NACF 2017
INDIANAPOLIS
&
Terzo Circle of Care
Vertex
&
Milton Park Laboratori Vertex

LIFC
Lega Italiana Fibrosi Cistica

V° Forum sulla Fibrosi Cistica

Napoli 25-26 Novembre 2017

CIRCLE OF CARE

VERTEX

NORTH AMERICAN CYSTIC FIBROSIS CONFERENCE
CYSTIC FIBROSIS FOUNDATION

Marco Magrì
Consiglio direttivo
LIFC

Messaggio principale della CFF Foundation:

- OTTIMISMO ed ENTUSIASMO

- Entro 5 anni il 95% delle mutazioni avranno una terapia
- Entro 10 anni il 100% delle mutazioni avranno una terapia

Terapia non vuol dire cura definitiva ma un trattamento specifico

LIFC
Lega Italiana
Fibrosi Cistica

Nuove classificazione delle mutazioni

Man mano che gli studi con i nuovi farmaci avanzano appare evidente che la classificazione delle differenti mutazioni a 6 Classi non è sufficiente a spiegare il difetto funzionale della proteina CFTR

LIFC
Lega Italiana
Fibrosi Cistica

Evoluzione

- Nuovi farmaci e nuovi players si affacciano all'orizzonte
- Nuovi meccanismi di attacco al difetto base vengono proposti
- Forte competizione tra le Aziende

LIFC
Lega Italiana
Fibrosi Cistica

Vertex

- Esiste una certa % di pazienti che evidenzia risultati deludenti con ORKAMBI ma Vrtx sta sviluppando altri farmaci che possono significativamente migliorare la efficacia

LIFC
Lega Italiana
Fibrosi Cistica

Vertex sviluppo

- TEZACAFTOR + IVACAFTOR (Fase III)
- Vx 440 + TEZACAFTOR +IVACAFTOR (Fase II)
- VX 152 + TEZACAFTOR +IVACAFTOR (Fase II)
- Vx 371 + LUMACAFTOR + IVACAFTOR

LIFC
Lega Italiana
Fibrosi Cistica

Galapagos altro attore

Area	Pre-clinical	Ph 1	Ph 2	Ph 3
IPF	'3499	Autotaxin	'1690	
Undisclosed	'2384	GPR84 '1205		
CF	Potentiators '3067	'2451	'1837	
CF	C1 '2851	C1	'2222	
CF	C2 '3221	C2 '2737		
OA	ADAMTS-5	'1972		
Atopic derm	'2534	IL-17C MOR106		
Inflammation	'3121 '3312			
Pain	'3535			

partnered

LIFC
Lega Italiana
Fibrosi Cistica

PROTEOSTASIS

- Propone un ulteriore step nella terapia del difetto di base quello di affiancare al potenziatore e al correttore un AMPLIFICATORE
- Queste nuove molecole hanno un meccanismo differente in pratica aumentano la biosintesi della proteina CFTR
- L'aumento intra cellulare della proteina migliora anche l'efficienza ed il beneficio clinico dei correttori e potenziatori.
- Il vantaggio degli amplificatori è che sono potenzialmente efficaci indipendentemente dalla classe di mutazione

LIFC
Lega Italiana
Fibrosi Cistica

IONIS pharmaceutical

- Oligo nucletide antisenso

Tecnologia target su m RNA dei canali ENAC
Farmaco nasce dall'idea di bloccare la funzionalità dei canali del sodio ENAC inibendone il gene.

LIFC
Lega Italiana
Fibrosi Cistica

Enzimi pancreatici

In USA non sembrano esserci i problemi che abbiamo vissuto in Italia legati alla carenza di Creon. Nuovi enzimi:

- Zenpep
- Pertzye
- Relizorb (terapia enterale)

Sono disponibili come alternativa a Creon. Purtroppo non sembrano essere interessati a rendere disponibili i loro prodotti in UE. Probabilmente perchè l'Italia non è un paese che gli garantisce buoni profitti.

LIFC
Lega Italiana
Fibrosi Cistica

Terapia antibiotica inalatoria

- In USA sono disponibili solo 2 farmaci per via inalatoria:

  - Tobramicina
  - Aztreonam

La Levofloxacina dovrebbe essere approvata nel 2018.

Purtroppo non sembrano esserci altri farmaci in arrivo per il trattamento dell'infezione cronica da Pseudomonas a.

LIFC
Lega Italiana
Fibrosi Cistica

Terapia antibiotica inalatoria

- E' invece in fase III un nuovo farmaco inalatorio per l'infezione cronica da MRSA (Stafilococco aureo meticillino resistente). Questo batterio è di crescente riscontro nell'escreato dei pazienti FC

- Il farmaco contiene Vancomicina in formulazione polvere inalatoria.

- Altre molecole in fase iniziale di studi clinici sono per il trattamento del micobatterio.

