. in Legge 27/02/04 n. 46) art. 1 comma 2 - NE/VR. COPIA OMAGGIO

4

14

28

36

ricerca & congressi

3 **I dubbi e le speranze della ricerca**
L'editoriale

4 **La ricerca clinica fa da padrona**
Congresso di Lisbona

6 **Tutte le combinazioni del farmaco della speranza**
Novità su Kalydeco

8 **Accanimento o crocevia del progresso scientifico?**
Il punto sulla sperimentazione animale

10 **Le nuove frontiere della scienza di base**
Meeting di Malaga

11 **Tre domande & risposte**
Dubbi on line

interviste & eventi

14 **Un investigatore a caccia di prove**
Intervista a Roberto Buzzetti

16 **Approvati 24 progetti per un milione 510 mila euro**
Dal Comitato scientifico FFC

17 **Tutti i progetti FFC 2013**
Adozioni in offerta

27 **MIUR riconosce FFC**
Novità dal Ministero

28 **Intervista a tre, con Rachele S. e famiglia**
19 anni con la fibrosi cistica

30 **Flash di fine maggio**
Dal Raduno di Verona

32 **Salgono proventi e spese per la ricerca**
Bilancio 2012

34 **La carica dei 101**
La raccolta fondi dei volontari

36 **La grande sfida di ottobre**
XI Campagna Nazionale FFC

38 **Feste, amore e fantasia**
Come si finanzia la Ricerca

49 **Eventi felici**
L'album della famiglia FFC

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

Direttore Responsabile Andrea Sambugaro
Redazione Marina Zanolli, Rachele Perbellini, Stefania Chignola
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)

Lucio Luzzatto

I DUBBI E LE SPERANZE DELLA RICERCA

Gli obiettivi della Fondazione Ricerca Fibrosi Cistica sono enunciati chiaramente nel suo statuto e sono sintetizzati al meglio nell'immagine di quel bambino che diceva *vorrei guarire dalla fibrosi cistica*. Perché è così difficile?

Come genetista non specialista della FC, appartengo alla generazione che ha vissuto tre fasi dello studio di questa come di altre malattie ereditarie importanti. La prima fase (anni '60-'80 del secolo scorso) è stata quella della fisiopatologia clinica: si osservavano le molteplici manifestazioni della malattia e si cercava di capire quale fosse il nesso tra i problemi respiratori, i problemi intestinali, i problemi pancreatici; nell'intento di trovare un meccanismo unitario che li potesse spiegare, si scoprì che i cloruri erano alterati in molte secrezioni, come del resto testimoniato negli anni '50 dal test del sudore, usato tuttora.

La seconda fase fu quella della "caccia al gene": i progressi delle tecnologie genetiche permisero, usando solamente il DNA di soggetti di numerose famiglie con fibrosi cistica, prima di mappare il gene al cromosoma 7 e poi di isolarlo e conoscerne appieno la struttura. Il lavoro fu coronato da successo nel 1989, e il gene fu chiamato CFTR (*Cystic Fibrosis Tramsmembrane conductance Regulator*): i protagonisti passati alla storia furono Lap-Chi-Tsui, Jack Riordan e Francis Collins (per il quale fu questo il trampolino di lancio che lo portò a gestire l'intero progetto Genoma Umano, conclusosi nel 2001).

La terza fase, quella "dopo il gene", è ancora in corso: facendo leva su tutto quanto si è appreso dalla struttura del gene, dalle sue mutazioni, dai modelli animali costruiti con l'ingegneria genetica, si mira finalmente ad una cura radicale. In questa fase, l'introduzione nel 2012 dell'*ivacaftor*: il farmaco che – benché adatto solo a una piccola minoranza dei pazienti – ha rappresentato una svolta foriera di speranza anche per tutti gli altri.

In questo settore una è la domanda che più spesso ricorre: ma perché passa tanto tempo? E questo interrogativo ne implica un altro: ma allora a che cosa servono i progressi tanto decantati della biologia e della genetica molecolare? In prima approssimazione, il lavoro di un biologo che vuole capire come opera il gene CFTR è simile a quello di un ingegnere che vuole capire come funzioni una macchina abbastanza complicata costruita da qualcun altro: e in questo lavoro ad oggi siamo arrivati abbastanza alla pari. Se però poi quella macchina non sta funzionando alla perfezione, l'ingegnere, una volta individuato il pezzo difettoso, ha varie opzioni: potrebbe rinforzarlo, oppure correggerne la posizione, o al limite sostituirlo. Concettualmente lo studioso della CF è nella stessa situazione ma, quando passiamo dalla teoria alla pratica, ci sono molte differenze tra una macchina di cui possiamo osservare e manipolare tutti i componenti e un organismo umano fatto di tessuti e di cellule, assai più complicato di qualsiasi macchina artefatta.

Lucio Luzzatto, tra Giorgio Berton e Paola Bruni del Comitato Scientifico FFC. Sullo sfondo, il manifesto che celebra la scoperta del gene CFTR nel 1989

Dobbiamo riconoscere allora che la fase 2 è stata cruciale perché ha identificato il pezzo difettoso; ma solo durante la fase 3 si è scoperto che i difetti non erano tutti uguali: in alcuni pazienti il pezzo era un po' deformato o indebolito, in altri fuori posto, in alcuni addirittura mancante.

È chiaro che queste conoscenze erano un requisito per un intervento terapeutico: l'*ivacaftor*, capace di potenziare un CFTR che ha un difetto causato da una specifica mutazione debilitante, potrebbe fare da apripista per potenziatori di altri difetti (dovuti ad altre mutazioni). Oggi una sfida nuova è trovare invece il modo di correggere il difetto di un CFTR che è fuori posto: se si trattasse di una macchina artefatta sarebbe probabilmente facile per l'ingegnere rimetterlo a posto, ma è ben più difficile realizzare la correzione mediante un farmaco in ogni singola cellula.

Questa sfida è particolarmente importante poiché la famosa mutazione ΔF508, la più frequente, mette appunto il CFTR fuori posto: più esattamente, non avendo la silhouette giusta, difficilmente esso riesce a raggiungere la membrana cellulare dove dovrebbe svolgere la sua funzione di canale per il cloro. Rinforzare o rimettere a posto un CFTR difettoso sono interventi ormai a portata; assai più ambiziosa, se pur non nuova, è l'idea di sostituirlo: in altre parole la terapia genica. Questa ha avuto successo sinora solo nel settore ematologico; ma conoscenze nuove sulle cellule staminali di altri tessuti potrebbero rendere accessibile la terapia genica anche nel settore CF, con modalità diverse da quelle già tentate con scarso successo. Come membro del Comitato Scientifico della FFC posso dire che non ci dimentichiamo mai di chi vorrebbe guarire dalla fibrosi cistica.

Lucio Luzzatto è presidente del Comitato Scientifico FFC e Direttore Scientifico dell' Istituto Toscano Tumori

Graziella Borgo

LA RICERCA CLINICA FA DA PROTAGONISTA

Davanti al palazzo dei Congressi, il ponte sul Tago costruito nel 1974, dedicato alla nascita della democrazia in Portogallo

Si è tenuto a Lisbona il 36° appuntamento con la European Cystic Fibrosis Conference 2013, dedicato quest'anno soprattutto alle esperienze cliniche, meno presente la ricerca di base. In riva al Tago, si sono ritrovati oltre 2.400 partecipanti tra medici, infermieri, fisioterapisti, dietisti, psicologi, genetisti, biologi e ricercatori, di cui quasi l'80% provenienti da paesi europei; più numeroso il gruppo inglese, al quinto posto gli italiani con 165 presenze.

L'intervento di Luis Galietta

Nell'ambito della ricerca di base, sono stati presentati i risultati *ad interim* (preliminari) dei trial di fase II con i correttori VX-661 e VX-809 (Lumacaftor) in soggetti con doppia ΔF508: se impiegati ciascuno da solo, hanno mostrato efficacia modesta sul test del sudore e sulla funzionalità respiratoria; l'efficacia è risultata maggiore per entrambi quando sono stati usati in combinazione con il potenziatore Kalydeco.
È di fatto quindi aperta una grande gara per la ricerca di nuovi correttori; gara che vede coinvolti gruppi di ricerca americani - M. Boyle, Università di Baltimora e F. Van Goor, di San Diego, in collaborazione con Vertex - ma anche con altre grandi industrie farmaceutiche come Pfizer e Pharmaxis.
In questo panorama s'inseriscono autorevolmente gli avanzamenti portati da Luis Galietta, dell'Istituto Gaslini di Genova e ricercatore di punta della Fondazione italiana FC, autore di una relazione nella principale sessione dedicata a questo tema.
Per le mutazioni stop, risultati *ad interim* del trial di fase III con somministrazione "in aperto" di Ataluren (PTC 124). Dopo un anno (durata complessiva prevista due anni) la funzionalità respiratoria si mantiene pressoché stabile, anche se sembrano esserci alcune evidenze di miglioramento della morfologia polmonare indagata radiologicamente. La valutazione di efficacia risulta nel complesso ancora incerta.

I successi del Kalydeco

Conferme dell'ottimo effetto di Kalydeco per i soggetti con mutazione G551D provengono, invece, dalla realtà clinica: l'esperienza più consistente la portano inglesi e irlandesi che lo stanno somministrando anche a pazienti con malattia severa, ottenendo brillanti risultati sia sul piano respiratorio sia su quello nutrizionale. È interessante come Kalydeco induca un aumento di peso in tutti coloro che lo assumono: da questa osservazione i più autorevoli gastroenterologi FC hanno tratto spunto per dire che Kalydeco, somministrato molto precocemente, in un'epoca in cui il tessuto pancreatico è almeno in parte ancora plastico e vitale, può prevenire l'instaurarsi dell'insufficienza pancreatica.
Per ora sono solo ipotesi, ma presto probabilmente potremo avere anche dati sperimentali.
Evidenze si stanno lentamente raccogliendo anche per quanto riguarda la possibilità di ottenere staminali capaci di rigenerare tessuto polmonare (ne hanno riferito Roberto Loi, dell'Università di Cagliari, portando i risultati di un progetto finanziato da FFC, e Massimo Conese, dell'Università di Foggia).

"Segregation works, but has a price"

Sono arrivate inoltre numerose prove, portate da più gruppi, sull'opportunità di aggredire con terapia antibiotica "eradicante" la prima infezione da *Pseudomonas*: ci sono vari protocolli di trattamento, tutti con efficacia molto simile, e tutti fanno guadagnare tempo prezioso. Conferme anche dell'opportunità della "segregazione" (orribile termine!) dei pazienti con batteri pericolosi: proprio gli inglesi che, data la loro politica di spinta alla socializzazione delle persone con FC, erano stati i primi a segnalare la gravità del problema, ora portano ricerche che dimostrano come la segrega-

Hall del Congresso

zione funzioni per arrestarlo, pur facendo pagare ai malati un grosso costo ("segregation works, but has a price" ha detto J.Govan, di Edimburgo).
Molti contributi interessanti sono arrivati su quella che con l'età è la più frequente delle complicanze FC: il diabete.
Un importante trial multicentrico europeo (durata due anni) sta valutando l'efficacia di trattarne la prima comparsa con un antidiabetico orale (Repaglinide) in confronto all'insulina: dopo un anno, Repaglinide non sembra essere meno efficace dell'insulina (sul piano metabolico e anche respiratorio).
Al momento, le conclusioni su questo problema, sempre molto dibattuto, sono tutte aperte.

Dato l'orientamento molto clinico del congresso, molte sono state le relazioni e i poster sul tema dell'aderenza dei malati alle terapie, sul modo di valutarla e di incentivarla.
In particolare, sull'aderenza al programma nutrizionale ci son stati due contributi italiani: la relazione di V. Lucidi, del Bambino Gesù di Roma e il poster, premiato come migliore sul tema, di M. Daldoss e S. Perobelli, Verona.

Per tutti quelli che volessero avere notizie su altri e più specifici aspetti clinici, trattati al congresso ma qui non segnalati, è aperta la posta del nostro sito per inviare domande.

CFDB: tutto quel che si sa sulla fibrosi cistica

Quest'anno la Fondazione si è fatta notare al Congresso Escf di Lisbona con uno stand dedicato al progetto CFDB, il database creato e finanziato dalla Fondazione FFC, che raccoglie e consente di consultare facilmente la letteratura scientifica sulla ricerca in fibrosi cistica, offrendo anche criteri di valutazione di esperti sull'efficacia clinica dei diversi interventi.
La direzione della Società Europea ha infatti concesso gratuitamente uno spazio da dedicare alla presentazione del progetto. Il responsabile di questo servizio alla ricerca – dr. Roberto Buzzetti, esperto di epidemiologia e ricerca clinica e membro del Comitato Scientifico FFC – ha così avuto la possibilità di esporre ai numerosi visitatori le funzionalità del programma. A supporto, sono stati usati volantini in tre lingue e un maxischermo dove mostrare in pratica il funzionamento del database. Non è mancato, durante i tre giorni di presidio dello stand, l'appoggio dei componenti il team di progetto: Valeria Raia, Laura Minicucci, Natalia Cirilli, Donatello Salvatore.
Buono è stato l'interesse dei visitatori nei confronti di questa *facility*; convinto è stato il loro impegno ad utilizzare la *library* on line CFDB presso le proprie sedi di lavoro, a fornire pareri e stimoli sul questo archivio scientifico, primo e unico nel suo genere.
CFDB è disponibile ad accesso gratuito all'indirizzo www.inetflow.it/CFDB).

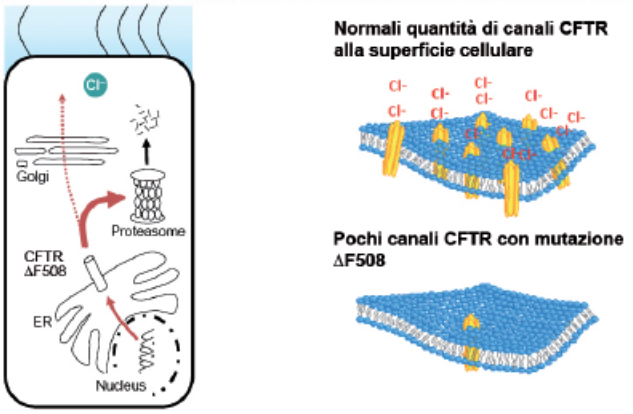
VOTO POSITIVO PER IL PRIMO CYSTIC FIBROSIS DATABASE

Da sinistra, il clinico e ricercatore inglese John Dodge, Roberto Buzzetti e la figlia Anna che l'ha coadiuvato nella gestione dello stand

TUTTE LE COMBINAZIONI DEL FARMACO DELLA SPERANZA

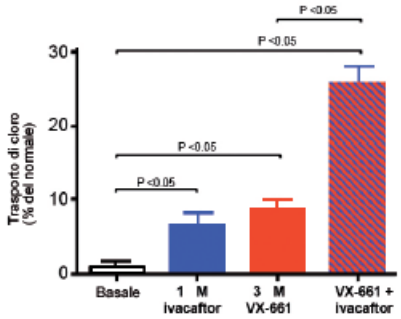
La Conferenza europea di Lisbona è stata occasione per la presentazione degli attesi dati preliminari dei trial in corso con Kalydeco come potenziatore, usato in combinazione con due correttori – presenti separatamente in due studi clinici di fase 2 – di mutazione ΔF508, rispettivamente VX809 e VX-661. In quella sede abbiamo assistito all'esposizione di due autorevoli ricercatori, molto apprezzata dai partecipanti all'appuntamento portoghese, che ora l'azienda Vertex ha anche diffuso on line a questo indirizzo web: http://orphandruganaut.wordpress.com/2013/06/19/vertex-pharmaceuticals-cystic-fibrosis-presentation-slides/

La mutazione ΔF508 comporta che sulla superficie cellulare vi sia pochissima o assente proteina CFTR

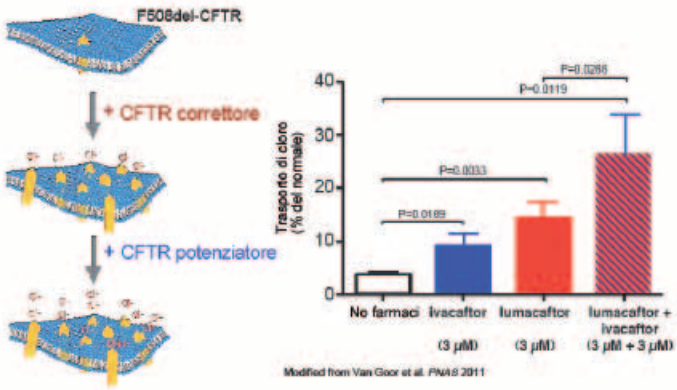


Modello di cellula epiteliale e percorso della proteina CFTR-ΔF508: viene prodotta in maniera difettosa nel nucleo, non matura, viene distrutta nel proteasoma e solo in minima parte raggiunge la superficie cellulare

Aumento nel trasporto del cloro in colture cellulari in vitro con mutazione ΔF508 omozigote, trattate con correttore VX-611 in combinazione con potenziatore Ivacaftor



Aumento nel trasporto del cloro in colture cellulari in vitro con mutazione ΔF508 omozigote, trattate con correttore Lumacaftor (VX-809) in combinazione con Ivacaftor



I ricercatori hanno detto che nei pazienti – rispetto al test del sudore e alla funzionalità respiratoria, ovvero gli indicatori di efficacia usati per valutare se la combinazione di due farmaci funziona – qualcosa di buono succede. E succede anche con l'ausilio del solo correttore: si rileva in sostanza una diminuzione media di qualche punto per il test del sudore e il guadagno di qualche punto della funzionalità respiratoria. (Risultati clinici preceduti dai risultati in vitro, illustrati in questa pagina).

L'efficacia dei due correttori può essere messa sullo stesso piano: il VX-661, benché più recente, non è meglio del VX-809. Per quanto riguarda Kalydeco, si conferma utile l'idea di somministrarlo in aggiunta al correttore con una Terapia Combinata: si ottiene in questo modo il guadagno di qualche altro punto percentuale nella funzionalità respiratoria e nella diminuzione del cloro nel sudore.

Si tratta al momento di trial di fase II, in cui i pazienti inseriti sono molto pochi; i risultati presentati potrebbero perciò risultare diversi se prodotti da una casistica più ampia. Nonostante questa precisazione, i dati sono comunque sufficienti a individuare un preciso messaggio, in parte esaltante e in parte realistico sul piano scientifico.

L'aspetto esaltante è dato dalla dimostrazione che correggere la mutazione ΔF508 è possibile. Prima di questa svolta, vi erano scienziati che ritenevano pressoché impossibile intervenire con un farmaco e agire su di una serie di eventi molto complessi che riguardano la maturazione della proteina CFTR (ΔF508 mutata) all'interno della cellula. E invece questo è successo.

L'aspetto realistico è che ciò è accaduto in misura modesta: probabilmente perché i correttori individuati non sono ancora del tutto efficaci. Serve cercarne di migliori e forse occorre più di un correttore.

L'aggiunta del potenziatore Kalydeco risulta in ogni caso utile. Il Kalydeco è attivo sulla mutazione G551D, mutazione di "*gating*",vale a dire influente sull'apertura di CFTR-canale del cloro. Come ormai si sa, G551D è mutazione abbastanza rara (in Italia ci sono in tutto 7 pazienti, in tutto il mondo sono stimati essere circa 2000). Ma sono in corso altri trial con mutazioni

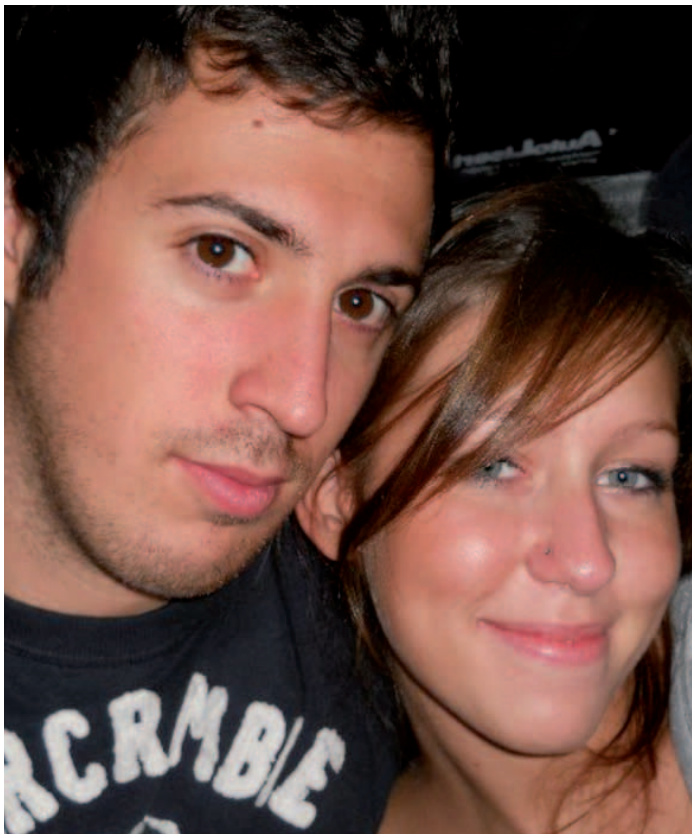
di "*gating*" diverse da G551D: sempre Vertex ha diffuso via web risultati preliminari del trial di fase III (clinicaltrials.gov, NCT01614470) in cui Kalydeco è stato sperimentato in mutazioni sempre con difetto di "*gating*" ma diverse da G551D (G178R, G551S, S549N, S549R, G970R, G1244E, S1251N, S1255P, or G1349D).
I risultati sono molto buoni: dopo due mesi di trattamento, il guadagno della funzionalità respiratoria è in media di circa dieci punti percentuali in confronto con il placebo e c'è anche miglioramento del peso (effetto visto anche in pazienti G551D).
Nemmeno i soggetti che hanno mutazioni "*gating*" diverse da G551D sono numerosi: il comunicato Vertex parla di circa 400 soggetti in tutto il mondo. Al di là di questi numeri, il messaggio di base è di grande interesse: l'efficacia di Kalydeco, usato in monoterapia come potenziatore, gradualmente si estende ad altre mutazioni. Perché questa estensione assuma dimensioni numeriche consistenti, molto importanti saranno i risultati dei trial attualmente in corso o pianificati, riguardanti in un caso la mutazione R117H, (mutazione con una certa diffusione), nell'altro caso tutte le mutazioni caratterizzate dalla produzione di una proteina che comunque arriva a posizionarsi sulla membrana della cellula, quindi mutazioni con "presenza di funzione residua" (R117H, E56K, P67L, D110E, D110H, R117C, R347H, R352Q, A455E, D579G, S945L, L206W, R1070W, F1074L, D1152H, S1235R, D1270N, 2789+5G->A, 3849+10kbC->T, 3272-26A->G, 711+5G->A, 3120G->A, 1811+1.6kbA->G, 711+3A->G, 1898+3A->G, 1898+1G->A, 1717-1G->A, 1717-8G->A, 1342-2A->C, 405+3A->C, 1716G/A 1811+1G->C, 1898+5G->T, 3850-3T->G, IVS14b+5G->A, 1898+1G->T, 4005+2T->C, 621+3A->G, 621+1G->T).
Se questi trial daranno risultati positivi, come tutti speriamo, si potrebbe stimare (le stime sono dell'azienda Vertex) che i soggetti che ne trarranno vantaggio siano dal 7 al 14% di tutti i malati FC.

PILLOLE A PESO D'ORO

Tra i farmaci che hanno prodotto maggior fatturato a un anno dalla loro approvazione, il Kalydeco figura al primo posto.
La classifica, pubblicata da GEN, portale d'informazione sull'ingegneria genetica e le biotecologie, spiega anche la ragione per cui questo farmaco si è piazzato al primo posto nella classifica mondiale delle vendite: il suo prezzo astronomico, ovvero 294 mila dollari per paziente per ogni anno di cura. Vertex, l'azienda che lo produce, ha incassato 171.6 milioni di dollari dalla sua distribuzione al mercato; una cifra sorprendente se messa a confronto con i farmaci che occupano il secondo e terzo posto in classifica, volti a curare il tumore alla prostata e il carcinoma a cellule renali, che hanno reso rispettivamente 71.5 e 70.1 milioni di dollari.

Alessandra W. in cura con Kalydeco

«LA GIOIA ALLUCINANTE DI RESPIRARE LIBERA»

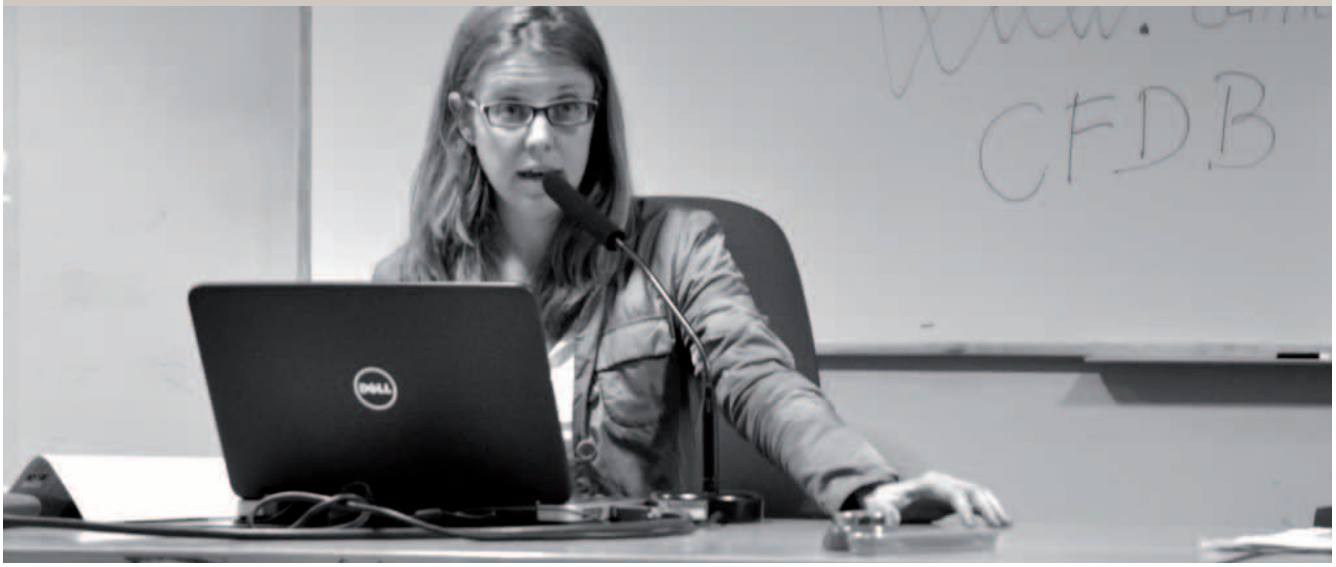


«Quando avevo tre anni la dottoressa disse a mia mamma che un giorno ci sarebbe stato qualcosa che mi avrebbe potuto aiutare», racconta Alessandra, 23 anni in agosto, malata di fibrosi cistica. E il farmaco è arrivato, dall'America, nel gennaio di quest'anno.
Dopo due anni di progressivo peggioramento, che l'hanno portata a considerare il trapianto bipolmonare, il Kalydeco le ha cambiato la vita. «Prima stavo male. Non riuscivo ad andare in là con la testa e a pensare al futuro. Non vedevo nulla. Non avevo nessuna prospettiva – ricorda Alessandra. Da quando ho iniziato a prendere questa pastiglietta due volte al giorno mi si è rivoluzionata la vita. Mi ha fatto anche un po' impressione: dopo 15 giorni mi sentivo già meglio; dicono ci sia un range di miglioramento del 10%, ma per me è stato del 20%. Il farmaco agisce solo sulla parte sana dei miei polmoni, quindi gli antibiotici li prendo ancora e continuo a fare la fisioterapia, ma mi sento completamente vuota anche per cinque giorni di fila. Respiro più libera e ho più resistenza. Non fosse per i polmoni danneggiati, che hanno ancora bisogno di cure, potrei dirmi una portatrice sana».
Mentre le sue condizioni di salute peggioravano velocemente, le era giunta notizia che oltreoceano esisteva un farmaco in fase avanzata di sperimentazione che avrebbe potuto interessare la sua mutazione. Ne parlò con il suo medico, che si mantenne prudente. «Non sapevamo se sarebbe arrivato in Italia, se la Regione lo avrebbe pagato, se mi avrebbe effettivamente aiutato perché pareva agisse in modo molto soggettivo. Ma nonostante restasse tutto in una nebulosa, fu una gioia allucinante trovare conferma alle notizie che avevo», ammette ora Alessandra.
Il suo medico si prese in carico il problema e fu talmente bravo ad occuparsene da ottenerle di potersi curare con il Kalydeco. «Non potevo accettare l'idea di restare ferma nella vita in quella situazione – ricorda Alessandra. Ora che è tutto cambiato voglio buttarmi in quello che ho sempre sognato. Ho passato le selezioni e sono stata ammessa in un'accademia di danza a Milano. Mi preparo a lasciare Trieste. Vorrei che questa mia testimonianza desse una speranza agli altri. Spero che i ricercatori trovino qualcosa per la mutazione più diffusa e che facciano presto. Davvero sono sulla strada giusta e la-vita-dopo-il-farmaco è una figata. È una rinascita anche con le bronchiectasie e i polmoni logorati».

