

XXIV SEMINARIO  
E RADUNO DEI VOLONTARI

# LE NUOVE FRONTIERE DELLA TERAPIA SU MISURA

16 - 17  
maggio

2026

VILLAGGIO MARZOTTO  
JESOLO (VE)



INSIEME NELLA  
RICERCA VERSO  
UNA CURA PER TUTTI



Fondazione per la Ricerca  
sulla Fibrosi Cistica - ETS  
[fibrosicisticaricerca.it](http://fibrosicisticaricerca.it)

Con il patrocinio di



AZIENDA OSPEDALIERA UNIVERSITARIA INTEGRATA  
VERONA



Con il contributo di

*Fondazione Marzotto*

---

**Redazione:**  
Luisa Alessio

**Grafica e impaginazione:**  
Porpora ADV di Michela Chesini

**Stampa:**  
Maggio 2026, Grafichecom

## SOMMARIO

<b>Programma generale</b>	4
<b>Dove sta andando la ricerca</b>	6
<b>Traguardi raggiunti e nuove sfide della ricerca sostenuta da Fondazione Ricerca Fibrosi Cistica</b>	
Carlo Castellani <i>Direttore scientifico FFC Ricerca</i>	
<b>Più opzioni per stare meglio: cosa cambia nella cura della fibrosi cistica</b>	8
<b>Dall'efficacia dei modulatori alla terapia su misura: come orientarsi tra le diverse combinazioni</b>	
Giovanni Taccetti <i>Direzione scientifica FFC Ricerca</i>	
<b>Next-CF: un supporto ai clinici per la scelta della terapia con modulatori</b>	10
<b>Dalle cellule alla persona per valutare l'efficacia dei trattamenti in ogni singolo caso</b>	
Nicoletta Pedemonte <i>Vicedirettrice scientifica FFC Ricerca</i>	
<b>Terapia genica in viaggio verso i polmoni</b>	12
<b>I progressi di GenDel-CF nel trasporto della terapia genica al polmone</b>	
Anna Cereseto <i>Università di Trento</i>	
Sheref Mansy <i>Università di Trento</i>	
<b>La rotta verso la cura</b>	14
<b>Obiettivi e risultati degli investimenti strategici FFC Ricerca</b>	
Ermanno Rizzi <i>Direzione scientifica FFC Ricerca</i>	
Tiziano Bandiera <i>Valorizzazione della ricerca FFC Ricerca</i>	
Marco Prosdocimi <i>Valorizzazione della ricerca FFC Ricerca</i>	
Cesare Braggion <i>Direzione scientifica FFC Ricerca</i>	



## INSIEME NELLA RICERCA VERSO UNA CURA PER TUTTI

### PROGRAMMA GENERALE

#### VENERDÌ 15 MAGGIO

15:00

#### CHECK-IN E ACCOGLIENZA DEI PARTECIPANTI

(Casa FFC Ricerca, edificio 3 | Grecale)

20:00

**CENA** (Ristorante Il Gomitolo | piano terra)

#### SABATO 16 MAGGIO

### XXIV SEMINARIO LE NUOVE FRONTIERE DELLA TERAPIA SU MISURA

09:00

#### Accoglienza dei partecipanti

(edificio 13 | Teatro)

09:15

#### Benvenuto e saluti istituzionali

Matteo Marzotto, *Presidente FFC Ricerca*

Antonio Guarini, *Presidente LIFC*

Vincenzo Carnovale, *Presidente SIFC*

09:45

#### DOVE STA ANDANDO LA RICERCA

Traguardi raggiunti e nuove sfide della  
ricerca sostenuta da Fondazione Ricerca

#### Fibrosi Cistica

Carlo Castellani,

*Direttore scientifico FFC Ricerca*

10:05

#### VOCI IN DIRETTA



10:25

#### PIÙ OPZIONI PER STARE MEGLIO: COSA CAMBIA NELLA CURA DELLA FIBROSI CISTICA

Dall'efficacia dei modulatori alla terapia  
su misura: come orientarsi tra le diverse  
combinazioni

Giovanni Taccetti,

*Direzione scientifica FFC Ricerca*

10:45

#### NEXT-CF: UN SUPPORTO AI CLINICI PER LA SCELTA DELLA TERAPIA CON MODULATORI

Dalle cellule alla persona per valutare  
l'efficacia dei trattamenti in ogni singolo caso

Nicoletta Pedemonte,

*Vicedirettrice scientifica FFC Ricerca*

11:00

#### DOMANDE

**Modera:** Luisa Alessio,

*Direzione scientifica FFC Ricerca*

11:15 - 11:45

#### Pausa caffè

(edificio 3 | Grecale)



11:50

## TERAPIA GENICA IN VIAGGIO VERSO I POLMONI

I progressi di GenDel-CF nel trasporto della terapia genica al polmone

Anna Cereseto, *Università di Trento*

Sheref Mansy, *Università di Trento*

12:10

## VOCI IN DIRETTA



12:20

## DOMANDE

**Modera:** Luisa Alessio,

*Direzione scientifica FFC Ricerca*

12:30

## TAVOLA ROTONDA

### LA ROTTA VERSO LA CURA

Obiettivi e risultati degli investimenti strategici FFC Ricerca

**Modera:** Ermanno Rizzi,

*Direzione scientifica FFC Ricerca*

### Con

Tiziano Bandiera,

*Valorizzazione della ricerca FFC Ricerca*

Marco Prosdocimi,

*Valorizzazione della ricerca FFC Ricerca*

Cesare Braggion,

*Direzione scientifica FFC Ricerca*

12:55

## DOMANDE

13:05

## Chiusura e saluti

13:15

## PRANZO

(Ristorante Il Gomitolo | piano terra)



14:45

## FOTO COMMUNITY

(esterno teatro)

## XXIV RADUNO DEI VOLONTARI FFC RICERCA FFC RICERCA SIAMO NOI

15:00-16:15

### TAVOLA ROTONDA FFC RICERCA

### INSIEME VERSO IL FUTURO

(edificio 13 | Teatro)

