

# REPORT SULLE ATTIVITA' DI RICERCA, FORMAZIONE E INFORMAZIONE SCIENTIFICA DELL'ANNO 2016 E PROGRAMMA PER L'ANNO 2017

## ATTIVITÀ DI RICERCA 2016

### Progetti di ricerca della rete italiana dei ricercatori FFC

Si ricorda che tale attività, coordinata dalla direzione scientifica FFC, si avvale del contributo di orientamento strategico e di valutazione dei progetti da parte del Comitato Scientifico FFC, con la collaborazione di esperti stranieri (*referees*: circa 90 nel 2016).

Complessivamente, 72 progetti sviluppati nell'annata:

- 32 progetti conclusi al 31 agosto 2016
- 17 progetti *in progress*
- 23 progetti nuovi (dal 1 settembre 2016)

Un progetto strategico:

- *Task Force for Cystic fibrosis (TFCF)* (conclusa la 2<sup>a</sup> fase, *in progress* la 3<sup>a</sup>)

*Contenuti e risultati più significativi*

- Progetti mirati alla scoperta di farmaci atti a correggere e potenziare la proteina CFTR:

I risultati più significativi derivano dal progetto TFCF: identificate e ottimizzate alcune molecole con attività simile o superiore a correttori già noti. Selezionate anche alcune molecole con azione potenziatrice molto attive: in corso ottimizzazione e selezione definitiva. E' in corso brevettazione dell'invenzione dei composti più attivi.

Altri progetti hanno sviluppato nuovi candidati farmaci correttori e potenziatori di CFTR, tra cui anakinra e analoghi della trimetilangelicina (TMA), in corso di brevettazione. Di interesse l'identificazione di molecole candidate a correggere il difetto dovuto a mutazioni stop (in corso brevettazione) e altre per la correzione dei difetti di splicing. Innovativo l'approccio al recupero di CFTR-F508del attraverso interventi su chinasi.

Notevoli risultati ottenuti da progetti rivolti a conoscere i meccanismi alla base della disfunzione CFTR. Importanti risultati con la messa a punto di organoidi intestinali per lo studio di nuovi farmaci e possibilmente per personalizzare le terapie del difetto di base. Nuovi dati presentati riguardo alla terapia cellulare-genica mediante staminali vascolari: mesoangioblasti.

- Progetti mirati alla cura dell'infezione polmonare

Continua forte interesse per lo studio del microbioma polmonare (comunità batterica complessa), mentre vi sono proposte di nuovi farmaci attivi contro *Pseudomonas aeruginosa*, tra cui nuovi peptidi antimicrobici ed alcuni fagi. Identificate nuove molecole per l'infezione da *B. cenocepacia*, con sviluppo di formulazioni inalabili.

- Progetti rivolti a curare l'eccesso di infiammazione polmonare

Sviluppate nuove conoscenze per spiegare i meccanismi e il ruolo devastante dell'infiammazione polmonare FC, con identificazione di nuovi bersagli per possibili cure e proposte terapeutiche significative: tra queste l'anakinra, come farmaco già impiegato per altre malattie infiammatorie, che avrebbe in FC un ruolo molto promettente; la resovina D1; la Glucocerebrosidasi GBA2; nuovi imino-zuccheri derivati da miglustat.

- Progetti di ricerca clinica

Tra i più rilevanti si segnalano: uno studio che valuta su larga scala i meccanismi che preparano al diabete FC e le implicazioni cliniche che ne derivano; uno studio sull'evoluzione clinica dei neonati con ileo da meconio; ulteriori risultati sulla trasmissione di micobatteri atipici; valutazione della variabilità biologica del test del sudore; una accurata disamina critica di linee guida diagnostico-terapeutiche in FC; ottimizzazione di immunosoppressori (Everolimus) nel trattamento antirigetto nel trapianto polmonare in FC.