La sede del San Raffaele di Milano

IL PUNTO SULLA SPERIMENTAZIONE ANIMALE

ACCANIMENTO O CROCEVIA DEL PROGRESSO SCIENTIFICO?



Alessandra Bragonzi allo scorso Seminario di Primavera FFC

Si chiama Cystic Fibrosis animal Core (CFaCore) il servizio per la sperimentazione su modello animale che la Fondazione offre ai ricercatori della rete FFC dal 2009 e per il quale sono stati investiti nel primo triennio 400 mila euro e 512 mila nel secondo, in scadenza nel 2014. Si tratta di una struttura centralizzata con sede a Milano, all'interno della Fondazione Centro San Raffaele, con la quale FFC ha stipulato una convenzione.
CFaCore mette a disposizione un insieme di competenze, servizi e infrastrutture che consentono ai ricercatori impegnati in progetti di ricerca finanziati da FFC di utilizzare modelli murini pre-clinici di FC per studi di tipo patogenetico e terapeutico. L'obiettivo è quello di trasferire le conoscenze di base ad applicazioni pre-cliniche favorendo lo sviluppo di nuove strategie per il trattamento della fibrosi cistica, prima di passare all'eventuale sperimentazione sull'uomo.
Alla responsabile Alessandra Bragonzi, ricercatrice di fama internazionale per i suoi studi nel campo della microbiologia e dell'infiammazione, abbiamo posto alcune domande.

Perché tanta ostilità rispetto alla sperimentazione negli animali?

«Non c'è abbastanza informazione sulle procedure adottate nel rispetto del benessere animale e sull'importanza che la sperimentazione animale ha per il progresso scientifico, di qui nasce un'opinione sbagliata».

Chi ha accesso allo stabulario (la casa degli animali) e che tipo di formazione ha ricevuto?

«Al San Raffaele quanti operano sugli animali devono essere laureati in una disciplina scientifica, avere fatto un corso specifico per la sperimentazione animale, superato un test e un colloquio con il veterinario, seguito un corso pratico individuale. Vengono inoltre sottoposti a una serie di esami clinici e a monitoraggio sanitario costante a tutela degli animali e di se stessi».

Da dove provengono gli animali?

«Sono forniti da allevamenti autorizzati».

Come vengono tutelati?

«I topi sono mantenuti in condizioni igienico-sanitarie controllate: con ricambio d'aria, temperatura costante, acqua e cibo solido sempre a disposizione. Ci prendiamo cura di loro molto seriamente perché è un dovere morale e perché è importante per la buona riuscita e la riproducibilità degli esperimenti che gli animali siano nelle migliori condizioni. La sperimentazione animale è regolata dal D. Lgs.vo 116/92 attuativo della direttiva CEE 86/609».

Che cosa prevede?

«Un progetto, per trovare applicazione, deve passare al vaglio di un comitato etico e incontrare l'approvazione del Ministero, che presuppone siano ridotti al minimo il numero degli animali utilizzati ed eliminate le procedure che potrebbero causare sof-

ferenza all'animale.
Inoltre, la regola della sperimentazione rispettosa delle creature vuole che si rimpiazzino sempre gli animali superiori (vertebrati) con quelli inferiori (microrganismi, piante, insetti, invertebrati); si massimizzino le informazioni ottenibili dal singolo animale; si raffinino le tecniche di sperimentazione per diminuire la sofferenza e si ricorra ad antidolorifici e anestetici quando necessario».

Non esistono metodi alternativi?
«Si cerca sempre di fare ricerca in laboratorio, anche perché gli animali hanno elevati costi di gestione. Si fanno studi in vitro con colture cellulari; si utilizzano tessuti umani; si sfruttano modelli al pc (sviluppati grazie alle conoscenze ottenute da studi animali), che simulano quello che avviene nel corpo umano. In molti casi, però, non ci sono alternative all'uso degli animali».

Perché no?
«Solo un organismo vivente con organi che interagiscono tra loro può dare risultati attendibili, che garantiscano l'assenza di un'eventuale tossicità sistemica anche con un'esposizione prolungata al farmaco. C'è poi da dire che prima di testare un farmaco sull'uomo, le autorità regolatorie richiedono sia testato su modelli animali. Molti progetti di ricerca falliscono quando i ricercatori tentano di trasferire direttamente le scoperte della ricerca di base in applicazioni terapeutiche. Il 60-70% dei farmaci testati su animali non viene immesso sul mercato, evitando pertanto gravi effetti collaterali nei pazienti».

C'è chi sostiene che gli uomini assorbano e metabolizzino le sostanze in modo diverso dagli animali.
«Gli argomenti riportati restano delle eccezioni nel numero infinito di progetti su modello animale che si rivelano essere utili da questo punto di vista. Ad oggi ancora non si è trovata soluzione intermedia per evitare il passaggio diretto e sicuro dalla ricerca di laboratorio a quella che sperimenta sull'uomo. Diversamente, significherebbe iniziare procedure non autorizzate e potenzialmente pericolose sui pazienti».

I ricercatori che propongono alla Fondazione un progetto in cui è previsto l'utilizzo di modelli animali, nella maggior parte dei casi iniziano a collaborare con il gruppo del CFaCore. Perché questo servizio ha avuto successo?
«A livello italiano esistono pochissime infrastrutture adeguate alla gestione degli animali. Mancava poi l'esperienza specifica nel settore FC. Ad oggi, dei progetti proposti al Comitato scientifico FFC, che prevedevano l'uso del modello murino, hanno trovato approvazione il 54%.
Tra i successi dell'attività del CFaCore, in collaborazione con altri gruppi di ricerca, ci sono: la scoperta della Fluorocitosina, una molecola approvata come antifungino, che è stato dimostrato essere efficace anche contro *Pseudomonas aeruginosa* (progetti FFC n. 13/2011 e n. 8/2008); quella del composto POL7001, un antibatterico contro *P. aeruginosa* che entra in fase II in clinica e se avesse successo potrebbe diventare un antibiotico con un nuovo meccanismo di azione, il primo immesso sul mercato dopo 37 anni, con un'efficacia superiore rispetto gli attuali antibiotici (progetto FFC n. 10/2011); la PTX3 o pentraxina lunga, molecola che riduce gli effetti indesiderati dell'infiammazione (progetto FFC n. 14/2008 e n. 18/2010); la TMA ovvero trimetilangelicina, una molecola che funge da antinfiammatorio, ma che si è anche dimostrata in grado di correggere e potenziare la funzione del canale CFTR (progetto FFC n. 17/2010)».

R.P.

Alessandra Bragonzi, terza da sinistra, con il suo gruppo di lavoro

L'AVVENTURA CON ZEBRA

16 PROGETTI IN CERCA DI SPONSOR

Zebra Ventures e FFC insieme per dare impulso al trasferimento tecnologico dei progetti di ricerca più prossimi all'ingresso in clinica.
Per promuovere i risultati più promettenti della ricerca finanziata dalla Fondazione, Zebra Ventures e FFC hanno firmato un accordo di collaborazione che intende facilitare lo sviluppo di nuovi farmaci e terapie per la fibrosi cistica attraverso collaborazioni con aziende farmaceutiche e biotech.
La progettazione di un farmaco richiede competenze e mezzi finanziari non disponibili ai gruppi accademici e alle organizzazioni non profit, e perciò succede spesso che le invenzioni originate nei laboratori vengano acquisite dalle aziende farmaceutiche che completano le attività di sviluppo e registrazione, permettendo così al nuovo farmaco di raggiungere i pazienti.
Il team di Zebra Ventures ha selezionato tra i progetti FFC in corso di finanziamento quelli con il più alto potenziale di generare nuovi prodotti terapeutici, per sottoporli all'attenzione di aziende attive nel campo ricerca e sviluppo che operino soprattutto nell'ambito della fibrosi cistica e delle malattie genetiche a livello internazionale. I sedici progetti individuati hanno per oggetto l'identificazione di nuovi antibiotici, la correzione del difetto genetico alla base della fibrosi cistica e trattamenti antinfiammatori.

Cristina Dechecchi

LE NUOVE FRONTIERE DELLA SCIENZA DI BASE

Un'immagine di Malaga, sede del meeting

Nel 2004, la portoghese Margarida Amaral, il tedesco Gerd Döring e l'inglese David Sheppard organizzarono in Portogallo il 1° Congresso ECFS sulla Ricerca di Base in Fibrosi Cistica. In questi dieci anni vi è stato un costante aumento nel numero dei partecipanti e dei contributi scientifici: 150 i presenti a Malaga nel marzo 2013, provenienti da 19 paesi; nutrito il contributo italiano in presentazioni e poster, anche grazie al supporto da parte della Fondazione Italiana FC di quattro giovani ricercatori, che hanno portato i risultati del loro lavoro.

M. Chignard dell'Istituto Pasteur di Parigi, ha toccato i temi della risposta immune e dell'infezione polmonare in FC, ampiamente trattati in questo convegno. Il sistema immunitario innato combatte le infezioni grazie alla presenza di proteine, recettori Toll-like: vere e proprie antenne, ognuna delle quali riconosce una particolare molecola batterica o virale. Quando i recettori Toll-like captano una molecola estranea, inducono una risposta infiammatoria indispensabile per combattere l'infezione. Tale risposta, che dovrebbe essere proporzionale allo stimolo, nei pazienti FC non solo è esagerata, ma risulta inefficace per eliminare l'infezione. Non è ancora chiaro se nelle cellule polmonari FC i recettori Toll-like siano in qualche modo difettosi.

Gli studi condotti nei modelli suini FC, presentati da P. McCray dell'Università dell'Iowa, confermano l'alterazione della risposta immune associata alla mancanza di proteina CFTR. Questo modello animale si sta rivelando molto utile per cercare di capire le relazioni complesse tra la funzione della proteina CFTR e l'infiammazione polmonare e poter individuare i possibili bersagli terapeutici. La proteina CFTR sembra essere responsabile del difetto intrinseco dei globuli bianchi granulociti neutrofili, che non solo non riescono ad eliminare i batteri ma contribuiscono anche al peggioramento della condizione infiammatoria, come emerso dalla relazione di G. McElvaney dell'Ospedale Beaumont di Dublino.

Per rimanere in tema, G. Cabrini, dell'Azienda Ospedaliera Universitaria Integrata di Verona, ha presentato un aggiornamento sul ruolo dell'enzima fosfolipasi C-beta3 (PLCB3), enzima cruciale nella cascata infiammatoria dei pazienti FC, individuato grazie al finanziamento della FFC, che sembra essere un bersaglio di terapie anti-infiammatorie, senza compromettere le difese.

Per superare la difesa dell'ospite, il batterio *P. aeruginosa* riduce la funzione e l'espressione della proteina CFTR, attraverso la secrezione di un fattore detto Cif. Quest'aspetto, evidenziato da B. Stanton della Scuola Medica di Dartmouth (USA), e oggetto anche di un progetto finanziato da FFC, potrebbe spiegare perché i pazienti FC infettati da *P. aeruginosa* abbiano una maggiore suscettibilità alle infezioni virali. Infatti, secondo Stanton, il Cif regola l'espressione di un'altra proteina trasportatrice, TAP, che gioca un ruolo chiave nella difesa contro i virus.

Cristina Dechecchi con il direttore scientifico FFC, Gianni Mastella

Sul fronte della ricerca di nuovi correttori, le informazioni sempre più approfondite sulla struttura della proteina CFTR orientano ora verso una nuova strategia che è quella di combinare molecole in grado sia di correggere il difetto di maturazione che di aumentare la stabilità della proteina CFTR. Si sta anche procedendo verso l'identificazione di nuovi bersagli terapeutici quali ad esempio le proteine che partecipano al processo di maturazione della CFTR. Inoltre, molti gruppi di ricerca sono impegnati a comprendere il meccanismo di azione del potenziatore VX-770, che è già un farmaco disponibile per i pazienti con la mutazione G551D e che potrebbe, in futuro essere utile anche per altri pazienti.

Quest'anno il convegno è stato chiuso da L. Galietta dell'Istituto Gaslini di Genova che ha riassunto tutte le possibilità in atto per recuperare la funzione di trasporto di cloro. L'attivazione di canali ionici "alternativi" quali ad esempio il canale del cloro TMEM16A (anoctamina-1), dipendente dallo ione calcio, di cui si occupa attivamente il gruppo di Genova, potrebbe essere una strategia terapeutica utile per migliorare l'idratazione del muco nei pazienti FC. Il gruppo di Galietta sta procedendo in questa direzione per accertare come il canale TMEM16 A possa essere attivato e se possa diventare un bersaglio farmacologico per la FC.

Cristina Dechecchi, del Laboratorio di Patologia Molecolare dell'Azienda Ospedaliera Integrata di Verona

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

Criteri e limiti per inserimento in lista d'attesa per trapianto polmonare in FC

21/08/2013

Quali sono i criteri e relativi limiti che vengono adottati per l'inserimento in lista d'attesa? Ci sono proposte per eventuali modifiche degli stessi?
Giuseppe

Non esiste un parametro che da solo sia un indicatore della necessità del trapianto polmonare nella persona con FC, occorre valutare più fattori contemporaneamente: come funzionano i polmoni e com'è evoluta la situazione polmonare nel tempo; qual è il quadro clinico generale, con particolare riguardo al cuore, ai reni e allo stato di nutrizione; e quale il grado di compenso psicologico della persona, quali le risorse che i familiari, gli amici, l'ambiente circostante possono offrirgli. Una dettagliata descrizione dei criteri si trova nella brochure, disponibile via web, del X Seminario di Primavera FFC 2012. Nel capitolo dedicato al trapianto polmonare. Sempre su questo argomento, sul sito è disponibile anche il video "Trapianto polmonare Oggi", 19 maggio 2012. Per quanto riguarda i limiti per l'inserimento in lista d'attesa (interpretiamo questo termine nel senso di controindicazioni), accenniamo all'esistenza di controindicazioni assolute (valide in tutti i casi e tutte le circostanze) e controindicazioni relative (aumentano il rischio di insuccesso e sono da valutare caso per caso). Tra le assolute, ricordiamo le disfunzioni avanzate e non trattabili di un organo diverso dal polmone (es. fegato o reni), i gravi disturbi psichiatrici, la documentata incapacità di aderire alle cure mediche e ai controlli, l'assenza di supporto familiare. Tra le relative la presenza di infezione da germi multiresistenti come quelli del gruppo di Burkholderia cepacia complex, che è oggetto di dibattito e di esperienze diverse da parte dei centri per trapianto polmonare. Altre informazioni si possono trovare nel capitolo dedicato al trapianto polmonare del libretto per adulti con FC (*Fibrosi Cistica: parliamone insieme*) disponibile anche via web. In generale i criteri per l'inserimento in lista d'attesa per il trapianto sono oggetto di costante rivalutazione, sulla scorta del miglioramento delle tecniche chirurgiche per l'intervento e mediche post-trapianto. Segnaliamo due cambiamenti importanti: il "Protocollo Nazionale per le Emergenze del Polmone" (stilato dalle organizzazioni che riuniscono i centri di trapianto italiani il 13 ottobre 2010) stabilisce di inserire in una lista speciale pazienti caratterizzati dal fatto di essere già in lista d'attesa ed essersi aggravati al punto da essere sottoposti a misure di ventilazione invasiva, allo scopo di accorciare i tempi di attesa per questi pazienti. Sempre in Italia, nel settembre 2012, è stata approvata la legge che permette la donazione d'organi da parte di soggetti viventi con lo scopo di ampliare ulteriormente le possibilità di intervento anche in età pediatrica. Nel caso del trapianto di polmone occorre la donazione di due lobi polmonari e ciascun lobo è donato da due diversi donatori.

G. Borgo

2

Nuovi antibiotici, resistenze batteriche e MRSA

24/06/2013

Buongiorno, ci è stato detto che sono ormai una quindicina d'anni che non escono nuovi antibiotici. Volevo sapere se questo va a loro favore, nel senso che i batteri hanno tutto il tempo di organizzarsi e diventare sempre più resistenti. Inoltre vorrei sapere se ci sono allo studio nuovi antibiotici e in media quanto tempo bisogna aspettare prima che siano disponibili, soprattutto per chi è colonizzato da MRSA.
Luca

La domanda ripropone la problematica dello sviluppo e dell'uso di nuovi antibiotici per il trattamento delle infezioni polmonari in pazienti affetti da FC. L'argomento è d'interesse anche per pazienti non fibrocistici affetti da malattie infettive a eziologia batterica. Effettivamente solo poche classi di nuovi antibiotici sono state introdotte nella pratica clinica dal 1980 a oggi. La mancanza di investimenti per la ricerca in quest'area critica è legata a vari fattori che possono essere così sintetizzati: 1) molti antibiotici sono ancora dotati di efficacia; 2) in genere (FC a parte) la durata del trattamento antibiotico è breve e ciò limita la possibilità di guadagni da parte dell'industria; 3) le regole richieste dalle Agenzie Regolatorie pubbliche prima dell'immissione in commercio di un farmaco sono molto severe; 4) spesso si assiste a una rapida comparsa di meccanismi di resistenza al farmaco. In particolare, la sintesi di nuovi antibiotici appare problematica per i molteplici meccanismi di resistenza messi in atto da alcune specie batteriche tipiche della FC (ad esempio i Gram negativi come *P. aeruginosa* o altri). Per i motivi sopra elencati solo un numero limitato di nuovi antibiotici efficaci per via sistemica è oggi in fase di studio. Si attendono novità dalla ricerca (è sempre difficile precisare i tempi) in settori che probabilmente non riguardano esclusivamente la FC e in questo periodo d'attesa si rende necessario ottimizzare l'uso degli antibiotici oggi a disposizione. Nonostante questo, la problematica legata al recente incremento di frequenza di infezioni da MRSA (Stafilococco aureo meticillino-resistente) in campo extra-FC ha già spinto l'industria alla sintesi di nuovi

ed efficaci antibiotici. Negli ultimi anni ben tre molecole (linezolid, quinopristin-dalfopristin e daptomicina), attive nei confronti di MRSA sono state approvate per l'uso. Di queste, per vari motivi, quella che può essere maggiormente usata in FC è linezolid. La linea di sviluppo degli antibiotici tuttavia non sempre significa sintesi ex novo di sostanze attive. Il fatto che nella FC le infezioni batteriche abbiano come bersaglio il polmone consente oggi di utilizzare formulazioni di antibiotici adattate all'uso per via inalatoria. Non si tratta quindi di farmaci nuovi in senso assoluto, quanto di un uso di agenti antimicrobici, già conosciuti da tempo, attraverso vie particolari. L'uso di queste formulazioni e la definizione di strategie particolari di somministrazione non sembrano complessivamente meno importanti rispetto alla sintesi di nuove molecole. L'esempio più noto è quello dell'uso della tobramicina per via inalatoria in pazienti con infezione cronica da *P. aeruginosa*. La formulazione di questo farmaco (e successivamente anche di altri farmaci con attività antibatterica similare nei confronti di *P. aeruginosa*) in una soluzione adatta alla somministrazione per via inalatoria ha cambiato in modo radicale le modalità di approccio ai pazienti fibrocistici. È ben noto che la sopravvivenza dei pazienti affetti da FC è oggi molto incrementata grazie al miglioramento complessivo della qualità delle cure. Fra i molteplici fattori che hanno determinato il miglioramento della sopravvivenza e della qualità della vita, gli antibiotici hanno giocato un ruolo fondamentale. Ogni introduzione nella pratica clinica di nuovi antibiotici (o nuove strategie d'uso degli antibiotici) è stato associato a un incremento della sopravvivenza anche se il miglioramento delle condizioni cliniche è limitato dalla cronicità delle infezioni respiratorie. Dalla domanda non si evince con esattezza se venga fatto riferimento a infezione iniziale oppure cronica da MRSA. Nel caso si tratti di infezione iniziale può essere utile ricordare che sono in corso vari trial clinici per verificare se un trattamento tempestivo con antibiotici per os (di solito in associazione) sia efficace nel determinare l'eradicazione di MRSA. I trial vengono condotti con preparati già in commercio. Nel caso si tratti di infezione cronica da MRSA non abbiamo attualmente indicazioni chiare riguardo alla strategia antibiotica da utilizzare. Sono tuttavia iniziati studi con vancomicina per via inalatoria per verificare la sicurezza e l'efficacia della nebulizzazione di tale farmaco. In altre parole, si cerca attualmente di valutare la possibile efficacia della terapia cronica soppressiva con vancomicina per via inalatoria nei confronti dell'infezione da MRSA, in maniera analoga a quanto è stato fatto in passato con la tobramicina per via inalatoria nei confronti dell'infezione da *P. aeruginosa*. Per quanto concerne le problematiche connesse con lo sviluppo delle resistenze, l'uso degli antibiotici nella pratica clinica è sempre stato accompagnato dal timore che la flora batterica sviluppi resistenza al farmaco. Già Alexander Fleming (vincitore del Premio Nobel per la scoperta della penicillina) sottolineò il rischio di sviluppare resistenza agli antibiotici, cosa che si è puntualmente verificata ogni volta che un nuovo antibiotico è stato introdotto in commercio. Anche nel caso delle resistenze agli antibiotici la somministrazione per via inalatoria può offrire dei vantaggi: le concentrazioni di farmaco raggiunte a livello polmonare con l'uso degli antibiotici per via inalatoria sono significativamente più alte rispetto a quanto si verifica con il trattamento per via parenterale. Ciò consente di raggiungere una risposta clinica ottimale riducendo al minimo il rischio di effetti indesiderati per il paziente. Pur senza voler minimizzare, la problematica relativa allo sviluppo di resistenze agli antibiotici da parte di MRSA va interpretata con realismo. Uno studio policentrico italiano recentemente condotto ha precisato il pattern di sensibilità agli antibiotici di un numero consistente di ceppi di MRSA isolati da pazienti FC curati in centri italiani. Lo studio ha evidenziato che l'efficacia di molti vecchi antibiotici è ancora discreta. Nello studio non è stata inoltre rilevata alcuna resistenza nei confronti di vancomicina, teicoplanina e linezolid, i farmaci giudicati più efficaci nei confronti di questo patogeno.

Dr. Giovanni Taccetti, Centro Regionale Toscano FC, Osp. Meyer, Firenze

3

C'è un maggior rischio di tumore nei malati FC e nei portatori FC?

03/07/2013

Vi chiedo: quale maggior rischio percentuale incide sui portatori FC? Quale sui malati FC? Fra i vari studi effettuati si evidenzia una particolare relazione tra genotipo e incidenza di tumore? Tra l'essere o non essere insufficiente pancreatico? Tra avere e non avere una maggiore storia di problemi gastrointestinali FC correlati? Sono previste nei protocolli di cura dei centri FC italiani analisi in grado di individuare l'insorgenza precoce di tumori GI? Quali accorgimenti / analisi sono consigliate ai portatori e ai malati stessi se non previsti dai protocolli di cura? Grazie.

