

Proposta di candidatura per il prossimo Consiglio Direttivo SIFC per il triennio 2019 – 2022

Profilo del Candidato alla Presidenza:

Dott. Marco Cipolli, Centro Regionale di Riferimento, Regione Marche, Azienda Ospedaliera Integrata, Ospedali Riuniti, Ancona.

Attualmente Direttore del Centro Fibrosi Cistica di Ancona.

Autore di oltre 50 pubblicazioni peer reviewed; h-index 19; citazioni (Scopus) 1723

Vice presidente in carica SIFC. Socio ECFS. Presidente del Comitato scientifico dell'Associazione italiana Sindrome di Shwachman Diamond.

Principali campi di interesse:

- a) Ricerca clinica: epidemiologia, correlazione genotipo-fenotipo, implicazioni epatiche in FC, aspetti pancreatici in FC ed in età pediatrica; valutazione di nuove terapie riguardanti la CFTR, anti-infiammatori e anti-fungini in FC; studi osservazionali sull'impatto di mutazioni della proteina CFTR sull'espressione fenotipica nel tempo; invecchiamento cellulare in FC. Epidemiologia e correlazione genotipo-fenotipo, valutazione dei difetti ossei e del ritardo di crescita, valutazione degli aspetti cognitivi nella Sindrome di Shwachman-Diamond;

- b) Ricerca sperimentale: sviluppo di nuovi farmaci in grado di correggere la proteina CFTR; sviluppo di nuove sostanze ad azione anti-infiammatoria; sviluppo di device per la valutazione dell'efficacia in modelli ex-vivo di nuove terapie (terapie personalizzate); studio dei marcatori dell'invecchiamento cellulare in FC; sviluppo di nuove terapie per la correzione del difetto di base della proteina SBDS nella Sindrome di Shwachman Diamond; valutazione dell'impatto di nuovi farmaci sul processo infiammatorio e sui marcatori di trasformazione cellulare nella SDS;

Profilo dei Membri Candidati al consiglio Direttivo SIFC per il triennio 2019-2022:

(presentati in ordine alfabetico)

- *Prof. Francesco Blasi*, Direttore Dipartimento Medicina Interna, UOC Pneumologia e Centro adulti Fibrosi Cistica, IRCCS Fondazione Cà Granda Policlinico Milano, tel. 02-50320627;
e – mail: francesco.blasi@unimi.it
Membro del Consiglio di Amministrazione Università degli Studi di Milano (2016-2020).
Associate editor delle Riviste scientifiche Pulmonary Pharmacology and Therapeutics e Respiratory Research.
Socio SIFC.
Membro dell'ERS task force sulle line guide per il Cystic Fibrosis management e per l'Adult Cystic Fibrosis management.
Autore di oltre 300 pubblicazioni scientifiche su riviste internazionali.
h-index: 55; citazioni (Scopus):11352;
- Prof G. Castaldo, Ordinario di Medicina di Laboratorio nell'Università di Napoli Federico II; coordinatore delle attività di diagnostica molecolare del CEINGE-Biotecnologie avanzate di Napoli (Centro di riferimento Regionale per la diagnostica di malattie metaboliche e genetico-ereditarie; per lo screening neonatale della FC; per lo screening neonatale "allargato"). Tel. 081.3737859; e-mail: giuseppe.castaldo@unina.it
- Membro del Consiglio di Amministrazione dell'Università di Napoli Federico II (2016-2020).
- Componente (in qualità di esperto in Genetica) del Comitato Etico dell'AOU Federico II di Napoli.
- Già membro del Direttivo SIFC (2013-2016), già Presidente della Società Italiana di Biochimica Clinica; European Specialist in Clinical Chemistry e Socio dell'AACC.

- I principali campi d'interesse scientifico includono lo studio (anche attraverso modelli ex-vivo) dell'effetto di nuove mutazioni in geni malattia; la valutazione "personalizzata" dell'effetto di nuove molecole farmacologiche in pazienti con malattie genetiche; lo studio dei meccanismi epigenetici (micro RNA, metilazione) che influenzano l'espressione di CFTR o di altri geni correlati a malattie umane.