### Presiedono:

Matteo Marzotto, *Presidente FFC Ricerca*

Paolo Faganelli, *Vicepresidente*

Giuseppe Zanferrari, *Direttore generale*

### Con i contributi di:

Fabio Cabianca, *Direttore di gestione*

Jara Bombana, *Responsabile comunicazione istituzionale*

Gabriella Cadoni, *Responsabile*

*amministrazione, HR e segreteria di presidenza*

Ermanno Rizzi, *Responsabile bandi, progetti e*

*valorizzazione della ricerca*

16:15 - 17:00

## SESSIONE DI APPROFONDIMENTO

### DALLA COMUNITÀ ALLA SCIENZA: DARE FORMA INSIEME A UN PROGETTO DI RICERCA IN FIBROSI CISTICA



**Modera:** Luisa Alessio,

*Direzione scientifica FFC Ricerca*

### Con il contributo del:

Gruppo *Esperti insieme per Andrea*

17:00 - 17:30

### RELAZIONE SULLE ATTIVITÀ DEL GRUPPO DI CONSULTAZIONE

#### A cura di

Cecilia Cascone,

*Responsabile Gruppo di Consultazione*

### Con

Fabio Cabianca e Caterina Novaria,

*Raccolta Fondi e Rapporti con il Territorio*

18:00

**APERITIVO** (Bar | piano terra, fronte mare)

20:00

## CENA FFC RICERCA

(Ristorante Il Gomitolo | piano terra)



22:30

## FESTA DEI VOLONTARI FFC RICERCA

(Ristorante Il Gomitolo | piano terra)

## DOMENICA 17 MAGGIO

09:30-13:00

### INIZIATIVE ED ESPERIENZE DAL TERRITORIO

(edificio 13 | Teatro)

### Coordinano:

Fabio Cabianca e Caterina Novaria,

*Raccolta Fondi e Rapporti con il Territorio*

13:00

## PRANZO E SALUTI

(Ristorante Il Gomitolo | piano terra)





**Carlo Castellani**

Direttore scientifico FFC Ricerca



## Dove sta andando la ricerca

### Traguardi raggiunti e nuove sfide della ricerca sostenuta da Fondazione Ricerca Fibrosi Cistica

Anche quest'anno il Seminario rappresenta un momento importante di condivisione e di orientamento per la ricerca promossa da Fondazione. I risultati più significativi raggiunti negli ultimi anni costituiscono la base per guardare agli sviluppi terapeutici più recenti e alle linee di ricerca in corso, con un'attenzione particolare alle persone che ancora non dispongono di opzioni di cura efficaci. In questo contesto, i progetti strategici sono uno strumento importante per integrare le conoscenze e indirizzare la ricerca verso soluzioni sempre più mirate.

### Finalmente l'apertura a Kaftrio e Alyftrek: e ora?

AIFA ha approvato la tanto attesa rimborsabilità di Kaftrio per moltissime nuove mutazioni e di Alyftrek. Si aprono **prospettive promettenti per molte persone con FC**, sostanzialmente tutti

coloro che non abbiano 2 mutazioni di classe I, ma anche **interrogativi che meritano risposte**. Quale farmaco verrà prescritto a chi finora non aveva accesso? Quali saranno i criteri per decidere se passare ad Alyftrek in chi già assume Kaftrio? Come monitorare una risposta clinica che può variare in base alla mutazione? Per supportare i casi più complessi, Fondazione mette a disposizione Next-CF, un servizio per i Centri Fibrosi Cistica che offre l'opportunità di valutare la risposta individuale ai farmaci con test *ex vivo* su cellule nasali (vedi pagina 10).

### La qualità della vita delle persone con FC passa anche attraverso la formazione dei professionisti che le seguono

Fondazione lavora per il benessere di chi deve convivere con la FC, un obiettivo che si può raggiungere per molte vie. Una di queste passa attraverso l'**aggiornamento delle competenze dei professionisti sanitari** che lavorano nei Centri FC. Fondazione, insieme a SIFC e LIFC, sta delineando un progetto che offra a chi sia interessato l'opportunità di periodi formativi presso strutture di eccellenza.

### Il bando progetti 2026 e le proposte presentate: ecco i numeri

Anche quest'anno il bando per la ricerca ha ottenuto una risposta notevole: 69 proposte progettuali, di cui 54 presentate al bando FFC Ricerca e 15 al bando Gianni Mastella per giovani ricercatori e ricercatrici. In totale **sono coinvolte 118**

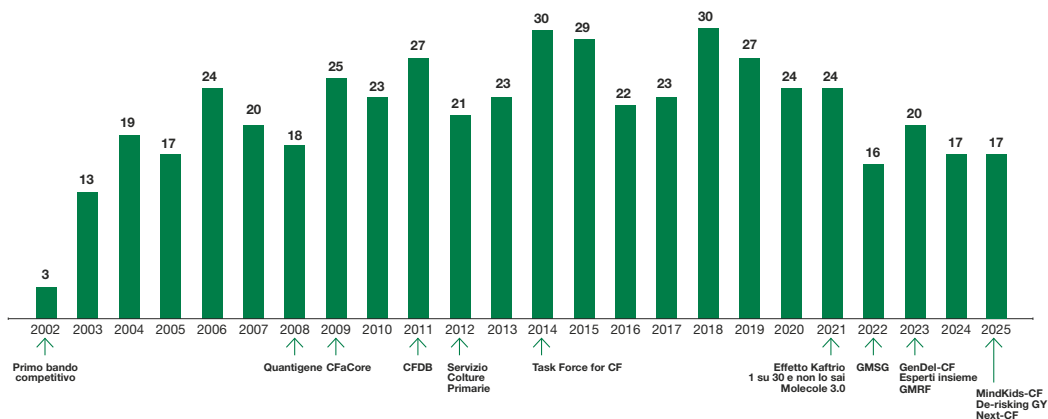
**persone impegnate nella ricerca**, con 6 unità straniere, di cui 4 extraeuropee. Siamo nella fase della rigorosa valutazione per scegliere le proposte più qualificate a dare risposte alle necessità delle persone con FC.

### Uno sguardo esterno su quello che Fondazione fa

Valutare la qualità della propria attività può essere complesso per chi vi è direttamente coinvolto, e uno sguardo esterno da parte di persone competenti può

aiutare a comprendere **come si possa fare meglio**. Per questo abbiamo creato il *Scientific Advisory Board* (SAB) e il *Dissemination Advisory Board* (DAB), due team di esperti chiamati a fornire una consulenza qualificata per **decisioni strategiche** sulla ricerca e sulla comunicazione scientifica. Si tratta di organi indipendenti che valuteranno le nostre strategie di ricerca e di divulgazione e potranno fornire indicazioni per miglioramenti e nuove opportunità.

### Iniziative di ricerca, formazione e divulgazione dal 2002 al 2025



Dal 2002 a oggi, Fondazione ha destinato circa 42 milioni di euro al sostegno della ricerca, finanziando complessivamente 512 iniziative. Gli interventi hanno coperto diversi ambiti, tra cui progetti di rete, iniziative dedicate a giovani ricercatori (bando Gianni Mastella), progetti strategici, servizi di supporto alla ricerca, oltre ad attività di formazione e divulgazione scientifica.