Silvia

Abbiamo esaminato la letteratura recente su questo importante argomento. Rispondiamo prima riguardo al sospetto che vi sia nei portatori e malati FC un maggior rischio di carcinoma pancreatico. Il razionale alla base del sospetto è che nei soggetti FC con pancreas funzionante vi è una certa incidenza di pancreatiti; si sa che le pancreatiti aumentano il rischio di tumore pancreatico, quindi potrebbe esservi un'associazione fra le mutazioni CFTR (con la presenza di una sola mutazione come spesso si trova nelle FC atipiche con pancreatite ricorrente o con due mutazioni, come presenti nelle forme FC classiche) e il tumore pancreatico. Su questo argomento lo stesso gruppo di ricerca (Mayo Clinic, Rochester, USA) ha pubblicato due lavori, uno nel 2005 e uno nel 2010. Nel 2005 ha indagato la frequenza delle mutazioni CFTR in 166 soggetti con carcinoma pancreatico e ha trovato 14 portatori FC, mentre ha trovato 217 portatori su 5349 soggetti controllo senza tumore. Ne aveva concluso che l'incidenza del portatore di mutazione CFTR è, nei carcinomi pancreatici, 8.4% rispetto al 4.1% della popolazione generale. In una pubblicazione più recente, su 949 pazienti con carcinoma pancreatico, 50 soggetti (5.3%) sono stati identificati portatori di mutazione CFTR, contro 510 (3.8%) di 13340 controlli. Proseguendo con le indagini, 8 dei 50 che sembravano solo portatori si sono rivelati avere due mutazioni CFTR e quindi essere affetti da FC. Importante è che quelli che, essendo portatori o effetti da FC, hanno presentato il carcinoma pancreatico in realtà non avevano storia precedente di pancreatite. La nostra opinione è che i dati siano troppo deboli per suffragare l'ipotesi di un'associazione fra lo stato di portatore e/o malato FC e un rischio aumentato di carcinoma pancreatico: il problema sta nell'esiguità delle casistica che aveva dapprima fatto segnalare il problema; infatti, aumentando l'ampiezza dei numeri l'associazione ipotizzata non è stata

confermata. Invece per quanto riguarda il rischio generale di tutti i tipi di tumore nei pazienti FC, è di notevole rilievo una recente ricerca (realizzata dall'Istituto Europeo di Oncologia di Milano, in collaborazione con centri oncologici americani. Gli stessi autori avevano già pubblicato un lavoro su casistica più limitata nel 2003, questa volta i dati riguardano il periodo 1990-2009 e 41.188 pazienti FC (curati da 250 centri, dati del Registro FC americano). Scopo della ricerca conoscere l'incidenza di tumori nei soggetti FC non trapiantati e trapiantati, rispetto al numero atteso di tumori nella popolazione generale USA (i dati sono raccolti dai registri di sorveglianza del National Cancer Institute). Il paragone viene fatto fra il numero di tumori verificatisi nei soggetti FC e il numero atteso nei soggetti della popolazione generale (espresso attraverso un indice che ha costruito categorie raggruppate per numerosità, anno, età, etnia e sesso). Il rapporto che ne deriva fra i tumori in FC e i tumori attesi nella popolazione generale viene detto SIR = Rapporto Standardizzato dell'Incidenza (che ha una certa probabilità, più o meno elevata, a seconda della forza dei numeri, di essere statisticamente valido). In vent'anni i tumori verificatesi negli FC non trapiantati sono stati 172 rispetto ad un atteso di 153,5 della popolazione generale. Quindi, il rischio generale di incappare in un tumore che i malati FC presentano è circa simile a quello che corre la popolazione generale, infatti il rapporto SIR è 1,1. Per capire meglio qual è l'entità di questo rischio, forse il dato è più comprensibile se tradotto in termini di percentuali di frequenza: quanti malati FC ogni 100 vanno incontro ad un tumore? Alla fine del 2009, quando si era conclusa la raccolta dei dati, i pazienti FC in vita che avevano 19 o più anni erano 38.599: il verificarsi di 172 tumori su 38.599 pazienti sta a significare che ha presentato un tumore lo 0,4% dei pazienti. I tumori restano dunque un evento raro per i pazienti FC. All'interno di un evento raro, ci sono però delle osservazioni importanti da fare. Analizzando la prevalenza di ogni singolo tumore, si nota nei pazienti FC, rispetto all'atteso nella popolazione generale, un significativo aumento dei tumori del tratto digestivo: 45 osservati rispetto a 12,8 attesi. In particolare, i tumori del colon osservati sono stati 26, rispetto all'atteso di 4,2 (SIR 6,2). Il rischio sembra interessare più gli uomini, più i genotipi severi (DF508/DF508) e quelli che hanno storia di DIOS (sindrome da ostruzione intestinale distale). Anche la cistifellea, il fegato e le vie biliari extraepatiche sembrano presentare negli FC un aumento del rischio: 4 tumori rispetto a 0,4. Non sostanziale differenza nel rischio per i tumori pancreatici. Rischio riportato come aumentato per i tumori del testicolo: 16 rispetto a 9 attesi (SIR 2,4) e della leucemia linfoide: 17 rispetto a 8,5 (SIR 2,0). Ribadiamo che siamo nell'ambito di eventi comunque molto rari se calcolati sulla percentuale di soggetti in cui sono avvenuti, ma comunque devono far scattare un campanello d'allarme, perchè soprattutto il fatto che sia una stessa sede, e cioè il colon, il bersaglio preferito, induce a cercarne le ragioni e la possibilità di prevenzione. Poi viene fatto il paragone tra la prevalenza dei tumori verificatesi fra i soggetti FC trapiantati e quelli attesi in un numero comparabile di soggetti. In 2.794 trapiantati sono riportati 26 tumori invasivi, rispetto ad un atteso di 9,6. Il dato corrisponde ad una percentuale di 0,9% soggetti trapiantati (meno di un soggetto ogni 100) che hanno presentato tumore. Si vede che nel corso dei vent'anni, nei soggetti trapiantati, rispetto all'atteso, sembrano aumentare sempre i tumori del tratto digestivo (19 in totale rispetto ad un atteso di 1,1), in particolare quelli del colon (11 rispetto ad un atteso di 0,4). Gli autori concludono che per i soggetti con FC il rischio assoluto di tumore rimane basso, non è necessario uno screening sistematico. Ma va posta attenzione ai tumori del tratto digestivo, in particolare a quelli del colon (in minor misura a esofago, stomaco, vie biliari extraepatiche) e ai soggetti che presentano DIOS ricorrente o quadri di infiammazione cronica dell'intestino. Per questi è opportuno un follow up periodico e in particolare per la sorveglianza del colon è indicato fare la colonscopia prima del trapianto e dopo (con cadenza annuale). Per provare l'importanza della sorveglianza intestinale antitumore, è utile riportate l'indagine retrospettiva svolta in tutti i pazienti trapiantati FC dal 94 al 2010 nel Wisconsin. A partire dal 94, su 65 trapiantati FC (in età compresa fra 31 e 64 anni) 4 soggetti hanno sviluppato (da 1 a 9 anni dopo il trapianto) carcinoma del colon con esito fatale. Mentre ha sviluppato lo stesso tumore uno solo su 287 trapiantati non FC. Il centro che seguiva i trapiantati FC dopo il terzo caso di tumore intestinale ha adottato la pratica di sottoporre tutti i trapiantati a colonscopia (a partire dall'anno dopo il trapianto). Sono stati così indagati 20 soggetti, di cui 7 avevano polipi (localizzati in varia posizione dal cieco al sigma). Asportati i polipi, in nessun caso c'è stata progressione neoplastica. Gli autori di questo lavoro ricordano che nella popolazione generale sopra i 50 anni si stima che dal 20 al 35% dei soggetti possa avere un adenoma (polipi); dal 20 al 50% di questi svilupperà ulteriori alterazioni al controllo con colonscopia fatto entro 3-5 anni. Quindi un possibile fattore in gioco per giustificare la particolare incidenza di tumori intestinali nei trapiantati FC sarebbe la prolungata terapia immunosoppressiva (utilizzata per controllare il rischio di rigetto polmonare): essa abbasserebbe la difesa immunologica antitumore; però c'è da considerare anche l'invecchiamento dei pazienti trapiantati, che li esporrebbe al rischio della patologia tumorale già presente nella restante popolazione in relazione all'età.

G. Borgo

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

UN INVESTIGATORE A CACCIA DI PROVE NEL MONDO DELLA SCIENZA MEDICA

Dopo parecchi anni passati come pediatra ospedaliero e di famiglia, Roberto Buzzetti si è specializzato in statistica medica e si è molto dedicato all'epidemiologia clinica e all'organizzazione dei Servizi Sanitari. Appassionato di formazione e ricerca, dal 2002 ha scelto di dedicarsi interamente alla libera professione.

Cosa l'ha portato ad allontanarsi dall'ambito assistenziale per avvicinarsi a quello della ricerca?

«Fin dai tempi del corso di laurea, terminato nel 1976, ero critico nei confronti della scarsa scientificità che rilevavo nei comportamenti dei medici, dai celebri professori universitari ai colleghi con cui lavoravo nella realtà quotidiana. Mi colpiva l'alto grado di improvvisazione e di approssimazione nell'approccio alla diagnosi e alla terapia; non sopportavo che le risposte fossero più basate sul buon senso e le consuetudini (a volte usati come paraventi dell'ignoranza) che su prove di efficacia. Cominciai a chiedermi se non potesse esistere anche in medicina un serio approccio quantitativo, fondato sulle osservazioni e sugli esperimenti, in grado di misurare i risultati, per arrivare quindi a una medicina fondata sulle evidenze. Naturalmente, in tutta umiltà, comprendevo la difficoltà nell'esercitare la medicina, e avevo ben chiara la differenza con le altre scienze come la fisica, la chimica, la biologia.
Intuivo però che un'impronta sanamente scientifica non doveva per forza contrapporsi all'umanità e all'amore verso i pazienti, cui anzi avrebbe potuto contribuire a una cura più ragionata e ragionevole».

A distanza di 37 anni, sono cambiate le cose?

«Fortunatamente sì. Nel 1992, la nascita del movimento EBM (Evidence-based Medicine, ovvero medicina basata su prove di efficacia), ha contribuito a portare più sistematicità e rigore nel mondo clinico. All'epoca della mia laurea, per esempio, nell'elenco dei farmaci che la Mutua passava c'era tutto, ma proprio tutto, anche i ricostituenti. Nel 1994 uscì il prontuario della Commissione Unica del Farmaco, che tagliò i farmaci di non provata efficacia».

La scoperta del Kalydeco ha aperto la frontiera dei nuovi farmaci per la cura della FC. Tanti sono i pazienti che cercano informazioni su come partecipare all'ultimo studio clinico. Quando vi si partecipa viene chiesto di firmare un documento chiamato "consenso informato". Decidere di farsi soggetto di sperimentazione implica rischi e benefici. Con quale spirito crede ci si dovrebbe avvicinare a questo tipo di scelta?

«I pazienti hanno il diritto di essere sottoposti a sperimentazioni ben progettate e ben organizzate, di essere protetti da eventuali eventi avversi, e soprattutto di ricevere spiegazioni complete su tutto quello che accade durante lo studio. Gli sperimentatori non devono ottenere il loro consenso con una firma frettolosamente estorta e spiegazioni evasive. Il paziente deve poter scegliere se partecipare o no. Deve capire che cosa lo studio comporterà in termini di terapie assegnate secondo il criterio cosiddetto random o "casuale", cioè senza scegliere il paziente che assumerà quel farmaco o il placebo o un diverso farmaco. Deve inoltre essere libero di ritirarsi dallo studio in qualsiasi momento. Sarà poi cura degli sperimentatori fargli comprendere che partecipare a uno studio difficilmente porterà dei risultati positivi disponibili anche per lui fin da subito. Benché questa eventualità non si possa

escludere, il più delle volte i piccoli avanzamenti derivanti dai vari studi, sommandosi tra loro, porteranno con tempi spesso lunghi a delle soluzioni utili alla comunità dei pazienti».

C'è ancora molta ostilità nei confronti della sperimentazione dei risultati della ricerca di base su modelli animali. Qual è il suo punto di vita a riguardo?

«Il sacrificio degli animali, che è una cosa triste, deve essere limitato ai soli casi veramente necessari.
È difficile ma doveroso distinguere tra ricerca giusta e ricerca ingiusta, proprio perché la sperimentazione animale serve a evitare sperimentazioni inutili e pericolose sull'uomo».

Come venne coinvolto nel problema della fibrosi cistica?

«La conoscenza con il professor Mastella fu decisiva. Avvenne negli anni Novanta, mentre era direttore del Centro di cura FC di Verona. Partecipavo a delle riunioni con i pediatri locali e il luogo d'incontro era il Centro. Gianni era uno dei più appassionati partecipanti agli incontri. Da lui ho imparato quanto la FC abbia importanti risvolti sociali, oltre ad essere una patologia di grandissimo interesse perché coinvolge tutte le aree della scienza e della clinica: dalla cellula e dai geni fino agli organi, agli apparati e alla psiche».

Lei fa parte del Comitato scientifico FFC. Come si fa a individuare i migliori progetti di ricerca?

«La ricerca giudicata col senno di poi è facile. Invece, il lavoro di selezione di una proposta di ricerca non lo è affatto. Non sono molti i casi in cui è chiaro di avere davanti un lavoro promettente piuttosto che inutile. La maggior parte dei progetti si situano in una zona grigia che potrebbe condurre a sentieri su panorami affascinanti, come pure in vicoli ciechi. Per esprimere giudizi di merito serve molta cultura.
Il professor Cao era un grande: da una vita faceva ricerca e giudicava la ricerca. Anche il professor Luzzatto, che lo ha sostituto alla presidenza del Comitato scientifico FFC, è per me un mostro sacro. Gerd Döring, nel suo campo, la microbiologia, ha messo a servizio della comunità una professionalità importante. L'apporto di Giorgio Berton, esperto di infiammazione, non è da meno. Quando il professor Mastella mi chiamò a far parte del Comitato scientifico, gli citai Dante: "e più d'onore ancora assai mi fenno, ch'e' sì mi fecer de la loro schiera, sì ch'io fui sesto tra cotanto senno". Non mi sentivo e non mi sento tutt'ora all'altezza di quelle menti, anche se nel settore di ricerca clinica ed epidemiologica posso dire la mia. Rassicura comunque sapere che a giudicare non si è mai soli e che le decisioni vengono prese grazie al confronto con gli altri».

Nella sua esperienza professionale ci sono state delle persone alle quali ha guardato come modello?

«Sono stati per me due maestri Gianni Mastella e Alessandro Liberati.
Mastella è una persona di grande statura scientifica e lucidità. Ha vissuto la sua vita professionale accanto alla fibrosi cistica, di cui sa tutto, e pur tuttavia ha una vasta cultura che gli permette di essere sempre molto in grado di insegnare, anche quando non si parla specificamente di fibrosi cistica.
Liberati è stato un epidemiologo con cui ho avuto il privilegio di lavorare presso il Centro per la Valutazione dell'Efficacia dell'Assistenza Sanitaria (CeVEAS). È scomparso nel 2012 all'età di 57 anni, dopo una lunga battaglia contro il mieloma multiplo. Autore di centinaia di pubblicazioni scientifiche e direttore del Centro Cochrane italiano, conosceva benissimo il mondo scientifico. Era una persona d'immensa statura, ma talvolta candida e disarmante come un bambino. Quando si è ammalato ha patito sulla propria pelle il fatto che la ricerca fosse lontana dalle esigenze dei pazienti; proprio lui che tanto si era speso nell'applicazione dei metodi per trasferire nella pratica clinica i risultati della ricerca».

L'editoriale, scritto da Liberati per il British Medical Journal nel 2004, e che ha per titolo "Un viaggio senza fine attraverso le incertezze", è diventato famoso.

«Liberati vi sostiene che i risultati della ricerca debbano essere facilmente accessibili, anche e soprattutto a chi abbia bisogno di prendere decisioni sulla propria salute. Critica il *butterfly behavior* dei ricercatori, che come farfalle volano di fiore in fiore senza soffermarsi per approfondire l'oggetto dei loro studi, dimenticando che la priorità della ricerca è collaborare per il bene dei pazienti anziché competere per il successo».

Perché il linguaggio della scienza resta inaccessibile ai più?

«In Italia la cultura scientifica è piuttosto scarsa. Grazie alle mie 300 ore d'aula l'anno, posso testimoniare che l'aspetto formativo resta fondamentale. Se chi si dedica alla ricerca può essere un benemerito dell'umanità, chi si spende per insegnarla e farla comprendere forse non ha minor merito. La ricerca, poi, va insegnata con pazienza, passo passo, rendendo comprensibili anche le cose difficili.
Ci si dimentica che qualunque contenuto, per essere trattato, ha bisogno di una forma. Esistono una grammatica e una sintassi della ricerca e c'è una letteratura scientifica con i suoi generi letterari: l'editoriale, la recensione, le linee guida, il report di uno studio. Imparare a leggerli prima ancora che a scriverli aiuta: a valutarne la credibilità, eliminare le cose inutili, non diventare vittima dei divulgatori in malafede, raccogliere le prove esistenti per sapere se la ricerca sia giustificata o meno. L'obiettivo è acquisire la capacità di distinguere tra le cose su cui si sa abbastanza, da offrire dunque ai pazienti nel modo più rapido efficace e appropriato possibile, e quelle di cui ancora si ignorano aspetti importanti, e dunque da indagare con la ricerca. In quest'ultimo caso, una buona preparazione scientifica permetterà di impostare e condurre una valida ricerca, massimizzando i risultati e rendendo minimi costi e sofferenze».

Rachele Perbellini

GERD E ANTONIO, GRAZIE

Dopo breve e insidiosa malattia Gerd Döring ci ha lasciato agli inizi di luglio, pochi giorni prima della seduta del Comitato scientifico FFC, di cui egli era membro attivissimo da parecchi anni. Poco più di un anno fa ci aveva lasciati anche Antonio Cao, presidente del Comitato. Non è facile dire e ricordare queste perdite, ancora freschissime per noi che volevamo un bene forte a Gerd e Antonio, perché si tratta di persone che hanno dato una impronta significativa alla sfida della ricerca nel campo della fibrosi cistica. Su versanti diversi, essi sono stati riferimento mondiale per quanti hanno a cuore il destino delle persone colpite da malattie genetiche e in particolare da fibrosi cistica. Antonio Cao, pediatra e scienziato, pioniere della lotta alla talassemia e altre malattie genetiche. Gerd Döring, biologo, tra i più quotati studiosi dei batteri che minano la salute dei malati FC e dell'infiammazione polmonare che essi provocano, ingaggiatosi come pochi nel trovare rimedi per prevenire e curare l'infezione polmonare. Gerd è stato tra i fondatori della Società Europea Fibrosi Cistica e ne è stato presidente per 8 anni; fu in seguito l'editore dell'unica rivista internazionale che si occupa specificamente di fibrosi cistica, il *Journal of Cystic Fibrosis*, diventata grazie a lui un riferimento bibliografico prestigioso in questo campo. Antonio e Gerd sono stati determinanti nelle scelte strategiche di ricerca della Fondazione, contribuendo a fare di questa organizzazione un punto di riferimento per la ricerca FC in Italia e non solo. Il giudizio nel valutare i progetti di ricerca che venivano sottoposti alla Fondazione era da entrambi espresso con comprensione e simpatia per i ricercatori che li avevano con notevole fatica preparati, ma nello stesso tempo con esemplare severità, con riferimento all'obiettivo di indirizzare gli studi verso la cura della malattia e al rigore scientifico che un tale obiettivo comportava. Ora ci sentiamo in qualche modo orfani e sarà difficile sostituirli, perché di loro ci mancherà soprattutto la calda amicizia e la capacità che avevano di donare stima e incoraggiamento a noi che ci eravamo introdotti con passione in questa avventura della ricerca che, pur premiata da qualche successo, non manca di sollevarti spesso dubbi e comunque difficoltà nel rapporto con il mondo di cui ci occupiamo e nel reclutamento di mezzi per sostenerla. Di Gerd voglio ricordare il suo grido vitale quando ci telefonammo agli inizi di giugno, poco dopo la diagnosi: «Gianni, i medici mi danno un anno di vita, ma io ho troppe cose ancora da fare e non posso permettermi di morire». A Cornelia e a Giuseppina (moglie di Cao), con cui ci incontravamo a Verona in occasione delle sedute del Comitato scientifico, una testimonianza affettuosa della nostra riconoscenza.

Gianni Mastella

COMITATO SCIENTIFICO FFC

APPROVATI 24 NUOVI PROGETTI DI RICERCA PER UN MILIONE 510 MILA EURO

Nella riunione del 12 e 13 luglio scorsi il Comitato scientifico FFC ha lavorato sui diversi fronti di ricerca in cui la Fondazione è impegnata. La riunione è iniziata nel ricordo di Gerd Döring, da anni parte del Comitato e recentemente scomparso, e con un saluto in teleconferenza a Cornelia Merk Döring, moglie di Gerd. La riunione è stata coordinata dal nuovo presidente del Comitato, che è succeduto da un anno ad Antonio Cao, il prof. Lucio Luzzatto, e si è aperta anche con il benvenuto alla professoressa Paola Bruni, dell'Università di Firenze, nuovo membro del Comitato Scientifico, proposto dalla Lega Italiana FC nell'ambito del rapporto di collaborazione con FFC, avviato nella primavera 2012.

Il Comitato ha soprattutto discusso i progetti della rete italiana di ricerca FC pervenuti a seguito del bando del 15 dicembre 2012 e selezionato quelli più meritevoli di finanziamento. Sono 24 i progetti approvati in via condizionata sui 58 pervenuti, così suddivisi nelle cinque aree di ricerca FFC.

1) CFTR e terapie del difetto di base: 6 progetti;
2) Genetica: 1 progetto;
3) Microbiologia e terapie dell'infezione: 4 progetti;
4) Infiammazione e strategie antinfiammatorie: 8 progetti;
5) Ricerca clinica ed epidemiologica: 4 progetti.

Il budget complessivo per tali progetti, deliberato dal CdA nella seduta del 17 aprile 2013, è di un milione 510 mila euro, cui vanno aggiunte le spese generali di gestione dei progetti.

Tutti i progetti erano stati valutati in prima istanza dal Comitato scientifico per verificarne la coerenza con la mission della Fondazione (orientamento verso la cura) e la qualità scientifica complessiva. 52 di essi sono stati sottoposti alla valutazione di oltre 100 scienziati stranieri esperti nello specifico di ciascuno studio. L'assegnazione dei finanziamenti è stata confermata dopo formale impegno assunto da parte dei ricercatori per la modifica dei progetti in coerenza con le critiche e i suggerimenti dei revisori e del Comitato Scientifico.

I membri del Comitato scientifico nella riunione del 12 e 13 luglio. Da destra, Gianni Mastella, Paola Bruni, Giorgio Berton, Lucio Luzzatto, Roberto Buzzetti e il presidente FFC, Vittoriano Faganelli

I progetti scelti, di cui si possono leggere i dettagli nelle pagine seguenti, vengono ora proposti ai sostenitori della Fondazione per l'adozione.

Per ulteriori approfondimenti e per conoscere il loro stato di adozione, è possibile consultare la pagina http://www.fibrosicisticaricerca.it/Ricerca-e-Formazione/Progetti-di-ricerca/Progetti-anno-2013/ selezionando l'anno desiderato: si troverà la descrizione e, fino al 2010, anche la sintesi dei risultati ottenuti.

Nell'incontro di luglio, il Comitato scientifico ha inoltre discusso delle future strategie di ricerca della Fondazione, sempre più orientate verso la trasferibilità dei risultati di ricerca agli studi in vivo su modelli animali e quindi verso la sperimentazione nell'uomo. In questa direzione ha avuto ampio spazio la valutazione di un grande progetto strategico, ancora in fase di elaborazione, mirato a scoprire farmaci per la correzione e il potenziamento della proteina CFTR difettosa a causa della più comune mutazione, la ΔF508.

1 Verso terapie del difetto di base
CFTR protein and new 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 a causa del gene CFTR che la produce e che è alterato (mutato) nella fibrosi cistica. L'area comprende ricerche mirate a individuare sistemi atti a curare o a compensare il difetto di base della malattia.

FFC#1/2013

Mechanism of action of trimethylangelicin in rescuing F508del CFTR functional expression.
Analisi del meccanismo di azione mediante il quale la trimetilangelicina (TMA) ripristina l'espressione funzionale della proteina F508del CFTR.

Conoscere il meccanismo d'azione di trimetilangelicina, nuovo composto con duplice azione, potenziatrice e correttrice di proteina CFTR mutata.

Valeria Casavola, prima a destra

Responsabile: Valeria Casavola (Dip. di Bioscienze, Biotecnologie e Biofarmaceutica, Università di Bari)
Ricercatori coinvolti: 7
Durata: 2 anno
Finanziamento: 100.000

Obiettivi: La più frequente mutazione della proteina CFTR, F508del, dà luogo a una proteina che, incapace di raggiungere la membrana cellulare, non è in grado di trasportare cloruro. Si ritiene che la somministrazione combinata di "correttori", che determinano il ripristino della proteina mutata sulla membrana cellulare, e di "potenziatori", che incrementano il trasporto di cloruro una volta che la CFTR è in membrana, possa contribuire a riportare il trasporto di cloruro ad un livello sufficiente. Abbiamo dimostrato che la trimetilangelicina (TMA), si comporta come potenziatore del trasporto di cloruro e probabilmente anche come correttore, poiché determina il ripristino della funzione di CFTR alterata per effetto della mutazione F508del. In particolare, l'efficacia del TMA come correttore è stata dimostrata anche in cellule epiteliali primarie derivanti da bronchi di pazienti affetti da fibrosi cistica. Il progetto di ricerca si propone di identificare il meccanismo di azione, ancora sconosciuto, mediante il quale TMA agisce come correttore; inoltre, determinare l'effetto della stessa TMA sul citoscheletro cellulare (impalcatura della cellula) e sugli altri meccanismi capaci di stabilizzare CFTR sulla membrana. La comprensione del meccanismo di azione del TMA rappresenta un passo determinante per un suo potenziale sviluppo terapeutico.

FFC#2/2013

An induced pluripotent stem cell (iPS)-based approach for the repopulation and phenotypic correction of cystic fibrosis airway epithelium.
Un approccio basato sulle cellule staminali pluripotenti indotte (iPS) per il ripopolamento e la correzione fenotipica dell'epitelio polmonare affetto da fibrosi cistica.

Ottenere da cellule polmonari mature e dotate di CFTR funzionante cellule staminali capaci di riparare il tessuto polmonare danneggiato.

Roberto Loi

Responsabile: Roberto Loi (Dip. Scienze Biomediche, Unità di Oncologia e Patologia Molecolare, Università di Cagliari)
Ricercatori coinvolti: 4
Durata: 1 anni
Finanziamento: 25.000

Obiettivi: Il fine ultimo di questo filone di ricerca è il ripopolamento delle vie aeree FC con cellule staminali in grado di differenziarsi in cellule mature dell'epitelio bronchiale. Queste cellule (derivate dal paziente stesso) potrebbero essere trattate con l'inserimento di una copia del gene CFTR normale e in questo modo si realizzerebbe il duplice scopo di riparare i tessuti danneggiati e sostituirli con altri geneticamente normali ("terapia genica cellulare").
Le cellule iPS, o cellule Staminali Pluripotenti indotte, sono cellule staminali generabili artificialmente da normali cellule adulte (in genere da fibroblasti, cellule della cute). Le cellule iPS hanno le stesse capacità delle cellule staminali embrionali di maturare e differenziarsi in altri tipi di cellule di vari tessuti ed organi, compresi i polmoni. A differenza delle cellule staminali embrionali, le cellule iPS non pongono alcun problema di natura etica, in quanto la loro derivazione non comporta la distruzione di embrioni. I nostri risultati (progetto FFC#3/2010) hanno dimostrato la possibilità di generare cellule iPS da cellule bronchiali normali e omozigoti DF508; dati preliminari suggeri scono che proprio le cellule iPS dell'epitelio bronchiale, conservando una speciale "memoria" del tessuto d'origine, abbiano una maggiore propensione a re-differenziarsi nel tessuto di origine, cioè l'epitelio delle vie aeree, rispetto a cellule iPS derivate da altri tessuti. Obbiettivi principali della ricerca sono: 1) indurre il differenziamento di cellule iPS, derivate da cellule epiteliali delle vie aeree, normali e CF, in epitelio polmonare, in vitro e in vivo; 2) valutare la possibilità di attecchimento e sviluppo a livello polmonare delle cellule iPS somministrate a topi immunocompromessi (per evitare il rigetto).

FFC#3/2013

F508-CFTR correctors deriving from computational design and from safe natural compounds for a prompt clinical application.
Correttori della ΔF508-CFTR derivanti da disegno computazionale e da composti naturali, classificati come sicuri, per una rapida applicazione clinica.

Un avanzamento nella ricerca di nuovi e più efficaci correttori di CFTR-Δf508: il composto naturale Matrina e i suoi derivati.