## **Servizi alla ricerca centralizzati**

### **- Servizio per i modelli animali (CFaCore).**

Il servizio, finanziato da FFC presso l'ospedale San Raffaele di Milano tramite apposita convenzione, ha concluso il suo 7° anno di vita, rivelandosi prezioso supporto alla ricerca preclinica in tutti quei progetti che dalla fase di ricerca in vitro necessitano di passare alla sperimentazione in vivo su modelli murini normali o FC. Circa un quarto dei progetti FFC hanno fruito di tale supporto

### **- Servizio Colture Primarie**

Il servizio, finanziato da FFC presso l'Istituto G. Gaslini di Genova, ha concluso con successo il suo 5° anno di vita. Il servizio riceve da 2 centri di trapianto polmonare (Padova e Milano) materiale bronchiale ricavato dai polmoni espantati di pazienti FC sottoposti a trapianto polmonare. Da tale materiale si coltivano cellule epiteliali che rappresentano i tessuti bronchiali dei malati, nella loro diversità di mutazioni CFTR (genotipo) e con le caratteristiche funzionali degli epitelii malati. Tali cellule (colture primarie) sono strumento prezioso per studiare in vitro aspetti patogenetici della malattia e per testare potenziali farmaci. Il servizio è stato utilizzato in parecchi dei progetti FFC.

## **ATTIVITA' DI FORMAZIONE E INFORMAZIONE SCIENTIFICA 2016**

### **Seminario di Primavera**

Il Seminario, appuntamento annuale di primavera, ha avuto nel 2016 la 14° edizione, con larga partecipazione, soprattutto di famigliari di malati e di sostenitori FFC. Esso è finalizzato a dare in chiave molto divulgativa informazioni aggiornate sugli sviluppi della ricerca in fibrosi cistica. Il Seminario si è arricchito anche di una brochure contenente i testi delle relazioni: esso è stato diffuso, oltre che ai partecipanti, anche a medici e operatori sanitari dei centri FC italiani.

### **Convention d'Autunno dei ricercatori della rete FFC**

Svoltasi per 3 giorni alla fine di Novembre all'hotel Poiano di Garda, la 14° edizione della Convention ha visto riuniti circa 200 ricercatori. E' stato una occasione di bilancio dell'attività di ricerca della Rete, con relazioni in seduta plenaria e discussione in sessioni poster. Molto apprezzata una sessione centrale, basata su due relazioni di scienziati stranieri: una dedicata allo stato dell'arte sulla ricerca di terapie del difetto di base (Christine Bear di Toronto) e l'altra sugli sviluppi degli studi sull'infiammazione polmonare CF (James Chmiel di Cleveland).

### **Cystic Fibrosis Database (CFDB)**

Si tratta di un servizio informativo online al suo 5° anno di vita. E' un database completo di tutti gli studi clinici, di varia natura, che vengono pubblicati in tutto il mondo con riferimento alla fibrosi cistica. Gli studi clinici vengono anche commentati con continuo aggiornamento rispetto a 50 tematiche principali. Il sito contenente il database è stato recentemente rifatto con maggiore efficienza di ricerca e navigazione.

### **Altre attività congressuali FC**

- Supporto e sponsorizzazione da parte FFC del meeting internazionale di *CF Basic Science* ad Abufeira (Portogallo), con ampia partecipazione di ricercatori FFC e presentazione di ricerche FFC.  
- Partecipazione dello staff scientifico FFC a meeting e congressi FFC nazionali e internazionali (7 nel 2016)

### **Attività di informazione scientifica attraverso i media**

- Informazione scientifica sul sito FFC. Curate alcune sessioni di informazione scientifica: recensioni su progressi di ricerca, con la collaborazione di alcuni consulenti esterni (circa 75 recensioni nel 2016); commenti di esperti su tematiche di attualità; gestione della rubrica "Domande e Risposte", un servizio aperto al pubblico (circa 400 domande nel 2016); produzione di vari documenti informativi.