#### Carlo Castellani

*Pediatra e genetista, dal 1993 al 2018 ha lavorato presso il Centro Fibrosi Cistica di Verona, dove è stato responsabile del Servizio Clinico di Screening neonatale e della Struttura Semplice Funzionale Fibrosi Cistica dell'adulto. Da gennaio 2019 dirige il Centro Fibrosi Cistica dell'Istituto Gaslini di Genova. È stato presidente della Società Italiana per lo studio della Fibrosi Cistica (SIFC) e vicepresidente dell'European Cystic Fibrosis Society (ECFS). Per l'ECFS ha fondato il gruppo di lavoro sullo screening neonatale e coordinato la realizzazione di linee guida sull'analisi genetica, lo screening neonatale e gli standard di cura in fibrosi cistica. È vicedirettore del Journal of Cystic Fibrosis. È referente del progetto strategico 1 su 30 e non lo sai mirato a informare e sensibilizzare sul test del portatore di fibrosi cistica. Attualmente ricopre il ruolo di direttore scientifico di FFC Ricerca.*



**Giovanni Taccetti**

Direzione scientifica FFC Ricerca



# Più opzioni per stare meglio: cosa cambia nella cura della fibrosi cistica

## Dall'efficacia dei modulatori alla terapia su misura: come orientarsi tra le diverse combinazioni

Nel corso degli anni i progressi nella cura della fibrosi cistica sono derivati dall'ottimizzazione di terapie sintomatiche, in particolare per le infezioni respiratorie e lo stato nutrizionale. Fino a pochi anni fa, l'evoluzione della malattia verso l'insufficienza polmonare rendeva spesso necessario il ricorso al trapianto polmonare.

Dal 2012 i modulatori della proteina CFTR hanno reso possibile la **terapia di precisione**, un approccio basato sull'uso di molecole capaci di agire sul difetto specifico di una mutazione, ripristinando il trasporto ionico a livello cellulare. Dopo il primo potenziatore (ivacaftor), efficace su un numero limitato di mutazioni, sono

state sviluppate combinazioni attive sulla mutazione F508del. Sebbene le prime (Orkambi e Symkevi) abbiano mostrato un'efficacia parziale, l'introduzione di ETI/Kaftrio (2019 in USA, 2021 in Italia) ha segnato un progresso decisivo, diventando lo standard per chi ha almeno una mutazione F508del. Grazie a nuovi studi, l'uso di ETI è stato esteso e oggi la prescrivibilità include anche un **ampio numero di persone con FC con mutazioni più rare**.

L'uso dei modulatori ha portato a un netto miglioramento delle condizioni cliniche e la loro efficacia è documentata anche dalla riduzione dei valori del cloro sudorale. Nonostante segnalazioni di alcuni effetti indesiderati è stata accertata la sicurezza di tali farmaci e ciò ha consentito l'accesso alla terapia, secondo varie modalità nei Paesi europei, **anche in età pediatrica**.

Solo da poche settimane, sulla base di studi clinici, è disponibile in Italia una nuova associazione di molecole con un nuovo correttore (vanzacaftor) e un nuovo potenziatore (deutivacaftor) che sono stati associati a tezacaftor. Le indicazioni all'uso di questa nuova associazione, chiamata Alyftrek, sono state estese ad altre ulteriori mutazioni; inoltre, è stata dimostrata una maggior efficacia nel ridurre i valori di cloro al test del sudore rispetto a ETI.

L'efficacia dei farmaci modulatori ha ridefinito le prospettive di vita nella fibrosi cistica e ha aperto la strada a una **nuova gestione clinica**. Grazie alle recenti indicazioni prescrittive, la disponibilità di di-

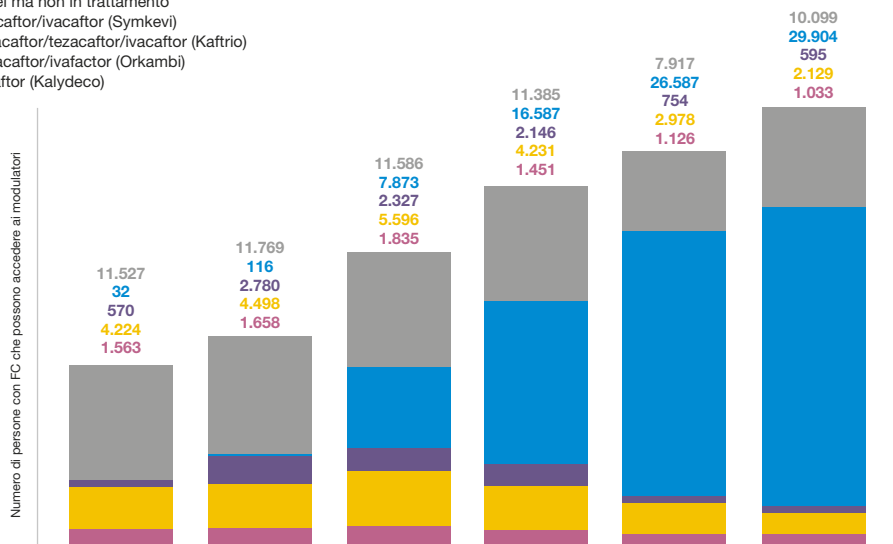
verse opzioni diventa il presupposto per una terapia su misura, che può **adattarsi alle esigenze del singolo**.

L'integrazione di test funzionali *ex vivo* e lo studio di mutazioni rare consentono oggi di estendere i benefici della **medicina di precisione** anche a chi ne era inizialmente escluso. In parallelo, il miglioramento del quadro clinico permette

di riflettere sulla rimodulazione dei trattamenti tradizionali e sulla gestione delle nuove sfide legate alla cronicità. Il futuro della cura consiste in un approccio dinamico, capace di tradurre le diverse combinazioni terapeutiche in una strategia personalizzata, costruita in base alle specifiche **caratteristiche biologiche e cliniche** di ogni persona con FC.

### Uso della terapia con modulatori di CFTR dal 2018 al 2023 in Europa

- Idonei ma non in trattamento
- Tezacaftor/ivacaftor (Symkevi)
- Elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor (Kaftrio)
- Lumacaftor/ivacaftor (Orkambi)
- Ivacaftor (Kalydeco)



Anno	2018	2019	2020	2021	2022	2023
Popolazione idonea	21.152	23.080	32.853	37.801	42.173	44.444
% idonei che assume modulatori	30%	38%	54%	65%	75%	76%
Persone idonee che non assumono i modulatori	11.527	11.769	11.586	11.385	7.917	10.099

Uso e diffusione dei modulatori secondo il Registro Europeo Fibrosi Cistica (Fonte: Report 2023), prima del recente allargamento della prescrivibilità di Kaftrio e dell'introduzione di Alyftrek. I dati di registro richiedono tempi tecnici per l'elaborazione complessiva delle casistiche ma sono fondamentali per valutare l'evoluzione degli scenari terapeutici.