Mauro Mazzei, primo a destra

Responsabile: Mauro Mazzei (Dipartimento di Farmacia, Università di Genova)
Partner: Paola Fossa (Dip. di Farmacia, Università di Genova), Maria Pascale (Dip. di Farmacia, Università del Salento)
Ricercatori coinvolti: 17
Durata: 2 anni
Finanziamento: 100.000

Obiettivi: La mutazione CFTR più frequente è la ΔF508, che impedisce la maturazione della proteina e la sua localizzazione sulla membrana cellulare. Sono state identificate alcune molecole chiamate correttori che riescono a sottrarre al meccanismo di controllo di qualità della cellula almeno una quota di CFTR-ΔF508 mutata e la fanno pervenire sulla membrana plasmatica. L'efficacia dei correttori scoperti fino ad oggi è limitata. Questo progetto si prefigge la ricerca razionale di nuovi e più efficaci correttori, che saranno ottenuti in due modi: 1) variando la struttura di quelli già noti ed eseguendo apposito studio informatico in modo da ottenere la molecola più adatta, che sarà poi sintetizzata nel nostro laboratorio con vari metodi; 2) studiando composti naturali di cui si conosce l'azione e il meccanismo su CFTR-ΔF508. Uno di questi composti (di cui abbiamo dimostrato l'efficacia con il Progetto FFC 5#2010) è la Matrina. Si studieranno nuovi derivati della Matrina e associazioni di Matrina con correttori noti. La ricerca verrà anche ampliata ad altri composti già registrati e di cui è conosciuta la sicurezza (es. Ectoina). Tutti i nuovi composti saranno testati su opportune cellule (cellule bronchiali primarie) per valutare la loro attività sulla CFTR-ΔF508, sia singolarmente sia in associazione. I composti verranno successivamente ottimizzati in vista dei trial clinici. Non essendo ancora disponibili correttori efficaci di CFTR mutata, l'individuazione di una nuova classe di molecole con tale funzione è di alta rilevanza.

FFC#4/2013

CFTR in epithelial organoids: relevance for drug development and diagnosis of cystic fibrosis.
CFTR in organoidi epiteliali: rilevanza per lo sviluppo di farmaci e la diagnosi della fibrosi cistica.

Nuovo approccio per misurare la funzione della proteina CFTR su strutture cellulari epiteliali costruite per simulare piccolissimi organi (organoidi).

Paola Melotti

Responsabile: Paola Melotti (Centro fibrosi cistica, AOUI di Verona)
Partners: Hugo de Jonge (Gastroenterology & Hepatology, Erasmus University Medical Center)
Ricercatori coinvolti: 12
Durata: 1 anni
Finanziamento: 30.000

Obiettivi: La misurazione della funzionalità di CFTR risulta necessaria per lo screening di correttori CFTR correttori/potenziatori, in particolare per gli studi preclinici e quelli rivolti alla terapia personalizzata in base al tipo di mutazioni CFTR. Questo progetto si propone di utilizzare un nuovo modello cellulare per la misura della funzione di CFTR. Realizzeremo in collaborazione con un gruppo di ricerca olandese preparazioni di organoidi (strutture biologiche realizzate in laboratorio e composte da cellule insieme assemblate a formare una specie di piccolo organo) ottenuti da cellule staminali provenienti da biopsie rettali. In questi organoidi sarà possibile rilevare l'attività di CFTR attraverso il rigonfiamento cellulare marcato con un colorante fluorescente (test di rigonfiamento degli organoidi). Utilizzando organoidi ci proponiamo di rilevare gli effetti sulla funzione CFTR di nuove molecole aventi come bersaglio la mutazione F508del; di testare la funzione CFTR in presenza di mutazioni di incerta rilevanza clinica; infine di comparare la funzione di CFTR misurata attraverso differenti test: saggio su organoidi, ICM (misura della corrente intestinale), NPD (misura della differenza dei potenziali nasali), saggio su leucociti (immagine a fluorescenza su monociti).

FFC#5/2013

Vessel associated progenitor cells as a promising cell-based approach to treat cystic fibrosis disease.
Una promettente terapia cellulare per la cura della fibrosi cistica: i progenitori cellulari associati ai vasi.

Un nuovo tipo di cellule staminali (derivate dal tessuto dei vasi del sangue) per sperimentare su modello animale una terapia cellulare della fibrosi cistica.

Graziella Messina

Responsabile: Graziella Messina (Dip. di Bioscienze, Università degli Studi di Milano)
Ricercatori coinvolti: 7
Durata: 1 anni
Finanziamento: 60.000

Obiettivi: Per terapia cellulare della FC s'intende l'utilizzo di cellule "immature" prelevate dal paziente, eventualmente sottoposte a correzione del difetto genico, e indotte poi a maturare e a differenziarsi nel tipo cellulare utile al ripristino dei tessuti (e organi)

compromessi dalla malattia. Le cellule studiate in questo progetto sono i mesangioblasti (MABs), cellule immature derivate dai vasi del sangue e dotate, in soggetti e animali non FC, di CFTR funzionante. Risultati preliminari hanno dimostrato che, somministrati per bia generale nei topi, i MABs sono capaci di localizzarsi nell'epitelio di polmoni, trachea e intestino. La sperimentazione avverrà iniettando MABs con CFTR normale in topi affetti da FC: verrà misurata la loro capacità di raggiungere e insediarsi negli epiteli bronchiali e intestinali, e trasformarsi in cellule mature di quegli organi. In particolare, nei polmoni ripopolati da queste cellule dotate di CFTR funzionante saranno misurati i segni di riduzione dell'infiammazione e della fibrosi. I MABs potrebbero rappresentare un nuovo tipo di cellule staminali da utilizzare per lo sviluppo di un'efficace terapia cellulare per la FC.

FFC#6/2013

Establishment of a semi-automated evaluation of CFTR function in blood cells for clinical applications.
Messa a punto di una procedura semi automatizzata per la misura dell'attività di CFTR nei leucociti umani per applicazioni cliniche.

Un nuovo test per misurare il funzionamento della proteina CFTR su globuli bianchi attraverso un piccolo prelievo di sangue.

Claudio Sorio, primo a destra

Responsabile: Claudio Sorio (Dip. di Patologia, Sez. Patologia generale, Università di Verona)
Partner: Monica Averna (Dip. di Medicina Sperimentale, Università di Genova), Mario R. Buffelli (Dip. Scienze Neurologiche, Neuropsicologiche, Morfologiche e Motorie, Università di Verona)
Ricercatori coinvolti: 4
Durata: 1 anni
Finanziamento: 40.000

Obiettivi: Il nostro obiettivo è mettere a punto un metodo riproducibile e preciso, in grado di valutare la funzione del canale CFTR nei leucociti e sperimentarlo in una casistica clinica adeguata allo scopo. I risultati ottenuti nel corso del progetto FFC#26/2011 confermano la possibilità di poter valutare la funzionalità di CFTR in cellule del sangue (monociti), con metodica poco invasiva (un prelievo di 5-10 cc di sangue venoso). Il test potrà misurare la funzione di CFTR nei soggetti che possiedono mutazioni di incerto significato patogeno; inoltre in coloro che assumono farmaci potenziatori o correttori di CFTR, per valutare l'efficacia della terapia a livello cellulare. Il test si basa sulla capacità di una particolare proteina che, prodotta con tecniche di ingegneria genetica e introdotta nei monociti, è in grado di emettere fluorescenza e di modificare l'emissione di luce in funzione alla concentrazione di iodio in soluzione. Lo iodio può essere trasportato efficientemente dal canale CFTR come gli ioni cloro; se il canale CFTR funziona in maniera efficiente esso è quindi in grado di trasportare iodio: tanto più iodio viene trasportato tanto più la proteina emette luce (misurabile attraverso immagini che indicano il funzionamento di CFTR).

2 Genetica
Genetics

In quest'area sono inclusi progetti che, utilizzando avanzate tecniche di genetica molecolare, intendono contribuire all'identificazione di nuove mutazioni del gene CFTR oppure all'identificazione di geni diversi dal gene CFTR, che possono influire sul modo di esprimersi della malattia (geni modificatori), con l'intento ultimo di migliorare le prestazioni di diagnostica genetica ed influire possibilmente sulla malattia attraverso interventi su percorsi genetici alternativi a quello del gene CFTR. Sono inclusi anche studi finalizzati a sperimentare nuove tecniche diagnostiche per la diagnosi prenatale ed a sperimentare programmi di screening dei portatori nella popolazione.

FFC#7/2013

Nasal epithelial cells as a novel diagnostic approach for cystic fibrosis and CFTR related-disorders.
Cellule epiteliali nasali: un nuovo approccio per la diagnosi di fibrosi cistica e delle sue forme atipiche.

Nuove indagini di genetica molecolare per la diagnosi delle forme atipiche di fibrosi cistica e lo studio della funzione di mutazioni nuove o poco conosciute.

Giuseppe Castaldo

Responsabile: Giuseppe Castaldo (CEINGE-Biotecnologie Avanzate scarl, Napoli)
Ricercatori coinvolti: 6
Durata: 2 anni
Finanziamento: 60.000

Obiettivi: I pazienti con fibrosi cistica presentano in genere sintomi specifici, aumento del cloro nel sudore e due mutazioni del gene CFTR. Oltre alla forma classica di malattia, oggi si conoscono con sempre maggiore frequenza forme atipiche, che si manifestano con sintomi molto variabili, test del sudore normale o borderline e spesso una sola mutazione, se si analizzano pannelli ristretti di mutazioni. In questi casi le indagini genetiche di approfondimento (sequenziamento del gene) e i test funzionali (analisi dei potenziali nasali o misura della corrente intestinale) sono complicati e invasivi, disponibili in pochi centri. Per questo motivo, abbiamo deciso di sviluppare un sistema alternativo, basato su un prelievo (brushing, lieve spazzolamento) di cellule nasali del paziente, successiva loro coltura e analisi con tecnologie molecolari avanzate. Queste permetteranno di: 1) identificare l'effetto di mutazioni nuove (ridotta produzione o localizzazione anomala di CFTR nella cellula o cattivo funzionamento del canale CFTR e quindi 2) aiutarci a fare una diagnosi differenziale precisa di fibrosi cistica classica o atipica o di malattia FC correlata; infine, eventualmente 3) riconoscere i portatori sani, e monitorare i pazienti CF durante le nuove terapie con potenziatori o correttori.

3 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#8/2013

Exploring pyrazinamide derivatives as novel Pseudomonas aeruginosa inhibitors: unexploited antibacterial molecules for a new antibiotics target.

Rivalutare molecole antibatteriche neglette come nuovi antibiotici contro specifici bersagli molecolari: derivati della pirazinamide come nuovi inibitori di Pseudomonas aeruginosa.

Scoprire nuove proprietà di farmaci già conosciuti ma dimenticati: tra questi, la pirazinamide, usata contro la tubercolosi, è attiva contro Pseudomonas aeruginosa.

Federica Briani

Responsabile: Federica Briani (Dip. di Bioscienze, Università degli Studi di Milano)
Ricercatori coinvolti: 9
Durata: 1 anno
Finanziamento: 32.000

Obiettivi: Una proteina chiamata S1 è una componente importante del macchinario della sintesi proteica che ogni batterio compie per sopravvivere. La pirazinamide (PZA), un farmaco in uso contro la tubercolosi, agisce interferendo con l'attività della proteina S1. PZA è specifico per Mycobacterium tuberculosis, ma il suo derivato B2320, sviluppato dalla Bracco SpA nei primi anni Sessanta e poi dimenticato nella collezione di composti chimici della società farmaceutica, mostra attività contro colture di P. aeruginosa e bassa tossicità nei topi. Perciò vogliamo caratterizzare l'effetto anti-Pseudomonas e il meccanismo di azione di B2320. A questo scopo si faranno esperimenti in vitro, su colture di P. aeruginosa, e in vivo, in un modello di larva di falena. Successivamente esploreremo la proteina S1 di P. aeruginosa e la possibilità di inibirla (anche con l'uso di B2320). Svilupperemo un test semplice ed economico applicabile alla ricerca su larga scala di nuove molecole capaci di inibire la fase della sintesi proteica del batterio che dipende da S1. Questi inibitori rappresenteranno potenziali candidati per lo sviluppo di nuovi farmaci contro P. aeruginosa.

FFC#9/2013

Drug development of new beta-lactam and linezolid-like compounds active against Staphylococcus aureus isolated from cystic fibrosis patientes: in vitro and in vivo biological evaluation.

Infezioni da Staphylococcus aureus in pazienti con fibrosi cistica: sviluppo di nuovi beta-lattamici e molecole linezolid-simili come nuovi potenziali agenti antibatterici e valutazione in vitro e in vivo dei nuovi composti.

Sviluppo di nuovi antibiotici attivi contro Stafilococco multiresitente (MRSA), con nuove modalità di somministrazione a livello polmonare. Nanoparticelle per via aerosolica sperimentate su modelli cellulari e animali.

Clementina Elvezia Cocuzza, seconda da destra

Responsabile: Clementina Elvezia Cocuzza (Dip. di Chirurgia e Medicina interdisciplinare, Università Milano Bicocca)
Partners: Lisa Cariani (Lab. Centrale, Centro FC, Osp. Policlinico, Milano), Daria Giacomini (Dip. di Chimica "G. Ciamician", Università di Bologna)
Ricercatori coinvolti: 14
Durata: 1 anno
Finanziamento: 52.000

Obiettivi: Le infezioni delle vie respiratorie sono causa importante di morbilità e mortalità in pazienti con fibrosi cistica (FC). Lo Staphylococcus aureus rappresenta uno dei più importanti patogeni polmonari e l'antibiotico-resistenza è estremamente diffusa in questa specie microbica (si veda il ceppo MRSA). Obiettivo di questo progetto è la progettazione di nuove molecole attive nei confronti di Stafilococco antibiotico-resistente, sulla base dei risultati già ottenuti (Progetto FFC #11/2011), con valutazione in vitro dell'attività antibatterica e sviluppo di nuovi sistemi di drug delivery (erogazione del farmaco), in cui il farmaco è incapsulato in piccolissime particelle (nanoparticelle) somministrabili per via aerosolica. La somministrazione intrapolmonare, con valutazione della distribuzione del farmaco e della sua sicurezza, sarà valutata in vivo su modelli animali.

FFC#10/2013

Anti-virulence therapy against Pseudomonas aeruginosa: identification of antibiofilm drugs and development of inhalable Niclosamide and Flucytosine formulations.

Terapie anti-virulenza contro Pseudomonas aeruginosa: identificazione di farmaci anti-biofilm e sviluppo di formulazioni inalatorie di Niclosamide e Flucitosina.

Avanzamento nella sperimentazione di composti promettenti, già in uso nell'uomo per altre indicazioni: niclosamide e flucitosina: messa a punto di formulazioni inalabili e ricerca di nuovi farmaci anti-virulenza di P. aeruginosa.

Livia Leoni

Responsabile: Livia Leoni (Dip. di Scienze, Università "Roma Tre")
Partner: Francesca Ungaro (Dip. di Farmacia, Università di Napoli Federico II), Francesco Imperi (Dip. di Biologia e Biotecnologia, Università "La Sapienza", Roma), Ersilia Fiscarelli (Ospedale e Ist. di ricerca "Bambin Gesù", Lab. Microbiologico fibrosi cistica, Roma)
Ricercatori coinvolti: 24
Durata: 2 anno
Finanziamento: 120.000

Obiettivi: Una nuova e promettente strategia anti-Pseudomonas prevede l'utilizzo di farmaci che inibiscono la capacità del batterio di causare infezione e formare il biofilm di autoprotezione. Questi farmaci anti-virulenza, usati da soli o in combinazione con gli antibiotici, potrebbero non solo ridurre la necessità di trattamenti antibiotici aggressivi, ma anche aiutare a eradicare l'infezione cronica. Il nostro gruppo si è rivolto all'identificazione di nuove attività collaterali anti-virulenza in medicinali già usati nell'uomo per la cura di altre malattie. Abbiamo così scoperto che i farmaci Flucitosina e Niclosamide, rispettivamente usati contro le micosi e i vermi intestinali, sono in grado di inibire la virulenza di P. aeruginosa. Tuttavia, affinché questi farmaci siano efficaci nella terapia FC, dovrebbero essere somministrati direttamente nelle vie respiratorie. Perciò il nostro obiettivo è la messa a punto di formulazioni, in forma liquida o in polvere, per l'inalazione di Flucitosina e Niclosamide, e la valutazione della loro sicurezza ed efficacia. Inoltre vogliamo identificare nuovi composti attivi: sarà analizzata una collezione di 1600 farmaci, già usati nell'uomo, per identificare quelli attivi contro il biofilm formato da P. aeruginosa nei pazienti FC.

FFC#11/2013

Inhalable dry powders for chemically-modified human Cationic AntiMicrobial Peptides (CAMPs): moving toward in vivo application.
Polveri inalabili per la somministrazione di peptidi antimicrobici umani (CAMP) chimicamente modificati: verso l'applicazione in vivo.

La ricerca di nuovi antibiotici: peptidi antimicrobici cationici, ispirati a sostanze naturali, preparati sotto forma di polveri inalabili e sperimentati su modelli animali.

Eugenio Notomista

Responsabile: Eugenio Notomista (Dip. Biologia, Università di Napoli "Federico II")
Partner: Francesca Ungaro (Dip. di Farmacia, Università di Napoli Federico II)
Ricercatori coinvolti: 14
Durata: 1 anni
Finanziamento: 42.000

Obiettivi: I peptidi antimicrobici (CAMP), rappresentano una via nella ricerca di nuovi antibiotici, perché caratterizzati da attività antimicrobica a largo spettro e da modesta capacità di indurre la comparsa di ceppi resistenti. Questi peptidi sono frammenti di proteine naturali di cui l'uomo è dotato e fanno parte dell'immunità innata, la prima linea di difesa verso le invasioni microbiche. Data la loro natura proteica si presentano poco all'uso per bocca (verrebbero digeriti) ma sono particolarmente adatti all'uso per via aerosolica. Lo scopo principale del presente progetto è lo sviluppo di polveri inalabili, per la somministrazione mirata a livello polmonare, di peptidi antimicrobici (CAMP) umani ma anche di proteine che rilasciano CAMP (CAMP-RP), a cui sono state apportate modifiche chimiche che ne potenziano l'attività battericida. Un ampio pannello di CAMP umani e CAMP-RP sarà preparato mediante ingegneria genetica e sintesi chimica, modificato chimicamente secondo una procedura già ottimizzata e saggiato su ceppi clinici di P. aeruginosa per valutarne il potere battericida. Le formulazioni più promettenti saranno analizzate in vivo in modelli murini FC, da sole e in aggiunta alla ciprofloxacina, antibiotico largamente utilizzato.

FFC#12/2013

Preclinical development of the antimicrobial peptide M33 and onset of regulatory procedures for clinical trials.
Sviluppo preclinico del peptide antimicrobico M33 e inizio delle procedure regolatorie per la sperimentazione nell'uomo.

Ultime tappe del peptide antimicrobico M33, potenzialmente attivo su batteri FC multiresistenti, prima della sperimentazione clinica.

Alessandro Pini, secondo da destra

Responsabile: Alessandro Pini (Dip. di Biotecnologie Mediche, Università di Siena)
Ricercatori coinvolti: 6
Durata: 2 anno
Finanziamento: 90.000

Obiettivi: Questo progetto riguarda lo sviluppo farmaceutico di un nuovo peptide antimicrobico isolato all'Università di Siena e chiamato M33. Grazie a precedenti progetti finanziati dalla Fondazione questa molecola è stata studiata per la sua attività biologica in vitro e in vivo, risultando particolarmente attiva contro specie batteriche di origine clinica isolate da pazienti FC (Pseudomonas aeruginosa, Klebsiella pneumoniae, Acinetobacter baumanii ed Escherichia coli). In vivo M33 ha mostrato una forte capacità di ridurre le infezioni polmonari in animali da esperimento. Ora ci proponiamo di produrre e purificare varie decine di grammi di peptide M33 per completare la sperimentazione animale (su roditori e non roditori) riguardo ai profili di farmacocinetica, biodistribuzione e tossicità; e quindi allestire la documentazione necessaria per ottenere l'autorizzazione alla sperimentazione clinica (trial di fase I). Alla fine del progetto si saprà se una nuova molecola antibiotica potrà essere prossimamente sperimentata nell'uomo prossimamente.

4 Verso 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#13/2013

Lactoferrin-loaded niosomes in reducing inflammation and infection of cystic fibrosis airway epithelium.
Veicolazione con niosomi della lattoferrina: effetto sulla riduzione dell'infiammazione e dell'infezione in epiteli respiratori affetti da fibrosi cistica.

Prospettiva d'impiego per via aerosolica di lattoferrina, farmaco antinfiammatorio e antinfettivo, veicolata da speciali particelle, chiamate niosomi.

Francesca Berlutti

Responsabile: Francesca Berlutti (Dip. Salute Pubblica e Malattie infettive, Università "La Sapienza", Roma)
Ricercatori coinvolti: 12
Durata: 1 anni
Finanziamento: 47.000

Obiettivi: S'intende sviluppare un sistema di veicolazione di farmaci basato sull'uso di niosomi, particolari particelle trasportatrici già in uso per la somministrazione di farmaci per via aerosolica. Il farmaco che s'intende veicolare è la lattoferrina (Lf), una glicoproteina dell'immunità innata nell'uomo, secreta dai neutrofili nei siti d'infezione e infiammazione. Lf svolge molteplici funzioni tra le quali quella di catturare il ferro sottraendolo ai batteri, inibire lo sviluppo batterico e la formazione del biofilm, e contrastare infezione/infiammazione. La Lf è stata ritrovata ad alte concentrazioni nelle secrezioni delle vie aeree dei soggetti con FC, ma la sua attività sembra essere insufficiente contro l'infiammazione polmonare. La presenza di proteasi (enzimi con attività di degradazione) prodotte dai batteri stessi, infatti, potrebbe alterarne la struttura e influire negativamente sulla sua attività. Perciò vogliamo mettere a punto un sistema efficace di veicolazione della Lf in modo che possa essere somministrata per aerosol. Il sistema dovrebbe consentire alla Lf di raggiungere le vie aeree inferiori integra e in quantità sufficiente a svolgere le sue attività protettive.

FFC#14/2013

Pathophysiological relevance of glycosaminoglycans in Pseudomonas aeruginosa chronic lung infections and validation of new therapeutic approaches to modulate inflammation and tissue remodeling.
Rilevanza fisiopatologica dei glicosaminoglicani nelle infezioni croniche da Pseudomonas aeruginosa e validazione di nuovi approcci terapeutici per modularne l'infiammazione e il danneggiamento del tessuto polmonare.

Un nuovo bersaglio da colpire per contenere l'infiammazione polmonare FC: i glicosaminoglicani.

Cristina Cigana, prima in basso a destra

Responsabile: Cristina Cigana (Infections and Cystic Fibrosis Unit, HSR, Milano)
Partner: Annamaria Naggi (Ist. Ricerche Chimiche e Biochimiche G. Ronzoni)
Ricercatori coinvolti: 9
Durata: 2 anni
Finanziamento: 80.000

Obiettivi: In base ai risultati del precedente progetto (FFC #20/2011) abbiamo studiato e identificato le caratteristiche dei ceppi di Pseudomonas aeruginosa responsabili di infezione respiratoria cronica. Sono ceppi di batteri adattati, attraverso complessi meccanismi, alla crescita nel polmone FC, capaci di produrre grave danno del tessuto polmonare. Questo danno è mediato dall'iperproduzione di particolari molecole chiamate glicosaminoglicani (GAGs). Lo scopo di questo progetto è di stabilire il ruolo dei glicosaminoglicani nel sovvertimento della struttura del tessuto polmonare, e di interferire in questo processo con farmaci appropriati. Sono stati selezionati alcuni composti appartenenti al gruppo dei polisaccaridi solfatati, già in uso come farmaci anticoagulanti (eparina e suoi derivati), aventi anche effetti sull'infiammazione e sul danno tessutale. Questi composti hanno azione contro i GAGs, perciò verranno testati nei modelli murini di infezione polmonare da P. aeruginosa per individuare quelli capaci di esercitare un'azione benefica, con minime conseguenze a livello della coagulazione. Le conoscenze e i risultati acquisiti grazie a questo progetto potranno chiarire tipo e quantità di GAGs nei diversi stadi dell'infezione, e la potenzialità di molecole che competono con i GAGs endogeni nel ridurre l'infiammazione e la degradazione della matrice tessutale durante l'infezione cronica da P. aeruginosa.

FFC#15/2013

Lipoic acid as a proteostasis regulator for the control of inflammation in cystic fibrosis.
Effetti dell'acido lipoico sulla regolazione della proteostasi per il controllo dell'infiammazione in fibrosi cistica.

Sperimentazione su modelli animali FC dell'acido lipoico, una molecola naturale dalle proprietà antiossidanti, per verificare le sue proprietà antinfiammatorie in FC.

Daniela De Stefano

Responsabile: Daniela De Stefano (I.E.R.F.C. - Fondazione ONLUS - at HSR, Milano)
Ricercatori coinvolti: 10
Durata: 1 anni
Finanziamento: 43.000

Obiettivi: Abbiamo dimostrato che in FC il processo autofagico (processo fondamentale all'interno della cellula che consiste nel degradare in modo selettivo proteine o composti tossici) è deregolato e contribuisce all'instaurarsi del processo infiammatorio. I nostri risultati preliminari indicano che l'acido lipoico (LA), molecola naturale con effetti antiossidanti, previene l'infiammazione caratteristica della malattia in modelli animali di FC. Pertanto ipotizziamo che, prevenendo l'infiammazione, l'acido lipoico sia in grado di modulare l'autofagia.
Valuteremo se questo accade prima su cellule e poi in topi FC che, trattati con LA, dovrebbero mostrare miglioramento dello stato infiammatorio e ripristino del normale processo autofagico. Questo studio rappresenta il primo approccio per identificare gli effetti benefici dell'acido lipoico in FC.

FFC#16/2013

Phosphodiesterases type-4 (PDE4) inhibitors and β 2-adrenergic agonists to reduce neutrophilic lung inflammation in cystic fibrosis. Preclinical studies and identification of biomarkers of efficacy.
Fosfodiesterasi tipo-4 (PDE4) e recettori β2 adrenergici come potenziali bersagli farmacologici per ridurre l'infiltrazione neutrofilica e il danno polmonare nella fibrosi cistica. Studi preclinici e identificazione di biomarcatori di efficacia.

Studio del meccanismo alla base della risposta esagerata dei neutrofili nel polmone FC e di molecole che possono riequilibrarla, per prevenire il danno del tessuto polmonare.

