

Comunicato stampa

TERAPIA GENICA: LA TECNOLOGIA DEI VACCINI ANTI-COVID AL SERVIZIO DELLA LOTTA ALLA FIBROSI CISTICA

Nuove tecnologie, evoluzione di quelle impiegate nei vaccini anti-Covid, per superare le barriere del muco polmonare e portare la terapia genica direttamente nelle cellule delle persone affette dalla fibrosi cistica.

Basate su componenti lipidiche e virali, queste strutture sono al centro di alcuni progetti sostenuti dalla Fondazione per la Ricerca sulla Fibrosi Cistica ETS, che mirano a perfezionare le tecnologie nate durante la pandemia per affrontare sfide più complesse.

I progetti saranno presentati in occasione della XXIII Convention FFC Ricerca, che si terrà a Verona dal 13 al 15 novembre e riunirà le ricercatrici e i ricercatori responsabili dei progetti sostenuti dalla Fondazione.

Verona, 13 novembre 2025 – Come minuscole navicelle, nuove molecole composte da grassi o particelle di origine virale viaggiano nel corpo umano per consegnare la terapia genica dove serve: nelle cellule dei polmoni delle persone con fibrosi cistica. Sviluppare nuovi vettori per il trasporto delle informazioni genetiche che correggono le mutazioni alla base della fibrosi cistica è l'obiettivo di alcuni dei progetti sostenuti dalla Fondazione per la Ricerca sulla Fibrosi Cistica (FFC Ricerca), ente del terzo settore (ETS) nato nel 1997 per informare su questa patologia e promuovere studi scientifici che aumentino la durata e la qualità della vita delle persone che ne sono colpite.

La tecnologia che si sta sviluppando si ispira ai principi alla base dei vaccini contro il Coronavirus, cioè l'uso di vettori per trasportare materiale genetico all'interno delle cellule. In fibrosi cistica la sfida è complessa: le terapie geniche coinvolgono molecole più grandi e complesse rispetto all'RNA dei vaccini e devono attraversare un ambiente particolarmente ostile: l'epitelio dei polmoni, con lo spesso strato di muco e le infiammazioni croniche che caratterizzano questa patologia.

Per questo, la Fondazione per la Ricerca sulla Fibrosi Cistica investe nello sviluppo di sistemi di trasporto avanzati, in grado di superare queste barriere e portare nelle cellule bronchiali i meccanismi necessari per correggere le mutazioni del gene CFTR, responsabili dei gravi sintomi della malattia, senza ancora una cura risolutiva.

Importanti aggiornamenti su questi studi e numerosi altri supportati dalla Fondazione saranno presentati in occasione della XXIII Convention dei ricercatori FFC Ricerca, appuntamento annuale durante il quale viene fatto il punto sugli avanzamenti della ricerca finanziata dalla Fondazione, unico ente riconosciuto dal Ministero dell'Università e della Ricerca come promotore dell'attività di ricerca scientifica sulla malattia.

L'evento, in programma dal 13 al 15 novembre, riunirà a Verona le ricercatrici e i ricercatori dei progetti sostenuti dalla Fondazione per la Ricerca sulla Fibrosi Cistica nel triennio 2023-2025.

Commenta **Carlo Castellani, direttore scientifico della Fondazione per la Ricerca sulla Fibrosi Cistica ETS**: *“Ritrovarsi in Convention come comunità scientifica è essenziale per far progredire la ricerca sulla fibrosi cistica. La terapia genica è una delle strade più promettenti: è un percorso complesso, ma potenzialmente decisivo per agire alla radice della malattia. Oggi sono allo studio vettori sempre più mirati e biocompatibili, capaci di raggiungere con precisione le cellule bersaglio e correggere le mutazioni del gene CFTR che causano la malattia. È un approccio che unisce biologia molecolare, nanotecnologia e medicina traslazionale, e che richiede la collaborazione di ricercatori con competenze diverse. Solo integrando queste conoscenze potremo trasformare l'innovazione scientifica in terapie realmente efficaci per le persone con fibrosi cistica”.*

Sottolinea **Matteo Marzotto, presidente della Fondazione per la Ricerca sulla Fibrosi Cistica ETS**: *“La Convention dei Ricercatori rappresenta la sintesi annuale sullo stato della ricerca finanziata da Fondazione, volta ad esplorare nuovi approcci terapeutici e a contribuire all'aggiornamento della comunità scientifica nazionale e internazionale nel campo della fibrosi cistica. Da quasi trent'anni, la nostra organizzazione è il principale acceleratore di ricerca in Italia dedicato a questa malattia. Il tema centrale di quest'anno è lo sviluppo in terapia genica di nuovi vettori per il trasporto delle informazioni che correggono la mutazione alla base della fibrosi cistica. Questo evidenzia quanto la ricerca stia facendo progressi significativi per aprire nuovi orizzonti di cura, grazie anche al nostro impegno e a quello di tutte le persone che continuano a sostenerci”.*

