



**Fondazione Ricerca  
Fibrosi Cistica - Onlus**  
*italian cystic fibrosis research foundation*

## La Fondazione Ricerca Fibrosi Cistica

La **Fondazione Ricerca Fibrosi Cistica** (suo acronimo, FFC) nasce come **onlus** nel 1997 per iniziativa del prof. Gianni Mastella, del dott. Michele Romano e degli imprenditori Vittoriano Faganelli e Matteo Marzotto, **con l'obiettivo di informare sulla fibrosi cistica, la malattia genetica grave più diffusa in Italia** (si stimano 7000 malati nel nostro Paese, 100.000 nel mondo), e **promuovere progetti avanzati di ricerca** per migliorare la durata e qualità di vita dei malati e sconfiggere tale patologia.

**Riconosciuta dal Ministero dell'Istruzione, dell'Università e della Ricerca (MIUR)** come ente promotore dell'attività di ricerca scientifica sulla fibrosi cistica, FFC si avvale di una rete di 1 000 ricercatori e del lavoro di oltre 140 Delegazioni e Gruppi di sostegno distribuiti in tutte le regioni italiane, con 10 000 volontari che raccolgono fondi e fanno informazione sulla malattia.

**Presieduta da Matteo Marzotto, dal 2002 a oggi FFC ha investito 32 milioni di euro in 417 progetti di ricerca.** La selezione dei progetti, individuati a seguito di un bando annuale, si basa sulla valutazione operata, con il contributo di esperti internazionali, dal **Comitato di Consulenza Scientifica presieduto dal dott. Carlo Castellani** in sinergia con la **Direzione Scientifica presieduta dal prof. Giorgio Berton.**

Dal 2008 Fondazione gode della **certificazione dell'Istituto Italiano della Donazione**, che ne attesta l'operato secondo parametri internazionali **di efficienza, trasparenza, credibilità e onestà.**

## La fibrosi cistica

**La fibrosi cistica è una malattia presente dalla nascita ed è dovuta a una mutazione del gene CFTR.** Questo gene normalmente determina la sintesi di una proteina, chiamata anch'essa CFTR, che regola il funzionamento delle secrezioni di molti organi.

Chi nasce malato ha ereditato dal padre e dalla madre una copia del gene mutato. Entrambi i genitori sono, quasi sempre senza saperlo, portatori sani di una copia di tale gene. **In Italia c'è un portatore sano ogni 30 persone circa.** Una coppia composta da due portatori sani a ogni gravidanza ha 1 probabilità su 4 di avere un figlio malato.

**Chi nasce con due copie del gene mutato ha una proteina CFTR che funziona poco o per niente. La malattia altera le secrezioni di molti organi** contribuendo al loro deterioramento. **A subire il maggiore danno sono i bronchi e i polmoni:** al loro interno il muco tende a ristagnare, generando infezione e infiammazione che nel tempo possono causare un'insufficienza respiratoria. Per questo motivo, un tempo la malattia era conosciuta con il nome di "mucoviscidosi".

L'organizzazione delle cure e il miglioramento delle terapie hanno portato a un'evoluzione significativa della malattia: se negli anni Cinquanta un bambino affetto da fibrosi cistica raramente arrivava all'età scolastica, oggi ci sono più adulti che bambini malati e le statistiche segnalano un'aspettativa media di vita che supera i 40 anni con previsioni in continuo miglioramento.

## La mission FFC, trovare “Una Cura per tutti”

Grazie ai progressi della ricerca, negli ultimi anni sono stati introdotti nel mercato alcuni farmaci, chiamati “**modulatori della proteina CFTR**”, in grado di segnare un significativo passo in avanti verso la prospettiva di **bloccare sul nascere la fibrosi cistica e rendere sempre più efficaci le cure di cui già si dispone**.

**FFC** assieme a **LIFC** (Lega Italiana Fibrosi Cistica) e **SIFC** (Società Italiana Fibrosi Cistica), le altre due organizzazioni che in Italia si occupano di fibrosi cistica con ruoli e funzioni distinti, **ha lavorato attivamente per accelerare l’accesso dei malati a tali farmaci con costi sostenibili da parte del Servizio Sanitario Nazionale**. Un traguardo raggiunto a luglio 2021 con la pubblicazione in Gazzetta Ufficiale della Determina AIFA (GU Serie Generale n.159 del 5 luglio 2021) che vede anche l’ultimo dei modulatori introdotti (**Kaftrio**) tra i farmaci rimborsabili.

Questi farmaci sono tuttavia in grado di intervenire sulle mutazioni del gene CFTR più frequenti, ma non su tutte: **in Italia, una consistente parte di malati rimane esclusa da queste rivoluzionarie cure, circa il 30%**.

La ricerca promossa da FFC si sta muovendo in stretta sinergia con la comunità scientifica internazionale affinché ciò che oggi è possibile per un certo numero di malati un domani sia una realtà per tutti. L’impegno è quello di trovare cure per chi è ancora orfano di terapia e risolvere la malattia alla radice attraverso l’**editing genomico e dell’RNA**, l’ultima frontiera della biotecnologia. Al contempo prosegue la ricerca nel campo delle cure tradizionali, investendo nel campo delle infezioni, infiammazioni, applicazioni cliniche, per portare avanti un progetto complessivo che migliori la durata e la qualità della vita di tutti i malati di fibrosi cistica, suo principale obiettivo.

Accanto a “Una Cura per tutti”, Fondazione si dedica all’obiettivo di un’informazione sempre più ampia sulla malattia e sulla diagnosi dei portatori sani attraverso un test genetico disponibile alla popolazione generale.

### I numeri di FFC dal 2002 a oggi

417		Progetti finanziati	450		Revisori internazionali
4		Servizi alla ricerca centralizzati	550		Pubblicazioni su riviste internazionali
230		Gruppi e Istituti di ricerca	1000		Presentazioni congressuali
1000		Ricercatori complessivi	147		Delegazioni e Gruppi di sostegno
500		Contratti e borse di studio	10.000		Volontari

**32 milioni di euro investiti in attività di Ricerca**

#### Responsabile Comunicazione FFC

Valeria Merighi, 347 9389704  
valeria.merighi@fibrosicisticaricerca.it

#### Ufficio stampa FFC

Patrizia Adami, 348 3820355  
patrizia.adami@clabcomunicazione.it



Fondazione Ricerca Fibrosi Cistica



Fondazione FFC



Fondazione Ricerca Fibrosi Cistica