



Progetto strategico
2014-2020

TASK FORCE FOR CYSTIC FIBROSIS (TFCF)

Promosso e finanziato da FFC Ricerca

L'obiettivo del progetto è individuare nuovi correttori della proteina CFTR, più efficaci di quelli esistenti. Gli studi hanno prodotto un correttore molto potente, chiamato ARN23765.



Responsabile:

Tiziano Bandiera

(Dip. Drug Discovery, Istituto Italiano Tecnologia, IIT, Genova)



Partner:

Nicoletta Pedemonte

(Lab. Genetica Medica, Istituto G. Gaslini, Genova)

Partner corresponsabile:

Luis Galietta

(Università degli Studi di Napoli "Federico II" e TIGEM, Pozzuoli, NA)



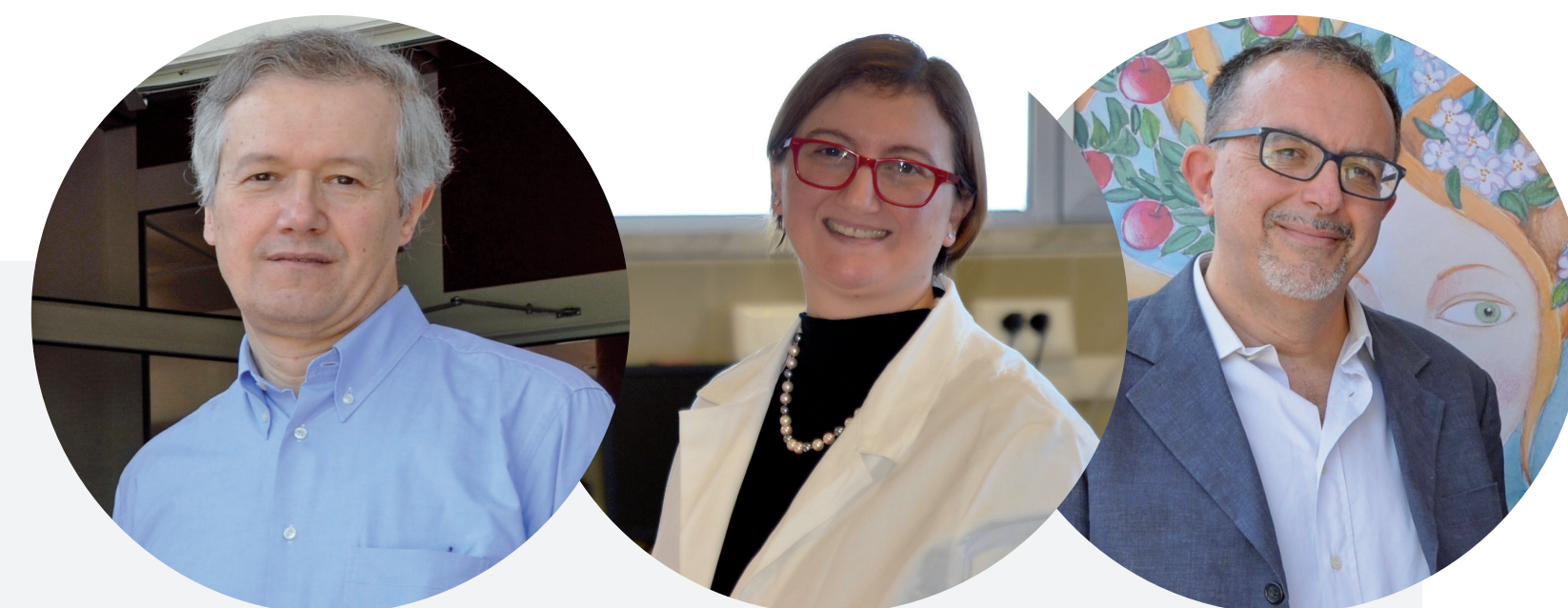
Durata:

04/2014 - 10/2020



Finanziamento totale:

€ 2.600.000



Nuovi e più efficaci correttori della proteina CFTR mutata

Il composto ARN23765, sviluppato dal progetto *Task Force for Cystic Fibrosis*, ha mostrato **elevata efficacia nel recupero della funzionalità di CFTR mutata** in test *in vitro* svolti anche su colture primarie di cellule isolate da persone con fibrosi cistica con mutazione F508del. Inoltre, ARN23765 si è dimostrato attivo **anche a basse concentrazioni** e ciò è di estremo interesse farmaceutico poiché riduce la possibilità di provocare effetti collaterali. Dopo la fase di scoperta (*drug discovery*) e quella di iniziale valutazione del rischio (*derisking*), ARN23765 è entrato in una nuova fase di test, quella degli **studi preclinici** per valutare, per esempio, la farmacocinetica (qual è il destino del composto nell'organismo), la formulazione (quali sono i migliori eccipienti per la sua somministrazione) e la tossicità.