I progetti

Tra le linee di ricerca più avanzate sostenute da FFC Ricerca e presentate nel corso della XXIII Convention spiccano in particolare tre progetti: il primo è dedicato ai sistemi di trasporto innovativi definiti “VEsiCas” progettato per consegnare con precisione le terapie geniche all'interno delle cellule dei pazienti, riducendo i rischi di effetti indesiderati. Il secondo è invece dedicato alle nanoparticelle lipidiche o “LNP” – già fondamentali per i vaccini a mRNA contro il Covid-19 – che vengono ripensate per raggiungere i polmoni e trasportare molecole più grandi e complesse, come quelle necessarie per la terapia genica della fibrosi cistica.

Infine, il terzo progetto si concentra sull'ottimizzazione sia dei vettori sia del loro contenuto, per garantire che le tecnologie di terapia genica arrivino integre e vengano rilasciate nel punto giusto, superando le barriere imposte dal muco polmonare e dalle caratteristiche chimico-fisiche dell'ambiente cellulare ed extracellulare.

I progetti coinvolgono ricercatori e ricercatrici internazionali esperti di terapia genica, editing genomico, sistemi di trasporto molecolare e modelli sperimentali per lo studio della fibrosi cistica. **L'obiettivo finale è ottenere le migliori formulazioni per correggere il difetto genetico alla base della fibrosi cistica indipendentemente dal tipo di mutazione.**

La XXIII Convention dei ricercatori della Fondazione per la ricerca sulla fibrosi cistica (FFC Ricerca)

La Convention, che si terrà presso il Centro congressi della Camera di Commercio di Verona dal 13 al 15 novembre, rappresenta l'occasione per condividere gli avanzamenti scientifici raggiunti grazie ai progetti promossi da FFC Ricerca. L'incontro prevede relazioni dei ricercatori e ricercatrici sostenuti dalla Fondazione per la Ricerca sulla Fibrosi Cistica con progetti in partenza o in corso. Interverranno, tra gli altri, anche **Matteo Marzotto**, presidente FFC Ricerca; **Antonio Guarini**, presidente Lega Italiana Fibrosi Cistica (LIFC); **Callisto Marco Bravi**, direttore generale Azienda Ospedaliera Universitaria Integrata di Verona; **Carlo Castellani**, direttore scientifico FFC Ricerca; **Francesco Blasi**, presidente Società Italiana Fibrosi Cistica (SIFC); **Cecilia Cascone**, responsabile Gruppo di consultazione FFC Ricerca.

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 6000 persone.

FONDAZIONE PER LA RICERCA SULLA FIBROSI CISTICA - ETS (FFC RICERCA)

Fondazione per la Ricerca sulla Fibrosi Cistica - ETS (FFC Ricerca) nasce a Verona nel 1997 per iniziativa del prof. Gianni Mastella, del dott. Michele Romano e degli imprenditori Vittoriano Faganelli e Matteo Marzotto. L'obiettivo è informare sulla fibrosi cistica (FC), una delle malattie genetiche gravi più diffuse (si stimano circa 6.000 persone con FC nel nostro Paese, 48.000 in Europa, 160.000 nel mondo), e promuovere progetti avanzati di ricerca per migliorare la durata e qualità di vita delle persone con FC e sconfiggere tale patologia. 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 1.052 ricercatori e del lavoro di più di 158 tra Delegazioni e Gruppi di sostegno attivi in tutte le regioni italiane e 5.000 volontari non occasionali. Presieduta da Matteo Marzotto, dal 2002 a oggi FFC Ricerca ha investito più di 42 milioni di euro in 510 iniziative 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.

www.fibrosicisticaricerca.it

Responsabile Comunicazione Istituzionale FFC Ricerca

Jara Bombana, 349 4041139 – jara.bombana@fibrosicisticaricerca.it

Ufficio stampa sociale FFC Ricerca

Carlotta Bergamini, 333 3300469 - press@fibrosicisticaricerca.it

Ufficio stampa scientifico FFC Ricerca | SEC Newgate Italia

Federico Ferrari, 347 6456873 - federico.ferrari@secnewgate.it
Pietro Marciano, 347 3137065 - pietro.marciano@secnewgate.it



Fondazione Ricerca Fibrosi Cistica



Fondazione FFC Ricerca



Fondazione Ricerca Fibrosi Cistica