#### Giovanni Taccetti

Laureato in Medicina all'Università di Firenze, ha conseguito la specializzazione in Pediatria. Dal 1992 ha lavorato presso il Centro Regionale Toscano Fibrosi Cistica - Ospedale Meyer, di cui è stato direttore dal 2019 al 2025. Ha coordinato programmi di ricerca integrando attività clinica e di laboratorio. Autore di numerose pubblicazioni, ha partecipato a progetti su fibrosi cistica, farmaci innovativi, infezioni respiratorie e microbioma. Attualmente è componente della Direzione scientifica di FFC Ricerca per la gestione e promozione di attività di formazione clinica.



**Nicoletta Pedemonte**  
Vicedirettore scientifico FFC Ricerca



# Next-CF: un supporto ai clinici per la scelta della terapia con modulatori

## Dalle cellule alla persona per valutare l'efficacia dei trattamenti in ogni singolo caso

La gestione della fibrosi cistica è migliorata significativamente grazie ai farmaci modulatori, che agiscono sulla proteina difettosa alla base della malattia. Nonostante il successo di terapie consolidate come Kaftrio, circa un terzo dei malati convive con varianti genetiche rare per le quali l'efficacia delle cure è incerta o insufficiente.

Con l'arrivo di nuovi farmaci come Alyftrek, medici e pazienti si trovano di fronte a un bivio: **quale terapia adot-**

### **tare per ottenere il miglior risultato?**

La domanda riguarda sia chi inizia il trattamento, sia chi è già in terapia e riscontra una **scarsa risposta clinica o effetti collaterali difficili da tollerare**. In questi casi, valutare se un cambio di farmaco possa portare benefici concreti diventa particolarmente importante. Per supportare i clinici è nato Next-CF (Nasal Epithelium eX vivo Therotyping for Cystic Fibrosis), un servizio innovativo coordinato dalla sottoscritta presso l'Istituto Giannina Gaslini di Genova e finanziato da FFC Ricerca.

Il cuore del progetto è il **therotyping**, un metodo che consente di testare i farmaci direttamente sulle cellule del malato. Attraverso un rapido spazzolamento del naso, il **brushing**, procedura indolore e non invasiva, vengono prelevate cellule che, coltivate in laboratorio, permettono di ricreare un **modello dell'epitelio respiratorio della persona**.

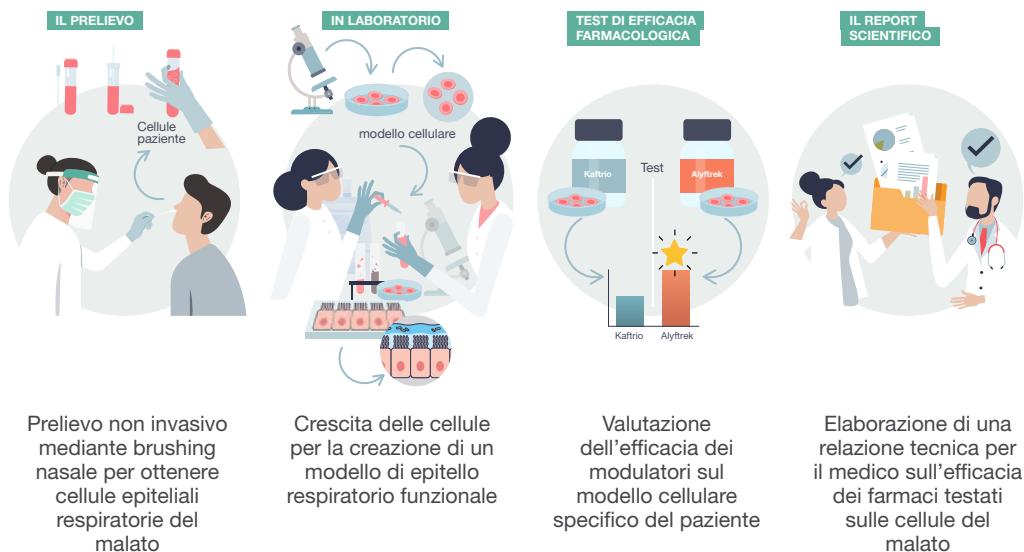
Su questo modello personalizzato, i ricercatori confrontano i diversi modulatori. Il test è indicato per:

- ✳ **Persone con FC non in trattamento:** per individuare la terapia iniziale più adatta.
- ✳ **Persone con FC già in trattamento:** per valutare in modo scientifico se il passaggio a un nuovo modulatore sia una valida alternativa migliorativa.

Al termine, il medico di riferimento riceve una **relazione scientifica** sulla combinazione di farmaci più efficace per le specifiche varianti genetiche del malato. Questo **approccio di medicina personalizzata** consente di orientare meglio

le scelte terapeutiche e di offrire un'opportunità concreta a chi non risponde alle cure disponibili, contribuendo a rendere la decisione terapeutica più solida, basata sull'evidenza e **su misura per ogni individuo**.

## Next-CF: dalle cellule alla scelta della terapia



Schema delle fasi che consentono di valutare in laboratorio l'efficacia dei modulatori su cellule respiratorie derivate dal paziente.

### Nicoletta Pedemonte

Nel 2007 ha ottenuto un dottorato di ricerca in Genetica Umana presso l'Università di Torino e nel 2011 la specializzazione in Patologia Clinica presso l'Università di Genova. Nel 2010 risulta vincitrice di un Contratto di Eccellenza Scientifica per svolgere la sua attività di ricerca presso il Laboratorio di Genetica Medica dell'Istituto Giannina Gaslini di Genova dove, dal 2013, ricopre il ruolo di dirigente sanitario biologo. I suoi più recenti studi in fibrosi cistica riguardano la caratterizzazione del difetto di funzione conferito da mutazioni rare di CFTR e l'identificazione di nuovi approcci terapeutici per trattamenti più efficaci e selettivi, mirati al recupero di proteine mutate ancora orfane di terapia. Attualmente ricopre il ruolo di vicedirettrice scientifica di FFC Ricerca.