- Newsletter elettronica mensile, spedita a circa 7000 abbonati.  
- Contributi scientifici per il Notiziario FFC quadrimestrale  
- Contributi a trasmissioni televisive e radio.  
- Articoli e contributi per testate giornalistiche e web.

---

## **PROGRAMMA 2017 per ATTIVITA' DI RICERCA**

### **Progetti di ricerca di rete**

Con bando 15 dicembre 2016 sono pervenute al 15 febbraio 2017 67 proposte di ricerca. 20 di esse sono state scartate in prima istanza dal Comitato Scientifico e 4 sono state rifiutate per non coerenza con le disposizioni del bando. 43 sono state inoltrate ai referees internazionali: almeno due per ciascun progetto. A fine giugno il Comitato Scientifico proporrà i progetti da finanziare, tenuto conto anche del budget che il CdA metterà a disposizione. Procedono i progetti in corso di attività (40 progetti).

### **Progetto strategico *Task Force for Cystic Fibrosis***

Conclusa al 28 febbraio 2016, con risultati molto promettenti, la II fase: una dozzina di molecole sono candidate ai processi di ottimizzazione (modificazioni chimiche e valutazioni su modelli cellulari e colture primarie) per arrivare a 2-3 composti da fare entrare in fase preclinica come farmaci candidati per correzione e potenziamento della proteina DF508-CFTR. E' ciò che si sta attuando nella III fase, già avviata dal 1 marzo 2016 (conclusione al 31 agosto 2017). Il finanziamento della III fase, incluso nel bilancio 2016, è già stato approvato dal CdA nella seduta di aprile 2016, sulla base dei risultati ottenuti.

Sulla base dei risultati già ottenuti, è in corso la pratica di brevettazione dei composti che hanno dato maggiore attività di correzione e potenziamento della proteina CFTR. E' in corso l'attivazione di un accordo tra i tre partner del progetto (Gaslini, IIT, FFC), assistito dall'avv.to Mina, per la condivisione della proprietà intellettuale e lo sfruttamento eventuale delle invenzioni derivate dal progetto.

Sempre sulla base di quei risultati, si sono già gettate le basi per lo sviluppo di farmaci correttori e potenziatori da applicare eventualmente in studi sull'uomo ([Allegato 1](#)). Si tratta di affidare ad una CRO (*Contract Research Organization*, organizzazione per gli studi di sviluppo preclinico e clinico) uno studio preclinico formale, mirato a testare i composti candidati su modelli animali, con esperimenti di farmacocinetica, di saggi di tolleranza in vivo e formulazione di preparato farmaceutico. Questo studio dovrebbe iniziare nei primi mesi del 2018 e concludersi nei primi mesi del 2019. Contemporaneamente, a partire da settembre 2017 si avvierà presso IIT e Gaslini uno studio di supporto alla fase preclinica, mirato a perfezionare le caratteristiche dei farmaci candidati (inclusi gli effetti di combinazioni) ed a creare riserve di composti per rispondere ad eventuali richieste della fase preclinica ([Allegato 2](#)).

Al CdA si chiede di approvare il linea di massima il progetto di studio preclinico, includente lo studio di supporto, accantonando una somma da impiegare in parte dal 1 settembre 2017 e in massima parte nel 2018. Per lo studio preclinico si dovrà decidere l'impegno definitivo FFC nella seduta del CdA di novembre quando disporremo di un dettagliato progetto e di alcune offerte di CRO. La stima del costo complessivo si aggira al momento su 1.250.000: si contratterà con IIT per contenere la componente FFC.

### **Servizi alla ricerca**

- Il servizio CFaCore 5 (1 febbraio 2017 – 31 gennaio 2018) è già stato approvato dal CdA nella seduta di novembre 2016, anche per il finanziamento (da includere nel bilancio 2017).
- Il servizio Colture Primarie 4 (1 gennaio – 31 dicembre 2016) è già stato approvato da CdA, nella seduta di novembre 2016, con finanziamento da includere nel bilancio 2017.