- *Dott.ssa M. Antonietta Calamia*, Coordinatore Infermieristico Arnas Civico-II Pediatria ad indirizzo Pneumologico e Allergologico, Centro Regionale di Riferimento Fibrosi Cistica, Palermo, Tel. 091-6666186/189; e-mail: mariaantonietta.calamia@arnascivico.it
Master I° livello in "Management e funzione di Coordinamento delle professioni Sanitarie"
docente ai corsi di preparazione per OSS 2018/19.
Tutor di tirocinio e Correlatrice per la stesura di tesi di laurea in Infermieristica
Partecipazione a numerosi trial su farmaci riguardanti la fibrosi cistica
Socio della Società italiana fibrosi cistica (SIFC)

- *Dott.ssa Claudia Giust*, Azienda Ospedaliera Universitaria Ospedali Riuniti – Ancona.
Tel. 0715862015, e-mail: claudia.giust@ospedaliriuniti.marche.it .
Dirigente Psicologo, responsabile del servizio di psicologia del Centro Fibrosi Cistica Regione Marche.
Socio SIFC; Coordinatore del gruppo professionale degli Psicologi SIFC
Referente Psicologo degli Ospedali Riuniti di Ancona per i pazienti in attesa di trapianto d'organo e trapiantati;
Altri campi di interesse: psicologia della salute, psicodiagnostica, psicoterapia psicoanalitica per l'infanzia e l'adolescenza.

- *Dott. Riccardo Guarise*, fisioterapista presso il Servizio di Fisioterapia- U.O. Fibrosi Cistica, Azienda Ospedaliero Universitaria Integrata di Verona

Tell. 045-8123162, email: riccardo.guarise@aovr.veneto.it .

Master di 1° Livello In Fisioterapia e Riabilitazione Respiratoria-Università degli Studi di Milano

Corso di Perfezionamento Universitario in Statistica Medica Applicata ai Quesiti Clinici-Università degli Studi di Modena e Reggio-Emilia

Docente di “Statistica e metodologia della ricerca” presso “Master di 1° Livello in Fisioterapia Pediatrica” Università degli Studi di Firenze 2019.

Revisore delle domande di fellowship presso il College of Experts della European Respiratory Society (ERS);

Socio SIFC, Associazione Italiana Fisioterapisti (AIFI), Associazione riabilitatori della insufficienza respiratoria (ARIR), American Association of Respiratory Care (AARC),

World Confederation for Physical Therapy (WCPT), European Respiratory Society (ERS),

Società Italiana per le malattie respiratorie infantili (SIMRI), Società Italiana di Fisioterapia (SIF)

Altri campi di interesse: collaboratore in progetti di citizen science (Cochrane Crowd, Cochrane Task Exchange, Screen4me, PEDro)

- *Dott.ssa Nicoletta Pedemonte*, Dirigente Biologo presso la U.O.C. Genetica Medica, Istituto Giannina Gaslini, Genova.

Tel. 010 56363178, e-mail: nicoletta.pedemonte@unige.it

Si occupa di attività di ricerca di laboratorio dal 1996 e dal 2002 con interesse specifico nella fibrosi cistica, in particolar modo sul meccanismo d'azione e correzione farmacologica delle mutazioni causative di fibrosi cistica. Identificazione di molecole attive sulla proteina CFTR mutata mediante screening funzionali ad alta resa (high-throughput screening). Numerosi i finanziamenti ottenuti su progetti di ricerca riguardanti la FC.

Autrice di 55 pubblicazioni su riviste scientifiche internazionali indicizzate

Co-inventrice in quattro brevetti internazionali su modulatori di CFTR per la terapia della fibrosi cistica.

