

COMUNICATO STAMPA

22-24 Novembre 2018

XVI^a Convention della Rete Italiana dei Ricercatori in Fibrosi Cistica

Centro Congressi della Camera di Commercio, Verona

Progressi della ricerca e orizzonti di cura

La malattia genetica grave più diffusa è entrata nell'era della cura del difetto di base e la Fondazione Ricerca Fibrosi Cistica (FFC) è in prima linea nella competizione su scala mondiale. Tra le ricerche più avanzate presentate nell'ambito di questa edizione dell'annuale Convegno scientifico tra i ricercatori della rete FFC: l'avanzamento della fase preclinica del progetto strategico Task Force for Cystic Fibrosis, i nuovi potenziali farmaci orientati al trattamento del difetto mutazionale, lo sviluppo dei modelli biologici di malattia in grado di predire l'efficacia clinica di un farmaco e il nuovo corso della terapia genica con prospettive di gene editing. Prospettive significative anche per superare la resistenza agli antibiotici per i batteri più implicati nell'infezione/infiammazione broncopolmonare, che tuttora determina il destino dei malati

Aprirà i lavori il Direttore Scientifico della Fondazione per la Ricerca sulla Fibrosi Cistica - Prof. Gianni Mastella

Verona - E' ormai chiaro alla ricerca internazionale che è possibile curare il difetto di base che causa la fibrosi cistica e che questo avverrà grazie a una **poli-associazione di molecole**. Esse in modo sinergico devono recuperare e rendere funzionante la proteina canale per gli ioni cloro (CFTR), proteina che nei malati di fibrosi cistica funziona male o è addirittura assente sulla membrana apicale delle cellule epiteliali. Di questa poli-associazione, e non solo, parleranno i 200 ricercatori italiani riuniti a Verona e finanziati da FFC. Nella cornice del Centro Congressi della Camera di Commercio moltissimi saranno i temi di ricerca

Verrà presentato l'atteso report dei risultati su ARN23765, il composto portato avanti dai ricercatori Tiziano Bandiera, Luis Galiotta e Nicoletta Pedemonte; questo composto potrebbe far parte della poli-associazione in grado di fermare la malattia nel caso di F508del, la più frequente mutazione del gene CFTR. Si tratta di un **correttore**, in grado di recuperare la proteina impedendone la degradazione prima del suo arrivo in membrana. La ricerca è il frutto del progetto strategico **Task Force for Cystic Fibrosis** che la Fondazione supporta dal 2014 e che è attualmente in avanzata fase preclinica.

Verranno presentati anche studi sui **potenziatori**, in grado di tenere la proteina canale aperta per un tempo più lungo favorendo il passaggio di cloruro, e sugli **stabilizzatori**, in grado di stabilizzarla sulla membrana cellulare. In particolare, Massimo Aureli dell'Università di Milano e Anna Tamanini dell'Azienda Ospedaliera Integrata di Verona riferiranno di uno stabilizzatore, possibile membro della poli-associazione vincente, che alla *North American Cystic Fibrosis Conference* di Denver ha suscitato molto interesse.

Ancora, Anna Cereseto del CIBIO di Trento, proposta donna dell'anno da "Repubblica", introdurrà la cosiddetta "forbice molecolare", ossia la tecnica del **gene editing**, che tagliando il DNA potrebbe intervenire direttamente sul gene mutato.

Poiché in parallelo alla ricerca delle terapie di radice, il malato di fibrosi cistica avrà bisogno di progressi nel campo del trattamento dell'infiammazione e dell'infezione polmonare, eventi tuttora determinanti sul suo destino, diversi progetti FFC discuteranno le due aree, con proposte di nuovi antinfiammatori e di molecole che potrebbero sfociare presto in **nuovi antibiotici**, capaci di superare le resistenze batteriche. E' una linea di ricerca

di ampio respiro e molto solida, che la Fondazione persegue da vari anni, con l'obiettivo di trovare la soluzione al problema della resistenza agli antibiotici. Molti i progetti in questo campo, come ad esempio quelli relativi ai cosiddetti **peptidi antimicrobici**, o ai **batteriofagi** dei quali si parlerà in diversi interventi, che ne esploreranno le caratteristiche in vivo e i metodi di somministrazione.