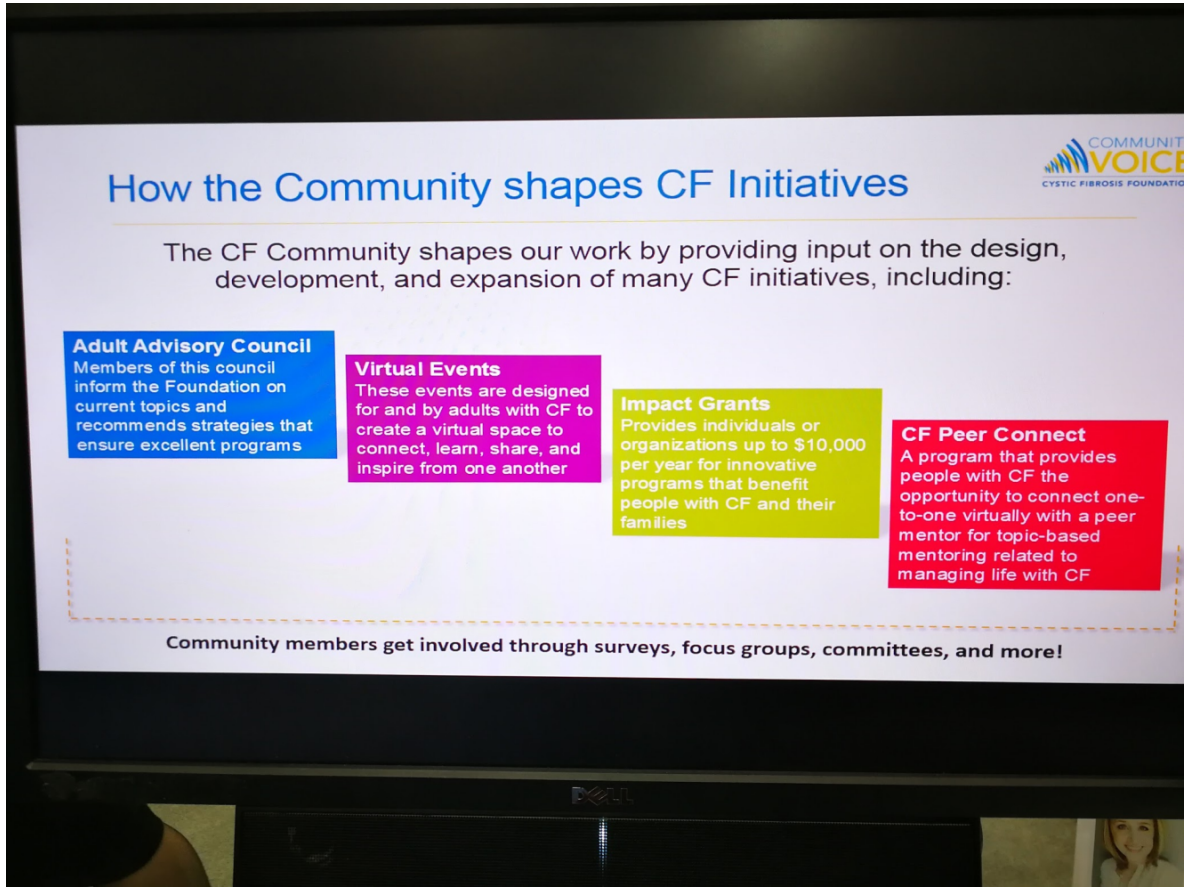
LIFC
Lega Italiana
Fibrosi Cistica

Terapia antibiotica inalatoria

- Una forte raccomandazione è stata data circa l'utilizzo di sistemi inalatori validati (farmaco+ nebulizzatore)
- I farmaci generici inalatori non sempre danno garanzie di pari efficacia rispetto ai farmaci originali.
- La riduzione della efficacia può essere anche superiore al 30-40%

LIFC
Lega Italiana
Fibrosi Cistica

Iniziative per la comunità FC



LIFC
Lega Italiana
Fibrosi Cistica

Marco Magrì, Consiglio direttivo LIFC, V Forum FC Napoli

Eventi virtuali per la comunità FC

Marco Magrì, Consiglio direttivo LIFC, V Forum FC Napoli

LIFC
Lega Italiana
Fibrosi Cistica

Advocate - Portavoce (CFF Foundation)

I governi federali e statali svolgono un ruolo fondamentale nella ricerca sulla FC, nello sviluppo di farmaci e nell'accesso per le persone affette da FC di accedere alle cure e alle terapie di cui hanno bisogno.

Stiamo responsabilizzando i membri della comunità CF a parlare di questioni importanti per le persone con fibrosi cistica.

Il nostro obiettivo è quello di aiutare a educare i responsabili politici sui bisogni delle persone affette da FC in modo che prendano decisioni intelligenti sulla ricerca, sul trattamento e sull'accesso alle cure correlate alla FC.

Terzo Circle of Care - Vertex

La LIFC ha avuto finanziato un progetto dal titolo:

Telemonitoraggio per i pazienti in pre e post trapianto polmonare

Si rivolge a 60 pazienti, 20 saranno seguiti dal Centro Trapianti della Lombardia e 40 in altri centri come: Torino, Padova, Firenze e Palermo.

LIFC
Lega Italiana
Fibrosi Cistica

Progetti presenti

I vincitori del bando sono stati 15, i temi trattati variavano dalle APP di video giochi per i bambini, alla raccolta fondi, alla divulgazione dell'informazione sulla malattia, alla formazione di centri medici in paesi meno organizzati, alla transistion care.

Il progetto LIFC è stato molto apprezzato per essere rivolto a chi ne ha più bisogno, per essere innovativo e concreto ed immediatamente fruibile dai pazienti.