Virgilio Evangelista, primo da sinistra

Responsabile: Virgilio Evangelista (Dip. di Farmacologia Cellulare e Traslazionale, Consorzio Mario Negri Sud, Chieti)
Ricercatori coinvolti: 9
Durata: 2 anni
Finanziamento: 90.000

Obiettivi: L'infiammazione sostenuta dai globuli bianchi (neutrofili) rappresenta il principale meccanismo patogenetico del deterioramento della funzione polmonare nella fibrosi cistica (FC).
Le attuali terapie per la FC mancano di approcci specifici per modulare i due processi fondamentali dell'infiammazione neutrofilica, cioè: a) il reclutamento esagerato di neutrofili; b) le alterazioni funzionali dei neutrofili migrati nel polmone.
Il razionale di questo progetto si basa sui risultati, ottenuti nell'ambito del progetto FFC#21/2011, di cui la presente proposta rappresenta la diretta continuazione.
Nel loro insieme questi dati dimostrano che il blocco di enzimi chiamati Fosfodiesterasi tipo-4 (PDE4) e il supporto dato a questo blocco da recettori β2 adrenergici sono due tappe importanti per mettere a freno il meccanismo di risposta esagerata dei neutrofili.
Obiettivi principali: 1) definire il profilo farmacologico di inibitori di PDE4, da soli e in combinazione con agonisti β2 adrenergici, in vitro, in neutrofili isolati da pazienti FC; 2) definire l'efficacia e i potenziali effetti collaterali della terapia combinata in un modello di topo FC o topo con infezione cronica da Pseudomonas aeruginosa.

FFC#17/2013

Preclinical study of a novel aerosol immunotherapeutic approach based on Janus-faced liposomes to enhance innate antimicrobial immunity.
Studio pre-clinico di un nuovo approccio immunoterapeutico basato sulla somministrazione aerosolica di liposomi asimmetrici per potenziare la risposta immunitaria microbicida.

Un nuovo aerosol antibatterico basato su speciali liposomi (particelle lipidiche) che potenziano le difese immunitarie naturali.

Maurizio Fraziano

Responsabile: Maurizio Fraziano (Dip. di Biologia, Università "Tor Vergata", Roma)
Partners: Roberto Nisini (Dip. Malattie Infettive, Parassitarie e Immunomediate, ISS, Roma), Maurizio Sanguinetti (Ist. Microbiologia, Università Cattolica, Roma)
Ricercatori coinvolti: 15
Durata: 1 anni
Finanziamento: 50.000

Obiettivi: L'obiettivo principale del progetto è la validazione e l'ottimizzazione di una nuova forma di terapia antibatterica: si tratta di liposomi (speciali vescicole lipidiche esistenti in natura) modificati artificialmente in modo da contenere composti antibatterici (acido fosfatidico e fosfatidilserina) sulla loro membrana. I modelli d'infezione usati saranno quelli provocati da M. abscessus e P. aeruginosa. Si valuterà l'efficacia terapeutica della miglior formulazione liposomiale in corso d'infezione in vivo di topi con CFTR normale e topi con CFTR non funzionante. I risultati finali potrebbero permettere la successiva sperimentazione clinica di un nuovo strumento immunoterapeutico da somministrare per aerosol contro le infezioni respiratorie in FC.

FFC#18/2013

Development of a CF, IL-8/NF-KB transgenic mouse model for the in vivo long-term monitoring of the inflammatory response induced by bacteria treated or not with azithromycin.

Sviluppo di un modello di topo con fibrosi cistica, transgenico per IL-8/NF-KB, per il monitoraggio in vivo e a lungo termine della risposta infiammatoria indotta da batteri trattati e non con azitromicina.

Un nuovo modello di topo transgenico per ottenere maggiori conoscenze sull'infiammazione FC e sugli effetti di azitromicina come antinfiammatorio.

Maria M. Lleò

Responsabile: Maria M. Lleò (Dip. di Patologia e Diagnostica, Sez. Microbiologia, Università di Verona)
Ricercatori coinvolti: 8
Durata: 2 anno
Finanziamento: 52.000

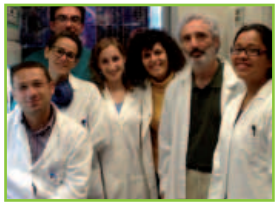
Obiettivi: Sviluppo di un modello di topo con fibrosi cistica, modificato geneticamente in modo da essere dotato di una proteina favorente l'infiammazione (IL-8) e un fattore genetico regolatore dell'infiammazione (NF-KB), entrambi conosciuti come molto importanti nella FC. Valutare in questo speciale modello animale come varia la risposta infiammatoria indotta da Pseudomonas aeruginosa, a seconda che sia trattato o non trattato con azitromicina, somministrata per le sue attività miste di antibiotico e antinfiammatorio. L'acquisizione di nuovi dati sugli effetti di azitromicina potrebbe facilitare il trattamento antibiotico in modo differenziato tra i vari pazienti e favorire la progettazione di nuove molecole antibatteriche.

FFC#19/2013

The role of vascular endothelium in cystic fibrosis inflammation.

Il ruolo dell'endotelio vascolare nell'infiammazione della fibrosi cistica.

Nuovo approccio per la comprensione dei meccanismi dell'infiammazione FC e la ricerca di nuovi antinfiammatori: importanza delle cellule dell'endotelio vascolare.



Mario Romano, secondo da destra

Responsabile: Mario Romano (Dip. Scienze Sperimentali e Cliniche, Lab. Medicina Molecolare, Università "G. D'Annunzio", Chieti-Pescara)
Partners: Licia Totani (Dip. di Farmacologia Traslazionale, Consorzio Mario Negri Sud), Marco Marchisio (Dip. Medicina e Scienze dell'Invecchiamento, Università "G. d'Annunzio" Chieti-Pescara)
Ricercatori coinvolti: 18
Durata: 1 anno
Finanziamento: 62.000

Obiettivi: Riteniamo che i modesti successi delle terapie antinfiammatorie comunemente impiegate dipenda anche dalla nostra incompleta conoscenza dei meccanismi della risposta infiammatoria nella FC. Evidenze scientifiche, anche del nostro laboratorio, suggeriscono che il difetto della FC colpisca non solo la funzione delle cellule respiratorie, ma anche quella di cellule, come piastrine e leucociti, che partecipano all'infiammazione. Con questo progetto (che continua il progetto FFC #22/2010) intendiamo studiare il ruolo delle cellule endoteliali vascolari nell'infiammazione della FC, in considerazione delle funzioni regolatorie da parte di queste cellule di meccanismi chiave della risposta infiammatoria. 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 rilasciare sostanze e microparticelle che possono contribuire a sostenere l'infiammazione, l'ipertensione polmonare e l'angiogenesi. Obiettivi principali del presente progetto sono: 1) chiarire la rilevanza della disfunzione di CFTR su attività delle cellule endoteliali in relazione a infiammazione, ipertensione polmonare e angiogenesi; 2) valutare il significato fisiopatologico delle microparticelle endoteliali (MPE) nella FC; 3) 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 polmonare, oltre che a pazienti non-FC soggetti a parziale rimozione chirurgica del polmone. Questo progetto rappresenta un approccio del tutto nuovo per la comprensione dei meccanismi dell'infiammazione e potrebbe portare a importanti novità terapeutiche.

FFC#20/2013

Sphingolipid targeting in inflammation and fungal infection.

Potenziale anti-infiammatorio e anti-fungino di inibitori del metabolismo degli sfingolipidi in fibrosi cistica.

Nuovi farmaci con possibile azione antinfiammatoria e antifungina: gli inibitori degli sfingolipidi. Sperimentazione su modello animale.

Paola Signorelli

Responsabile: Paola Signorelli (DIP di Scienze della Salute, Facoltà di Medicina, Università di Milano)
Partners: Elisa Borghi (Dip. di Scienze della Salute, Facoltà di Medicina, Università di Milano), Silvano Sozzani (Dip. Medicina Molecolare e Traslazionale, Università degli Studi di Brescia)
Ricercatori coinvolti: 11
Durata: 2 anni
Finanziamento: 105.000

Obiettivi: Questo progetto mira a verificare la doppia azione di un farmaco (Miriocina), inibitore del metabolismo degli sfingolipidi (molecole lipidiche mediatrici dell'infiammazione), come anti-fungino e come anti-infiammatorio.
Se comprovata l'azione terapeutica degli inibitori degli sfingolipidi, questi farmaci permetterebbero di limitare l'uso di antibiotici e di corticosteroidi e i loro relativi danni collaterali nel paziente.
La somministrazione di questi farmaci in vivo in modelli animali verrà eseguita tramite l'utilizzo di bio-nanomateriali di nuova generazione, particolarmente adatti alla realizzazione di aerosol per le vie respiratorie e alla penetrazione dei biofilm microbici.
Il progetto si propone anche di mettere a punto una tecnica estremamente innovativa, la Imaging Mass Spectrometry, che permette di individuare con precisione la localizzazione e la quantità di metaboliti degli sfingolipidi o di altri marcatori di patologia in campioni prelevati da pazienti o da modelli CF.

5 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#21/2013

Clinical implications of the natural history of insulin secretory and sensitivity defects in cystic fibrosis.
Implicazioni cliniche della storia naturale dei deficit di secrezione e sensibilità insulinica in fibrosi cistica.

Uno studio prospettico per conoscere come evolve il diabete FC e come si correla con le altre manifestazioni della fibrosi cistica.

Alberto Battezzati

Responsabile: Alberto Battezzati (International Center for the Assessment of Nutritional Status (ICANS) – DeFENS Università di Milano)
Partners: Carla Colombo (Dip. Scienze Materno Infantili, University of Milan and Regional CF Centre), Andrea Mari (Istituto di Ingegneria Biomedica, ISIB-CNR, Padova)
Ricercatori coinvolti: 12
Durata: 2 anni
Finanziamento: 95.000

Obiettivi: Il diabete secondario a fibrosi cistica (CFRD) è la più frequente complicanza nei malati FC con l'avanzare dell'età. Grazie a un precedente finanziamento (Progetto FFC #16/2005) abbiamo studiato le sue modalità di comparsa (ridotta sensibilità all'insulina o difetto di increzione dell'insulina da parte del pancreas).
L'attuale progetto si propone di: 1) completare la descrizione della storia naturale di CFRD e malnutrizione correlata, avviato negli ultimi 10 anni, con particolare riferimento alla relazione tra malnutrizione, alterazioni glicometaboliche e funzionalità respiratoria; 2) individuare sistematicamente i disturbi del metabolismo glucidico, continuando il programma di esecuzione di OGTT annuale e misurando secrezione e sensibilità insulinica nei pazienti FC in studio, mediante modellizzazione; 3) correlare la tolleranza glicemica evidenziata con OGTT con i relativi parametri di secrezione e sensibilità insulinica mediante misurazione in continua della glicemia giornaliera (Holter glicemico); 4) mettere a punto protocolli di screening nutrizionale e di diagnostica nutrizionale approfondita impiegando metodologie gold-standard di misura della composizione corporea, del dispendio energetico e di biomarker nutrizionali.
Si ritiene di giungere alla descrizione della storia naturale del CFRD e soprattutto di poter valutare l'importanza del deficit di secrezione insulinica nel determinare decadimento nutrizionale e respiratorio.

FFC#22/2013

Citizens' jury and decision making on cystic fibrosis carrier screening: to screen or not to screen?
Fare o non fare lo screening del portatore sano del gene della fibrosi cistica? La voce dei cittadini e della comunità scientifica.

Una giuria di cittadini per contribuire a una decisione di politica sanitaria importante: offrire o non offrire lo screening per il portatore FC.

Paola Mosconi

Responsabile: Paola Mosconi (Ist. di Ricerche Farmacologiche "Mario Negri" Laboratory for medical research and consumer involvement)
Partners: Carlo Castellani (Centro fibrosi cistica, AOUI Verona)
Ricercatori coinvolti: 6
Durata: 2 anni
Finanziamento: 55.000

Obiettivi: La scelta di un'offerta attiva di screening del portatore a livello di popolazione generale non dovrebbe essere fatta dalle autorità sanitarie locali senza una consultazione delle preferenze del cittadino.
Per questo si è proposto il metodo "La giuria dei cittadini" per coinvolgere efficacemente i cittadini nel processo decisionale e per confrontare opinioni e attitudini tra tutte le persone coinvolte.
Obiettivo di questo progetto, che fa seguito a quello pilota sostenuto da FFC (Progetto FFC# 9/2011) svoltosi a Verona (http://www.partecipasalute.it/cms_2/node/1840), è quello di: 1) organizzare in altre aree geografiche tre Giurie dei cittadini e 2) avviare una consultazione pubblica tramite questionario via Internet su opinioni e attitudini sul tema screening del portatore sano, rivolta a cittadini, pazienti, medici, decisori sanitari e società scientifiche.
La giuria, che sarà formata in diverse regioni (es: Toscana, Sicilia), sarà composta da 15-20 membri, il più possibile rappresentativi della popolazione generale in termini di distribuzione per età, sesso, stato socio-economico, scolarità. Ogni giuria riceverà apposito materiale divulgativo e informazione diretta da parte di una Commissione di Esperti e si incontrerà in una giornata di lavoro per discutere e decidere.
Tutti i dati raccolti tramite giuria e l'indagine via web saranno resi pubblici e discussi in un convegno finale.
Il documento prodotto sarà quindi ampiamente portato a conoscenza della popolazione, dei clinici e dei decisori in sanità.

FFC#23/2013

The impact of chest computed tomography on clinical management of CF lung disease.
L'utilizzo della TAC torace nel monitoraggio dei pazienti pediatrici affetti da fibrosi cistica influenza l'approccio clinico e terapeutico?

Valutare se la TAC (tomografia assiale computerizzata) influenza le decisioni del medico in misura diversa rispetto a Rx torace standard e altre indagini cliniche.

Harm Tiddens

Responsabile: Harm Tiddens (Erasmus Medical Centre, Sophia Children's hospital, Department of Paediatric Pulmonology and Department of Radiology, Rotterdam)
Partners: Baroukh Maurice Assael (Centro fibrosi cistica, AOUI Verona)
Ricercatori coinvolti: 8
Durata: 1 anni
Finanziamento: 30.000

Obiettivi: L'utilizzo routinario della TAC (tomografia assiale compiuterizzata) del torace non è ancora entrato tra gli standard di cura FC. Al momento attuale non è noto se la TAC possa modificare significativamente le scelte terapeutiche del medico specialista rispetto alle sole informazioni cliniche nel paziente stabile, né se la sua influenza sia più rilevante rispetto alla radiografia standard (Rx) del torace. Se la TAC non modifica l'approccio clinico, l'esposizione ripetuta a radiazioni ionizzanti (più consistenti rispetto alla semplice Rx standard), particolarmente in età pediatrica, non è giustificata.
Quindi ci proponiamo di valutare se, nell'ambito del monitoraggio della malattia polmonare cronica del paziente pediatrico affetto da FC, l'utilizzo della TAC o della Rx torace implica scelte terapeutiche diverse da parte del medico curante.
Saranno arruolati nello studio almeno 60 medici pediatri specializzati nell'ambito della fibrosi cistica e operanti in 30 Centri europei inclusi nell'European CF Society Clinical Trial Network (ECFS-CTN).
A ciascun medico saranno sottoposti, tramite un portale web, casi di pazienti FC e sarà chiesto di indicare le proprie decisioni (intensificazione, riduzione o nessuna modifica della terapia o di altri interventi non farmacologici) sulla base delle informazioni e/o indagini fornite.

FFC#24/2013

Eradication and treatment of persistent methicillin resistant Staphylococcus aureus (MRSA) in CF patients.
Eradicazione di infezione persistente da MRSA in pazienti con fibrosi cistica.

Sperimentazione clinica di un trattamento antibiotico eradicante per MRSA (Stafilococco aureo meticillino-resistente) persistente, seguito da vancomicina per aerosol se MRSA non viene eradicato.

Sonia Volpi

Responsabile: Sonia Volpi (Centro fibrosi cistica, AOUI, Verona)
Partner: Marzia Boaretti (Dip. di Patologia e Diagnostica, Università di Verona)
Ricercatori coinvolti: 10
Durata: 2 anni
Finanziamento: 50.000

Obiettivi: La prevalenza dello Stafilococco aureo meticillino-resistente (MRSA) è in costante aumento nei pazienti con fibrosi cistica (CF). Vi sono ancora aspetti da approfondire circa il ruolo patogenetico del batterio e la possibilità che la sua presenza persistente nelle vie aeree dei pazienti FC correli con un peggior andamento clinico; e non vi sono studi che dimostrino l'efficacia di un protocollo terapeutico per il trattamento dell'MRSA persistente.
Perciò ci proponiamo la valutazione dell'efficacia di un trattamento eradicante in pazienti CF con MRSA persistente (antibiotici per bocca e topici per un mese: rifampicina+cotrimoxazolo per os + mupirocina nasale crema + clorexidina gluconato soluzione 4% per la pelle). Inoltre, nei malati in cui il trattamento eradicante non dovesse avere successo, si valuterà sicurezza ed efficacia della terapia aerosolica con vancomicina per 12 mesi.
Ci si attende che la vancomicina inalatoria influenzi significativamente l'andamento clinico dei pazienti con MRSA persistente, soprattutto riducendo la frequenza delle esacerbazioni respiratorie.

DAL MINISTERO DELL'UNIVERSITÀ E DELLA RICERCA

MIUR RICONOSCE FFC COME ENTE PROMOTORE DI RICERCA SCIENTIFICA

La Fondazione FFC è stata ufficialmente riconosciuta dal MIUR - Ministero dell'Istruzione, dell'Università e della Ricerca - come Ente promotore dell'attività di ricerca scientifica. La Onlus passa dunque dall'ampio gruppo delle circa 35 mila organizzazioni di volontariato alla lista ristretta dei 193 enti di ricerca (non necessariamente scientifica).
Un riconoscimento che, oltre a premiare il rigore di oltre sedici anni d'intenso lavoro, consentirà ai donatori privati e agli enti soggetti all'IRES (imposta sul reddito delle società) la deducibilità fiscale delle erogazioni liberali effettuate in denaro o in natura a favore della ricerca FC.
Come Agenzia Nazionale per la Ricerca, dopo avere costituito una rete d'eccellenza formata da oltre 500 ricercatori, in virtù delle recenti scoperte, FFC ha aperto anche una via italiana alla ricerca sulla fibrosi cistica, svolgendo un ruolo sempre più complementare rispetto agli studi d'oltreoceano.
Il riconoscimento da parte del Ministero, preposto anche alla diffusione della cultura scientifica, al sostegno della ricerca e all'integrazione tra le sue reti, conferma lo sforzo di trasparenza e il meticoloso lavoro di selezione e valutazione dei progetti perseguito dalla Fondazione nel segno di una ricerca che vuole essere sempre più vicina alla persona malata.
Negli ultimi anni, infatti, la prossimità all'applicazione clinica dei risultati ottenuti è diventata presupposto imprescindibile per la selezione di un progetto da parte del Comitato scientifico FFC. La scelta di sostenere una ricerca che porti prove tangibili di traslazionalità, ovvero in grado di trasformare le scoperte scientifiche che arrivano dai laboratori in applicazioni cliniche, è garanzia della vicinanza della Fondazione all'attesa dei pazienti di rispondere con la ricerca ai loro bisogni di salute e di vivibilità.

Sede del Ministero dell'Istruzione, Università e Ricerca

FFC E LIFC

OLTRE UN ANNO INSIEME PER LA RICERCA

Valutazioni e programmi futuri
Si sono incontrate a Milano il 23 luglio scorso le rappresentanze di LIFC e FFC per valutare l'andamento dell'Intesa, siglata il 19 maggio 2012, tra le due organizzazioni.
Ne è emerso un quadro ricco di promesse ma anche di molti punti su cui è ancora necessario lavorare. L'inserimento di un nuovo membro proposto da LIFC nel Comitato Scientifico FFC ha aiutato a sottolineare l'interesse LIFC di coinvolgersi nelle strategie di ricerca FC in Italia. Positivamente è stata considerata la Campagna d'Autunno 2012 dedicata alla raccolta fondi per la ricerca: un buon numero di Associazioni Regionali LIFC vi hanno aderito con convinzione. Poi tutto sembra essersi spento o quasi. Non è stata valorizzata con pari convinzione una comunicazione congiunta che servisse a trasferire ai volontari delle associazioni LIFC il senso delle scelte fatte: l'investimento di LIFC nelle azioni di ricerca promosse dalla Fondazione Ricerca FC, riconosciuta come l'Agenzia di riferimento di LIFC per la Ricerca FC in Italia. Nel corso dell'incontro di Milano, si è anche osservato che forse **proprio questo punto di partenza – un'intesa riguardante le attività di ricerca e non tutto ciò che concerne il mondo FC – non era stato chiarito a sufficienza**. Nonostante la necessità di condividere nell'insieme problemi e bisogni di questo mondo, a cui appartengono le persone malate e le loro famiglie, non si può prescindere dalla **conquista di una ripartizione dei compiti e delle forze tra le due organizzazioni.** Senza questa chiarezza, si corre il rischio di ingenerare confusione tra i volontari impegnati nelle due organizzazioni e nella stessa popolazione disponibile a sostenere i loro obiettivi, separati nell'operatività e nella specificità degli obiettivi ma convergenti nel fine ultimo. Una tale confusione ha coinvolto anche il problema delle risorse da destinare alla ricerca, sia quelle pubbliche (legge 548/93) sia quelle della solidarietà privata, che oggi sono in gran parte disperse in tanti rivoli. Va costruita una pianificazione organica ben finalizzata e ben valutata, in una visione generale di ciò che serve alla Causa. L'incontro ha permesso di individuare alcune aree di lavoro in comune, su cui si è in seguito cimentato un gruppo di collaborazione FFC-LIFC in un appuntamento tenuto il 2 settembre a Firenze. Il cammino quindi continua con promettenti prospettive: in occasione della XI Campagna Nazionale d'Ottobre per la Ricerca FC, le due organizzazioni saranno nelle piazze insieme per l'offerta dei ciclamini; oltre a questo, sono allo studio successivi interventi comuni, supportati da una comunicazione condivisa, e una integrazione ragionata dei calendari per far sì che l'attenzione verso la fibrosi cistica sia costante, chiara e intensa nel corso di tutto l'anno.

Foto dell'incontro di Milano. Da sinistra, per la Lifc, il segretario Claudio Natalizi, il responsabile ricerca Michele Samaja e la vicepresidente Silvana Colombi. Jessica Bianchetti responsabile del coordinamento Delegazioni Ffc, il presidente Lifc Franco Berti e quello Ffc Vittoriano Faganelli, il direttore di gestione e il direttore scientifico Ffc Giuseppe Zanferrari e Gianni Mastella.

19 ANNI CON LA FIBROSI CISTICA NEL PROPRIO CIELO E IL VENTO DELLA GIOVENTÙ A PORTARE IL SERENO

Rachele e Pimpy

Incontri il padre e sai da dove viene il fuoco d'artificio che è Rachele. Come lui si esprime in fretta, comunicando da ogni poro, suscitando un'immediata simpatia. Da lui ha ereditato la passione per la velocità, le invenzioni, il movimento. Poi c'è Monica, mamma e insostituibile compagna, tenera e apprensiva eppure non meno ferma e tenace, che accudisce ascolta e organizza, perché tutti in famiglia dipendono da lei. Sono in tre, più Pimpy l'infermierina, la cagnetta settenaria. Vivono a Cusano Milanino, appena fuori Milano. Ci hanno concesso una triplice intervista in cui s'intrecciano il punto di vista di un babbo struzzo, una mamma ansiosa e una figlia diciannovenne che ha la fibrosi cistica e tutt'altro per la testa su cui focalizzare la propria attenzione.

L'arrivo

Arrivo in orario. Mi affaccio alla porta dell'ufficio e Luca Somaschini si alza per stringermi la mano. «Ho accettato l'intervista solo perché ti chiami Rachele. Cosa vuoi da me?», domanda incrociando le braccia. «Chiacchierare», rispondo. E così iniziamo.

Aderenza alle cure

«Di quello che dicono i medici si prende tutto e poi si screma – inizia Luca. Ogni famiglia ha la propria storia e sta all'intelligenza delle persone declinare le cure nella vita di tutti i giorni. Non c'è n'è stato uno in cui Rachele non abbia fatto la terapia», e ne attribuisce subito il merito alla moglie.
«Nella sfiga Rachele è fortunata. La malattia avrebbe potuto presentarsi in forma più aggressiva. Ad ogni modo non bisogna abbassare la guardia. L'ambiente in cui si vive è importante. Creo delle situazioni. Tutti i sabati, alle 12, si parte per il mare o la montagna e si rientra la domenica sera. Noi ce la mettiamo sempre tutta perché ogni cosa vada a suo vantaggio, così da non poterci recriminare niente». Non sono genitori imperativi, alle imposizioni in negativo preferiscono sollevare la domanda: «per questa cosa vale la pena rischiare?». Rachele è abbastanza decisa da riuscire a fare quello desidera quasi sempre, dopo tutto, come dice Monica, «ognuno deve fare le proprie esperienze. Posso dare solo consigli. E ne do tanti». «Tanti tanti sempre e comunque», completa Rachele.

La diagnosi

«Dopo un mese, ci ha chiamato la clinica dov'è nata per dire che bisognava fare ulteriori test – ricorda Luca. Per lavoro ho da fare tutti i giorni a inventare e anche allora mi sono detto: "chissà che cazzo si sono inventati". Invece mia moglie piangeva. «Siamo entrati nei sotterranei dell'ospedale. C'erano le porte in lamiera, una cosa oscena». Luca lascia la scrivania per mettersi faccia al muro. «Ero in questo atrio di 70 anni fa, guardo il muro e mi sento incanalare dentro qualcosa. Allora capisco che C'È qualcosa. Mi sono sentito risucchiare in un tunnel e ho iniziato a fare il serio». «Ora, andando in clinica – aggiunge Monica – rivedi l'inizio e ti riconosci negli sguardi dei genitori giovani, che vagano con gli occhi sbarrati e soffermano lo sguardo sui ragazzi più grandi.

Da piccola con papà

Capti i loro pensieri e ti verrebbe da aiutare, dire qualcosa per fare coraggio».

Ricerca di aiuto

«Ho passato i primi mesi a cercare conforto o qualcosa di diverso dal centro di cura», ricorda Monica. Luca interviene: «non c'è nessuno che ti dice niente. Devi interpretare. Capire tu. In un primo momento si andava alle classiche *convention*: c'era da spararsi. Da una parte è corretto essere informati, di contro hai a fianco persone con i loro problemi più o meno gravi… e poi magari non li vedevi più», lo dice spalancando gli occhi e tendendo teatralmente in avanti la mano sul tavolo. «L'ambiente che frequenti non ti dà sollievo. Io sono stato fortunato a incontrare Monica, che mi ha permesso di dedicarmi al lavoro e non pensare. Inoltre, a darci una mano, c'è stata mia mamma, che valeva per tutti». Rachele spiega: «la nonna Elsa è una vecchio stampo: abbastanza squadrata, super metodica e precisa». Durante la sua infanzia si è molto presa cura di lei, perché Rachele, oltre ad essere nata con la fibrosi cistica, nei primi due anni non mangiava. «Se vuotava un biberon da 20 cc al giorno era una vittoria» ricorda Monica. «A un mese dalla nascita aveva preso 100 grammi. A un anno pesava 8 kili. Non le interessava mangiare».