**Anna Cereseto**  
Università di Trento



**Sheref Mansy**  
Università di Trento



# Terapia genica in viaggio verso i polmoni

## I progressi di GenDel-CF nel trasporto della terapia genica al polmone

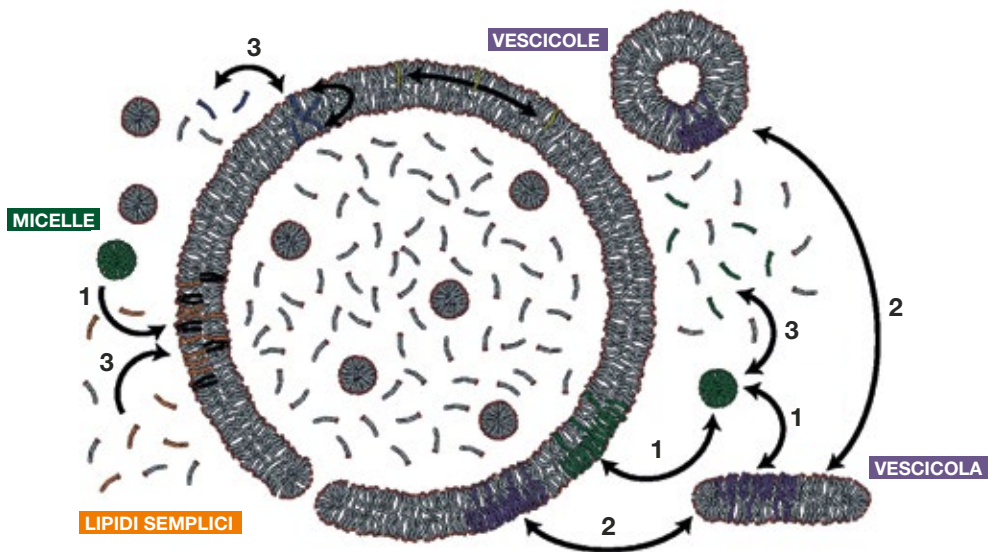
L'*editing* genetico offre nuove prospettive terapeutiche per la fibrosi cistica, poiché mira a correggere direttamente le mutazioni del gene CFTR responsabili della malattia. A differenza delle terapie tradizionali, che alleviano i sintomi o migliorano parzialmente la funzione della proteina coinvolta, queste tecnologie intervengono alla radice del problema, con l'obiettivo di ottenere una **correzio-**

**ne stabile e duratura.** Un aspetto fondamentale è che possono essere applicate a specifiche varianti del gene CFTR che non rispondono ai farmaci oggi disponibili, offrendo così una prospettiva concreta anche a chi, finora, è rimasto privo di opzioni terapeutiche. Il principale ostacolo resta però il *delivery*, ovvero il **trasferimento efficiente e sicuro** degli strumenti di *editing* alle cellule e ai tessuti bersaglio. Con il progetto GenDel-CF ci proponiamo di superare questo limite sviluppando nanoparticelle e nuovi lipidi in grado di veicolare i sistemi di *editing*, o direttamente una copia corretta del gene, all'interno dell'organismo.

### Ma come trasportare in modo sicuro ed efficace queste terapie fino ai polmoni?

Tra gli approcci in fase di sperimentazione, c'è lo sviluppo di **minuscoli vettori a base di lipidi**, molecole simili ai grassi, capaci di incapsulare gli strumenti terapeutici e rilasciarli direttamente nelle cellule polmonari tramite aerosol, analogamente a quanto avviene con gli inalatori. Questo approccio si ispira a studi precedenti su come semplici strutture lipidiche possano organizzarsi spontaneamente in piccole goccioline sospese nell'aria, capaci di inglobare e trasportare altre sostanze. Un simile processo potrebbe aver avuto **un ruolo nell'origine della vita** sulla Terra. Questi sistemi primitivi offrono oggi un modello per progettare **sistemi di trasporto più efficienti e versatili**, contribuendo a rendere trattamenti avanzati come l'*editing* genetico concretamente accessibili alle persone con fibrosi cistica.

## Come i lipidi si aggregano e formano strutture simili a cellule



Quando lipidi semplici (arancione e grigio) sono presenti in quantità sufficientemente alta nell'ambiente, si auto-organizzano spontaneamente in diverse strutture tra cui micelle (verdi) e vescicole a doppio strato (viola), simili a primitive membrane cellulari. Queste forme coesistono in equilibrio dinamico e possono interagire tra loro: le micelle possono incorporarsi in vescicole già formate (1), le vescicole possono fondersi tra loro formando strutture più grandi (2) e i lipidi possono spostarsi da un aggregato all'altro, entrare e uscire dalla membrana (3), regolando l'equilibrio tra perdita e accumulo di materiale e influenzando così la crescita complessiva delle strutture.

Figura adattata da: Toparlak, O Duhan, and Sheref S Mansy. "Progress in synthesizing protocells." *Experimental biology and medicine* (Maywood, N.J.) vol. 244,4 (2019): 304-313

### Anna Cereseto

Laureata in Scienze Biologiche presso l'Università di Genova, ha ottenuto il titolo di Dottore di Ricerca in Molecular Biology presso l'International Education Evaluation di Charlotte, NC, USA. Attualmente è professore ordinario al Dipartimento di Biologia Cellulare, Computazionale e Integrata - CIBIO (Trento). Ha trascorso vari periodi di ricerca negli USA; in Italia ha lavorato all'Istituto Superiore di Sanità a Roma, all'ICGEB di Trieste e alla Scuola Normale Superiore di Pisa. Si interessa dello studio dei meccanismi di trasformazione cellulare, dei meccanismi cellulari o virali che determinano anomalie di proliferazione ed è impegnata in studi sull'editing del genoma.

### Sheref S. Mansy

Ha conseguito la laurea in Microbiologia e il dottorato di ricerca in Biochimica presso la Ohio State University (Stati Uniti), dove si è occupato di chimica bioinorganica delle metalloproteine. Successivamente, ha svolto attività di ricerca post-dottorato all'Harvard Medical School e al Massachusetts General Hospital, concentrandosi sulle protocellule. Dal 2019 al 2024 è stato professore di Chimica all'Università di Alberta (Canada). Attualmente è professore ordinario di Biochimica presso l'Università di Trento, dove si occupa dello sviluppo di nuovi metodi per veicolare terapie di editing genetico ai polmoni.