Indicatori bibliometrici

h-index 23; citazioni (Scopus): 2854

- *Dott. Giovanni Taccetti*, Responsabile Centro Regionale Toscano Fibrosi Cistica- Azienda Ospedaliero Universitaria Meyer, Firenze, email : giovanni.taccetti@meyer.it
Socio della società italiana fibrosi cistica (SIFC)
Socio della Società europea fibrosi cistica (ECFS)
Autore di oltre 112 pubblicazioni su riviste scientifiche internazionali indicizzate; h-index 20; citazioni (Scopus) 1699.
Principal investigator in numerosi trial inerenti la FC.
Ha ottenuto finanziamenti per progetti sia come principal investigator che come collaboratore
Principali campi di interesse in fibrosi cistica: microbiologia, trials clinici e nuove terapie

Programma Società Italiana Fibrosi Cistica (SIFC)

per il triennio 2019-2022

Premessa

Il Consiglio Direttivo proposto per il prossimo triennio e che prevede come componenti Marco Cipolli in qualità di presidente SIFC, Francesco Blasi, M. Antonietta Calamia, Giuseppe Castaldo, Claudia Giust, Riccardo Guarise, Nicoletta Pedemonte, Manuela Seia e Giovanni Taccetti, si impegnerà a garantire l'applicazione delle norme statutarie della Società Italiana Fibrosi Cistica, preservando e cercando di aumentare multidisciplinarietà e multiprofessionalità cercando di promuovere interazioni tra gruppi professionali per lavorare su progetti e obiettivi comuni.

Il Consiglio proseguirà nella promozione del ruolo educativo e culturale della società, cercando di coinvolgere sempre di più l'opinione pubblica e tutti coloro che hanno un ruolo nella cura e nel miglioramento del benessere dei pazienti FC.

Un aspetto fondamentale sarà quello di consolidare maggiormente il rapporto con le altre Società scientifiche nazionali in considerazione del quadro multidisciplinare che caratterizza la fibrosi cistica.

Il programma proposto, discusso e condiviso con tutti i membri, si focalizzerà, in continuità con il programma e con gli obiettivi del Consiglio Direttivo del precedente triennio, su alcuni punti che riteniamo fondamentali:

- l'aggiornamento continuo degli **aspetti epidemiologici** della malattia
- contribuire alla formazione e alla crescita di giovani professionalità che a diverso titolo contribuiranno alla gestione clinica dei pazienti con FC e alla ricerca scientifica nel campo

anche favorendo stages di giovani presso altre Strutture nazionali o estere, finalizzate all'apprendimento di specifiche tecnologie o procedure cliniche.

- le **nuove terapie** sia per quanto riguarda l'aspetto della ricerca che il punto di vista dei costi e della sostenibilità da parte del SSN ;
- l'**aggiornamento culturale/scientifico** e quindi di formazione di tutti coloro che sono entrati a far parte negli ultimi anni della comunità scientifica della FC.

Epidemiologia

Registro Italiano FC (RIFC)

Il RIFC rappresenta un patrimonio fondamentale di tutti coloro che lavorano nel campo della FC, attivo dal 1/1/1988 e struttura permanente della SIFC (articolo 11 dello statuto). Con l'accordo con l'Istituto Superiore di Sanità si è cercato di ottenere una raccolta dati migliorativa dal punto di vista della qualità, oltre a iniziare a redigere un report periodico dei dati raccolti. Ancora non ottimale l'utilizzo del Registro per ottenere informazioni cliniche, programmare piani assistenziali, pianificare studi multicentrici. Il Direttivo SIFC continuerà a proporsi come promotore di un maggior utilizzo del RIFC da parte dei Centri FC ed anche dei ricercatori che richiederanno informazioni e dati disponibili. Sarà inoltre necessario ottenere dal RIFC un output di informazioni che ci permetta di essere allineati al livello dei dati pubblicati da altri registri europei e dalla CFF.

La disponibilità di dati complessivi dei Centri FC italiani ci permette di pianificare studi osservazionali di grande importanza. In particolare in questo momento storico della FC è importante ottenere indicazioni sull'andamento di pazienti che posseggono caratteristiche genotipiche/fenotipiche particolari, di cui non è chiara l'evoluzione clinica.

