

Comunicato Stampa

XIII CONVENTION DEI RICERCATORI FC  
26-28 Novembre 2015  
Hotel Poiano, Garda (VR)

## **FIBROSI CISTICA: NUOVI SCENARI DI RICERCA**

STA CAMBIANDO IL PROFILO DELLA MALATTIA, SEMPRE PIU' MALATI  
RAGGIUNGONO L'ETA' ADULTA.

ATTESI I NUOVI RISULTATI DEL PROGETTO "TASK FORCE FOR CF" PROMOSSO DA  
FFC ONLUS E COORDINATO DAL DR. LUIS GALIETTA DELL'ISTITUTO G. GASLINI IN  
SINERGIA CON IL DR. BANDIERA DELL'I.I.T. DI GENOVA.

TRA LE NUOVE PROMETTENTI STRATEGIE DI RICERCA: LA TERAPIA  
FARMACOLOGICA PERSONALIZZATA PER SCONFIGGERE LA MALATTIA ALLA  
RADICE, LA MESSA A PUNTO DI NUOVI ORGANOIDI E NUOVI ORIZZONTI  
NELL'APPLICAZIONE DELLE CELLULE STAMINALI.

QUEST'ANNO LA CONVENTION DIVENTA INTERNAZIONALE: IL MICROBIOLOGO  
BRITANNICO, ESHWAR MAHENTHIRALINGAM DELL'UNIVERSITA' DI CARDIFF  
SARA' ILLUSTRE OSPITE DELLA CONVENTION PER PARLARE DEL FUTURO DELLA  
RICERCA MICROBIOLOGICA.

L'APPUNTAMENTO SCIENTIFICO PRECEDE L'IMMINENTE  
CAMPAGNA NATALIZIA DI RACCOLTA FONDI PROMOSSA DA FFC ONLUS,  
IN PROGRAMMA DAL 6 AL 27 DICEMBRE 2015.

Verona - La fibrosi cistica si avvia a trasformarsi in una malattia cronica, con un profilo sensibilmente diverso da quello fino ad oggi conosciuto. Un trend positivo destinato ad aumentare sensibilmente nei prossimi anni e che riscrive la storia della malattia genetica grave più diffusa. In questo momento tanto cruciale e promettente i ricercatori della **Fondazione per la Ricerca sulla Fibrosi Cistica Onlus** si incontrano a Verona per una tre giorni intensiva, in occasione dell'ormai consueto appuntamento con la **Convention d'Autunno**, oggi alla sua XIII edizione.

*P.le A. Stefani, 1 - 37126 Verona - presso Azienda Ospedaliera Universitaria Integrata  
- Codice fiscale 93100600233 - [fondazione.ricercafc@ospedaleuniverona.it](mailto:fondazione.ricercafc@ospedaleuniverona.it) -  
Presidenza e Segreteria Generale Tel. 045.8123438 / 3597; Fax 045.8123568; Direzione Scientifica 045.8123567  
Area Comunicazione: Tel. 045.812 7026 / 3599 - Area Eventi/fund raising: Tel.045. 812 7033 / 7032;  
Area Delegazioni, Gruppi, Volontari FFC: Tel.045. 812 3605 / 3604*

Un'edizione quanto mai attesa, che si prospetta ricca di novità e spunti promettenti orientati a una grande scommessa: trovare la cura definitiva per consentire ai malati di fermare il timer programmato del gene mutato CFTR, responsabile di una vita troppo breve e spesa nella fatica delle cure.

Il meeting è programmato all'**Hotel Resort Poiano di Garda**, dal 26 al 28 novembre: 200 ricercatori, tre sessioni Poster e sette sessioni plenarie una delle quali particolarmente attesa poiché riguarda i risultati dell'ambizioso progetto "**Task Force for Cystic Fibrosis**" coordinato dal **dr. Tiziano Bandiera del Dipartimento di Drug Discovery and Development dell'Istituto Italiano di Tecnologia, in sinergia con il dr. Luis Galietta, Responsabile del Laboratorio di Genetica Molecolare dell'Istituto G. Gaslini di Genova, recentemente insignito del prestigioso riconoscimento "Robert J. Beall" per il ruolo fondamentale avuto nell'aprire la strada ai nuovi farmaci mutazione orientati. Le ricerche continuano ora con il progetto Task Force for CF, finanziato dalla Fondazione FFC, mirato alla correzione della mutazione più comune nei malati, la F508del.**

Ad oggi, nel pieno della seconda fase, sono state individuate alcune molecole attive come correttrici del gene mutato CFTR e si sta procedendo a un rafforzamento delle stesse, per individuare quanto prima il farmaco chiave che potrebbe cambiare definitivamente la sorte della maggior parte dei malati nel mondo, oltre il 70%.

E sempre nell'ambito del difetto di base, una panoramica dettagliata riguarderà la **terapia farmacologica personalizzata** che rappresenta la nuova frontiera nella lotta alla malattia. Dopo anni di studi, il sogno dei malati e dei ricercatori si sta concretizzando: per alcune mutazioni del gene CFTR i farmaci sono già disponibili. I trial clinici hanno fornito molte informazioni riguardo ai farmaci mutazione-orientati, ma l'effetto clinico è risultato molto diversificato: uno degli obiettivi prioritari della ricerca promossa dalla FFC Onlus, è anche quello di riuscire a prevedere e a monitorare l'effetto del farmaco sui singoli pazienti, individuando quanto prima quali marcatori clinici, biologici o funzionali siano più attendibili, per poter destinare con maggiore efficacia e successo la terapia per ciascun paziente. Tutto ciò potrebbe avere ricadute fondamentali, sia per l'individuo che per il sistema economico-sanitario nel suo complesso.

