

**Il XXI Seminario FFC Ricerca si terrà per il secondo anno al Villaggio Marzotto di Jesolo (VE) sabato 13 maggio 2023 dalle ore 9:30 alle 13:00, in presenza per i volontari della Fondazione Ricerca Fibrosi Cistica e in diretta streaming per tutti gli interessati.**

## **FIBROSI CISTICA: I FARMACI MODULATORI DI OGGI E DI DOMANI, LE NUOVE TERAPIE.**

***Il futuro delle terapie in fibrosi cistica, dagli studi per contrastare la malattia alla radice, passando da sintomi e complicanze, all'urgenza delle persone orfane di terapia in attesa di cure efficaci: questi i temi dell'appuntamento scientifico promosso dalla Fondazione per la Ricerca sulla Fibrosi Cistica.***

***Aprirà l'appuntamento Matteo Marzotto, presidente FFC Ricerca.***

***Relatori Carlo Castellani, direttore scientifico FFC Ricerca, Cesare Braggion, responsabile Area Ricerca clinica FFC Ricerca, Paola Barraja dell'Università degli Studi di Palermo, Serena Zacchigna dell'ICGEB e Università di Trieste.***

***Moderazione di Nicoletta Pedemonte, vicedirettore scientifico FFC Ricerca.***

Verona, 12 maggio 2023 – **Sabato 13 maggio** a partire dalle ore 9:30 si terrà al Villaggio Marzotto di Jesolo (VE) il **XXI Seminario di Primavera** promosso dalla **Fondazione per la Ricerca sulla Fibrosi Cistica (FFC Ricerca)**. “Un appuntamento atteso – dichiara **Matteo Marzotto, presidente FFC Ricerca** – in cui aggiorneremo i volontari e i sostenitori della Fondazione presenti, tutti gli interessati via streaming, delle prospettive della ricerca in fibrosi cistica (FC), dei progressi scientifici raggiunti nel 2022 dalla Fondazione e delle strategie future per il prossimo biennio”. Per i saluti istituzionali d'apertura interverranno anche **Gianna Puppo Fornaro**, presidente LIFC e **Francesco Blasi**, presidente SIFC.

Al centro dell'attenzione di questo appuntamento, **il futuro delle terapie in fibrosi cistica**. “Grazie ai farmaci modulatori, negli ultimi anni la fibrosi cistica è molto cambiata, in termini di espressione clinica, di miglioramento della qualità e aspettativa di vita. - commenta il dottor **Carlo Castellani, direttore scientifico FFC Ricerca** che aprirà i lavori - “È una buona notizia, ma molto rimane ancora da fare nell'ambito della ricerca scientifica, soprattutto, ma non solo, a favore di chi non può usufruire degli attuali modulatori”. In Italia, si tratta di una parte consistente di persone con FC, circa il 30%. La mission di Fondazione, *Una Cura per tutti*, mira a trovare soluzioni terapeutiche per tutte le persone con FC, contribuendo all'avanzamento delle conoscenze sulla malattia e accelerando la scoperta o l'ottimizzazione delle cure.

“Accanto alla ricerca - aggiunge Castellani - Fondazione pone attenzione anche al tema sociosanitario dell'informazione per il portatore di FC e della sensibilizzazione della popolazione generale”. **In Italia ci sono due milioni di portatori sani di fibrosi cistica**, cioè persone con una mutazione in uno dei loro due geni CFTR (responsabile della FC), che non manifestano la malattia, non hanno sintomi ma potrebbero trasmettere la versione mutata del gene CFTR ai propri figli. Una coppia di portatori sani ha 1 possibilità su 4 (25%) di avere un bambino con fibrosi cistica. Esistono test genetici che indagano se nel patrimonio genetico di una persona ci sono mutazioni a carico del gene CFTR. “**Con il progetto 1 su 30 e non lo sai** - sottolinea Castellani - Fondazione si propone di raggiungere e **informare dell'esistenza del test del portatore sano di FC** il maggior numero possibile di persone potenzialmente interessate a eseguirlo”. In occasione del Seminario, Castellani presenterà alcuni dati sulle prime fasi del progetto e illustrerà i contenuti del sito [www.testfibrosicistica.it](http://www.testfibrosicistica.it). A seguire, i lavori proseguiranno con **tre sessioni tematiche**.

### **COME CAMBIA LA MALATTIA COI MODULATORI: LE EVIDENZE DAGLI STUDI POST-MARKETING**

Molte persone con FC negli ultimi anni hanno cominciato ad assumere un farmaco modulatore della proteina CFTR. Gli studi clinici post-marketing, condotti dopo l'ingresso in commercio di questi farmaci, sono indispensabili per valutare benefici ed eventuali effetti avversi di queste terapie. Nella prima sessione tematica del Seminario, il dott. **Cesare Braggion, responsabile dell'Area Ricerca clinica della Direzione scientifica di FFC Ricerca**, proporrà una panoramica sulle evidenze raccolte negli ultimi anni sugli effetti dei farmaci Kalydeco e Kaftrio nella vita reale e  **presenterà alcuni dati del progetto Effetto Kaftrio** sostenuto da Fondazione, riguardante il **monitoraggio del modulatore Kaftrio** nelle persone italiane con FC e malattia avanzata.

