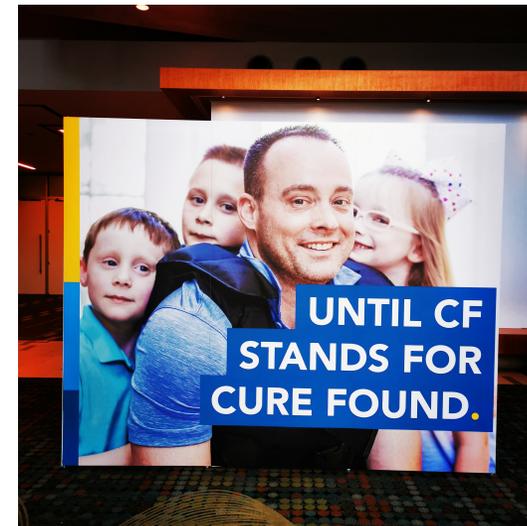


Sintesi dopo i congressi di Liverpool e Nashville



VII Forum FC Montesilvano / 22-24 Novembre 2019

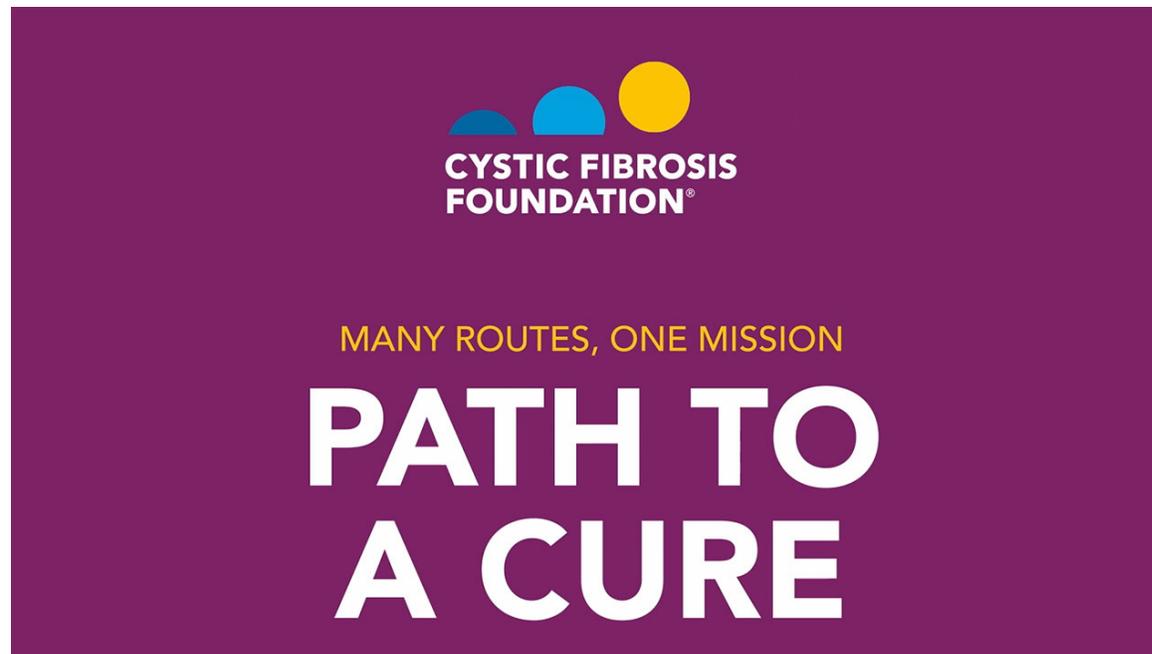
*Marco Magri
Consiglio direttivo LIFC*

Continua il positivo cambiamento nella cura della FC !!

- Triplice combinazione della Vertex – Trikafta (Delta F508)
- Trial Clinici per nuove terapie rivolte a tutti i pazienti (tutte le mutazioni)

VII Forum FC Montesilvano / 22-24 Novembre 2019

Il percorso della cura della Fibrosi Cistica, attraverso un video della CFF



VII Forum FC Montesilvano / 22-24 Novembre 2019

Differenze fra USA e Italia

- In USA affermano che hanno già identificato, grazie alla triplice, la terapia per il 90% dei pazienti
- In Italia questo 90% si riduce al 70% circa

Terapia con i modulatori



- Trikafta, la triplice combinazione, ha dimostrato di dare risultati più efficaci degli altri farmaci Vertex per i pazienti con almeno una mutazione DeltaF508.
- L'elevato costo della triplice combinazione (300k dollari per pazienti all'anno) costituisce una difficoltà
- Risultati sulla tollerabilità
- Disponibilità in Italia ?

- Oltre Vertex: Proteostasis e Galapagos

VII Forum FC Montesilvano / 22-24 Novembre 2019

Mutazioni No Sense (STOP)

Eloxx sta sviluppando una terapia che agisce sui ribosomi che leggono l'mRNA

- Trial clinico fase 2 della Eloxx



Nuove terapie per tutti i pazienti

Nuovi trial clinici, fino a pochi anni fa impensabili, che sembrano molto promettenti e che potranno servire a tutti i pazienti con qualsiasi mutazione:

- Inibitore canale di sodio (ENAC)
- Ripristino della proteina con mRNA



Necessità di continuare ad investire sulle terapie sintomatiche

- Murepavadina (nuovo antibiotico)
- Gallio, 'cavallo di troia' contro la Pseudomonas
- Batteriofagi, per combattere le infezioni
- Cisteamina, come fluidificante del muco

Vediamo un bellissimo video musicale di Francis Collins !!



VII Forum FC Montesilvano / 22-24 Novembre 2019

Grazie a tutti per l'attenzione.....e:



magri.marco@gmail.com

Avanti e sempre più veloci !

VII Forum FC Montesilvano / 22-24 Novembre 2019