

Comunicato stampa (sotto embargo fino alle ore 10.30 del 14.11.2024)

## **FIBROSI CISTICA: DESIGNAZIONE DI FARMACO ORFANO PER CONTRASTARE L'INFIAMMAZIONE POLMONARE**

***L'Agenzia Europea per i Medicinali ha concesso la designazione di farmaco orfano per la fibrosi cistica a GY971, una nuova molecola con effetti antinfiammatori sviluppata grazie ai finanziamenti della Fondazione per la Ricerca sulla Fibrosi Cistica ETS.***

***La notizia arriva in occasione della XXII Convention FFC Ricerca, che si tiene a Verona dal 14 al 16 novembre. Saranno presentati i progetti finanziati dalla Fondazione e ci saranno due lezioni magistrali con esperti internazionali di fibrosi cistica: Marcus A. Mall del Charité University Medical Center di Berlino e Pierre-Régis Burgel della Paris Descartes University e Cochin Institute Parigi***

Verona, 14 novembre 2024 – Ridurre e contrastare l'infiammazione nei polmoni delle persone con fibrosi cistica: questo l'obiettivo della nuova **molecola GY971**, a cui è stata appena riconosciuta l'attribuzione di "farmaco orfano" dall'Agenzia Europea per i Medicinali (European Medicines Agency – EMA), che ne ha attestato la validità nel trattamento delle malattie rare. L'infiammazione è uno dei grandi "nemici" delle persone con questa patologia: si tratta di una reazione dell'organismo a batteri e virus intrappolati nei bronchi, che però nel lungo termine finisce per danneggiare gli stessi polmoni.

La molecola è stata sviluppata dall'Università di Padova, dall'Università di Ferrara, dall'Azienda Ospedaliera Universitaria Integrata di Verona, con il finanziamento della Fondazione per la Ricerca sulla Fibrosi Cistica ETS (FFC Ricerca); lo status di "farmaco orfano" è stato raggiunto grazie alla collaborazione con Rare Partners Srl Impresa Sociale, azienda non profit di Milano, nella persona del suo Managing Director **Marco Prosdocimi**.

Se ne parlerà durante la XXII Convention di FFC Ricerca, appuntamento annuale durante il quale viene fatto il punto sugli avanzamenti della ricerca finanziata da FFC Ricerca, ente riconosciuto dal Ministero dell'Università e della Ricerca (MUR) come promotore dell'attività di ricerca scientifica su questa malattia.

L'evento, in programma dal 14 al 16 novembre a Verona vede la partecipazione delle ricercatrici e dei ricercatori che si occupano dei progetti sostenuti da Fondazione in corso o appena terminati.

Il riconoscimento dello status di farmaco orfano è riservato a medicinali destinati al trattamento di malattie rare e prevede dall'Unione Europea incentivi per la ricerca, lo sviluppo e l'immissione in commercio di queste molecole.

Commenta **Carlo Castellani**, direttore scientifico di FFC Ricerca: *"Siamo molto soddisfatti di aver ottenuto la designazione di farmaco orfano per GY971. L'introduzione nell'uso clinico dei nuovi modulatori della proteina CFTR mutata nelle persone con fibrosi cistica ha prodotto grandi risultati nel controllo della malattia, ma l'infezione cronica e l'infiammazione polmonari persistono e vanno contrastate con nuove strategie e farmaci se vogliamo fermare definitivamente la progressione della malattia polmonare. Grazie al riconoscimento ottenuto dall'Agenzia Europea per i Medicinali, questa molecola potrà beneficiare di normative in grado di facilitare un potenziale sviluppo farmacologico, attraendo partner che possano accompagnare Fondazione in questo percorso"*.

Sottolinea **Matteo Marzotto**, presidente di Fondazione Ricerca Fibrosi Cistica: *"Processi complessi come questi ripagano di tutti gli sforzi e testimoniano il ruolo che Fondazione si è ritagliata nello scenario nazionale, e non solo, della ricerca sulla fibrosi cistica. L'occasione si presta dunque per ringraziare la Direzione Scientifica e l'estesa rete di ricercatori che collaborano con noi, motore e cuore pulsanti, riferimenti imprescindibili per tutta la nostra community"*

*"È con grande soddisfazione che l'Ospedale di Verona, dove è stata fatta la prima diagnosi di fibrosi cistica più di 60 anni fa ed è stato fondato il primo Centro Clinico in Italia, incubatore e pionieristico sostenitore della ricerca su questa malattia, riesca a vedere i risultati della cura di queste persone"* aggiunge **Callisto Bravi**, direttore generale della Azienda Ospedaliera Universitaria Integrata di Verona.

## La molecola GY971

*“È stato dimostrato che l'uso quotidiano di antinfiammatori nelle persone con fibrosi cistica protegge la funzione respiratoria nel tempo. L'unico farmaco antinfiammatorio indicato per la fibrosi cistica è l'ibuprofene, un composto largamente usato per brevi periodi come antidolorifico e antipiretico, ma che nell'uso quotidiano produce effetti collaterali a livello dell'apparato gastro-intestinale, che ne comportano la sospensione o comunque controindicano l'uso a lungo termine”* chiarisce **Giulio Cabrini**, direttore del Centro di Ricerca sulle Terapie Innovative per la Fibrosi Cistica dell'Università di Ferrara, che ha coordinato la sottomissione del dossier di GY971 a EMA e ha promosso la costituzione della rete di ricerca.