La parte del papà e quella della mamma

Luca e Monica stanno insieme da 33 anni. Si sono incontrati quando avevano 13 e 17 anni. Sono stati fidanzati per dieci. Quando si sono sposati sognavano una famiglia numerosa. Non è stato così. «Abbiamo avuto un percorso di vita con pochi bassi e molti alti – racconta Luca. Nell'81 non avevo niente. Studiavo e lavoravo. Nell'84 mi sono messo in proprio. Abbiamo costruito con impegno. Io altri due figli li avrei fatti. Quando Rachele non c'è sembra quasi di non avere niente da fare». Monica è d'accordo. Anche per quanto riguarda l'educazione di Rachele la figura dell'uno compensa quella dell'altro. «Io e Luca abbiamo due modi diversi di dire la stessa cosa. Ho avuto una mamma con cui non potevo parlare e così ho fatto il possibile per avere un dialogo aperto con mia figlia. Non sono sua amica e non mi piacciono i sotterfugi, ma sa che qualsiasi cosa succeda non mi scandalizzo di nulla».
La gestione della malattia ognuno l'affronta come può. «Mio marito è un po' struzzo», dice Monica. Lui si difende: «sono uno scettico, non credo a nessuno. Non voglio sapere cosa fanno gli altri. Anche come società non m'interessa. Preferisco guardare quello che posso fare io. Non vado a leggere niente, solo Paul Quinton, ché è uno giusto. Ho già una moglie impegnata al cubo, talmente assidua, da permettermi di fare da supervisore. Ho sempre fatto la parte che fa finta di non dare troppo peso alla malattia. È difficile, ma bisogna. Il problema grave è l'incapacità di agire, di fare qualsiasi cosa. Non sono fatalista, faccio tutto con la testa. Anche a Rachele ho insegnato a lanciarsi, dandole tutte le istruzioni al massimo della mia esperienza, che non è stata poca in qualsiasi campo, perché ho sempre cercato di primeggiare e per farlo devi cimentarti».

A sinistra, mamma Monica

Avere paura

«La fibrosi cistica non fa paura – sostiene Rachele – rompe le balle. Capita. Amen. Mi toglie tempo in cui potrei fare dell'altro che curarmi e poi sottintende un'idea di costrizione che detesto. Un mio carissimo amico, che c'è sempre per qualsiasi cosa ed è molto sensibile, all'inizio non capiva come potessi essere felice avendo una malattia. Sembrava si aspettasse dovessi essere prostrata o comunque una persona triste. In generale i miei amici si interessano, non sono spaventati, sono attivamente partecipi, molto attenti. Guardano quello che fa la mamma e si ricordano al mio posto di quando devo prendere i farmaci».
«Essere nelle mani di persone che non ti danno una sicurezza, questo fa paura – dice Luca. Sentirsi in balia delle opinioni. L'assenza di relazioni personali con i medici. Essere un numero. Le risposte di protocollo le leggo da solo».

Dire la verità

Monica ammette: «non ho mai nascosto la verità. Quando mi ha chiesto se era vero che l'aspettativa media di vita fossero 19 anni faceva le medie. Le ho spiegato che non era così per tutti e le ho anche detto molto sinceramente che non sapevo se sarebbe stato il suo caso o no. Quando uno dice le cose come stanno sono anche meglio». Rachele è cresciuta serena, accettando la propria condizione, nutrendo un'immensa fiducia verso i suoi genitori. Luca puntualizza: «una cosa importante, a mio giudizio, è che la terapia e tutto quello che uno fa per curarsi deve essere fatto alla luce del sole e anche ridendo e scherzando. Il soggetto non si sente discriminato e diventa una normalità. Mai nascondere, al contrario, far vedere, prenderla per gioco». «Della serie io l'antibiotico e le mie amiche tutti al mare» traduce Rachele. Poi Luca conclude: «questa è una malattia, ce ne sono tante altre. Ognuno ha i propri problemi e ci si deve adattare per conviverci al meglio. Si vive alla giornata».

Rachele

Parli con Rachele e la fibrosi cistica scompare. Gli amici, l'amore, le vacanze, i libri del liceo da rivendere le danno abbastanza da pensare. Non fosse per quel *just breath* tatuato su una costola, utile ad essere postato sui social per generare consapevolezza della malattia, e che tanto rimane nascosto, della malattia non c'è segno. Conclusa la maturità resta la spiaggia sconfinata del tempo dell'università con le sue promesse. «Non so cosa mi piacerebbe fare da grande – dice Rachele. Ogni cosa che penso ha dei contro. Devo trovare quella che ne ha meno». È sveglia, pratica e con un pizzico di disincanto, che non fa difetto di entusiasmo però. «Mi piacciono le cose movimentate: ballare, sciare, guidare, fotografare, la velocità. Tutto quello che è a motore mi attira. È il gene che mi ha trasmesso mio papà, che è un ex pilota. Ho la patente della moto, della macchina e quella nautica». La bambina che a cinque anni guidava il quad, oggi doma un motard con qualche incursione sulle auto da corsa, d'epoca e non. Mentre dribbla il traffico cittadino dice: «ho comperato un paio di libri da leggere in vacanza. Uno è di Virginia Woolf *Una stanza tutta per sé*». Penso al concentrato di contraddizioni e sorprese che è Rachele, alla spensieratezza e alla curiosità dei suoi 19 anni, al sentiero che ha percorso e che le sta davanti per emanciparsi dalla malattia e nella vita. Certo è sulla buona strada e fa luce abbastanza perché la stella della fibrosi cistica resti oscurata.

Rachele Perbellini

DAL RADUNO DI VERONA

Flash di fine maggio

Il maggio ha unito in ritrovo i volontari FFC di tutta Italia, ospiti a Verona per l'XI Seminario di Primavera su progressi recenti e sviluppi futuri della ricerca FC e per l'annuale momento di condivisione di entusiasmi, delusioni e aspettative. Nel fiume della musica, danzata e cantata, si sono liberati sentimenti incandescenti. Conteso il microfono del karaoke, al punto da usurpare il titolo agli animatori; a sorprendere tutti è stata la voce di Cristina Loche, ma hanno dato spettacolo anche Dario Antoniazzi e Antonio Alati. Non fosse stato per il rintocco della mezzanotte, che costringeva a sgomberare palazzo Miniscalchi, la festa sarebbe proseguita, nonostante l'alzataccia prevista dall'incontro della mattina successiva per la prosecuzione del Raduno di volontari e Delegazioni.
A chi ha partecipato alle giornate di incontro, abbiamo chiesto di inviare i propri scatti, quelli che meglio raccontano il clima che si è creato specialmente nei momenti di svago. E questa è la selezione proposta.

Duettano Cristina Loche da Riola Sardo e Susy Pieretti da Lucca, che trascinata al microfono ha dovuto combattere la sua proverbiale timidezza, cavandosela splendidamente in fine. Aspettiamo il bis.

Antonio Alati versione animatore. Solidale in ogni campo, anche in quello lavorativo, al punto da sollevare dal loro compito gli amici del karaoke, che la prendono molto sportivamente in ridere.

In pochi sapevano che Dario Antoniazzi partecipò a un Cantagiro. Dopo la festa del mese di maggio tutti i presenti ne sono venuti a conoscenza. Grazie Dario del bel canto!

Più l'ora si fa tarda più il ballo si scatena. Vincono il premio "coppia danzante e scoppiettante" gli amici di Pesaro: Margherita Lambertini e Massimo Cascone.

Le scatenate. Omaggio alle donne, che senza nulla togliere ai volontari uomini (in attivissima minoranza) restano le più numerose tra i volontari FFC.

A destra c'è Franca Petrarca col suo bambino, accanto a Michela Puglisi, in posa con un'amica per la foto

Sala Marani ovvero il pensatoio, per un pomeriggio denso di testimonianze e riflessioni.

A portata di raggio di sole dopo tanta pioggia, da sinistra: Franca Petrarca, Susy Pieretti e Gemma.

Women in black per gli applausi al cantante di turno: Susy Pieretti, seconda a sinistra, con Cristina Loche e, alle sue spalle, Antonella Contini.

SALGONO PROVENTI E SPESE PER LA RICERCA
RACCOLTA SUPERIORE AL 2011 CON DUE MILIONI 430 MILA EURO

La recente e sempre più profonda crisi di risorse fino a ieri destinate al welfare, ha accresciuto il ruolo e l'importanza del Terzo Settore che, soprattutto in ambito di salute e ricerca, diventa centrale. Contemporaneamente, l'aumentata competizione tra le organizzazioni non profit (ONP), le ha stimolate a migliorare i livelli di efficacia ed efficienza. In questo contesto, la nostra Fondazione ha intrapreso negli ultimi anni un cammino culturale e organizzativo alla ricerca di un migliore perseguimento della propria *mission* e di criteri di funzionamento sempre più efficaci. FFC intrattiene forti relazioni con i propri *stakeholder* (volontari, donatori, istituzioni, imprese) che non vengono rendicontati solo attraverso il bilancio tradizionale: strumento che non permette a una ONP una misura sintetica ed esaustiva del perseguimento della *mission* e del corretto funzionamento. Per questa ragione, il rendiconto di gestione diventa uno strumento fondamentale per mostrare ai nostri donatori come vengono raccolti i fondi e come vengono utilizzati, con particolare riguardo ai criteri di efficienza consigliati dall'Istituto Italiano della Donazione.

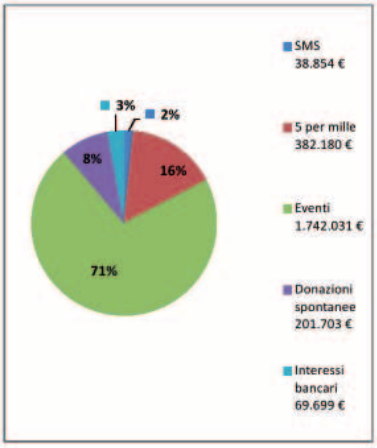
Rendiconto di gestione 2012

La sintesi del rendiconto gestionale degli ultimi due anni evidenzia un andamento costante delle entrate, anche se differenziate nella provenienza.

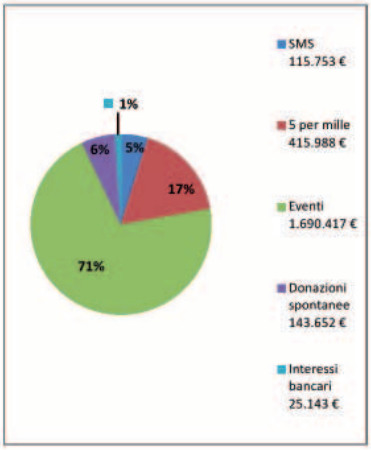
Nature	Consuntivo 2012	Consuntivo 2011
Donazioni spontanee	201.703	143.652
Raccolta fondi	2.163.065	2.215.614
Interessi bancari	69.699	25.140
Totale proventi	**2.434.467**	**2.390.953**

Una raccolta fondi così rilevante, superiore ai 2 milioni di euro ogni anno negli ultimi 4 anni, evidenzia il grande impegno delle Delegazioni, dei Gruppi di Sostegno e dei Volontari nell'organizzare un numero crescente di eventi e manifestazioni sul territorio; impegno che spesso viene portato avanti attraverso un legame sempre più stretto con la Sede. Sono dati che, oltre ad esprimere la capacità di superare una crisi economica sempre più profonda, testimoniano la passione e la dedizione alla mission: buona causa che coinvolge tutti, senza risparmio di passione e fatica. L'analisi dei proventi del 2012 confrontati con il 2011 (vedi qui a destra), mostra una crescita delle donazioni spontanee, ovvero non sollecitate da eventi, mentre diminuiscono le entrate dell'SMS e quelle del 5 per mille, nonostante la positiva crescita delle preferenze. La continuità della raccolta fondi ordinaria è garantita, oltre che dagli eventi promossi dalla Sede, dal fatto che la nostra Fondazione può contare sulla collaborazione e il sostegno di 64 Delegazioni e 39 Gruppi di Sostegno distribuiti sul territorio nazionale. Dei complessivi 2.163.065 euro raccolti, 1.228.125 euro sono direttamente riferibili al loro lavoro.

PROVENTI 2012



PROVENTI 2011



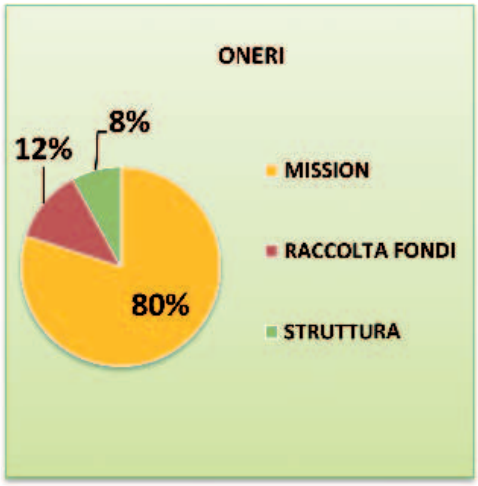
Per quanto riguarda gli oneri del 2012, si evidenzia una crescita in quasi tutte le aree, dovuta principalmente a una nuova e più corretta classificazione dei costi del personale che, anziché costituire una voce di spesa a parte, con ragionevoli stime vengono suddivisi e attribuiti ai rispettivi centri di costo (*). Scompare di conseguenza la voce "Personale di Sede" presente nel bilancio 2011.

Aree	Consuntivo 2012	Consuntivo 2011
Ricerca (Costi personale interno)	1.681.424 (40.000)	143.652
Formazione (Costi personale interno)	86.674 (15.250)	2.215.614
Comunicazione (Costi personale interno)	274.431 (68.783)	130.094
Oneri di supporto generale (Costi personale interno)	203.790 (86.140)	29.746
Raccolta fondi (Costi personale interno)	306.692 (146.584)	141.184
Personale sede	(356.757)	355.650*
Totale	**2.553.011**	**2.093.441**

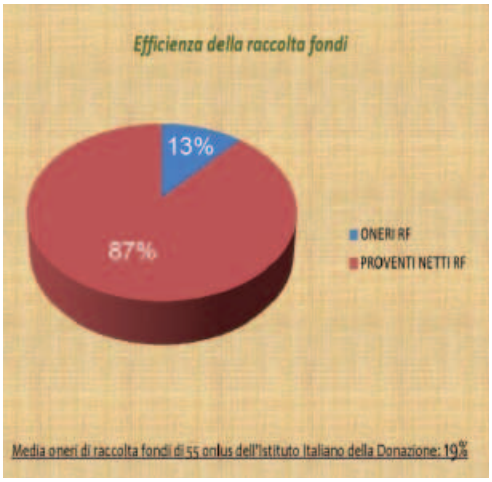
La Fondazione ha sostenuto nel 2012 i più alti costi di ricerca dalla sua nascita, risultato degli investimenti pluriennali decisi negli anni precedenti e dell'avvio dei progetti triennali di servizi alla ricerca: le *facilities* CFACore e Colture Primarie.
Sono cresciuti significativamente anche gli oneri per la comunicazione, come conseguenza dell'investimento nel progetto Cistic Fibrosis Data Base (CFDB), nella nuova immagine della Fondazione attraverso la campagna stampa, video e radio e nel potenziamento della presenza sul sito web e Facebook.
Aumentano nel 2012 anche gli oneri della raccolta fondi, principalmente per l'acquisto di altri gadget legati alla nuova immagine.
Il disavanzo finale è di euro 118.544, colmato con gli avanzi di gestione degli anni precedenti.

Come si misura l'efficienza della Onlus

Dal 2010 la nostra Onlus si sottopone a un processo di verifica da parte dell'Istituto Italiano della Donazione che oltre a valutare l'adesione ai principi della Carta della Donazione, ne valuta l'efficienza attraverso alcuni criteri che riportiamo qui sotto.



Il grafico di sinistra mostra come la Fondazione utilizzi l'80% delle risorse a favore della propria mission (ricerca, formazione, informazione), l'8% per gli oneri di supporto generale e il 12% per la raccolta fondi.
L'indice di efficienza della raccolta fondi (oneri raccolta fondi su proventi raccolta fondi, grafico a destra) si attesta attorno ai 13 centesimi per euro: in pratica, per raccogliere un euro, la Fondazione FC ha dovuto investire 13 centesimi di euro.



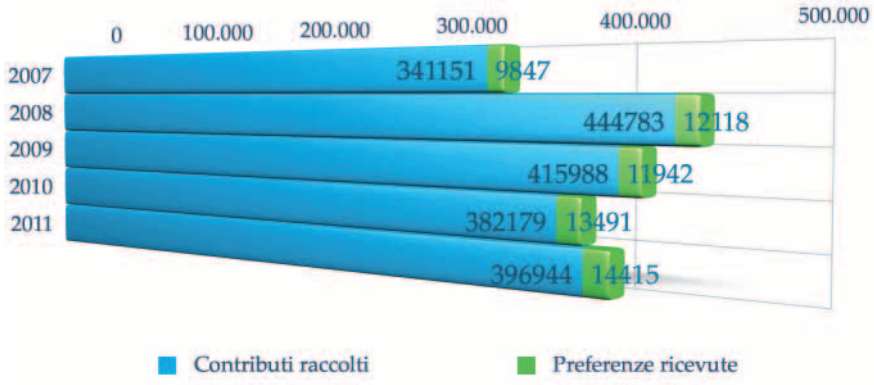
Il calcolo annuale di questi indici non rappresenta un obbligo per FFC ma rappresenta uno stimolo interno all'organizzazione per ricercare continuamente l'efficienza e il miglior utilizzo delle risorse.

Giuseppe Zanferrari

5X1000

LO STATO TAGLIA I FONDI ALLE ONLUS MA FFC CRESCE IN PREFERENZE E INTROITI

Continua a chiamarsi 5 per mille anche se è diventato il 4 per mille. In due anni lo Stato, che con i contribuenti e gli enti non profit ha sottoscritto il patto della dichiarazione dei redditi delle persone fisiche, ha trattenuto un totale di 172 milioni di euro che i contribuenti avevano scelto di destinare al Terzo settore. Come riporta il portale Vita.it, su 488 milioni devoluti dai cittadini alle Onlus, solo 395 milioni sono poi arrivati davvero nelle casse del non profit italiano per la divisione.
La Fondazione stessa, che nel 2010 e 2011 ha continuato a crescere per numero di preferenze ricevute, a causa dei tagli ha dovuto rinunciare a 171.702 euro. Ringraziamo quanti, nell'esercizio 2011, hanno scelto FFC tra le 33.522 Onlus, assicurando il 51esimo posto in classifica, con 14.415 preferenze e 396.944 euro incassati a favore della ricerca sulla fibrosi cistica. Un capitolo di vitale importanza nella raccolta fondi della Fondazione. Per ulteriori informazioni sull'andamento del 5 per mille a livello nazionale, http://www.vita.it/non-profit/5x1000/5-per-mille-una-firma-contro-lo-scippo-di-stato.html



La carica dei 101 per la raccolta fondi FFC

Quando, sfogliando le pagine di un giornale, s'incontrano tabelle fitte di numeri come queste, la curiosità iniziale che ci spinge a capire cosa significhino viene rapidamente superata da quella per avvenimenti e immagini più accattivanti. Qui, dopo la prima occhiata, accade invece di rimanere lunghi minuti a scorrere l'elenco su e giù in cerca di località e nomi a cui associare un volto, affascinati dal confronto, dai progressi raggiunti negli anni, dai sorprendenti risultati complessivi, rapiti dal pensiero delle fatiche quotidiane dei Volontari FFC che, sparsi in grandi e piccole città dal Nord al Sud Italia, sono impegnati tutti i giorni dell'anno a testimoniare l'importanza di questi conti e il vero senso di ogni euro raccolto.
Fissando queste cifre potremmo arrivare a scomporle tutte e a ricomporle in un altro ordine inseguendo le storie che conosciamo, immaginando un lavorìo che si rigenera di continuo tra momenti di sfinimento e nuovo entusiasmo, programmando il futuro carico di attese. Se qui leggiamo un ordine, infatti, è solo per offrire il meritatissimo plauso a tutte le persone che nei grandi come nei piccoli numeri segnano le tappe di una suggestiva maratona a cui si aggiungono, provenienti da nuove strade, atleti sempre nuovi a sfidare i difficili tempi con rassicurante energia.

J. B.

Foto di gruppo, scattata al Raduno di Verona

SOGGETTO	2010	2011	2012	ULTIMO TRIENNIO
Delegazione FFC di Bologna	70.202	64.585	67.657	202.444
Delegazione FFC di Belluno	67.910	55.125	57.938	180.973
Delegazione FFC di Vicenza	65.732	54.320	46.111	166.163
Delegazione FFC del Lago di Garda	51.695	55.170	45.621	152.486
Delegazione FFC di Milano	25.290	47.546	48.957	121.793
Delegazione FFC di Treviso-Montebelluna	54.378	35.000	30.000	119.378
Delegazione FFC di Roma	49.350	31.450	25.260	106.060
Delegazione FFC di Torino	35.481	19.620	36.589	91.690
Gruppo di sostegno "Ass.ne Trentina FC"	15.660	27.680	41.270	84.610
Delegazione FFC di Vittoria-Ragusa e Catania 2	30.265	20.173	31.502	81.940
Delegazione FFC di Latina	20.025	24.713	27.636	72.374
Delegazione FFC di Imola	14.070	33.584	23.932	71.586
Delegazione FFC di Valpolicella		27.175	22.402	49.577
Delegazione FFC di Ferrara	16.509	11.364	19.198	47.071
Delegazione FFC di Lecce	11.305	16.090	17.399	44.794
Delegazione FFC di Genova	20.830	15.230	7.840	43.900
Gruppo di Sostegno di Palermo NEW *			33.753	33.753
Delegazione FFC di Catania	20.843	6.218	6.100	33.161
Delegazione FFC di Villa D'Almè - BG	12.512	10.277	10.130	32.919
Delegazione FFC di Novara	12.576	10.803	8.370	31.749
Gruppo di sostegno Seregno Monza Br	4.697	6.300	15.030	26.027
Delegazione FFC di Legnago		14.502	10.273	24.775
Delegazione FFC di Varese		14.631	9.982	24.613
Delegazione FFC di Verbania e V.C.O.	8.130	11.002	5.300	24.432
Delegazione FFC di Verona		4.719	19.473	24.192
Delegazione FFC della Valdadige	1.550	16.681	4.595	22.826

SOGGETTO	2010	2011	2012	ULTIMO TRIENNIO
Delegazione FFC "Il sorriso di Jenny" VR	7.500	8.110	6.600	22.210
Delegazione FFC di Sondrio Valchiavenna	3.156	6.666	12.299	22.121
Gruppo di sostegno Ivrea	11.704	3.525	6.576	21.805
Delegazione FFC di Pavia	7.316	5.372	8.212	20.900
Delegazione FFC Monterotondo RM	7.160	5.530	7.000	19.690
Delegazione FFC di Cosenza 2	4.518	6.633	6.940	18.091
Gruppo di sostegno Riola Sardo	4.934	4.392	8.253	17.579
Delegazione FFC di Lucca	4.894	5.402	7.046	17.342
Delegazione FFC di Rovigo	6.906	5.245	5.185	17.336
Delegazione FFC di Avellino	4.500	7.030	4.480	16.010
Delegazione FFC di Pesaro		1.800	13.819	15.619
Delegazione FFC di Cecina Rosignano NEW *			15.446	15.446
Delegazione FFC di Treviso-Trevignano	4.512	6.237	3.900	14.649
Delegazione FFC di Reggio Emilia		12.775	1.400	14.175
Delegazione FFC di Messina		4.132	9.007	13.139
Delegazione FFC di Soverato		4.592	8.396	12.988
Delegazione FFC di Cuneo Alba		543	11.329	11.872
Gruppo di sostegno Savona -Spotorno	3.866	4.640	3.000	11.506
Gruppo di sostegno "Rita" Verona	3.000	5.000	3.000	11.000
Delegazione FFC di Foggia	1.500	4.552	4.515	10.567
Gruppo di sostegno "Genivolta" Cremona	2.544	4.244	3.730	10.518
Delegazione FFC di Parma	4.500	6.000		10.500
Delegazione FFC di Vibo Valentia	2.825	3.831	2.895	9.551
Delegazione FFC di Biella	3.255	3.857	2.335	9.447
Gruppo di sostegno La Spezia Sarzana		3.713	5.667	9.380
Gruppo di sostegno Comacchio Ferrara	4.593	3.681	995	9.269
Delegazione FFC di Bussolengo	3.422	2.834	2.770	9.026
Gruppo di sostegno Isola bergamasca	63	7.486	1.146	8.695
Gruppo di sostegno Valle Scrivia AL	3.655	3.267	1.450	8.372
Delegazione FFC di Cosenza	6.470	1.100	320	7.890
Delegazione FFC di Trapani Marsala		1.853	5.530	7.383
Gruppo di sostegno “Dongo” Como	650	3.987	2.300	6.937
Delegazione FFC di Napoli		4.172	2.500	6.672
Delegazione FFC di Molfetta	4.831	1.500		6.331
Delegazione FFC di Cagliari	525	3.252	2.549	6.326
Gruppo di sostegno Brugherio - Milano	4.270	1.808	50	6.128
Gruppo di sostegno di Arezzo		2.747	3.125	5.872
Delegazione FFC di Teramo	2.868	1.843	1.100	5.811
Gruppo di sostegno Adria Rovigo	850	4.168	770	5.788
Gruppo di sostegno Barletta	400	2.499	2.000	4.899
Delegazione FFC di Venezia	639	3.604	581	4.824
Delegazione FFC di Livorno	2.823	1.815		4.638
Delegazione FFC di Fermo	714	771	2.810	4.295
Delegazione FFC di Monselice		2.921	1.296	4.217
Delegazione FFC di Romagna	1.155	3.033		4.188
Delegazione FFC di Salerno	250	1.980	1.900	4.130
Delegazione FFC di Trevignano			3.900	3.900
Gruppo di sostegno Brindisi Latiano		1.185	2.709	3.894
Delegazione FFC di Lodi NEW *			3.845	3.845
Delegazione FFC di Pompei		1.202	2.628	3.830
Gruppo di sostegno Bussero - Milano	1.918	1.830		3.748
Gruppo di sostegno Crotone	1.851	1.163	400	3.414
Gruppo di sostegno Ospedaletti - IM	2.798	496	70	3.364
Delegazione FFC di Taranto		1.500	1.830	3.330
Gruppo di sostegno Montescaglioso Matera		598	2.585	3.183
Delegazione FFC di Pescara	1.419	799	900	3.118
Gruppo di sostegno Val Badia BZ		2.279		2.279
Gruppo di sostegno Chivasso	1.506	420	340	2.266
Gruppo di sostegno Foggia Manfredonia		1.035	1.231	2.266
Delegazione FFC di Trescore Baln - BG	580	982	535	2.097
Gruppo di sostegno Imperia NEW *			1.975	1.975
Gruppo di sostegno Genova	701	300	950	1.951
Gruppo di sostegno Monte S.Pietro Bo	1.739			1.739
Gruppo di sostegno Venezia	705	982		1.687
Gruppo di sostegno Samarate Varese	830	800		1.630
Delegazione FFC di Viterbo	815	771		1.586
Gruppo di sostegno Foggia San Severo		719	780	1.499
Gruppo di sostegno Gorizia Grado NEW *		1.490		1.490
Gruppo di sostegno Città di Castello PG	1.380			1.380
Gruppo di sostegno Cicciano-Napoli	1.150			1.150
Delegazione FFC di Teramo			1.100	1.100
Gruppo di sostegno Val d’Alpone	300	175		475
Delegazione FFC di Reggio Calabria NEW *			250	250
Gruppo di sostegno Genova Cavi di Lavagna		210		210

DAL 6 AL 26 OTTOBRE, LA SFIDA CONTINUA

L'XI Campagna nazionale per la ricerca in fibrosi cistica si avvicina e ravviva l'entusiasmo di migliaia di volontari. Quest'anno le iniziative percorreranno quasi tutto il mese di ottobre: dal 6 al 26 ottobre, con l'obiettivo per tutti i volontari FFC di moltiplicare le energie all'ennesima potenza, così da migliorare i risultati dell'anno scorso.
Prima di tutto **le piazze**, fiore all'occhiello della raccolta a favore della ricerca FFC. Nei weekend del 12-13 e 19-20 saranno offerti i ciclamini, con due record da battere rispetto al 2012: superare quota 1.100 piazze e quota 52 mila piante distribuire lo scorso anno. Dal 2011 al 2012 si è passati da quasi 33 mila a oltre 52 mila ciclamini, con un incremento del 59%, mentre le piazze sono salite del 45%. Adesso la sfida continua.
Non di soli fiori è fatta la Campagna 2013. Il trio Marzotto-Lelli-Cassani, incoraggiato dal successo mediatico riscosso nella precedente edizione e dall'affetto dimostrato dalla gente lungo il percorso, ha deciso di tornare in sella per il **Tour ciclistico FFC**, ricoprendo la distanza Palermo-Roma con un gruppo di amici campioni. Oltre mille chilometri pedalati in pochi giorni, per attirare i riflettori sulla malattia genetica rara più diffusa. Ma la corsa non finisce qui: **i volontari** saranno protagonisti della Campagna con una miriade di eventi, come la raccolta di donazioni, la diffusione di materiale informativo, incontri con il pubblico per dare testimonianza e fare conoscere l'attività della Fondazione; insomma una corsa lunga un mese, nel segno del comune impegno per la ricerca.
Il 6 ottobre, giorno di apertura della Campagna nazionale, FFC parteciperà alla **Verona Marathon** come charity partner e a seguire alle più importanti gare non competitive, family run, maratone ed eventi podistici autunnali organizzati dal Nord al Sud Italia per fare correre la conoscenza della fibrosi cistica. (Vedi tabella pagina 37). Il 24 ottobre, grazie alla collaborazione con il Gruppo di Seregno, al Teatro Manzoni di Monza, i comici di **Zelig** daranno vita a uno spettacolo esilarante a favore della ricerca FFC; a Roma, attraverso la sua nuova scuola di cucina, **Anna Moroni** proporrà ugualmente un evento goloso. Le occasioni per partecipare alla grande movimentazione nazionale saranno le più disparate. Abbiamo fiducia che gli sforzi di molti trovino compensazione nella risposta dei più, perché c'è bisogno del contributo di tutti per vincere. La Fondazione, grazie alla collaborazione con Christie's Italia, Carta Sí e altri amici e sostenitori, sta inoltre organizzando a Milano, per giovedì 10 ottobre, un importante evento di raccolta fondi presso il prestigioso spazio **Illulian**, in via Manzoni 43. Saranno proposti diversi lotti attraverso la formula "50%-OFF SALE", abbinata a un'asta per alcuni pezzi unici da collezione.
Inoltre, grazie alla rinnovata collaborazione con il Gruppo Sole 24 Ore, FFC sarà partner sociale della mostra dedicata a **Andy Warhol**, padre della Pop Art americana, che si terrà dal 24 ottobre 2013 al 2 marzo 2014 nelle sale di Palazzo Reale, a Milano. Una nuova opportunità di arricchimento culturale nella solidarietà da non perdere.

