



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

# XIX CONVENTION OF INVESTIGATORS IN CYSTIC FIBROSIS

25 – 26 novembre 2021

**Marco Lucarelli**

(Principal investigator) Sapienza Università di Roma

**Adriana Eramo**

(Partner)

Istituto Superiore di Sanità, Roma

**Therotyping of Cystic Fibrosis**  
**CODICE PROGETTO: FFC#8/2021**

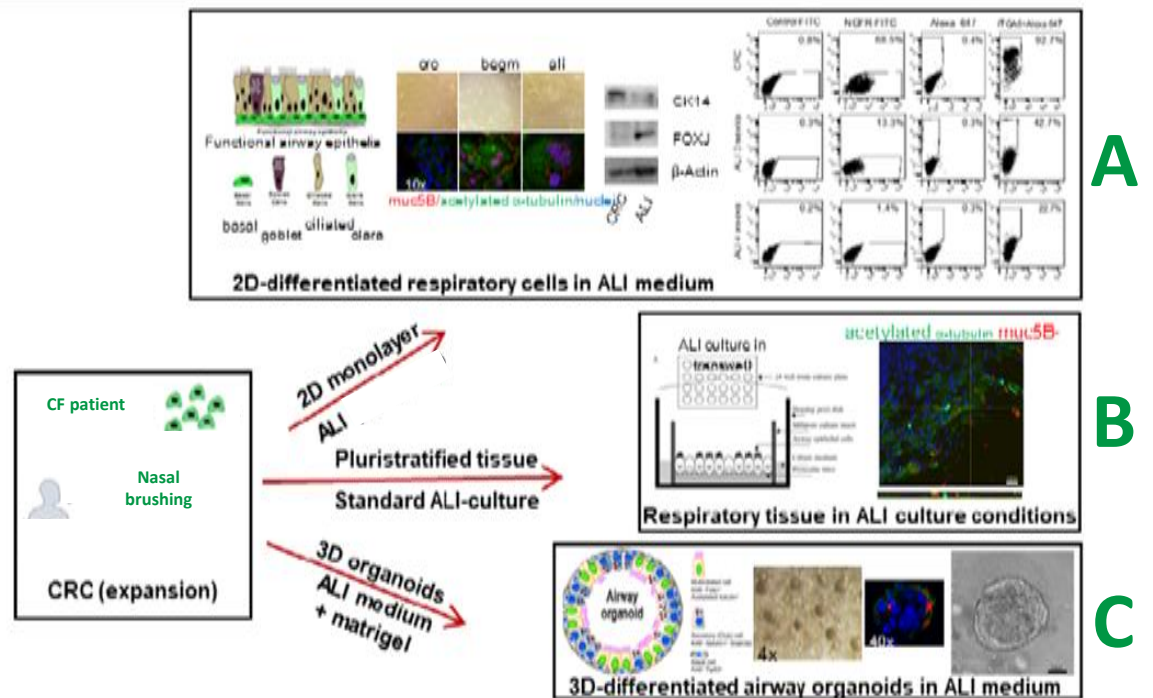
# OBIETTIVI SCHEMATICI DEL PROGETTO

- **Valutazione di terapie modulatorie (già in uso) su genotipi rari del CFTR, in cellule di pazienti FC**
- **Segnalazione dei genotipi che mostreranno una risposta terapeutica al centro di riferimento regionale e alla comunità scientifica**
- **Valutazione di una nuova terapia amplificatoria e di nuove combinazioni di modulatori**



# DATI PRELIMINARI

Il sistema cellulare paziente-specifico è già completamente ottimizzato (anche grazie a precedenti progetti FFC) e in uso per la caratterizzazione terapeutica mediante 3 diversi modelli cellulari (A, B, C)



Sette et al. 2021. *Therotyping cystic fibrosis in vitro in ALI culture and organoid models generated from patient-derived nasal epithelial conditionally reprogrammed stem cells.* European Respiratory Journal, online ahead of print (December issue).

# COME QUESTO PROGETTO CONTRIBUISCE ALL'AVANZAMENTO DELLA RICERCA SULLA FIBROSI CISTICA

- La tipizzazione terapeutica a livello cellulare di ogni paziente FC, anche con genotipo raro o individuale, è di grande impatto traslazionale (i corrispondenti pazienti potranno trarre beneficio dal possibile trattamento)
- A livello cellulare, verrà svelato l'effetto di nuove combinazioni di modulatori e di una nuova terapia amplificatoria, come punto di partenza per futuri studi clinici