---

## **PROGRAMMA 2017 PER ATTIVITA' DI FORMAZIONE E INFORMAZIONE SCIENTIFICA**

Sono previste attività sovrapponibili nella forma e nella misura a quelle del 2016:

- **Seminario di Primavera** Verona (CUM) 27 maggio 2017 ([Allegato 3](#))
- **Convention d'Autunno dei ricercatori della rete FFC** Camera di Commercio, Verona, 26-28 ottobre

- **Cystic Fibrosis Database (CFDB)** Fase 6, 1 luglio 2016 – 30 giugno 2017 (Allegato 4)
  - **Attività congressuali non FFC** Equivalenti al 2016
  - **Attività di informazione scientifica attraverso i media** Analogamente alle attività 2016
- 

<b>PROPOSTA DI BUDGET PER ATTIVITA' DI RICERCA, FORMAZIONE E INFORMAZIONE SCIENTIFICA 2017</b>
--

**Attività di ricerca FFC 2017**

ATTIVITA'	INVESTIMENTI 2017
Progetti di rete 2017	1.282.840
Task Force Accantonamento fase preclinica	400.000
Servizio CFaCore (12 mesi)	170.000
Servizio Colture Primarie (12 mesi)	55.000
<b>Totale Ricerca</b>	<b>1.907.840</b>

**Attività di Formazione / Informazione Scientifica / 2017**

ATTIVITA'	INVESTIMENTI 2017	
Seminario Primavera	6.000	
Convention d'Autunno	50.000	
CFDB (12 mesi)	18.000	
Supporto Congressi FC	5.000	
Comitato scientifico	6.000	
Oneri generali	10.000	
Informazione media	10.000	
<b>Totale Form/Info</b>	<b>105.000</b>	

## ATTIVITÀ COMUNICAZIONE 2016

### ***Focus:***

- Fornire i contenuti informativi necessari ad allargare il numero delle persone a conoscenza della fc: accrescere la consapevolezza per favorire la disponibilità al dono
- Riferire gli aggiornamenti nazionali e internazionali della ricerca in campo fc per una continua crescita della reputazione scientifica, anche sotto il profilo divulgativo
- Dare coerenza alla comunicazione esterna fatta dalla rete nazionale dei volontari FFC per ottenere un'identità facilmente riconducibile agli obiettivi di Fondazione
- Garantire adeguato supporto alla struttura di raccolta fondi: maggiore impatto comunicativo, maggiore diversificazione degli strumenti per raggiungere le persone

### ***Strumenti***

#### **SITO FFC**

2016, anno di avvio del nuovo sito FFC. Con Facebook, è diventato punto di riferimento sempre più esauriente dei contenuti comunicativi della parte scientifica e di quella sociale, riguardante la raccolta fondi e le attività del territorio.

Nel confronto tra 2015 e 2016, rileviamo:

**+36.14%** sessioni = tempo in cui l'utente interagisce con il sito

**+36.41%** utenti (da 310.655 a 423.757)

**+27.97%** visualizzazioni di pagina (da 711.349 a 910.336)

Nella media dell'anno 2016 registriamo:

**969.887** sessioni

**746.631** utenti

**1.604.878** visualizzazioni di pagina

Traffico complessivamente in crescita, originato da:

**72,1%** ricerca organica = accesso con motore di ricerca

**19,2%** diretto = accesso da indirizzo FFC

**3,9%** social = accesso da Facebook/altri social media

**3,1%** a pagamento = attraverso AdWords (gratuito per FFC)

**1,7%** da referral = tramite link attivo in altri siti

In aumento il numero di utenti che accede al sito attraverso dispositivi mobili:

il **70.42%** (+ **5.5%** in otto mesi), di cui

**62.48%** da cellulare

**7.94%** da tablet

solo il **29.59%** accede da desktop. (E questo cambia nella sostanza le tecniche di engagement del pubblico, il tono comunicativo, i contenuti)

## FACEBOOK

Si conferma come strumento utile per il primo accesso al mondo di Fondazione.