Matteo Marzotto torna in sella per la FFC

SMS 45507

Dall'11 al 20 ottobre 2013 sarà possibile sostenere la Ricerca FFC con un semplice gesto, inviando un **SMS** del valore di 2 euro al **45507** da cellulari TIM, Vodafone, WIND, 3, PosteMobile, CoopVoce e Nòverca oppure chiamando lo stesso numero da rete fissa TeleTu e TWT (2 euro) o da rete fissa Telecom Italia, Infostrada e Fastweb (2 o 5 euro). Spot radio e TV, manifesti e locandine porteranno in evidenza l'invito a donare, ma il successo di questa Campagna dipenderà soprattutto da noi! Impegniamoci a promuovere catene di solidarietà tra parenti, amici e conoscenti attraverso il passaparola, via sms, e-mail e social network. Le donazioni ricevute contribuiranno al sostegno del progetto di ricerca FFC#17/2012 "Il ruolo dell'endotelio vascolare nell'infiammazione della fibrosi cistica", coordinato da Mario Romano (Dip. Scienze Biomediche, Università Chieti-Pescara, Lab. Medicina Molecolare).

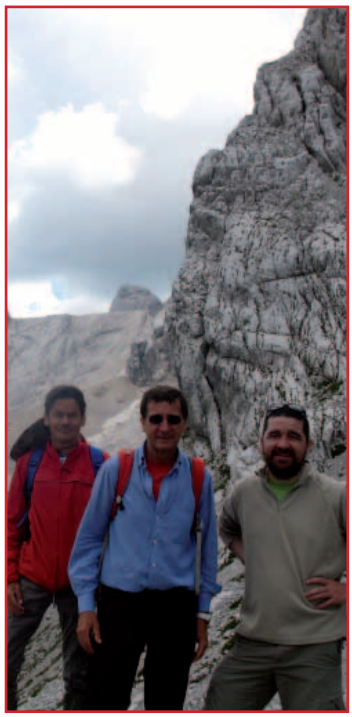
Spot
IL REGALO DI CARLO VERDONE AI MALATI DI FIBROSI CISTICA

Carlo Verdone ha aperto alla Fondazione FC le porte della sua casa. Con generosità e grande disponibilità ha accettato di girare uno spot che lo vede testimone a favore della ricerca sulla fibrosi cistica. Il filmato, che sarà diffuso in occasione della Campagna Nazionale FC 2013, mette in scena un personaggio molto conosciuto e amato del repertorio dell'attore. Quel medico instancabile che nelle occasioni più insolite rispondeva al telefono dando consigli ai propri pazienti in "Viaggi di nozze", torna qui a far sorridere con una breve gag che attira l'attenzione di chi ascolta e poi la fa rivolgere alla fibrosi cistica, una malattia gravissima, per la quale non esiste ancora una cura. Esiste però l'impegno, assunto qui in prima persona da Carlo Verdone, di contribuire al sostegno della ricerca per arrivare alla soluzione. Simpatia, empatia, capacità di comunicare la speranza, parole come abbracci.
Da parte della Fondazione FFC, un grande grazie di cuore a Carlo Verdone per avere prestato la propria immagine, a Giovanni Bogani per la regia, ad Alessio Focardi per la direzione fotografia e il montaggio, all'operatore Simone Cantini e al fonico Andrea Cilento.

MARATONE	DATE	DELEGAZIONI
KIDS RUN - ARENZANO (GE)	6/09/2013	Genova
MEMORIAL PEPPE GRECO - SCICLI (RG)	28/09/2013	Vittoria-Ragusa Catania 2
MARATONA ARCHI MESSINA	29/09/2013	Messina
MINI MARATONA - MATERA	6/10/2013	Gds Montescaglioso
VERONA MARATHON	6/10/2013	Verona
24 ORE DI SAN MARTINO - BELLUNO	12-13/10/2013	Belluno
ALASSIO-TESTICO...LA CORSA (SV)	13/10/2013	Gds Imperia
LAGO MAGGIORE MARATHON	20/10/2013	Verbania
MARATONINA DEL VINO - RIMINI	20/10/2013	Imola e Romagna
MEMORIAL CARDINELLI - PONTELAGOSCURO (FE)	27/10/2013	Ferrara
LUCCA MARATHON	27/10/2013	Lucca

TRE UOMINI IN CORSA PER LA RICERCA

Marco Menegùs, Alberto Cardosi e Daniele Bortolato, dopo avere ricevuto un fortunato trapianto bipolmonare, correranno per FFC "Last 10km Marathon 2013", evento podistico non competitivo, che dà la possibilità anche ai non-agonisti di percorrere gli ultimi 10 pittoreschi km del percorso della "Verona Marathon", tagliando il traguardo in Arena.
L'idea, lanciata da Alberto (l'ultimo a ricevere il trapianto in ordine di tempo), ha incontrato l'entusiasmo di Marco, che ha subito coinvolto Daniele, compagno di ascese alpine dalla volontà tenace. «Lo faremo per sensibilizzare alla donazione d'organi e agli scopi della Fondazione – spiega Marco. Sarà un'occasione per stare insieme e di scambio di esperienze. Un'affermazione di fiducia verso le possibilità della ricerca e le opportunità che offre a noi malati. Sarebbe divertente se anche altri pazienti potessero partecipare per dare un segno di positività». Loro hanno già iniziato ad allenarsi. Voi cosa aspettate? Appuntamento il 6 ottobre in piazza Bra a Verona per lanciare un messaggio di speranza e di solidarietà.



Da destra: Marco Menegus, il professor Federico Rea, primario del reparto di Chirurgia Toracica Clinica e responsabile del Centro Trapianti di Polmone del Policlinico Universitario di Padova, e Daniele Bortolato. Foto scattata lo scorso agosto presso la Forcella Piccola, sul gruppo dell'Antelao, a 2120 metri di quota.

FESTE, AMORE E FANTASIA
DA NORD A SUD, TUTTI I MODI PER FINANZIARE LA RICERCA FFC

Non ci sono sabati o domeniche, feste comandate, infortuni o maltempo che impediscano ai volontari FFC di organizzarsi per portare al pubblico più vario il proprio entusiasmo e la fiducia che nutrono nella ricerca. E così anche le occasioni per parlare di fibrosi cistica diventano le più impraticate. Bice, la nonna di tutte le Delegazioni, che guarda in modo circospetto il mondo iperconnesso e si affida al notiziario per tenersi aggiornata, osserva: «ogni volta resto senza parole leggendo delle iniziative che s'inventano per raccogliere fondi. Un poco mi vergogno della semplicità dei nostri banchetti. Noi non siamo così fantasiosi». In realtà guai se venisse a mancare la solidarietà degli amici bellunesi. Classiche o audaci a noi piace raccontarle tutte, perché dicono un poco di ognuno di voi e della passione che mettete per movimentare la consapevolezza sulla malattia e sostenere la ricerca scientifica. L'unica a poter avere l'ultima parola sulla fibrosi cistica.

Nord

Milano City Marathon

Domenica 7 aprile, alla Milano City Marathon, hanno corso in 185 portando il logo FFC sul pettorale. L'edizione 2013 della maratona meneghina ha offerto un'importante opportunità a tutti i corridori: sostenere la lotta alla fibrosi cistica. Gli iscritti tramite la Fondazione hanno potuto infatti destinare una parte della propria quota di partecipazione alla causa FFC, aggiungendo al piacere della corsa anche quello di dare un importante contributo alla ricerca. Sono stati 1.546 gli euro raccolti per l'occasione. Presenza importante, tra i corridori legati alla Fondazione, quella dei dipendenti di Danone Italia e della Zambon Group Farmaceutici, in corsa tutti insieme per vincere la malattia genetica grave più diffusa. La ditta Zambon ha inoltre dato un forte contribuito aderendo, nello stesso periodo, alla campagna pasquale FFC e promuovendo una raccolta fondi interna tra i propri dipendenti, arrivando all'adozione parziale del progetto FFC n. 18/2012 per 14.400 euro.

Spotorno

Nora Fissi, responsabile del Gruppo di sostegno FFC di Savona-Spotorno, in compagnia di Paolo Cappucciati, il sub che ha battuto il record delle 24 ore di permanenza sott'acqua. Nora, che scherza: «non ho fatto il record di 24 ore al banchetto, perchè di notte me ne sono andata a dormire», è stata pur presente con una postazione di sensibilizzazione e raccolta fondi all'affollatissimo evento, supportato dal Gruppo Sportivo Olimpia Sub.

Lodi

Si stanno facendo conoscere i volontari FFC di Lodi, che per organizzare la cena a favore della ricerca FC, tenutasi l'8 giugno presso l'oratorio di Ombriano, in provincia di Crema, hanno mobilitato decine di commercianti (sul sito, dove li abbiamo ringraziati uno per uno, ne abbiamo contati una trentina). Menù e premi della lotteria sono stati offerti da loro. Un grazie particolare ai cuochi Tamara Bruschi, Anna Rana e Dossena Francesco, a don Francesco e alla calorosa voce di Daniela Magnani, che con i suoi allievi ha allietato la serata.

Carimate

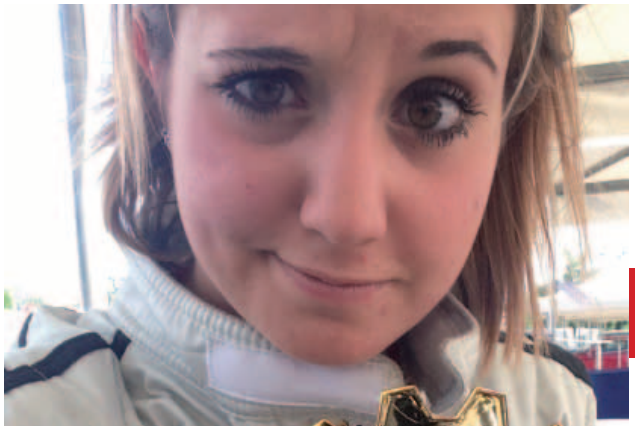
Prosegue la preziosa opera di sensibilizzazione sulla fibrosi cistica del nostro Ambasciatore illuminato Paolo Faganelli, che da anni è tra l'altro impegnato nell'orchestrazione di un'affezionata squadra di sostenitori della Fondazione appassionati di golf. A Carimate, dove il 12 giugno si è svolto un evento golfistico con 148 giocatori, non sono mancati il divertimento né una cospicua raccolta fondi. 12.372 euro si sono infatti andati ad aggiungere a quelli già versati da Paolo Faganelli e gli amici golfisti, in adozione del progetto di ricerca FFC n. 16/2012, del valore di 70 mila euro, totalmente adottato in onore di Gigio Ruspa.

Valchiavenna

Domenica 26 maggio, presso la palestra comunale di Morbegno (SO), l'Associazione sportiva dilettantistica Akros di Noemi Bordoni ha organizzato "Coloriamo la ginnastica", saggio di ginnastica artistica a scopo benefico. Due gli ospiti d'eccezione: la Fondazione FFC, rappresentata da Andrea Giorgetta della Delegazione di Sondrio Valchiavenna, e Matteo Morandi, ginnasta italiano medaglia di bronzo alle Olimpiadi di Londra 2012. Andrea, di fronte a un vasto pubblico, ha riportato la propria testimonianza di paziente FC, concludendo: «la vita è un dono legato al respiro. Siamo chiamati a fare del nostro respiro un dono per noi e per gli altri». Un grazie particolare alla volontaria Viola per l'impegno e l'occasione che ci ha regalato.

Torino

Due serate, quella di primavera al Circolo Ufficiali e il galà d'estate presso il Circolo Canottieri Armida, che Enza Furnari, importante alleata della Delegazione FFC di Torino, ha organizzato con cura per fare parlare di fibrosi cistica. Diverse le testimonianze, curati e accoglienti gli ambienti, ottimo il cibo e numerosi gli ospiti intervenuti a sostegno della ricerca FC; «un grazie speciale – dice la responsabile della Delegazione, Gabriella Pansini – va però agli affezionati sostenitori della causa in territorio torinese, per la partecipazione assidua e generosa».



Monza

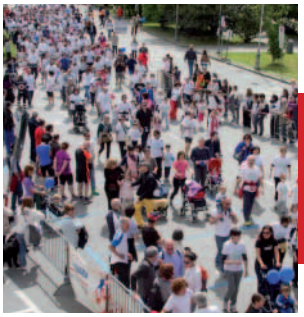
Dal 31 maggio al 2 giugno, presso l'Autodromo di Monza, si è corsa la 61ª Coppa Intereuropea storica, alla quale ha partecipato anche la testimonial FFC Rachele Somaschini, diciannovenne affetta da fibrosi cistica, con la passione dei motori. Rachele ha gareggiato con una Giulietta Sprint supervisionata nientemeno che dal mitico pilota di Formula1 Arturo Merzario e il logo della Fondazione sul petto oltre che sull'auto, aggiudicandosi il premio come giovane donna debuttante.
I numeri però, non li ha fatti soltanto Rachele in pista, ma anche la sua squadra di volontari, reclutati tra amici e familiari. Hanno allestito un gazebo dove hanno distribuito materiale informativo sulla malattia e offerto gadget, tra cui foto, berrettini e magliette autografate da A. Merzario (per gli interessati contattare Monica: monicalai@libero.it), e sono riusciti a distribuire ben 500 biglietti della lotteria a sostegno della ricerca FC, tenutasi il 6 giugno presso il Bobino Club di Milano. Alla prossima!

Novara

C'erano anche i coniugi Goldin, volontari della Delegazione FFC di Novara, giovedì 25 aprile alla "Mostra Mercato di Primavera" organizzata a Bellinzago dalla locale Pro Loco. L'affollata manifestazione è stata una buona vetrina per sensibilizzare sulla fibrosi cistica e raccogliere fondi per l'adozione del loro quarto progetto di ricerca.

VCO – Verbano Cusio Ossola

Nella foto Claudio Fogli e Nathalie Terrano, attivissimi volontari che il 26 maggio, in occasione della 31ª edizione della corsa non competitiva "Straverbania", hanno partecipato alla "Camminata dei bimbi", il cui ricavato (2.270 euro) è stato devoluto in adozione del loro terzo progetto di ricerca.



Minerbe

Una serata perfetta quella del 25 maggio scorso al Teatro Salieri di Legnago, organizzata con dedizione dalla numerosissima Delegazione di Minerbe in collaborazione con l'associazione "Non solo danza". Veronica Gatti, alla direzione artistica, ha curato le coreografie e, nonostante il pancione del nono mese (ha partorito 20 giorni dopo), ha partecipato allo spettacolo, coordinando una cinquantina di bambine, che hanno fatto volteggiare a passo di danza anche la speranza di tanti giovani affetti da fibrosi cistica. Sul palco, con le ballerine, hanno dato spettacolo anche Paola Mattiazzi, che ha cantato e diretto il coro gospel di voci bianche. Grande soddisfazione per la meraviglia del teatro pieno in ogni ordine (600 i biglietti venduti) e per gli oltre 4000 euro raccolti a favore dell'adozione di un progetto di ricerca FFC. Dice Fabio Facciolo, responsabile di Delegazione: «un risultato che per noi è un punto di partenza. Raddoppieremo gli sforzi e cercheremo di capitalizzare quello che stiamo seminando. Molto di questa serata lo dobbiamo ai volontari, che hanno investito tanto del loro tempo per la riuscita». A tutti la nostra riconoscenza.

Montebelluna

Le meravigliose volontarie de "La bottega delle donne" perseverano nella loro infaticabile opera di sostegno alla causa FC. Domenica 14 aprile, nella favolosa cornice di Villa Trissino, hanno organizzato un torneo di burraco con buffet a sostegno del decimo progetto di ricerca adottato dalla Delegazione FFC di Montebelluna. Complimenti!

Verona

Sabato 20 aprile, la Fondazione è stata ospite del liceo "Lavinia Mondin" di Verona, che ha organizzato un incontro per i propri studenti e la cittadinanza, per fare conoscere la fibrosi cistica e l'attività di FFC. Per l'occasione sono intervenute la dottoressa Graziella Borgo, vicedirettore scientifico FFC, e Claudia Rinaldi, paziente e testimonial FFC, tutta entusiasmo emiliano, da sempre impegnata a fare conoscere la malattia portando la propria testimonianza di vita.

Milano

Come per le scorse edizioni, anche quest'anno, per rendere particolare l'evento al Bobino Club, è stato chiesto l'impegno di tutti i volontari della Delegazione di Milano, ai quali va il merito della riuscita della serata. Un grazie altrettanto sentito ad Andrea Granata per l'ospitalità, a Rudy Smaila & Band per la musica dal vivo e a Davide Povia per il DJ set.
Tra cocktail, musica e stuzzichini, al divertimento si è aggiunta una preziosa opera di sensibilizzazione sulla fibrosi cistica, cui ha dato lo spunto anche l'estrazione della ricchissima lotteria, che per primo premio ha messo in palio uno scooter Liberty 125.

Valpolicella

Anche quest'anno la Delegazione della Valpolicella, che ha per responsabile Laura Cottini, ha organizzato il "Mercatino delle meraviglie di primavera" a favore della ricerca FC. La raccolta di 3.528 euro è stata «un risultato davvero inaspettato, considerando il momento socio-economico che stiamo attraversando», commenta Laura, che aggiunge: «la solidarietà migliora la qualità della vita». Praticatela!

Cerea

Il 19 maggio scorso, grazie alla generosa collaborazione dei Nord Est Bikers e dei Rumbling Scottish di Cerea, i volontari del gruppo FFC "Il sorriso di Jenny" hanno organizzato un pranzo con lotteria a sostegno della ricerca FC. Il ricavato della giornata ha contribuito all'adozione di un nuovo progetto di ricerca.

Sigurtà

Il 21 giugno, per salutare il solstizio d'estate, nella cornice fiabesca di Villa Sigurtà, a Valeggio sul Mincio, si è tenuta una grande festa a favore della ricerca FC con 200 ospiti e un gruppo di 60 allievi della scuola di musica Cluster di Milano ad allietare la serata sulle note rock-pop '70 - '80, arrangiate in chiave gospel. I ragazzi hanno voluto arrivare preparatissimi, organizzando prove generali straordinarie, ed effettivamente hanno riscosso l'approvazione di tutti. Hanno raccontato di essersi sentiti per la prima volta invitati anziché ospiti e che la loro festa è proseguita fino alle quattro del mattino in corriera – qualcuno ha pure dimenticato di recuperare le scarpe e non solo tra i musicisti. Grande curiosità ha suscitato anche la composizione di un'enorme millefoglie direttamente in giardino, tra i tavoli magnificamente allestiti; la qualità di cibi e bevande e la notte mite e serena hanno contribuito a regalare ai partecipanti una serata da ricordare. L'iniziativa è stata promossa da FFC con il patrocinio del Comune di Valeggio e il sostegno di Veneto Banca e del ristorante "Alla Borsa" di Valeggio. Il ricavato dell'evento, di 8.500 euro, finanzierà il progetto di ricerca FFC n. 14/2012 "Nuove vie per salvare i polmoni dei malati FC", coordinato da Maria Cristina Dechecchi del Laboratorio di Patologia Molecolare dell'Azienda Ospedaliera di Verona.

Vicenza

Per gli stacanovisti della Delegazione di Vicenza ogni periodo dell'anno è buono per fare conoscere la fibrosi cistica. Tra aprile e maggio, in collaborazione con il Comune di Chiampo e MV Eventi, hanno inaugurato la mostra "9cento e oltre: percorsi dell'arte italiana da Giorgio De Chirico al multimediale", collettiva di grandi maestri e giovani artisti italiani a favore della ricerca FC. In occasione della festa della mamma, come altri 23 gruppi di volontari della Fondazione, hanno supportato la campagna LIFC "Da rosa nasce cosa", il cui ricavato è stato devoluto al potenziamento dei centri di cura. Nel mese di giugno è stata la volta della serata presso l'enoteca "La Corte", a Cornedo Vicentino, dove in una nottata di musica e ottimo cibo sono stati raccolti 1.455 euro a favore di FFC (peccato soltanto che i posti a disposizione fossero limitati). Per il 2014 si spera in un'estensione della festa nel Parco Pretto. Ci fermiamo a "FFC Estate", la kermesse di teatro, musica e spettacolo organizzata dalla Delegazione di Vicenza con la collaborazione della Pro Loco e il patrocinio del Comune di Crespadoro.

Il maxi assegno consegnato da Dario Antoniazzi, responsabile della Delegazione FFC di Vicenza, a Gianni Mastella, direttore scientifico della Fondazione, in occasione del pranzo conviviale della Delegazione.

Il critico Alberto Sgarro con una classe delle scuole medie di Chiampo.

Inaugurazione della mostra "9cento e oltre".

"Da rosa nasce cosa": la Delegazione FFC di Vicenza con gli amici dell'Associazione LIFC vicentina.

Gli amici Claudio Bortolati, Doriano Anastrelli e gli "Onda Acustica".

"FFC Estate": sul palco di San Pietro Mussolino il Sindaco di Vestenanova, quello di San Pietro Mussolino Mirella Piazza, Dario Antoniazzi, il prof. Clerici dell'Accademia del canto di Arzignano e il presentatore Dino.

Belluno

Il contributo silenzioso e costante della Delegazione di Belluno, di cui è responsabile Bice, viene poco raccontato, ma resta tra i più generosi. Soltanto negli ultimi tre anni ha raccolto 180.973 euro. «C'è una consuetudine ventennale che ci permette di ottenere buoni risultati anche in tempi molto difficili», osserva Bice. È piena di acciacchi, sempre più affaticata, ma ripete: «ho fatto la promessa che avrei continuato a battermi finché ne avrei avuto il fiato. Finché la testa, più che le gambe, mi reggerà, qualcosa farò». Ed eccola, pronta a lasciarsi coinvolgere sempre in una nuova avventura. In occasione della festa della mamma, nonostante la pioggia, la neve, le difficoltà e la crisi, grazie ai suoi numerosissimi aiutanti, che «anche questa volta sono stati superbravi», ha raccolto oltre 18 mila euro. Hanno offerto rose e gerani a Belluno (con una partecipazione straordinaria delle scuole "Nievo" e "Ricci"), Sedico, Agordo (anche presso Luxottica), Cencenighe, Caviola, Falcade, Rivamonte, Rocca Pietore, San Tomaso. «L'adozione del progetto FFC n. 19/2011 è molto importante: abbiamo quasi raggiunto l'obiettivo dei 90 mila euro – ricorda Bice. Ne rimangono da raccogliere 14 mila, ma sarà per la prossima manifestazione». Un po' scherzando un po' schermendosi conclude: «mi vergogno perché non riesco a fare i party, gli eventi con le persone in abito da sera, ma abbiamo già preparato la semina dei ciclamini per la Campagna nazionale».