**Ermanno Rizzi**  
Direzione scientifica  
FFC Ricerca



**Marco Prosdocimi**  
Valorizzazione della ricerca  
FFC Ricerca



**Tiziano Bandiera**  
Valorizzazione della ricerca  
FFC Ricerca



**Cesare Braggion**  
Direzione scientifica  
FFC Ricerca

## La rotta verso la cura

### Obiettivi e risultati degli investimenti strategici FFC Ricerca

I progetti strategici di Fondazione sono definiti dalla Direzione scientifica e dal Comitato scientifico in risposta alle **necessità di medici e persone con FC**. Sono iniziative pluriennali che mirano ad ampliare le conoscenze sulla malattia, spesso coinvolgendo più gruppi di ricerca con competenze diverse. Si distinguono dai **progetti di rete** dei bandi annuali, che nascono invece da **proposte dei ricercatori**.

#### \* **Task Force for Cystic Fibrosis (TFCF)**

Avviato nel 2014, ha sviluppato nuovi correttori della proteina CFTR. Il composto **ARN23765** è **stato brevettato** e dato in licenza all'azienda statunitense Sionna Therapeutics, che sta procedendo con lo sviluppo di farmaci modulatori. Dal 2026 i brevetti tornano a disposizione di IIT Genova, FFC Ricerca e Istituto G. Gaslini, aprendo **nuove opportunità di sviluppo**. Nel frattempo, Sionna ha sviluppato un nuovo composto a partire da ARN23765.

### \* Molecole 3.0

L'obiettivo è sviluppare una nuova classe di modulatori attivi anche su **mutazioni rare** di CFTR. I composti sviluppati hanno mostrato risultati promettenti: già oggetto di un primo brevetto, saranno a breve **inclusi in una nuova domanda di brevetto**.

### \* GenDel-CF

Adotta un approccio di tipo genetico per agire alla base del difetto di CFTR: sta sviluppando una **terapia genica in grado di correggere le mutazioni di CFTR** e raggiungere le cellule delle vie aeree per agire direttamente sul DNA. Sono stati messi a punto nuovi sistemi di trasporto intracellulare, attualmente **oggetto di brevetto**.

### \* De-risking GY

Rappresenta un passo avanti verso lo sviluppo clinico di un **nuovo antinfiammatorio specifico per la FC**. Il composto GY971 è stato riconosciuto "farmaco orfano" dall'Agencia europea per i medicinali (EMA), che sta supportando

Fondazione nella definizione del disegno di uno studio clinico dedicato.

### \* Kaftrio nella vita reale

È stata completata la raccolta dati sulle persone con FC coinvolte. Una prima parte dei risultati è già stata pubblicata su una rivista scientifica internazionale, mentre le analisi restanti saranno concluse nei prossimi mesi. Saranno **confrontati i parametri clinici** tra chi risponde al trattamento e chi, pur avendo mutazioni per le quali il farmaco è stato approvato, non mostra benefici significativi, con un focus anche sulle **infezioni da Pseudomonas aeruginosa**.

### \* MindKids-CF

È nella fase di arruolamento dei partecipanti, bambini con FC di età tra 2 e 11 anni che stanno assumendo Kaftrio o per i quali il farmaco non è prescrivibile. L'obiettivo è valutare la salute mentale per **sviluppare delle linee guida** che possano essere usate a livello nazionale dagli **psicologi che si occupano di FC**.

## Investimenti nelle aree scientifiche dei progetti strategici

#### ● AREA 1

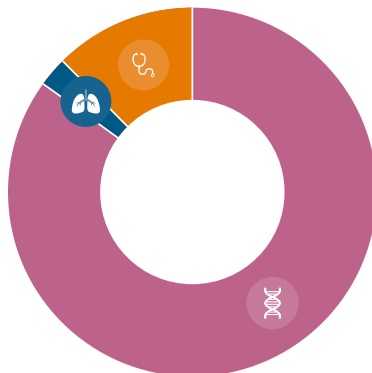
Terapie e approcci innovativi per correggere il difetto di base, genetica

#### ● AREA 4

Terapie dell'infiammazione polmonare

#### ● AREA 5

Ricerca clinica ed epidemiologica



**Ermanno Rizzi**

*Laureato in Biotecnologie Industriali presso l'Università di Milano Bicocca, nel 2006 ha conseguito il dottorato di ricerca in Medicina Molecolare presso l'Università degli Studi di Milano. Ha svolto l'attività di ricercatore presso il CNR di Milano fino al 2015 quando ha iniziato l'attività di program manager di ricerca presso la Fondazione Telethon. Attualmente fa parte della Direzione scientifica dove gestisce i bandi, i progetti e le facilities e si occupa di valorizzare i risultati della ricerca.*

**Marco Prosdocimi**

*Ha ottenuto la laurea in Farmacia presso l'Università degli Studi di Padova. Dal 1996 collabora come consulente con aziende farmaceutiche, con fondi di investimento e con organizzazioni di ricerca, in particolare per l'area Ricerca e Sviluppo. Autore di oltre 120 lavori scientifici, 200 presentazioni a congressi e vari brevetti, sia a livello preclinico che clinico. Attualmente è componente del gruppo di Valorizzazione della Ricerca di Fondazione.*

**Tiziano Bandiera**

*Laureato in Chimica presso l'Università di Pavia, ha conseguito il dottorato di ricerca in Chimica all'Università di Genova. Ha iniziato la sua carriera nell'industria farmaceutica e dal 2008 al 2025 ha lavorato all'Istituto Italiano di Tecnologia. Per FFC Ricerca ha coordinato il progetto Task Force for Cystic Fibrosis e attualmente è componente del gruppo di Valorizzazione della Ricerca. Ha pubblicato più di 100 articoli ed è inventore in 45 famiglie brevettuali.*

**Cesare Braggion**

*Pediatra, già responsabile del Centro FC di Firenze (2006-2018) e presidente della Società Italiana Fibrosi Cistica (2004-2007). Per FFC Ricerca è responsabile degli studi post-marketing Effetto Kaftrio e Kaftrio nella vita reale sugli effetti di Kaftrio nelle persone con FC. Attualmente è componente della Direzione scientifica di FFC Ricerca per la gestione e promozione attività di ricerca clinica.*





## Presidenza

Matteo Marzotto

**Segreteria di presidenza:** Gabriella Cadoni

Tel. 045 8123597 - presidenza@fibrosicisticaricerca.it

## Consiglio di Amministrazione

**Presidente:** Matteo Marzotto

**Vicepresidenti:** Paolo Faganelli, Michele Romano

**Consiglieri:** Riccardo Boatto, Giuseppe Lauria Pinter, Paolo Petralia, Giuseppe Rielo, Patrizia Volpato, Paolo De Capitani, Maurizio Sedgh