La SIFC si rende disponibile a sostenere tipologie di studi a largo respiro che possono avere ricadute sulla clinica e quindi sulla strategia delle cure

Ricerca

La ricerca in FC ha ottenuto enormi progressi in particolare negli ultimi due decenni. Le nuove terapie, grazie allo sviluppo di farmaci specifici per la FC, hanno permesso un aumento della sopravvivenza e un miglioramento della qualità di vita dei pazienti. Basti ricordare come negli anni '50 un bimbo con la FC raramente arrivava a frequentare la scuola elementare, mentre oggi vi sono molti pazienti in grado di vivere a sufficienza per realizzare i loro sogni, come frequentare l'università, programmare una carriera lavorativa, sposarsi, avere dei figli.

La ricerca rappresenta quindi uno snodo fondamentale per permettere a tutti i pazienti FC una qualità di vita ed una sopravvivenza pari o quanto più vicina a quella dei loro coetanei.

L'Italia con i suoi Centri FC si è vista in primo piano nella partecipazione a trial su nuovi farmaci, dimostrando una capacità di arruolamento ed una qualità dei dati raccolti in linea con i centri di ricerca europei.

Tuttavia ulteriori passi si possono fare per migliorare alcuni aspetti nella gestione di trial clinici e per aumentare la considerazione dell'Italia come partner per gli studi clinici.

Il Direttivo SIFC ha intenzione di promuovere le seguenti proposte inerenti questi aspetti aprendo una discussione con i Direttori dei Centri:

- Coinvolgimento dei Centri non attualmente in grado di partecipare in modo diretto a trial clinici. Questo aspetto è in continuità con le proposte del Direttivo precedente ma è necessario un ulteriore impegno per aumentare la possibilità di pazienti afferenti a Centri più periferici di partecipare agli studi. Ad oggi ancora pochi sono i tentativi in proposito.
- Centralizzare, almeno per un iniziale piccolo gruppo di Centri, il processo di definizione dei budget relativi ai trial clinici (i vantaggi sarebbero evidenti sia per i centri partecipanti che per gli sponsor).
- Iniziare la formazione di un network di Centri FC in grado di rispondere ai criteri organizzativi e di struttura per la ricerca clinica su cui poi appoggiare Centri FC di più piccole dimensioni.

- Questo processo dovrebbe portare alla costituzione di un CF-ITN (cystic fibrosis-italian trial network) in grado di porre l'Italia come punto di riferimento affidabile e di qualità nell'ambito della ricerca clinica.

Per poter svolgere questo programma che dovrebbe coinvolgere tutti i Centri FC italiani sarà fondamentale il confronto ed il sostegno di tutti gli stakeholder presenti ed interessati nell'ambito della ricerca clinica FC italiana. Sarà quindi compito del Direttivo SIFC iniziare il dibattito, proporre un modello ed indicare una strada compatibile per migliorare ulteriormente il futuro della ricerca clinica FC.

Formazione

La SIFC, in quanto Società scientifica riconosciuta, ha il compito ed il dovere di mantenere una formazione ed una divulgazione scientifica relativa alla fibrosi cistica. Il programma da sostenere dovrà sicuramente confrontarsi con le risorse a disposizione e con quelle che la SIFC sarà in grado di raccogliere.

Possiamo tuttavia già indicare alcuni punti fondamentali:

- Sostegno alla Rivista della SIFC "Orizzonti", elemento che possiamo ritenere necessario come strumento di divulgazione e di informazione relativa alla società.
- Possibilità di proporre un incontro, in accordo con il comitato editoriale della rivista, pensato per i giovani e che si potrebbe identificare come *Le giornate di Orizzonti*, cercando di proporre un iter formativo alternativo agli altri programmi SIFC.
- Aggiornamento sugli aspetti normativi e di gestione della ricerca clinica in continuità con il programma di incontri effettuato negli scorsi anni.
- Il meeting di "Primavera" della SIFC dovrà essere, oltre che un momento di incontro tra i gruppi di lavoro della Società, anche un momento di aggiornamento pratico su ambiti di cura della malattia. Verranno quindi proposti corsi pratici con l'intento di migliorare la conoscenza e le capacità dei partecipanti.