Trento

Per finanziare il progetto FFC n. 8/2013, che l'Associazione Trentina FC ha adottato in ricordo di Vanessa Weber, sono state tante le iniziative di raccolta fondi organizzate.
Domenica 26 maggio, dieci cantine e distillerie del Movimento Turismo Vino Trentino hanno devoluto parte dell'incasso della giornata "Cantine aperte 2013" ai progetti dell'Associazione, incoraggiando anche la sensibilizzazione degli avventori al problema della fibrosi cistica.
Domenica 16 giugno si è svolta la 25ª "Francesco Moser", una pedalata diventata una tradizione grazie alla generosità della famiglia Moser, cui è seguito un pranzo da 500 persone con intrattenimento musicale e offerta di parte delle iscrizioni a favore del progetto di ricerca scientifica adottato. Presenti all'evento, per promuovere la conoscenza della malattia e l'importanza del sostegno alla ricerca, tanti volontari, il dr. Ermanno Baldo, direttore del Centro Provinciale FC Trentino, e Claudia Rinaldi, responsabile della Delegazione FFC di Ferrara, che con la sua commovente testimonianza ha invogliato all'acquisto dei biglietti della lotteria.
Il 29 giugno, presso la suggestiva chiesetta di Sant'Apollinare, è stata la volta del concerto "Le luci e le stelle", che il Coro Sosat ha voluto dedicare alla FC. Un grazie speciale per la cena offerta dal Comitato Dextera Athesis, al presidente del Coro Zanotti Andrea, e a don Piero Rattin, parroco di Piedicastello. Il 15 luglio, poi, ha preso avvio l'iniziativa "Fino alla fine del mondo", percorso di 650 km, che Agata e Sergio Damiani di Trento, assieme alle loro bambine di tre e cinque anni, hanno compiuto a piedi da Lisbona a Santiago di Compostela, accompagnati da quasi 400 cartoline, acquistate dagli amici della lotta alla FC, e spedite tappa dopo tappa lungo il viaggio.

Ferrara

Anche per luglio 2013 si è svolta la consueta cena con gli imprenditori e le autorità ferraresi organizzata presso Villa Belfiore dalla Delegazione FFC di Ferrara. La cronaca è di Claudia Rinaldi: «la splendida sinergia creatasi l'anno scorso con alcuni amici musicisti si è ripetuta. La band ora ha un nome ufficiale: "Sweets Research Notes" ovvero "Dolci note della Ricerca", con la grande e potente voce di Nicholas Menegatti, il sax del professor Valieri e il mitico Marco Chendi alle tastiere. La serata si è svolta tra amici, nel piacere delle cose semplici ed essenziali, come la ricerca per i malati FC». Tra gli illustri presenti: il prof. Gambari dell'Università di Ferrara e l'alleata Delegazione di Bologna.
Prosegue Claudia: «da cosa nasce cosa e così il 19 luglio, in Galleria Fogli a Comacchio, si è tenuta la seconda edizione de "Il Sapore della Ricerca", serata-evento con musica dal vivo e sfilata di moda promossa da Trattoria Melixa, il Pizzicante e pizzeria Il Faro». In passerella le splendide creazioni della stilista Patty Farinelli e gli abiti di Gari Shop, indossati dai volontari FFC di Ferrara, del Gruppo di Sostegno di Comacchio, e da due modelle d'eccezione entrambe pazienti FC: Claudia Rinaldi, con il suo abito da sposa, e la piccola Giorgia, di soli quattro anni, «a testimonianza che non siamo diversi e la FC è una malattia nascosta e subdola».

Giorgia e Federico

Dietro le quinte della sfilata.

Claudia Rinaldi, responsabile della Delegazione FFC di Ferrara in abito da sposa dopo la sfilata.

Centro

Pisa

Primo evento ufficiale per il neonato Gruppo di Sostegno di Pisa, che giovedì 18 luglio, a Sant'Anna di Cascina, ha allestito un banchetto di sensibilizzazione con pesca di beneficenza a sostegno della ricerca FFC. A Jacopo Gonnelli, responsabile del gruppo e ai suoi collaboratori, il nostro caloroso benvenuto.

Cecina

In seguito al successo dello scorso anno la giovane Delegazione di Cecina e Rosignano ha organizzato la seconda edizione di "Una cena per la ricerca" presso il ristorante "Sole Mare" di Vada. L'occasione di una serata in riva al mare in compagnia, si è dunque trasformata in un prezioso contributo per la ricerca.

Peccioli

A Peccioli, in provincia di Pisa, il 22 giugno scorso si è tenuto il primo "Memorial Marco Becuzzi". La partita si è giocata tra gli amici di Marco, dai quaranta in su, e la compagnia di quindicenni di suo figlio Leonardo. L'incasso dell'iniziativa è stato equamente devoluto alla Fondazione FFC e alla ricerca per i tumori al seno. Grazie di cuore a tutti coloro che hanno partecipato e che hanno reso possibile raccogliere circa 300 euro a favore della ricerca FC, in ricordo di una persona davvero speciale.

Imola

Il 17 luglio, in occasione di "Forlì For Friends", concerto di piazza dedicato alla ricerca in fibrosi cistica, giovani cantanti, autori e cantautori si sono avvicendati per sostenere la speranza in una cura definitiva per la malattia genetica grave più diffusa. L'evento, nato dalla solida collaborazione tra la Delegazione FFC di Imola e gli amici della Round Table 6 di Forlì, ha chiamato a raccolta tutte le sorridenti volontarie romagnole, che ringraziamo per essere sempre così attive e battagliere.

Credits - Pier Paolo Longo

Credits - Pier Paolo Longo

A Misano, alla terza gara del Campionato Italiano PreGp, quello dove corre Nicolò Bulega, il giovanissimo campione testimonial di FFC, sono state presenti anche le volontarie della Delegazione di Imola e Romagna, per tifare Nicolò e sensibilizzare al problema della fibrosi cistica il mondo del motociclismo.

Latina

Adriana De Santis e Annamaria Anelli si spendono sempre moltissimo, riuscendo a coinvolgere nel loro impegno le realtà più disparate. La primavera scorsa con l'associazione "IN-CANTO" e il circolo cittadino "Sante Palumbo" di Latina hanno presentato "Cinema e Musica", un concerto di solidarietà a favore della ricerca FC. Nel corso della serata il coro, diretto da M. Luigia Richiedei e accompagnato al pianoforte dal maestro GianLuca Biondi, ha eseguito un repertorio di brani tratti da alcuni dei più celebri film della storia del cinema, deliziando gli amanti di Morricone, ma non solo.

Non ringrazieremo mai abbastanza Anna Cardogna, regista e drammaturga della compagnia "Gli Amici del Teatro", da anni solidale con la causa FC. Dal 14 al 17 giugno ha portato in scena la commedia dialettale in tre atti Chi nen riseca nen roseche, devolvendo il ricavato di 1.850 euro in adozione del progetto di ricerca adottato dalla Delegazione FFC di Latina.

Continua l'oneroso impegno di Adriana nelle scuole. Al liceo scientifico "Majorana" di Latina ha organizzato una serie d'incontri formativi, di orientamento e solidarietà, destinati agli studenti del triennio. Il primo intitolato "La ricerca di senso e il dono di sé"; il secondo "La testimonianza di chi fa ricerca", apprezzatissimo, ha visto la partecipazione dei ricercatori Livia Leoni e dell'istrionico Giuseppe Castaldo. Nel mese di maggio, poi, il Laboratorio di Biotecnologie dei microrganismi dell'Università Roma 3 ha accolto 15 studenti eccellenti nelle discipline scientifiche dei licei "Majorana" e "Dante Alighieri" di Latina, per un ministage che ha permesso ai giovani di realizzare attività di orientamento scolastico e professionale e di approfondimento delle discipline specifiche, guidati da ottimi ricercatori, da anni collaboratori della Fondazione nella lotta alla fibrosi cistica. Un grazie speciale a Livia Leoni per essere stata coordinatrice appassionata e generosa dell'attività.

Da sx, la prof.ssa Stella Fioccola, dirigente del Liceo, che introduce il progetto; Adriana De Santis e la dott.ssa Patrizia Funghi, bioeticista dell'Università di Siena.

I ragazzi delle classi terze del liceo scientifico "Majorana" di Latina, partecipanti al progetto.

Monterotondo

Se qualcuno avesse mai dubitato della fede calcistica di Massimiliano Rosazza, rutilante responsabile della Delegazione di Monterotondo, non avrà più nessun dubbio dopo aver dato un'occhiata alle foto pubblicate. Il 20 maggio, allo Stadio Olimpico di Roma, si è giocato il 23° Derby del Cuore tra Roma e Lazio. In campo: attori, cantanti, calciatori, noti tifosi e simpatizzanti delle due squadre. Sugli spalti ci sono stati anche i volontari FFC, che attraverso la vendita dei biglietti per la partita hanno raccolto fondi per il finanziamento del progetto di ricerca n. 13/2012 adottato dalla Delegazione.

Sud

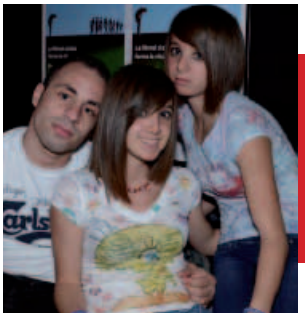
Latiano

La presenza dei volontari FFC dei gruppi di Brindisi Latiano e Torre all'evento "Open Day" del 30 giugno scorso è stata l'occasione per fare conoscere la fibrosi cistica ai presenti che ancora ne erano ignari. Il dr. Valerio e il dr. Mitrotta hanno dispensato informazioni sulla malattia a chiunque fosse interessato, sforzandosi di trasmettere la compartecipazione alla gravità della fibrosi cistica prima della necessità di partecipare alla raccolta fondi per la ricerca. Un grazie speciale a Patrizia Salinaro, responsabile del Gruppo di sostegno FFC di Brindisi Torre, per avere creato la meravigliosa torta della foto.

Fuori stagione: i medici e gli infermieri del reparto FC del Policlinico di Bari, che oltre a lavorare con impegno e devozione hanno generosamente contribuito all'acquisto degli animaletti di cioccolato durante la Campagna pasquale FFC.

Montescaglioso

Calorosa partecipazione per l'iniziativa organizzata da Franca Petrarca del Gruppo di Sostegno di Montescaglioso in occasione della festa del papà. Ad aderirvi gli istituti comprensivi "Palazzo-Salinari" di Montescaglioso e "G. Pascoli" di Matera. Grazie all'offerta di un ottimo dolcetto di pasta frolla e cioccolato, realizzato artigianalmente e in esclusiva per la Fondazione dalla pasticceria "Delizie" di Montescaglioso, sono stati raccolti 1.440 euro, che contribuiranno all'adozione di un progetto di ricerca FFC. Un grazie particolare ai prèsidi Nunzio Nicola Pietromatera e Michele Ventrelli, alla professoressa Festa e alle insegnanti di entrambi i plessi, che hanno sensibilizzato gli alunni al problema della fibrosi cistica.



Tremestieri

Marigrazia Camiolo, esuberante responsabile del gruppo di Tremestieri, nell'organizzazione di eventi a favore della ricerca FC è un cantiere aperto. A fine aprile, in collaborazione con l'associazione Latinight, ha proposto "Salsa por la vida", serata di danza e musica latinoamericana. In occasione della festa della mamma, ha invece ingaggiato i volontari per offrire deliziosi dolcetti a forma di fiore nelle piazze di Messina e presso l'ospedale. Il risultato di raccolta per la ricerca è stato complessivamente di 1.250 euro. Ottimo lavoro!

Riola Sardo

Terza edizione del torneo di calcio a sette per bambini, in occasione del memorial "Diamoci una mossa" in ricordo di Marco Loche. La manifestazione, svoltasi al campo comunale di Riola Sardo, «è stata un successo grazie alla grande partecipazione del paese», racconta la tenace responsabile del gruppo, Cristina Loche, che vorrebbe ringraziare a uno a uno tutti i bambini che hanno giocato, le loro famiglie, il pubblico che ha animato le numerose serate, e i suoi splendidi volontari. L'elenco completo dei ringraziamenti lo rimandiamo al link www.mondoffc.it/Delegazioni-e-Gruppi-di-Sostegno/gruppo-di-sostegno-riola-sardo. Qui ci limiteremo ad aggiungere un ulteriore grazie alla famiglia Loche, che tanto si spende per la causa FC.

Cagliari

Non sono stati ringraziati abbastanza i gruppi volontari che durante la Campagna pasquale hanno permesso la straordinaria raccolta fondi realizzata dalla Delegazione FFC di Cagliari, di cui è responsabile Davide Della Morte. Grazie dunque al gruppo Scout Cagliari 8 con la responsabile Alberta Sotgiu, che hanno offerto uova e sorrisi nella piazza della chiesa di Madonna della Strada, presso Mulinu Becciu. Grazie al gruppo Muravera e Villaputzu; all'Associazione A.V.O.C.C. di Villaputzu e alla responsabile Erika Murgioni per la disponibilità e l'entusiasmo. Grazie al numerosissimo gruppo di Villasalto (nella foto) per l'Associazione Volontari A.V.R.A. (Protezione civile e 118) e al presidente Giuseppe Melis, che hanno coperto ben cinque piazze con una raccolta di 1.527 euro. Racconta Davide: «tutto è nato per caso dopo una lunga chiacchierata con Daniela, che ha conosciuto direttamente la malattia. I soci dell'A.V.R.A. di Villasalto si sono mostrati attenti e sensibili al suo racconto e curiosi verso la malattia. La loro disponibilità e il coinvolgimento dei soci sono stati tempestivi e così l'offerta delle uova di Pasqua si è trasformata in un'occasione per incontrare le persone e fare informazione sulla malattia. Grazie di cuore a tutti coloro che hanno concretamente aiutato a realizzare l'iniziativa, che ha riscontrato un notevole successo nella popolazione di Villasalto, Castiadas e San Nicolò Gerrei».

Palermo

Non poteva che diventare Delegazione, il gruppo di volontari di Palermo, il più attivo tra tutti, che fa concorrenza solo all'amico La Lota, e noi non facciamo che darne orgogliosa notizia. Il 25 luglio, in collaborazione con il Lido Le Blond Disco Beach, ha presentato "Il Cabaret di Antonio Pandolfo", spettacolo tra risate a non finire, mare e tanta solidarietà; dal 3 al 7 giugno ha gareggiato nella staffetta-del-volontario, per garantire una presenza costante a "Unipasport 2013", manifestazione sportiva dell'Università degli Studi di Palermo. Il 20 maggio, grazie alla sensibilità e alla disponibilità dimostrate dalla Società Aquila Cinisi, si è giocato presso lo stadio comunale di Cinisi il "1° memorial Elisa Pepe", torneo di calcio con protagonisti i bambini. Abbiamo proceduto all'incontrario per tenere in ultimo l'evento di tutti gli eventi ovvero lo spettacolo "Più respiro, più vita" avvenuto l'11 aprile scorso al Teatro Biondo di Palermo, pieno in ogni ordine di posti per «una serata indimenticabile, piena di risate, musica e tanta commovente partecipazione – racconta Emiliano Lo Monaco, responsabile della Delegazione con la sua amatissima moglie. È stato un successo di pubblico e di critica», che ha prodotto una foltissima rassegna stampa. Aggiunge Emiliano: «un ringraziamento agli artisti che hanno dato tutto. A Paolo Belli e alla sua band, a Mario Incudine e ai suoi musicisti, agli amici di sempre Massimo Minutella e Antonio Pandolfo, ai Qbeta, a Pierpaolo Petta e Adele Russotto. Ai tanti sponsor ci hanno consentito di realizzare questo spettacolo, grazie. Grazie anche alla Presidenza del Consiglio Comunale di Palermo per l'ospitalità nel maestoso Teatro Biondo; a Salvo La Rosa per la collaborazione e l'invito alla sua trasmissione "Insieme"; al mister Sannino e alla Società del Palermo Calcio per la simpatia e la consueta disponibilità e vicinanza alla nostra Fondazione. Soprattutto grazie alle persone che hanno riempito il teatro, rendendo la serata straordinaria, perché la vostra fiducia è la nostra forza».

Vittoria Ragusa Catania2

A Catania la festa della mamma è stato un super evento, la cui organizzazione è iniziata a gennaio, con l'invio delle richieste di autorizzazione alle scuole, e si è protratta fino a giugno. 13 gli istituti coinvolti, per 3.000 piante distribuite e un ricavato finale di 6000 euro, destinati al progetto di ricerca adottato dalla Delegazione. «Le richieste hanno superato di gran lunga le nostre aspettative – ammette Michela Puglisi, coordinatrice del grande sforzo. Un grazie in particolare ai miei familiari e a mio marito, che sono saltati da un banchetto all'altro». Tra i compagni d'avventura di Michela tantissimi volontari: la prof.ssa Giusy Clarke Vanadia, sempre indispensabile nella gestione dei rapporti con il personale scolastico, i genitori e gli studenti; Alessandra Scuderi, che con l'aiuto del fratello e di Sabrina è riuscita a coprire un istituto di Pedara con quattro succursali; i dipendenti "Vodafone" di Catania e quelli di "Almaviva Contact" di Misterbianco, che grazie all'impegno di Adriana Caruso e Ketty Gullotta hanno riempito i loro stabili con i fiori a sostegno della ricerca FC. Si sono dati da fare anche alcuni gruppi Scout amici di sempre. Per Daniele La Lota, che si è interessato alla provincia di Ragusa, non è invece stato facile. Racconta: «hanno dato l'adesione solo due istituti, ma per questo non mi arrendo, anzi rilancio l'offerta per cercare di ottenere il prossimo anno un risultato soddisfacente. Ringrazio moltissimo l'istituto comprensivo "A. Amore" di Pozzallo, diretto dalla prof.ssa Mara Aldrighetti, dove il lavoro certosino della professoressa Giusy Venticinque ha permesso di terminare in un baleno tutte le 300 piantine consegnate. Grazie anche alla scuola "G. Verga" del piccolo paese tra le montagne ennesi di nome Pietraperzia, dove si trova una graziosissima ragazza di nome Mariangela Tortorici volontaria attivissima della Delegazione, che si è messa a capofitto per scardinare le porte della diffidenza del posto, motivata anche dal risultato eccellente del trapianto effettuato a sua cugina Valentina, che ama più di una sorella». Spostandoci di fiore in fiore raccontiamo anche dell'iniziativa "Fiori e danza per la ricerca". Quattro le scuole di danza che hanno ospitato le testimonianze dei volontari FFC e i banchetti dove hanno offerto splendidi bouquet. Un grazie alla disponibilità della dottoressa genetista Maria Grazia Bruccheri e al coraggio della giovane Giada, che ha condiviso il suo sogno di paziente FC: poter danzare per tutta la vita perché la danza le fa dimenticare di avere una malattia. Nel mese di giugno, poi, la Delegazione si è attivata per dare sostegno a un gruppo di ragazze FC della Bielorussia, ospitate a Messina dall'associazione "Aiutiamoli a Vivere". Dice Daniele: «ci siamo messi a disposizione per regalare loro un sorriso. Lo abbiamo fatto in collaborazione con gli amici di tutte le Delegazioni e Gruppi di sostegno FFC della Sicilia».

eventi felici

Milano
30 marzo 2013

Battesimo di Olivia Mariarita

Cernusco sul Naviglio (MI)
12 maggio 2013

Prima comunione di Carlotta Magistrelli

Chiesa di S. Salvatore, Viano (RE)
8 giugno 2013

Battesimo Zoe Ferrarini

Chiesa di Santa Teresa del Bambino Gesù di Cosenza
18 maggio 2013

Prima comunione di Tiziano Gallo

Robecco sul Naviglio (MI)
19 maggio 2013

Prima comunione di Mirko B.

Nei momenti felici, basta poco per essere più felici.
Trasforma un occasione di festa in un gesto di solidarietà

Scegliendo i gadget FFC per compleanni e ricorrenze,
contribuirai a finanziare un progetto di ricerca scientifica
all'avanguardia nella cura della fibrosi cistica.
Visita le sezioni "Dona ora" e "Gadget e lieti eventi"
sul sito www.fibrosicisticaricerca.it
Oppure contatta la Fondazione:
tel 045-8123604 - fondazione.ricercafc@ospedaleuniverona.it

eventi felici

Fondi (LT)
5 maggio 2013

Cresima di Noemi Iudicone

Milano
16 aprile 2013

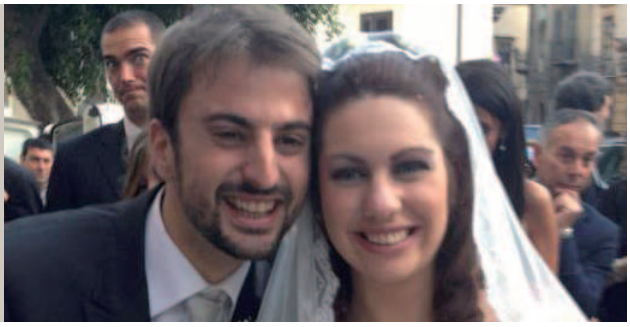
Congratulazioni a Matteo Sallemi, che il 16 aprile 2013 ha conseguito la laurea in giurisprudenza presso l'Università Cattolica del Sacro Cuore di Milano

Catania
9 luglio 2013

Congratulazioni a Federica Papotto, che il 9 luglio 2013, a Catania, è stata proclamata dottore in Lettere Moderne

Palermo
8 giugno 2013

Gli sposi Alessio Cracolici e Aurora Pullara



Arezzo
29 giugno 2013

Gli sposi Federica e Marco

fondazione per la ricerca sulla fibrosi cistica - onlus

presso Ospedale Maggiore, Piazzale Stefani, 1 - 37126 Verona

Codice fiscale: 93100600233

Presidente
VITTORIANO FAGANELLI

Direttore Scientifico
GIANNI MASTELLA

Presidente Comitato Scientifico
LUCIO LUZZATTO

Consiglio di Amministrazione
Presidente Vittoriano Faganelli
Consiglieri Eugenio Bertolotti, Andrea Bolla, Luigi Bozzini, Sandro Caffi, Paolo Del Debbio, Giuseppe Ferrari, Anna Maria Giunta, Matteo Marzotto, 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

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, S.Chignola, F. Lavarini)
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

Fondazione per la Ricerca sulla Fibrosi Cistica

ISTITUTO ITALIANO DONAZIONE
IID
DONARE CON FIDUCIA

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

Delegazioni della Fondazione

Avellino	349 3940749
Bari - Molfetta	349 6384907
Belluno	0437 943360
Bergamo - Trescore Balneario	338 4276716
Bergamo - Villa D'almè	335 8369504
Biella	331 9028525
Bologna	348 1565099
Cagliari	329 6241193
Catania	340 7808686
Catanzaro - Soverato	347 5283975
Cecina e Rosignano	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
Imola e Romagna	347 9616369
Latina	328 8042186
Lecce	328 8957499
Livorno	0586 808093
Lodi	347 0969534
Lucca	340 3436289
Mantova	335 7077280
Matera Montescaglioso	329 6016214
Messina	349 7109375
Milano	335 456809
Napoli	338 8099917
Napoli - Pompei	081 679151
Novara	331 7287449
Padova - Monselice	042 974085
Palermo	334 5300531
Parma	0521 386303
Pavia	338 3950152
Pesaro	347 0191092
Pescara	347 0502460
Ragusa - Vittoria - Catania 2	338 6325645
Reggio Calabria	348 8309785
Reggio Emilia	0522 874720
Roma	339 7744458
Roma - Monterotondo	349 6500536
Rovigo	349 1252300
Salerno	320 4229443
Siena	349 3599497
Sondrio - Valchiavenna	338 3133275
Taranto "A Carmen La Gioia"	320 8715264
Teramo	349 6067242
Torino	328 8352087
Trapani - Marsala	333 7240122
Treviso - Montebelluna	335 8413296
Treviso - Trevignano	340 6749202
Varese	347 8347126
Venezia	346 1479674
Verbania e V.C.O.	338 2328074
Verona	347 8480516
Verona - Bovolone	348 3395278
Verona - Bussolengo Pescantina	328 2316828
Verona - Cerea "Il Sorriso di Jenny"	339 4312185
Verona - Lago di Garda	348 7632784
Verona - Minerbe	328 7140333
Verona - Valdadige	340 6750646
Verona - Valpolicella	339 3316451
Vibo Valentia San Costantino Calabro	347 0896060
Vicenza	333 8877053
Viterbo	339 2107950

Gruppi di sostegno della Fondazione

Alessandria - Acqui Terme	347 4077829
Alessandria - Valle Scrivia	347 3095778
Ancona Falconara	347 3329883
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
Brindisi - Torre	327 2056244
Como - Dongo	333 6846302
Cremona - Genivolta	347 9345030
Crotone	340 7784226
Faenza	0546 44310
Ferrara - Comacchio	339 6511817
Foggia - Manfredonia	347 50125700
Foggia - San Severo	334 9370137
Genova - Cavi di Lavagna	349 3152910
Genova	010 3538371
Gorizia - Grado	328 6523404
Imperia - Ospedaletti	335 5881657
Imperia	333 2163849
La Spezia - Sarzana	388 6036651
Matera - Marconia "Roberto"	338 9573904
Messina - Tremestieri	328 5541071
Milano - Brugherio	039 2873024
Milano - Bussero	340 5327647
Milano - Seregno	338 4848262
Napoli - Cicciano	335 6551613
Oristano - Riola Sardo	349 2550467
Perugia - Città di Castello	320 9273469
Pisa	347 4235635
Roma Est	331 3633978
Rovigo - Adria	347 8497842
Savona - Spotorno	338 8775863
Torino - Chivasso	011 9172055
Torino - Ivrea	335 7716637
Trento - Ass.ne Trentina FC	340 5228888
Varese - Samarate "Terremoto Team"	345 2287044
Venezia	349 8707627
Verona "Rita"	347 6064471
Verona - Val d'Alpone	328 9688473
Vicenza - Sarcedo	333 2679212

PER DONAZIONI E VERSAMENTI

- **c/c postale n. 18841379**
- **Bonifico Unicredit Banca (senza commissione presso questi sportelli): IT 47 A 02008 11718 000102065518**
- **SWIFT-BIC code (per pagamenti dall'estero) UNCRITM1N58**
- **Bonifico Banco Popolare di Verona: IT 92 H 05034 11708 000000048829**
- **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)

XI Campagna Nazionale per la Ricerca sulla Fibrosi Cistica.

Fondazione Ricerca
Fibrosi Cistica - Onlus
italian cystic fibrosis research foundation

Ottobre 2013

Cerca nelle Piazze il ciclamino della Ricerca

TIM · vodafone · WIND Più vicini. · 3 · Poste mobile · coop voce · noverca · tele tu · TWT · TELECOM ITALIA · INFOSTRADA · FASTWEB

Dona al 45507

**Dall'11 al 20 ottobre invia SMS da 2 €
o chiama da rete fissa a 2 € o 5 €**

DONA CON FIDUCIA
FFC aderisce all'Istituto Italiano della Donazione (IID) che attesta l'uso trasparente ed efficace dei fondi raccolti, a tutela dei diritti del donatore.

Il ricavato sarà devoluto interamente alla Fondazione Ricerca sulla fibrosi cistica

Insieme per la ricerca.

Fondazione Ricerca
Fibrosi Cistica - Onlus
www.fibrosicisticaricerca.it

LEGA ITALIANA FIBROSI CISTICA - ONLUS
www fibrosicistica it

Per conoscere date e piazze: www.fibrosicisticaricerca.it - 045.8123438