## Direzione scientifica

**Direttore:** Carlo Castellani

**Vicedirettore:** Nicoletta Pedemonte

**Segreteria scientifica:** Federica Lavarini

Tel. 045 8127037 - federica.lavarini@fibrosicisticaricerca.it

## Comitato scientifico

**Presidente:** Paolo Bernardi

**Consulenti:** Cesare Braggion, Paola Bruni, Roberto Buzzetti, Giulio Cabrini, Emilio Clementi, Antonella Mencacci, Michael Pusch, Gian Maria Rossolini

## Gestione e promozione attività di ricerca clinica

Cesare Braggion - cesarebraggion.133@gmail.com

## Gestione e promozione attività di formazione clinica

Giovanni Taccetti - giova.taccetti@gmail.com

## Responsabile dei bandi, dei progetti e della valorizzazione della ricerca

Ermanno Rizzi - ermanno.rizzi@fibrosicisticaricerca.it

## Comunicazione scientifica

Responsabile: Luisa Alessio

luisa.alessio@fibrosicisticaricerca.it

Alessandra Ria - alessandra.ria@fibrosicisticaricerca.it

## Direttore generale

Giuseppe Zanferrari

Tel. 045 8123438 - giuseppe.zanferrari@fibrosicisticaricerca.it

## Direttore di gestione

Fabio Cabisianca

Tel. 045 8123605 - fabio.cabisianca@fibrosicisticaricerca.it

## Amministrazione

Responsabile: Gabriella Cadoni

Michela Bergamaschi, Francesca Morbioli, Chiara Piccinato, Silvia Sorio

Tel. 045 8123597 - 7034 - 7025 - 3599

gabriella.cadoni@fibrosicisticaricerca.it

michela.bergamaschi@fibrosicisticaricerca.it

francesca.morbioli@fibrosicisticaricerca.it

chiara.piccinato@fibrosicisticaricerca.it

silvia.sorio@fibrosicisticaricerca.it

## Comunicazione istituzionale

Responsabile: Jara Bombana

jara.bombana@fibrosicisticaricerca.it

Tel. 045 8123567

Cinzia Capuzzo, Silvia Prando, Federica Fracassi, Giulia Vrenna

cinzia.capuzzo@fibrosicisticaricerca.it

silvia.prando@fibrosicisticaricerca.it

federica.fracassi@fibrosicisticaricerca.it

giulia.vrenna@fibrosicisticaricerca.it

## Marketing, raccolta fondi e rapporti con il territorio

Responsabile ad interim: Fabio Cabisianca

fabio.cabisianca@fibrosicisticaricerca.it

Tel. 045 8123605 - 347 7169772

Laura Andreoli, Anastasia Boni, Giusy Buemi, Laura Fratta, Caterina Novaria

Tel. 045 8123605 - 7032 - 7033 - 7029 - 3604

laura.andreoli@fibrosicisticaricerca.it

anastasia.boni@fibrosicisticaricerca.it

giusy.buemi@fibrosicisticaricerca.it

laura.fratta@fibrosicisticaricerca.it

caterina.novaria@fibrosicisticaricerca.it

## Relazioni con le aziende

Responsabile ad interim: Fabio Cabisianca

Tel. 045 8123605 - fabio.cabisianca@fibrosicisticaricerca.it

Federica Fracassi - federica.fracassi@fibrosicisticaricerca.it

## Progetti editoriali

Carlotta Bergamini - press@fibrosicisticaricerca.it

Marina Zanolli - marina.zanolli@fibrosicisticaricerca.it

## Ufficio stampa sociale

Carlotta Bergamini

Tel. 333 3300469 - press@fibrosicisticaricerca.it

## Ufficio stampa scientifico

SEC Newgate - Federico Ferrari, Pietro Marciano

ffcricerca@secnewgate.it

## PER DONARE

### • 5x1000 a FFC Ricerca.

Nella sezione Ricerca scientifica della dichiarazione dei redditi scrivi:

**93100600233**

### • Online sul sito:

**дона.fibrosicisticaricerca.it**

### • Bonifico a UniCredit Banca

**IT 47 A 02008 11718 000102065518**

### • Bonifico a Banco BPM

**IT 92 H 05034 11708 000000048829**

### • Conto corrente postale n. 18841379

### • Lasciti: **lasciti.fibrosicisticaricerca.it**

In Italia, le donazioni a favore degli ETS permettono di usufruire di agevolazioni fiscali. Per approfondire: [fibrosicisticaricerca.it/benefici-fiscali-per-le-donazioni/](mailto:fibrosicisticaricerca.it/benefici-fiscali-per-le-donazioni/)

**Fondazione Ricerca Fibrosi Cistica**

**fondazioneffcricerca**

**Fondazione Ricerca Fibrosi Cistica**

**fibrosicisticaricerca.it**

## Fondazione Ricerca Fibrosi Cistica ETS

c/o Azienda Ospedaliera Universitaria Integrata

Piazzale Stefani, 1 - 37126 Verona

Tel. 045 8123438 - [fondazione.ricercafc@aovr.veneto.it](mailto:fondazione.ricercafc@aovr.veneto.it)

## DELEGAZIONI FFC RICERCA

<b>ABRUZZO</b>	
Pescara	3470502460
<b>BASILICATA</b>	
Montescaglioso - Matera	3343477508
<b>CALABRIA</b>	
"Vita in te ci credo" Crotonese	3286146195
Cosenza Nord	3490519433
Cosenza Sud	3479041138
San Costantino Calabro Vibò Valentia	3887767773
<b>CAMPANIA</b>	
Avellino	3493940749
Napoli	3387032132
Napoli e Pompei	081679151
Saviano - Napoli	3393185405
<b>EMILIA ROMAGNA</b>	
Bologna	3481565099
Crevalcore - Bologna	3806570161
Ferrara	3474468030
Fidenza - Parma	3346994359
Imola e Romagna	3479616369
Parma	0521386303
<b>FRIULI VENEZIA GIULIA</b>	
Trieste	3497246586
<b>LAZIO</b>	
Latina	3779898608
Monterotondo - Roma	3496500536
Pomezia - Roma	3491538838
Roma	3318655610
Vaticano - Roma	3282442701
	3478649131
<b>LIGURIA</b>	
"Mamme per la ricerca" Genova	3394195260
"Miriam Colombo" Ospedaletti - Imperia	3355881657
<b>LOMBARDIA</b>	
"Il Sogno di Aiden" Brescia	3389610601
Correre per un respiro	3382049861
Codogno e Piacenza	3481113384
Dongo - Como	3343081368
Franciacorta e Val Camonica - Brescia	3406589530
Ghedì - Brescia	3336743788
Legnano Altomilanese	3468515264
Lodi	3470969534
Milano	3475850310
Morbegno - Sondrio	3496852688
Pavia	3383950152
Tradate Gallarate - Varese	3472441141
Trescore Balneario Bergamo	3384276716
Valchiavenna - Sondrio	3337063142