Gli sforzi dei tre enti coinvolti nel progetto, l'Istituto Italiano di Tecnologia (IIT, Genova), l'Istituto Giannina Gaslini (IGG, Genova) e FFC Ricerca, hanno quindi permesso il raggiungimento di un **risultato estremamente importante e unico** nel panorama italiano ed europeo, ovvero individuare nuove molecole efficaci nel correggere la proteina CFTR. ARN23765, infatti, si è dimostrato essere **un buon candidato a diventare un farmaco** per il trattamento della fibrosi cistica, **in combinazione con altri correttori e potenziatori**, in grado di aumentare l'efficacia del recupero di CFTR analogamente a quanto avviene con il Kaftrio.

Grazie al **brevetto depositato** e alla **cessione della licenza** a un'azienda farmaceutica si stanno ora completando gli studi preclinici per valutare se ARN23765 possieda tutte le caratteristiche per poter avviare la sperimentazione nell'uomo. FFC Ricerca continua a seguire la fase di sviluppo e i risultati ottenuti negli ultimi mesi dall'azienda farmaceutica detentrica della licenza di ARN23765. Le informazioni sono però coperte da un **accordo di riservatezza** stipulato all'atto della concessione della licenza, pertanto sarà possibile fornire maggiori dettagli non appena ci saranno le opportune condizioni di divulgabilità, definite e condivise con il partner aziendale.



Progetto adottato da:

 €56.000 Marafibrositona 2017 Delegazione FFC di Corno Dongo	 €40.000 Il cuore degli amici di Bergamo	 €10.000 Piazzalunga srl	 €146.000 Quota parziale 5x1000 redditi 2016	 €10.000 Dondup	 €70.000 Fondazione Corrado e Bruno Maria Zaini	 €100.000 Dai energia alla ricerca	 €50.000 Camp. Pasqua 2017 Task Force	 €22.000 Marcella e Lorenzo Turazza	 €20.000 Lascito Famiglia Scarpa	 €10.000 Insieme per donarti un respiro 4° ed.	 €10.000 Artisti per un respiro 4° ed.	 €12.000 6 Set Toscana
 €25.000 Alla ricerca di un sorriso 6°	 €10.000 Saint Gobain	 €20.000 Luifur	 €35.000 Latteria Montello	 €31.500 Amici per la Ricerca di Bassano	 €20.000 Ma.Gia srl	 €20.000 Proventi libro "Smeraldi a colazione" - 2017	 €115.000 "CorrerePerUnRespiro" Delegazione FFC di Milano	 €50.000 Tredici/43 Delegazione FFC di Vicenza	 €21.000 Metropole	 €20.000 Famiglia Calabrese De Feo	 €47.000 Bike Tour FFC 2017	 €20.000 Sfoglia Torino srl
 €91.000 "Together for life"	 €8.250 Castelli 24 H Feltrè 2016	 €63.200 Quota parziale "Marafibrositona 2018" Delegazione FFC di Corno Dongo	 €35.000 "Project Hope - Rosa Pastena"	 €30.000 "La Camminata del Respiro" Delegazione Sondrio Valchiavenna	 €10.000 Wind Tre in ricordo di Francesca Cascone	 €25.000 Quota parziale Camp. di Pasqua FFC 2018	 €100.000 Quota parziale Camp. di Natale FFC 2017	 €17.471 Numero Solidale 2017	 €10.000 "In ricordo di Dani Copes". Ass. Trentina Fibrosi Cistica - Onlus	 €50.000 Quota parziale Camp. Nazionale FFC 2017	 €31.000 Amici della ricerca di Milano	 €11.000 "Verdi legge Verdi". omaggio a Marta Marzotto
 €31.300 Asta UK-Italy Business Boost 2016	 €24.000 Amici della ricerca Bassano 2016	 €11.300 "Un calcio ai 60"	 €112.370 Numero Solidale 2016	 €50.000 Quota parziale Camp. Nazionale FFC 2018	 €25.000 Quota parziale Camp. di Pasqua FFC 2019	 €50.000 Bike Tour FFC 2018	 €10.000 Brandart	 €15.000 Bricoman	 €15.000 Lega Italiana Fibrosi Cistica di Messina - Fund Raising Dinner Claudio Miceli	 €100.000 Quota parziale "Marafibrositona 2019" Delegazione FFC di Corno Dongo	 €20.000 "Aziende per Task Force". Delegazione FFC di Verona Val d'Alpone	 €21.000 Fibrosirun 2019
 €15.000 Credit Agricole	 €10.000 Guadagnin Srl	 €10.000 Insieme per Franci	 €12.000 "Un respiro sotto le stelle" Gruppo di sostegno FFC di Crevalcore Bologna	 €11.000 "Dai respiro alla ricerca 2019". Delegazione FFC di Palermo	 €50.000 "In onore di Angelica"							

Guarda il video per saperne di più