LIFC
Lega Italiana
Fibrosi Cistica

Meeting di presentazione - Indianapolis

Lo scorso 13 Novembre, si è svolto un meeting organizzato dalla VERTEX per presentare i progetti e lo stato dell'arte degli stessi.

Ho presentato il progetto durante una piacevole serata che ci ha consentito di rafforzare i rapporti con la VERTEX e con gli altri partner presenti, del mondo economico, medico-scientifico e associativo anche europeo.

LIFC
Lega Italiana
Fibrosi Cistica

Self-monitoring healthcare devices addressed to pre and post transplant CF patients

Objective

Evaluate if self-telemonitoring can be useful for early diagnosis of major adverse events that complicate the course of lung transplant

Assess the impact of telemonitoring on patients' quality of life, pre and post-transplant hospitalization, onset of chronic rejection
Detect multiple vital parameters of the patient at home in the pre-transplantation phase

Avoid the risk of infections for immunodepressed CF patients when attending hospitals for medical checks

Make patients play an active role in the management of their own health

Audience

- 60 CF patients
  - 20 followed by Lombardia Regional Transplant Center
  - 40 followed by other Italian Regional Transplant Center

Parameters Evaluated

- FEV1 and FVC (forced vital capacity)
- Discomfort assessment according to MRC (Medical Research Council)
- SpO2 during programmed maximum physical activity
- Axillary body temperature
- Body weight
- Glycemia; mean and median of daily blood glucose
- Quality of life (self-assessment with St. George's Respiratory Questionnaire SGRQ)

Project Status and Challenges

- The project started in Ospedale Maggiore Policlinico – Milan on 01/09/2017 after the approval of the Ethics Committee. By now the project has 10 patients and 1 physiotherapist to read and analyze the data
- Other National Transplant Centers have been contacted to join the project and involve CF patients: Florence, Palermo and Padua
- The difficulty was starting the project due to the lack of qualified staff who could read and analyze the data. Once equipped with the staff, the project finally started in Ospedale Maggiore Policlinico - Milan

Impact

- After a year from the start up of the project, reports will be produced, based on which the benefits expected will emerge

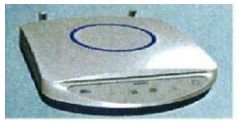
Next Steps

- Increase the number of patients
- Involve in the project other National Transplant Centers