Valsassina - Lecco	3389993582
Vigevano - Pavia	3392001843
Villa D'Almè - Bergamo	3358369504
Vimercate - Monza Brianza	3396533050
Fibrosirun - Monza Brianza	3338669217
<b>MARCHE</b>	
Ascoli Piceno	3204792114
Fabiano - Ancona	3478638704
Fermo	3394758897
Pesaro	3470191092
<b>PIEMONTE</b>	
"Insieme per Giulia Sofia" Cuneo	3334478856
Acqui Terme - Alessandria	3661952515
Alba - Cuneo	3482140070
Asti	3391295628
Biella	3319028525
Campiglione Fenile - Torino	3496250546
Chivasso - Torino	3396102082
Moncalvo - Asti	3395819218
Nichelino e Moncalieri Torino	3332923955
Novara	3317287449
Rivarolo Canavese - Torino	3479672344
Torino	3288352087
Valle Scrivia - Alessandria	3473095778
Verbania e V.C.O.	3382328074
Vercelli	3351264091
<b>PUGLIA</b>	
Alberobello - Bari	3292113764
Altamura - Bari	3347295932
Foggia	3404046539
Lecce	3883498587
Massafra - Taranto	3292025039
Palo del Colle - Bari	3275527386
Torre Santa Susanna Brindisi	3272056244
<b>SARDEGNA</b>	
"Un fiore per Valeria" Assemini - Cagliari	3404046067
Castelsardo - Sassari	3388437919
Olbia	3346655844
Riola Sardo - Oristano	3425133252
Siniscola - Nuoro	3207953209
Villasimius - Cagliari	3487162291
<b>SICILIA</b>	
Mascalucia - Catania	3331909983
Melilli - Siracusa	3332005089
Milazzo - Messina	3475059861
Palermo e Trapani	3384124077
Paternò - Catania	3487237760
Vittoria, Ragusa e Siracusa	3386325645

<b>TOSCANA</b>	
Cecina e Rosignano Livorno	3406113886
Firenze	3336485308
Lucca	3403436289
Manciano - Grosseto	3338221877
Prato	3289076797
Reggello - Firenze	3287043136
Siena	3485435913
<b>TRENTINO ALTO ADIGE</b>	
Bolzano	3279151521
<b>UMBRIA</b>	
Perugia	3711464395
Umbertide Città di Castello - Perugia	3209273469
<b>VENETO</b>	
"Ala fine esce sempre il sole"	3287140333
Boschi Sant'Anna Minerbe - Verona	
"Il sorriso di Jenny" Cerea - Verona	3394312185
"La bottega delle Donne" Montebelluna - Treviso	3358413296
Belluno	3735042705
Lago di Garda - Verona	3487632784
Padova	3339304431
Rovigo	3491252300
Treviso	3406749202
Val d'Alpone - Verona	3289688473
Valdadige - Verona	3406750646
Valpolicella - Verona	3393316451
Verona	3478480516
Vicenza	3338877053

## GRUPPI DI SOSTEGNO FFC RICERCA

Crotone	3407784226
Reggio Calabria	3409278230
San Pietro di Caridà Reggio Calabria	3494734942
<b>CAMPANIA</b>	
"Insieme per Costantino e Francesco" Serino - Avellino	3806592468
Benevento	3474722532
Golfo di Policastro - Salerno	3288660690
Vitulazio - Caserta	3382230707
<b>EMILIA ROMAGNA</b>	
Comacchio - Ferrara	3396511817
Faenza - Ravenna	3332531483
Reggio Emilia	3339994241
Sassuolo - Modena	3335862932
<b>FRIULI VENEZIA GIULIA</b>	
Grado - Gorizia	3286523404

<b>LAZIO</b>	
"L'allegra brigata" Fondi - Latina	3281819109
Scauri Minturno	3347717739
<b>LIGURIA</b>	
"Natalina" Sarzana La Spezia	3497665757
<b>LOMBARDIA</b>	
"In ricordo di Teresa" Tresivio Ponte - Sondrio	3667338007
Casariè - Milano	3392055787
Genivolta - Cremona	3479345030
Isola Bergamasca - Bergamo	3495002741
Lainate - Milano	3483807009
Magenta - Milano	3394887552
Seregno - Monza Brianza	3384848262
Val Seriana - Bergamo	3931462537
<b>MARCHE</b>	
Civitanova Marche Macerata	3493746720
<b>MOLISE</b>	
Campobasso	3468744118
<b>PIEMONTE</b>	
Casale Monferrato Alessandria	3926657566
Ivrea - Torino	3357716637
<b>PUGLIA</b>	
Barletta	
Bitritto - Bari	3401618950
Grottaglie - Taranto	3382493210
Latiano - Brindisi	3476350915
Manfredonia - Foggia	3475012570
San Giovanni Rotondo Foggia	3408789661
Santeramo in Colle - Bari	3510515126
<b>SARDEGNA</b>	
Alghero - Sassari	3478650806
Isili - Cagliari	3888925391
<b>SICILIA</b>	
Capo D'Orlando - Messina	3319564678
Marsala - Trapani	3384116412
Pantelleria - Trapani	3931977147
Tremestieri - Messina	3285541071
<b>TOSCANA</b>	
Arezzo	3807784658
Montecatini Terme - Pistoia	3277054157
<b>TRENTINO ALTO ADIGE</b>	
Val Badia - Bolzano	3336911430
Ass.ne Trentina Fibrosi Cistica ODV - Trento	3405228888
<b>VENETO</b>	
Adria - Rovigo	3772077527



Fondazione per la Ricerca  
sulla Fibrosi Cistica - ETS  
fibrosicisticaricerca.it



**GRAZIE AL TUO  
5X1000,  
SARANNO SOLO  
LE BELLE EMOZIONI  
A TOGLIERCI  
IL RESPIRO.**

La **fibrosi cistica** è una delle **malattie genetiche gravi più diffuse**, senza ancora una cura risolutiva. Provoca **infezioni polmonari, problemi respiratori** e **numerose altre difficoltà quotidiane**, oltre alla compromissione di molti organi, fino a impedire di respirare. Il tuo **sostegno alla ricerca** può contribuire a trovare **cure sempre più efficaci**. Perché solo le belle emozioni dovrebbero toglierci il respiro.



**DONA IL TUO 5X1000 A FFC RICERCA**

Nella sezione Ricerca scientifica della dichiarazione dei redditi inserisci

**9 | 3 | 1 | 0 | 0 | 6 | 0 | 0 | 2 | 3 | 3**

e la tua firma.