



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

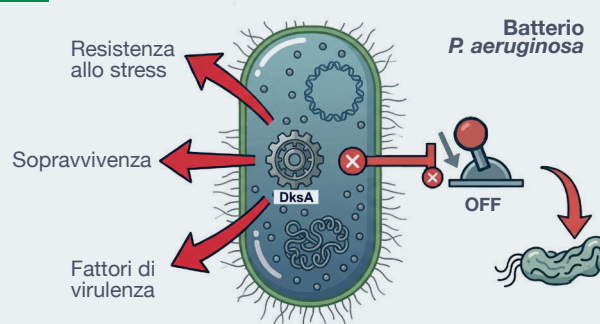
Progetto FFC#4/2026

USARE FARMACI NATI PER ALTRE MALATTIE CONTRO *PSEUDOMONAS AERUGINOSA*

Perché il progetto è importante?

L'avvento di Kaftrio ha migliorato, ma non risolto, il problema delle infezioni batteriche in fibrosi cistica (FC). In particolare, **le infezioni causate da *Pseudomonas aeruginosa* sono complesse da trattare** a causa della resistenza di questo batterio a molti antibiotici.

Una via alternativa è bloccare una proteina di cui il batterio ha bisogno per sopravvivere nelle vie aeree, usando farmaci già approvati per altre malattie, che potrebbero arrivare più rapidamente ai malati rispetto a molecole sviluppate da zero.



Cosa faranno i ricercatori?

Testeranno 15 farmaci già in uso per altre malattie per **colpire la proteina DksA**, usata da *Pseudomonas aeruginosa* per sopravvivere in condizioni difficili e proteggersi dal sistema immunitario. Verranno usati diversi modelli sperimentali, tra cui cellule provenienti da persone con FC.

Cosa si aspettano di ottenere?

Identificare almeno un farmaco in grado di bloccare la proteina bersaglio da affiancare ai modulatori attuali come terapia combinata. Questo permetterà di **ridurre la sopravvivenza di *P. aeruginosa* nelle vie aeree FC**, offrendo un controllo più efficace delle infezioni croniche.



Responsabile:
Livia Leoni
Dipartimento di Scienze,
Università degli Studi Roma Tre

Ricercatori coinvolti: 8
Durata: 3 anni
Finanziamento: € 208.950

Scopri il progetto!



fibrosicisticaricerca.it



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

Che cosa è la fibrosi cistica

È una **malattia genetica ereditaria** causata da mutazioni nel gene CFTR, che contiene le istruzioni per produrre la proteina CFTR, coinvolta nel trasporto di sali e acqua attraverso le cellule. Quando la proteina non funziona correttamente, le secrezioni diventano più dense e difficili da eliminare.

Il **muco viscoso** può accumularsi nei bronchi, rendendo più difficile respirare e favorendo **tosse, infezioni e infiammazione**. Nell'apparato digerente può ostacolare il passaggio degli enzimi pancreatici, causando **difficoltà a digerire** e assorbire i nutrienti. Altri segni caratteristici sono il sudore molto salato e, in alcune persone, complicanze a carico di altri organi.

I numeri



160
mila
malati FC
nel mondo



48
mila
malati FC
in EU



6
mila
malati FC
in Italia



2
neonati
con FC a
settimana



1
bambino
su 3.000 nati
ha la FC

Come si trasmette



Si trasmette **dai genitori ai figli** attraverso i geni. Ogni persona possiede due copie del gene CFTR, una ereditata dalla madre e una dal padre. La FC si manifesta quando entrambe le copie presentano un'alterazione (mutazione).

Chi ha **una sola copia alterata** è un **portatore sano**: non presenta i sintomi della malattia, ma può trasmettere la mutazione ai figli. In Italia, **una persona su 30** è portatrice sana; circa una coppia su 900 è formata da due portatori sani. In questi casi, a ogni gravidanza esistono le seguenti probabilità:

25%

figlio né portatore
né malato

50%

figlio portatore
sano di FC

25%

figlio malato
di FC

Infiammazione e infezione



La presenza di muco denso nelle vie respiratorie crea un ambiente favorevole alla **crescita dei microrganismi**. Le infezioni che ne derivano stimolano una **risposta infiammatoria persistente**, che danneggia progressivamente i bronchi e il tessuto polmonare.

Si instaura così un circolo vizioso: il danno alle vie respiratorie ostacola ulteriormente la rimozione del muco, favorendo nuove infezioni e altra infiammazione.

Nel tempo, questo processo può **compromettere sempre più la funzione respiratoria**.

Terapie



Mirano a migliorare la durata e la qualità di vita attraverso un approccio combinato.

Fisioterapia respiratoria: aiuta a liberare i polmoni dal muco.

Aerosolterapia: fluidifica le secrezioni e consente la somministrazione di antibiotici per via inalatoria.

Antibiotici: contrastano le infezioni batteriche nei polmoni, come quelle da *Pseudomonas aeruginosa* e *Staphylococcus aureus*.

Modulatori della proteina CFTR: farmaci mirati che migliorano il funzionamento della proteina difettosa, portando benefici concreti alla respirazione e alla salute generale. Non sono efficaci per tutte le mutazioni del gene CFTR.