In quest'ambito s'inserisce anche un altro filone di ricerca quello destinato all'ottimizzazione degli **organoidi**, organi in miniatura generati coltivando in provetta cellule staminali da epitelii, prodotti allo scopo di misurare il funzionamento della proteina CFTR e che in un futuro non lontano potrebbero rappresentare il malato a distanza di tempo e di spazio, con l'obiettivo di predire l'utilizzabilità di un farmaco.

**Non solo F508del:** la FD508 è la mutazione più frequente, ma questa malattia genetica è caratterizzata da migliaia di mutazioni, perciò l'indirizzo della Fondazione FFC è quello di promuovere un approccio farmacoterapeutico che abbraccia anche le mutazioni che funzionano con meccanismi diversi, come le **mutazioni stop o splicing**. In questo campo la FFC è impegnata da tempo e in modo attivo con progetti che puntano a migliorare l'esistente, come nel caso di **Ataluren** per le stop, e con proposte originali, come nel caso dei frammenti di **RNA**, le "pallottole molecolari" utilizzate nella correzione dello *splicing*.

La strategia a vasto raggio di FFC si sviluppa anche nel **campo dell'infiammazione polmonare**, complicanza precoce e di grave significato per coloro che soffrono di questa patologia. Un tema complesso che negli ultimi anni sta aprendo a nuove prospettive e approcci terapeutici: di recente la ricerca ha portato proposte di molecole già oggi candidabili alla sperimentazione clinica.

**L'area della microbiologia** offrirà un ampio e dettagliato panorama dei risultati sinora acquisiti, delineando, nel contempo, le sfide del futuro: sarà presente, il brillante microbiologo inglese, **Eshwar Mahenthiralingam dell'Università di Cardiff**. Una partecipazione di grande peso che sottolinea e afferma l'importante ruolo della FFC nella sfida internazionale alla malattia. Particolare attenzione, merita la fase preclinica di alcuni composti anti-*Pseudomonas*, un batterio particolarmente aggressivo causa di gravi infezioni polmonari nei malati di FC, e c'è attesa per nuove molecole risultate attive contro il batterio *Burkholderia Cenocepacia* e somministrabili per aerosol.

FFC ha annunciato di voler vincolare una precisa quota di budget al sostegno di un'area di ricerca ancora debole in Italia: gli studi clinici. I progetti selezionati quest'anno dal Comitato Scientifico FFC sono numerosi e realizzati principalmente in sinergia tra Centri FC. E' ad esempio degno di nota lo studio effettuato sui bambini che nascono con ileo da meconio, una complicanza che oggi, fortunatamente, non determina le difficoltà di nutrizione e di crescita frequenti in passato, ma che merita la messa in comune delle modalità chirurgiche e assistenziali adottate nei vari centri, per identificare gli eventuali fattori di rischio che portano a un decorso non ottimale. Infine, da ricordare, fra i progetti di precedente approvazione e non ancora conclusi, lo studio nel campo del trapianto polmonare che indaga gli effetti collaterali sfavorevoli a livello di tessuto polmonare di un farmaco antirigetto di uso frequente.

L'evento sarà occasione per presentare ufficialmente il neo presidente del Comitato Scientifico FFC, il **prof. Giorgio Berton** già componente dello stesso Comitato dal 2003 che succede al **prof. Lucio Luzzatto**, eccellenza nel mondo scientifico, presidente dal 2004, che non potrà proseguire nel suo impegno a fianco della **Fondazione per la Ricerca sulla Fibrosi Cistica Onlus** perché prossimo a un trasferimento all'estero per nuovi compiti scientifici e assistenziali.

Giorgio Berton è professore di Patologia Generale presso la Facoltà di Medicina dell'Università di Verona. Studioso di valenza internazionale nel campo dell'infiammazione, ha affiancato la ricerca italiana FC dalla metà degli anni '80 come consulente del Laboratorio di Patologia Molecolare del Centro Regionale FC di Verona. E' stato tra i primi sostenitori della Fondazione per la promozione della Ricerca FC e ha contribuito in misura determinante a sviluppare la qualità di tale ricerca, creando le basi per la crescita di una rete italiana di ricerca FC.

Quest'anno la Convention farà da trampolino di lancio della Campagna natalizia di raccolta fondi promossa dalla FFC Onlus, in programma dal 6 al 27 dicembre 2015 con il numero solidale e numerose iniziative a sostegno della ricerca sulla fibrosi cistica.

Ufficio Stampa FFC Onlus

Patrizia Adami

M: [patrizia@clabcomunicazione.it](mailto:patrizia@clabcomunicazione.it)

Mob: +39 348 3820355

Rif. Carlotta Bergamini

Mob: +39 333 3300469

Comunicazione FFC Onlus

Marina Zanolli

M: [marina.zanolli@fibrosicisticaricerca.it](mailto:marina.zanolli@fibrosicisticaricerca.it)

Tel: 045 8127026