Le analisi preliminari mostrano che nelle persone con malattia polmonare avanzata trattate con il Kaftrio si assiste a un **miglioramento della funzionalità respiratoria che si mantiene nell'arco di due anni**.

Il **finanziamento** al progetto è stato **rinnovato per un ulteriore biennio**, per consentire una raccolta dati nella malattia avanzata complessivamente di 4 anni e per coinvolgere anche le persone con FC che hanno cominciato ad assumere il Kaftrio dopo l'autorizzazione all'immissione in commercio avvenuta in Italia il 05/07/2021.

## IL CAMMINO DELLA SCOPERTA DI NUOVI FARMACI MODULATORI

La seconda sessione affronterà il tema delle **strategie farmacologiche alternative ai modulatori attualmente in commercio**, con particolare attenzione agli studi sostenuti da FFC Ricerca su **nuovi composti potenzialmente attivi anche su mutazioni di CFTR rare e prive di trattamento**. **Interverrà la prof.ssa Paola Barraja dell'Università di Palermo**, che approfondirà il tema della ricerca farmacologica per la scoperta di nuove molecole efficaci sulla proteina CFTR difettosa e presenterà alcuni **risultati del progetto** finanziato da Fondazione **Molecole 3.0**, di cui Barraja è responsabile assieme al prof. Luis Galiotta del TIGEM di Pozzuoli (NA). All'interno del progetto sono state individuate alcune molecole particolarmente attive nel recuperare la funzione di CFTR mutata. Per continuare l'analisi di tali composti, al fine di migliorarne le proprietà biologiche e valutarne la tossicità, il progetto **Molecole 3.0** è stato **rinnovato** da FFC Ricerca **per un ulteriore anno di attività**. L'obiettivo finale è **selezionare composti che possano essere presi in considerazione per lo sviluppo preclinico e clinico**.

## LA TERAPIA GENICA PER LA FIBROSI CISTICA

L'ultima sessione è dedicata alla terapia genica, un approccio tra i più innovativi per la cura di malattie causate da un difetto genetico come la fibrosi cistica. **In fibrosi cistica, la terapia genica mira a inserire nelle cellule delle vie aeree particolari strutture molecolari in grado di correggere le mutazioni presenti sul gene CFTR**. Sulla tematica **interverrà la prof.ssa Serena Zacchigna dell'ICGEB** (Centro Internazionale di Ingegneria Genetica e Biotecnologie) **e dell'Università di Trieste**. FFC Ricerca ha recentemente deciso di supportare un **progetto strategico** che si impegna precisamente in quest'area e **si propone di sviluppare nuovi sistemi di trasporto per inserire le tecnologie di terapia genica all'interno delle cellule respiratorie**.

Al termine di ciascuna sessione è previsto uno spazio per rispondere alle **domande del pubblico in presenza e online**. Per favorire l'interazione con i partecipanti, nel corso del Seminario FFC Ricerca lancerà dei **sondaggi** cui sarà possibile rispondere tramite telefono cellulare, un modo per stimolare il coinvolgimento attivo di tutti gli interessati.

Per maggiori informazioni consultare il [programma](#). Per seguire l'incontro e confrontarsi con i relatori attraverso l'invio di domande in tempo reale è richiesta l'[iscrizione tramite il seguente modulo](#).

In alternativa, ma senza possibilità di interagire, l'appuntamento sarà in diretta anche sulla [pagina Facebook](#) e sul [canale YouTube](#) della Fondazione.

## IL RADUNO NAZIONALE DEI VOLONTARI FFC RICERCA 2023

Con il Seminario, come da tradizione, prende il via anche il **fine settimana dedicato al Raduno dei Volontari di FFC Ricerca, che quest'anno registra circa duecento presenze tra rappresentanti delle oltre 150 Delegazioni e Gruppi di sostegno e dei 5.000 volontari** attivi su tutto il territorio nazionale. Un appuntamento strategico in cui la community potrà aggiornarsi sugli avanzamenti della ricerca, raccontare quanto realizzato nel corso dell'anno, confrontarsi con la Sede in un dialogo di contaminazione reciproca.

Il Raduno **avrà inizio nel pomeriggio di sabato 13 maggio** con un aggiornamento da parte della Fondazione sulle iniziative in programma per il 2023, tra cui la Campagna di sensibilizzazione sul portatore sano di FC **1 su 30 e non lo sai** e il progetto **Esperti insieme, un percorso per potenziare il ruolo di volontari e persone con FC nelle future attività della Fondazione**. **Si chiuderà domenica 14 maggio** con le testimonianze dirette dei volontari, spinta e motore della Fondazione, cuore pulsante che la rende così speciale.

Il Seminario e il Raduno di FFC Ricerca sono organizzati anche grazie al contributo della **Fondazione Marzotto**, che ospiterà gli appuntamenti al Villaggio Marzotto di Jesolo (VE).

Responsabile Comunicazione FFC Ricerca  
Valeria Merighi, 347 9389704  
[valeria.merighi@fibrosicisticaricerca.it](mailto:valeria.merighi@fibrosicisticaricerca.it)

Ufficio stampa FFC Ricerca  
Carlotta Bergamini, 333 3300469  
[press@fibrosicisticaricerca.it](mailto:press@fibrosicisticaricerca.it)