Il riconoscimento come farmaco orfano di GY971 accelererà lo sviluppo e l'introduzione nella pratica clinica di farmaci basati su questo innovativo principio attivo. Si tratta di una molecola derivata da un lavoro di sintesi da molecole naturali trovate in estratti di piante medicinali.

La molecola è stata progettata dai gruppi di ricerca coordinati da **Adriana Chilin** del Dipartimento di Scienze del Farmaco dell'Università di Padova, confermandone l'attività antinfiammatoria attraverso numerose sperimentazioni coordinate da **Ilaria Lampronti** e da **Giulio Cabrini** del Dipartimento di Scienze della Vita e Biotecnologie dell'Università di Ferrara e dall'Azienda Ospedaliera Universitaria di Verona, con la successiva collaborazione di una vasta rete di ricercatori italiani. La titolarità del nuovo farmaco orfano GY971 è stata assegnata a FFC Ricerca, che da quest'anno sostiene anche un nuovo studio sulla molecola coordinato dall'Università di Ferrara in partnership con l'Università di Padova

## La XXII Convention della Fondazione per la ricerca sulla fibrosi cistica (FFC Ricerca)

La Convention, in corso presso il Centro congressi della Camera di Commercio di Verona dal 14 al 16 novembre, rappresenta l'occasione per condividere gli avanzamenti scientifici raggiunti grazie ai progetti promossi da FFC Ricerca. L'incontro, aperto dall'Assessora alla Salute del Comune di Verona **Elisa La Paglia**, prevede relazioni dei ricercatori e ricercatrici sostenuti da Fondazione Ricerca Fibrosi Cistica con progetti in partenza o in corso, mentre i responsabili dei 17 progetti selezionati nel 2024 condivideranno il proprio studio con una flash presentation di tre minuti e approfondimenti durante la sessione dedicata ai poster.

Il rigoroso processo di peer review cui vengono sottoposte le proposte di ricerca pervenute tramite i bandi permette di selezionare negli anni, grazie anche al contributo di esperti internazionali, i progetti scientifici che meglio promettono di aumentare le conoscenze sulla fibrosi cistica e accelerare la scoperta o l'ottimizzazione di cure per le persone con FC.

Nel programma della Convention sono presenti per letture magistrali due esperti internazionali di fibrosi cistica: **Marcus A. Mall** del Department of Pediatric Respiratory Medicine, Immunology and Critical Care Medicine, Charité – Universitätsmedizin di Berlino, che interverrà sull'importanza della ricerca sul ruolo dell'infiammazione in questa patologia, e **Pierre-Régis Burgel** del French National Cystic Fibrosis Reference Center dell'Université Paris-Cité di Parigi, che parlerà dei dati clinici e di laboratori utili a facilitare un più ampio accesso ai farmaci modulatori, oggi disponibili solo per alcune persone con FC.

Nel corso dell'evento saranno presentati anche i Servizi alla ricerca che Fondazione mette a disposizione dei ricercatori e verranno approfonditi gli ambiti di ricerca strategici di FFC Ricerca, con particolare attenzione alle nuove frontiere della terapia genica per correggere l'alterazione alla base della malattia e agli studi post-marketing.

## La fibrosi cistica

Chi nasce con questa patologia, una delle malattie genetiche gravi più diffuse, senza ancora una cura risolutiva, presenta due copie mutate 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. Nelle persone con fibrosi cistica, questa proteina è poco efficiente o anche del tutto assente. A subire il maggiore danno sono i bronchi e i polmoni: al loro interno secrezioni mucose dense tendono a ristagnare, generando infezione e infiammazione che nel tempo possono compromettere la funzionalità polmonare. Si stima che in Italia ne siano affette circa seimila persone.

## Fondazione per la Ricerca sulla Fibrosi Cistica (FFC Ricerca)

*Primo ente in Italia specificatamente dedicato alla ricerca sulla fibrosi cistica, riconosciuto dal Ministero dell'Università e della Ricerca (MUR), la Fondazione per la Ricerca sulla Fibrosi Cistica si avvale di una rete di oltre 980 ricercatori e del lavoro di più di 160 tra Delegazioni e Gruppi di sostegno attivi in tutte le regioni italiane e 5.000 volontari. Presieduta da Matteo Marzotto, dal 2002 a oggi FFC Ricerca ha investito più di 40 milioni di euro in 495 progetti di ricerca. I progetti, individuati a seguito di due bandi annuali, sono valutati e selezionati dal Comitato Scientifico della Fondazione con il contributo di esperti internazionali.*

Responsabile Comunicazione FFC Ricerca

Valeria Merighi, 347 9389704

[valeria.merighi@fibrosicisticaricerca.it](mailto:valeria.merighi@fibrosicisticaricerca.it)

Ufficio stampa scientifico FFC Ricerca

SEC Newgate Italia

Laura Arghittu, [laura.arghittu@secnewgate.it](mailto:laura.arghittu@secnewgate.it)

Federico Ferrari, 347 6456873 - [federico.ferrari@secnewgate.it](mailto:federico.ferrari@secnewgate.it)

Pietro Marciano, 347 3137065 - [Pietro.marciano@secnewgate.it](mailto:Pietro.marciano@secnewgate.it)



Fondazione Ricerca Fibrosi Cistica



Fondazione FFC Ricerca



Fondazione Ricerca Fibrosi Cistica