Nell'area della ricerca clinica, l'interesse di FFC per aspetti epidemiologici e sociosanitari sarà sottolineato da Carlo Castellani, dell'Istituto Gaslini di Genova, che farà il punto sul **test del portatore tra la popolazione generale**. Inoltre i ricercatori spazieranno sulla storia della malattia con progetti che vanno dal miglioramento dell'iter diagnostico derivato dallo **screening neonatale** a nuove strategie per aumentare il tasso di successo del **trapianto polmonare**. Verrà affrontato il futuro della ricerca clinica, attraverso l'utilizzo degli **organoidi derivati da staminali di epitelio nasale o rettale**, che potrebbero in futuro affiancarsi alla sperimentazione sull'animale nella fase preclinica e, una volta arrivati al malato, permettere la personalizzazione dell'intervento farmacologico, prevedendone l'efficacia.

Infine anche quest'anno FFC lancerà il messaggio della necessità **d'interazione fra ricerca di laboratorio e ricerca clinica**: la Convention prevede alcune sessioni particolari in cui i protagonisti dei due versanti della ricerca si confronteranno faccia a faccia.

«In 21 anni di attività di ricerca – osserva il direttore scientifico FFC, professor Gianni Mastella – possiamo dire di avere contribuito a individuare filoni nuovi di cura, contribuendo al miglioramento delle terapie tradizionali e al tempo stesso aprendo vie prima sconosciute verso un cambiamento radicale nella prognosi della fibrosi cistica, con risvolti innovativi e importanti per la ricerca scientifica nel suo complesso».

Fondazione Ricerca Fibrosi Cistica (FFC). La Fondazione per la Ricerca sulla Fibrosi Cistica – Onlus (FFC) da 21 anni promuove, seleziona e finanzia progetti avanzati di ricerca per migliorare la durata e la qualità di vita dei malati e sconfiggere definitivamente la fibrosi cistica. Riconosciuta dal Ministero dell'Istruzione, dell'Università e della Ricerca (MIUR) come ente promotore dell'attività di ricerca scientifica sulla malattia, si avvale da un lato di una rete di oltre 200 Istituti di Ricerca, con circa 900 ricercatori, e dall'altro dell'attività di oltre 140 Delegazioni e Gruppi di Sostegno distribuiti in tutte le Regioni italiane, con 10.000 volontari che raccolgono fondi e fanno informazione sulla malattia e sulla ricerca.

Si prefigge tre obiettivi:

1. promuovere e finanziare la ricerca scientifica sulla fibrosi cistica;
2. formare giovani ricercatori e personale sanitario;
3. diffondere la conoscenza della malattia tra la popolazione.

In particolare, la promozione della ricerca scientifica avviene principalmente attraverso il finanziamento di progetti di ricerca selezionati fra quelli pervenuti a seguito di un bando annuale e finanziati con l'adozione" da parte dei tanti sostenitori. La selezione dei progetti si basa sulla valutazione rigorosa, obiettiva e indipendente operata dal Comitato scientifico della Fondazione con il contributo di oltre 300 esperti internazionali.

Dal 2002 ad oggi la Fondazione ha investito 28 milioni di euro, con i quali ha sostenuto 366 progetti di ricerca. È riconosciuta dalla comunità scientifica internazionale e contribuisce, nel contesto della ricerca mondiale, al progresso delle conoscenze che rendono la fibrosi cistica sempre più curabile.

Contatti e informazioni:

Comunicazione FFC | Marina Zanolli | marina.zanolli@fibrosicisticaricerca.it | +39 045 8127026

Comunicazione scientifica: graziella.borgo@fibrosicisticaricerca.it; flaminia.malvezzi@fibrosicisticaricerca.it

Brochure con gli Atti della XVI Convention: <https://www.fibrosicisticaricerca.it/wp-content/uploads/2018/11/Brochure-Convention-2018.pdf>