Crescita dei fan della pagina costante negli anni:

**27.735** (1 gennaio 2016) ➔ **32.839** (31 dicembre 2016): **+ 18.40%**

**+ 40.39%** (da gennaio 2015 a dicembre 2016).

Giugno 2016, lancio del nuovo spot FFC ➔ record di copertura giornaliera del post:

**366.686** persone raggiunte

**250 mila** visualizzazioni dello spot soltanto nella pagina FB

## NUOVA IMMAGINE

Il 2016 ha rappresentato un periodo di ulteriore evoluzione nel linguaggio di presentazione della *mission* FFC. Per aumentare la possibilità che il messaggio di Fondazione raggiunga un numero sempre più ampio di persone informate, e quindi di potenziali donatori, sono stati messi a punto in ordine di tempo:

- Un' immagine coordinata (stampa-web-below the line) dedicata alla diffusione del 5x1000. Partendo dall'acronimo FFC, usa le iniziali del logo per raccontare quanto questa malattia poco conosciuta sia al contrario molto presente nelle case, tra figli, fratelli o compagni di scuola. Racconta quanto è vicina, come rappresenti un'insidia mortale e come la ricerca rappresenti l'unica via di uscita. **A partire da inizio 2017, i materiali si arricchiscono dell'immagine dei tre giovani testimonial, malati di fc: Alessio, Rachele, Edoardo. Sviluppo di un percorso collegato a sito e FB dove seguire le loro storie.**
- Lo spot da 60 e da 30 secondi, diretto, interpretato e musicato da tre persone malate di fc: racconta la giornata di un ragazzo apparentemente come tutti gli altri ma la cui vita, sul set come nella realtà, è morsa dall'interno dall'avanzare della malattia. L'epilogo è certo, a meno che la ricerca non arrivi in tempo.
- Immagine stampa e web dedicata alla Campagna Nazionale per la Ricerca e al Bike Tour. In continuità con lo spot, conserva lo stesso protagonista e rilancia il tema della speranza, oggi resa più tangibile dalla nuove prospettive della ricerca.

## TV, RADIO, STAMPA, WEB

Anche nel 2016 la diffusione dei contenuti scientifici e sociali della Fondazione attraverso carta stampata, web, emittenti televisive e radiofoniche è stata a costo zero.

Gli oneri di Comunicazione non registrano costi per la diffusione media: le uscite sono sempre gratuite ma stimolate proprio dall'offerta di contenuti scientifici oppure sociali suggeriti dalle attività FFC, dalla rete dei suoi ricercatori e volontari.

Grazie all'insieme di queste iniziative, la rassegna stampa ha prodotto:

**630** uscite, di cui circa **350** in versione cartacea su quotidiani e riviste nazionali e locali.

**32** sono stati i comunicati stampa nazionali e regionali.

## EVENTI

Prosegue l'impegno per rendere sempre più omogeneo e coerente con la *mission* FFC il lavoro di delegazioni e volontari sul territorio nazionale. Obiettivo: immediata riconoscibilità FFC per tutti gli eventi e le occasioni di raccolta fondi, dal Piemonte alla Sicilia.

**300** eventi gestiti nel 2016 dalla comunicazione FFC, pubblicati sulle pagine del sito FFC, diffusi via media.

## NOTIZIARI

Realizzazione del notiziario quadrimestrale letto da oltre **50 mila** persone. Scopo:

raccogliere gli ultimi aggiornamenti nel campo della ricerca scientifica in fc;

dare motivazione e senso di appartenenza agli oltre **10 mila** volontari impegnati nelle attività FFC.

## NEWSLETTER

Comunicazione mensile (settimanale o quindicinale nel corso delle campagne) con informazioni sull'andamento della ricerca e le iniziative sociali rivolta a **7.000** persone. Strumento divulgativo delle attività di Fondazione, punta a dare conto degli aggiornamenti scientifici, istituzionali e delle novità dalla rete sociale FFC. Il suo collegamento con il sistema di tracciatura fornito dal Database consente di ottenere un feedback sul suo gradimento.