- Il Direttivo SIFC cercherà inoltre di stimolare e di facilitare gli incontri tra le Commissioni di Ricerca di base e di Ricerca clinica con il fine principale di individuare e successivamente indicare in quale direzione potrebbe essere utile promuovere un programma di ricerca in Italia, naturalmente tenendo presente il momento storico nel quale si trova la ricerca FC a livello internazionale.

Collaborazioni

- Continuerà il programma di collaborazione con altre società scientifiche, sia attraverso una partecipazione ai rispettivi convegni nazionali, sia attraverso la proposta di collaborazioni di progetti tra le società scientifiche su progetti e tematiche trasversali. A questo proposito la SIP/IRS ha attualmente un programma di finanziamento di alcune borse di studio della durata di 3 – 6 mesi ogni anno e considerato l'interesse dei pneumologi ad essere coinvolti nella gestione dell'adulto, siamo pronti a proporre una collaborazione per favorire l'utilizzo di alcune di queste borse per giovani medici attivi nella fibrosi cistica.
- Continuerà la collaborazione con il Registro Europeo.
- La SIFC è disponibile a discutere potenziali e future collaborazioni con la Fondazione Italiana Fibrosi Cistica (FFC) e qualsiasi ulteriore iniziativa atta a promuovere la ricerca e la formazione in FC, tenendo presente il rispetto delle singole autonomie e competenze.
- Il proponente Direttivo della SIFC riconosce come necessario un rapporto stretto con la Lega Italiana Fibrosi Cistica (LIFC) per mantenere e migliorare gli aspetti che permettono di garantire le migliori cure del paziente e le risposte adeguate, non solo alle sue esigenze ma anche a quelle proprie della famiglia.
- Continuerà la collaborazione con i Centri FC per comprendere le necessità operative e attuare eventuali sinergie.

Ulteriori aspetti di interesse del Consiglio Direttivo proposto per il triennio 2019 - 2022

- Sempre più complesso appare il modello di cura della FC con l'aumentare dell'età di sopravvivenza che fortunatamente procede in costante crescita grazie alle cure attuali e con un futuro terapeutico probabilmente ancora più efficace. Il passaggio quindi dall'età pediatrica a quella adulta, con la presa in carico da parte di Centri FC dell'adulto, può rappresentare per molti motivi un momento di particolare difficoltà. Non esiste un modello consolidato, tuttavia la presenza di personale adeguatamente formato, spazi idonei per l'età, programmi di controlli specifici rappresentano una condizione oramai necessaria. Il Comitato Direttivo continuerà a sostenere ed incentivare iniziative che permettano il miglioramento di tutti quegli aspetti che coinvolgono la medicina dell'adulto, al fine di consolidare ulteriormente un programma di **transitional care** di cui si sente sicuramente la necessità.
- Il sostegno al programma **trapianti d'organo** in Italia continuerà ad essere una priorità per la SIFC ed il Direttivo, continuando a percorrere la strada intrapresa. La commissione trapianti avrà quindi un compito fondamentale nel mantenere le sinergie tra i Centri FC ed i Centri Trapianti e nel promuovere incontri di aggiornamento sull'aspetto epidemiologico e scientifico dei trapianti.

Per entrambi questi aspetti è necessario mantenere una stretta collaborazione tra LIFC e SIFC, per un confronto costruttivo che ci spinga verso un costante miglioramento della qualità di vita dei pazienti FC di qualsiasi età.

Nello stesso tempo, anche in collaborazione con la LIFC si cercherà di aprire (o potenziare) il dialogo con l'interlocutore politico-amministrativo centrale e locale allo scopo di far comprendere le peculiarità e le necessità specifiche dell'assistenza ai pazienti con FC, anche allo scopo di uniformare, a livello nazionale, i livelli di assistenza e gestione clinica dei pazienti.

Dott Marco Cipolli