## CAMPAGNE

A Pasqua, a Natale, nel corso della Campagna autunnale per la Ricerca, sono state

- definite le strategie di comunicazione legate agli obiettivi di informazione divulgativa e di finanziamento di specifici progetti;
- realizzati i materiali grafici;
- diffusi i contenuti in forma coordinata sui media televisivi, su riviste e quotidiani, sul sito e sui social FFC.

**Pasqua.** Confermato il successo del *format* di raccolta fondi inaugurato nel 2015: **doppio canale** con offerta delle uova nelle piazze + nuovi volontari attivati per la distribuzione “casa per casa”.

Risultato: **70 mila** uova distribuite per una raccolta lorda di **670 mila** euro (oltre **80 mila** nel 2017 per una raccolta lorda di **730 mila** euro)

Strumenti: oltre alla tecniche di divulgazione tradizionali, forte impulso è stato dato dall’uso massiccio di *whatsApp* per le ordinazioni e a un forte impegno nella comunicazione *social* che bene ha risposto a questo stimolo.

**Campagna nazionale per la Ricerca.** Il filone tradizionale delle **piazze** del ciclamino è stato arricchito da “kit” di comunicazione forniti ai volontari per allestire **vetrine** fiorite, per diffondere ciclamini e informazione nelle **scuole**.

In apertura di Campagna, il **Bike Tour** 2016 con **sei** serate charity per promuovere tra imprenditori e cittadini il progetto Task Force. Complessivamente, piazze, iniziative charity, eventi connessi al Bike Tour hanno prodotto una raccolta lorda di **660 mila** euro.

**Natale.** I numeri della Campagna:

26 mila panettoni distribuiti  
600 mila euro di raccolta lorda per la ricerca  
150 passaggi gratuiti dello spot 30” sulle emittenti nazionali  
230 passaggi gratuiti dello spot sulle emittenti locali, web tv e portali web  
210 passaggi gratuiti dello spot radiofonico su emittenti radio e web radio  
90 articoli pubblicati su carta stampata e online  
45 eventi organizzati dai volontari FFC  
50 i nuovi volontari impegnati nella distribuzione “porta a porta”

Utilizzato inoltre lo strumento del direct mailing a privati e aziende, associato a un piano di raggiungimento delle aziende con il catalogo natalizio FFC per le ordinazioni. Rinnovati tutti i materiali per la diffusione dell’immagine FFC.

**5x1000.** Nella dichiarazione 2015 (su redditi 2014), **19.172** i contribuenti hanno scelto Fondazione, portando a un successo senza precedenti la Campagna 5x1000: **653.985** euro raccolti.

Strumenti aggiuntivi rispetto ai tradizionali: Incrementata la gestione del **passaparola social**; l’uso di **whatsApp** come memo per il codice fiscale; l’approfondimento dello **storytelling** dei pazienti.

Oltre alla crescita della raccolta, è positivo anche l’aumento di circa il **12%** nel numero delle preferenze; dato che indica un progressivo allargamento della base d’appoggio al lavoro svolto da Fondazione: attualmente FFC si trova al **37°** posto su **37.904** onlus aventi diritto al 5x1000.

**Ventennale.** Creato nel 2016 un **primo piano di lavoro** per festeggiare i 20 anni di Fondazione

- 31 gennaio 2017 parte la Campagna web “Anch’io compio 20 anni” con foto di persone che hanno ruolo nella vita FFC, dai fondatori ai volontari.
- Previsti eventi a partire dal Raduno di maggio dei volontari e poi il cuore della festa in occasione della Campagna di autunno.
- Definito il claim “1997-2017. Da vent’anni, più ricerca, più vita” da utilizzare per tutto l’anno all’interno del logo istituzionale