Devices

NONIN WristOx2 3150

Spirometer Thor Otthon



Home Medical Assistant

Patients interface

LIFC
Lega Italiana
Fibrosi Cistica

Fondazione IRCCS Ca' Granda
Ospedale Maggiore Policlinico

Sistema Socio Sanitario
Regione Lombardia

Marco Magrì, Consiglio direttivo LIFC, V Forum FC Napoli

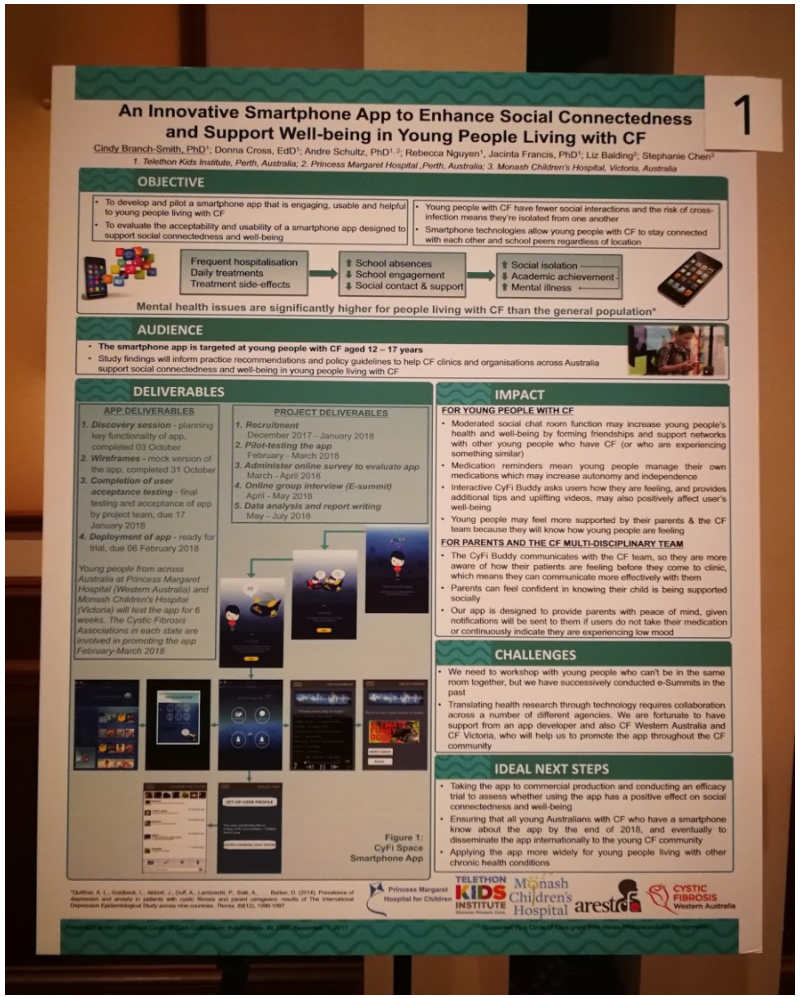
LIFC
Lega Italiana
Fibrosi Cistica

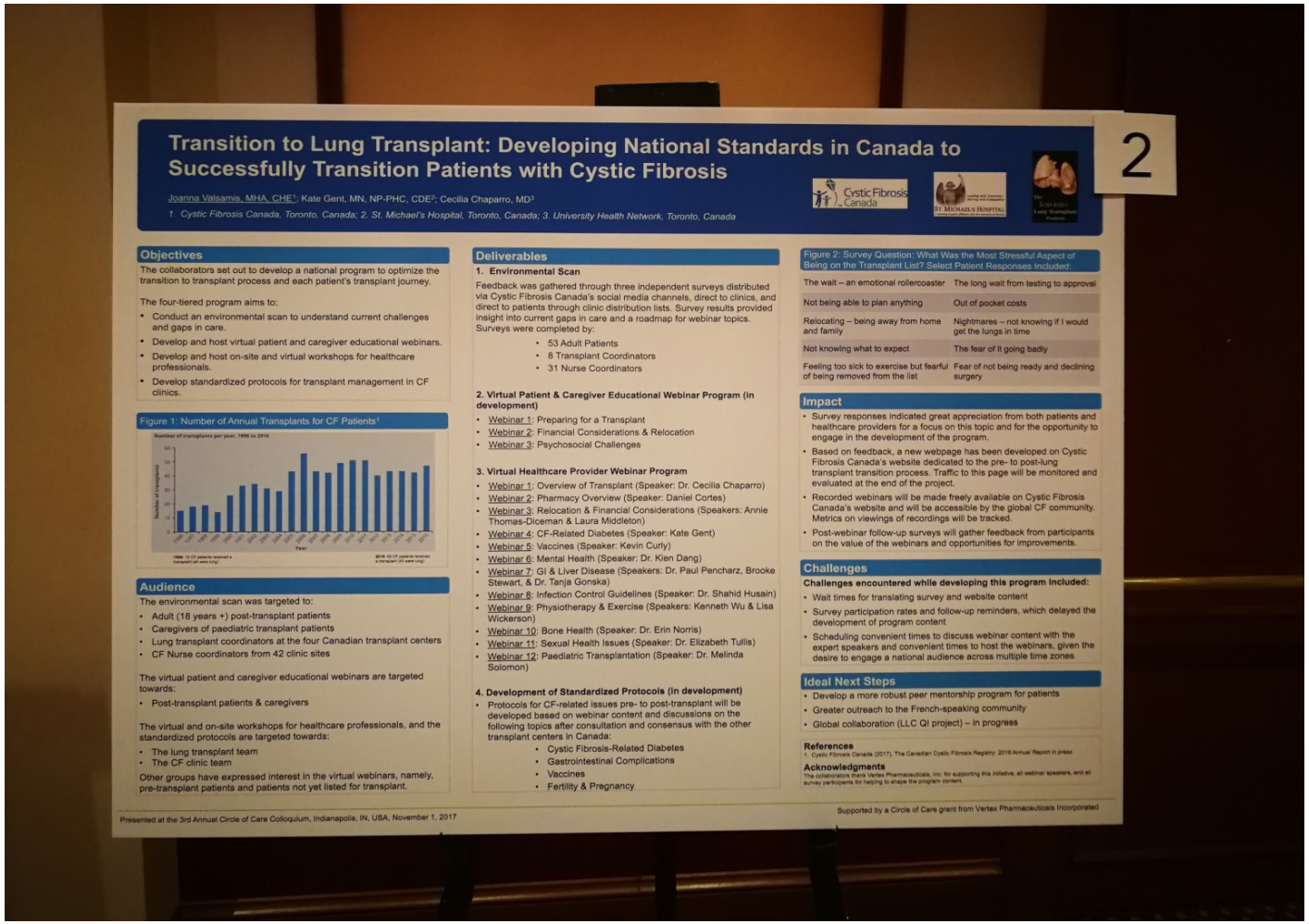
Alcune immagini della serata:

LIFC
Lega Italiana
Fibrosi Cistica

Marco Magrì, Consiglio direttivo LIFC, V Forum FC Napoli

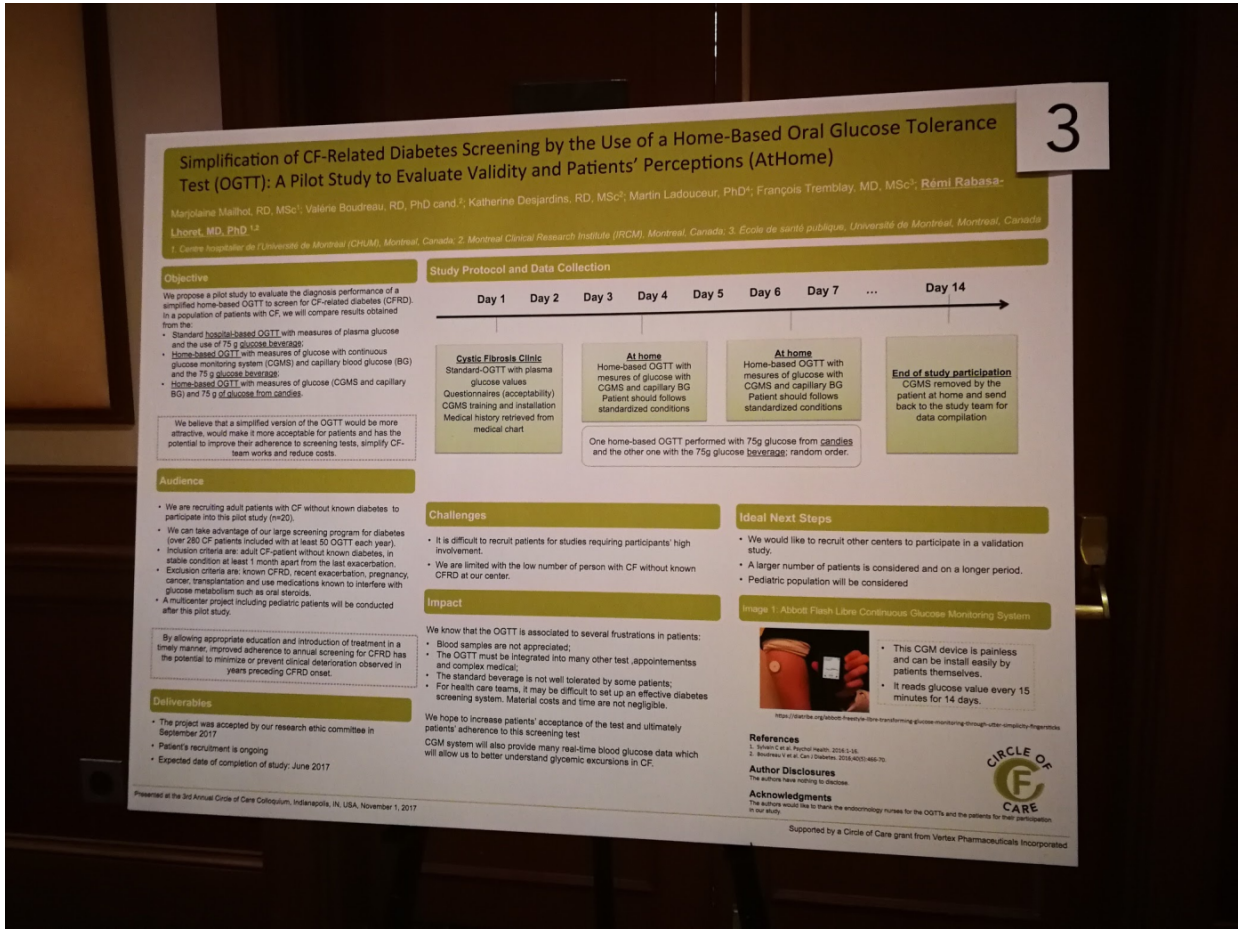
I progetti vincitori:

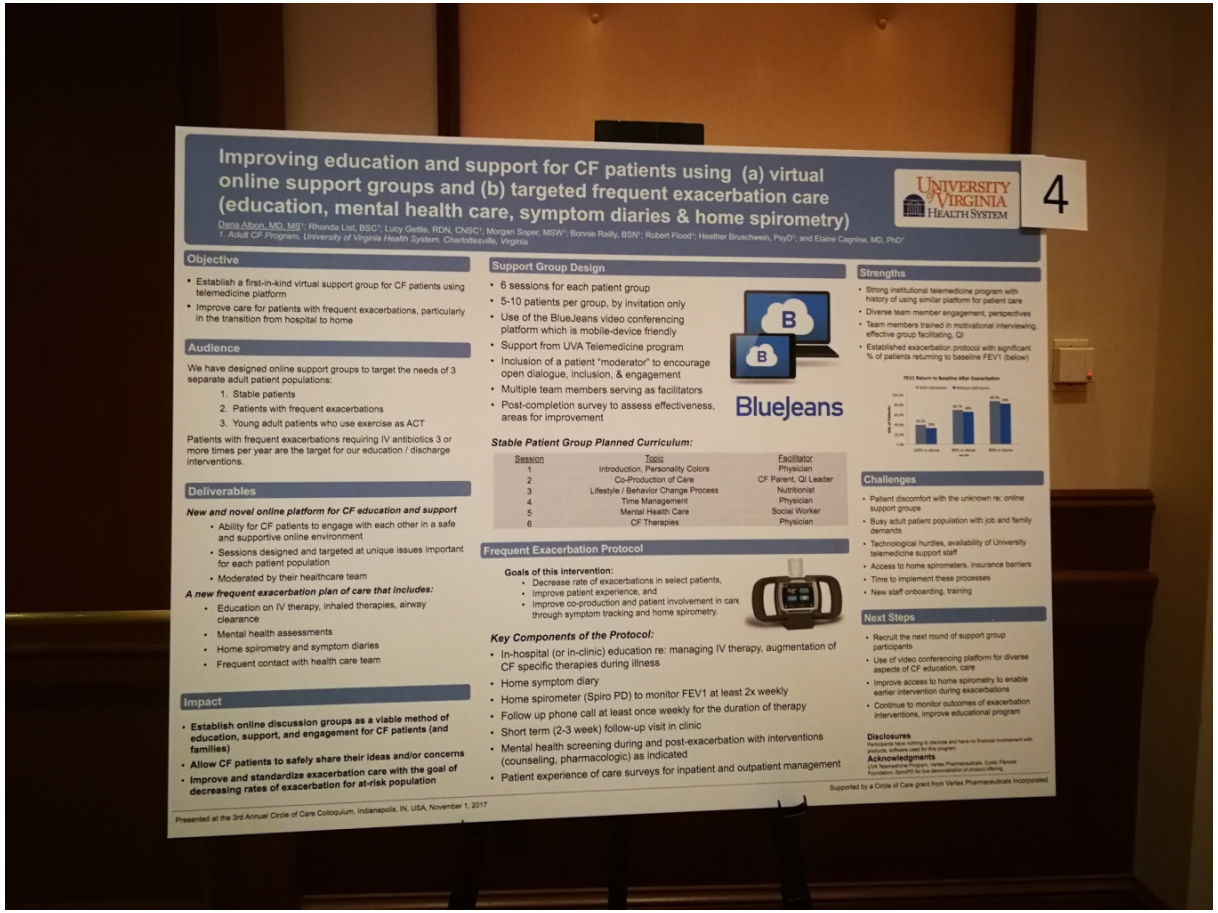




Marco Magrì, Consiglio direttivo LIFC, V Forum FC Napoli

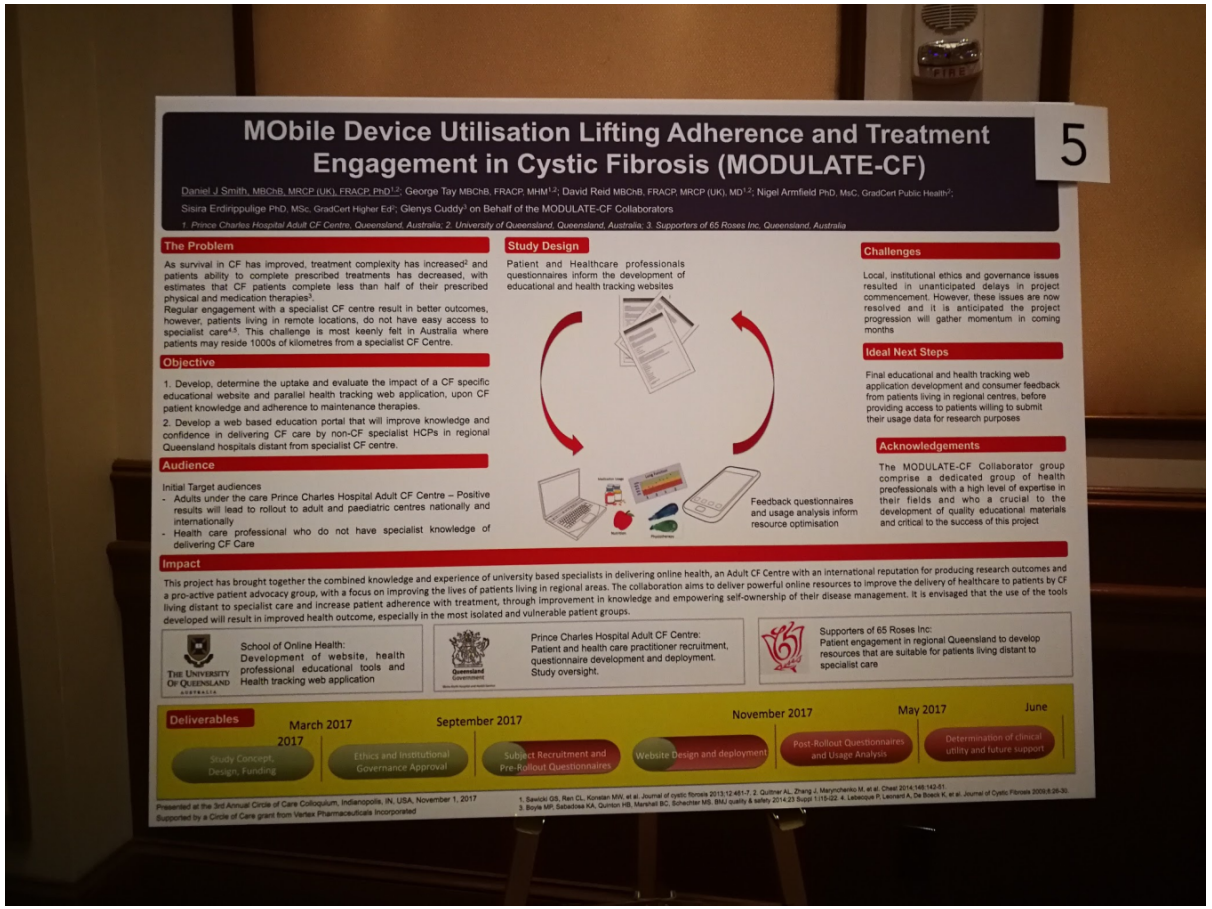
I progetti vincitori:

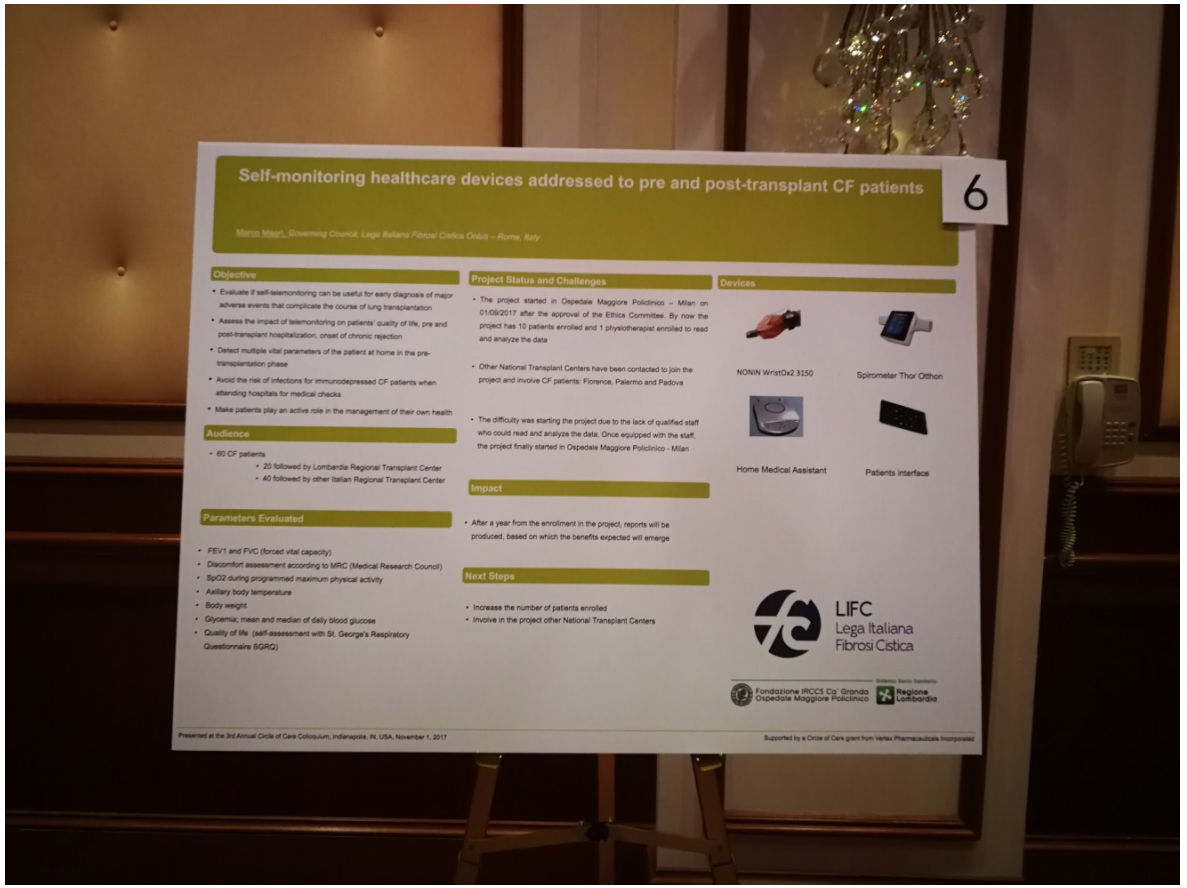




Marco Magrì, Consiglio direttivo LIFC, V Forum FC Napoli

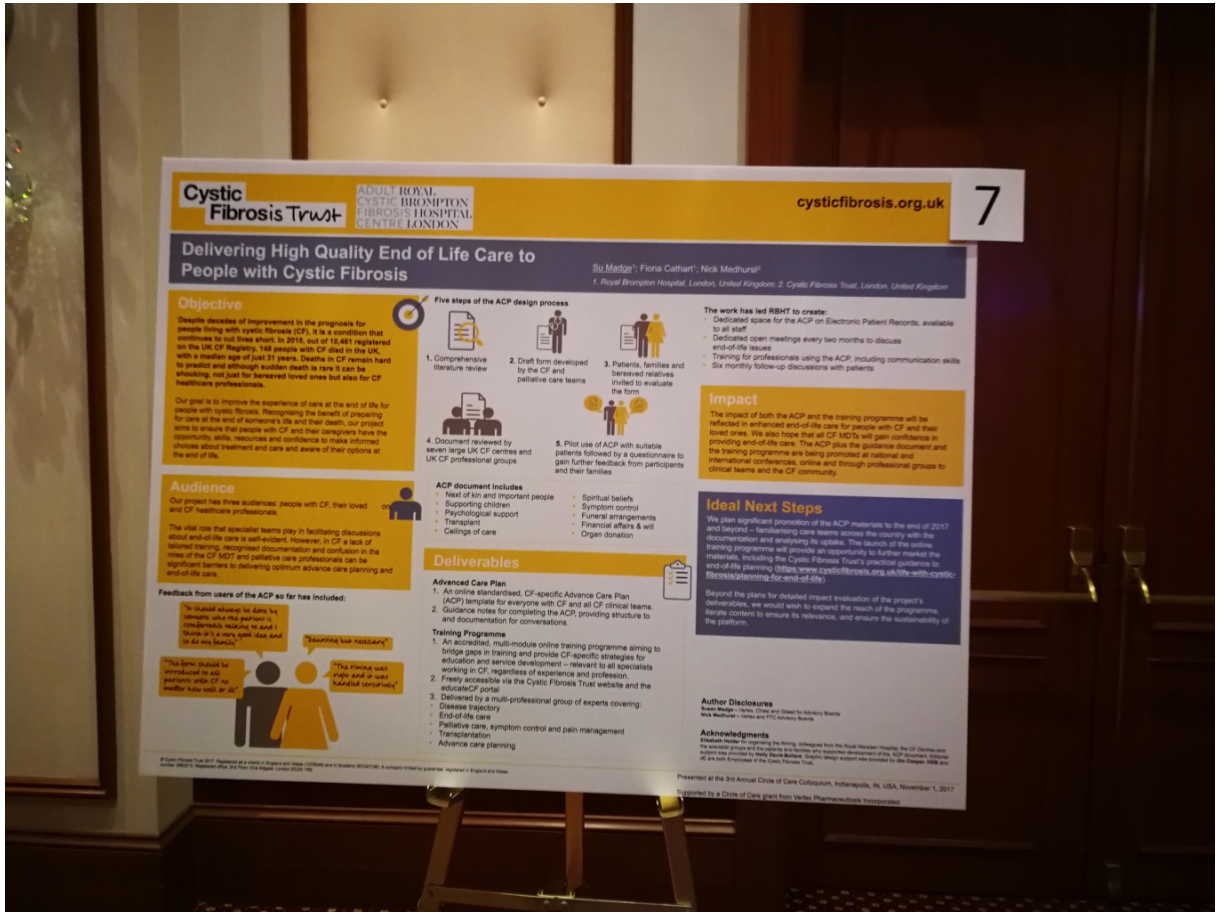
I progetti vincitori:

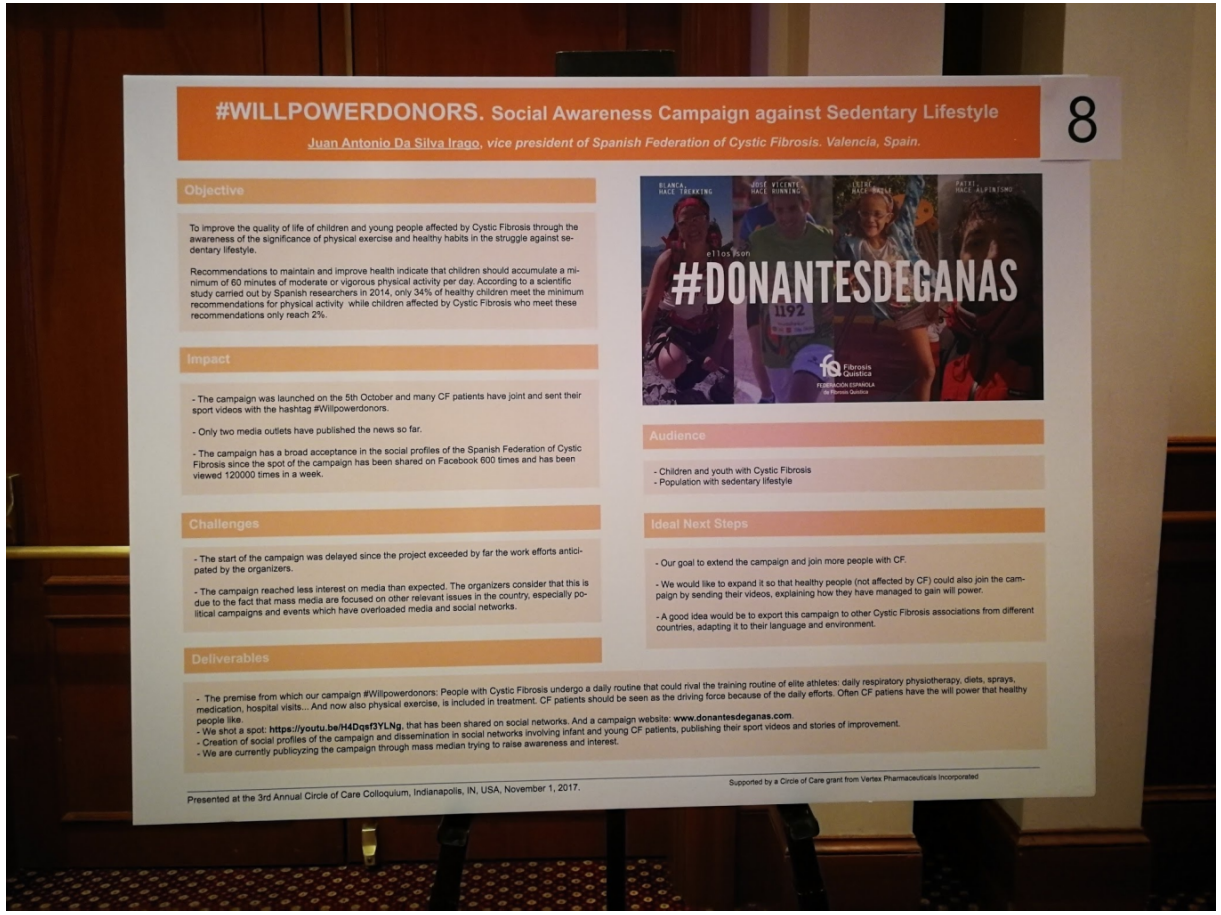




Marco Magrì, Consiglio direttivo LIFC, V Forum FC Napoli

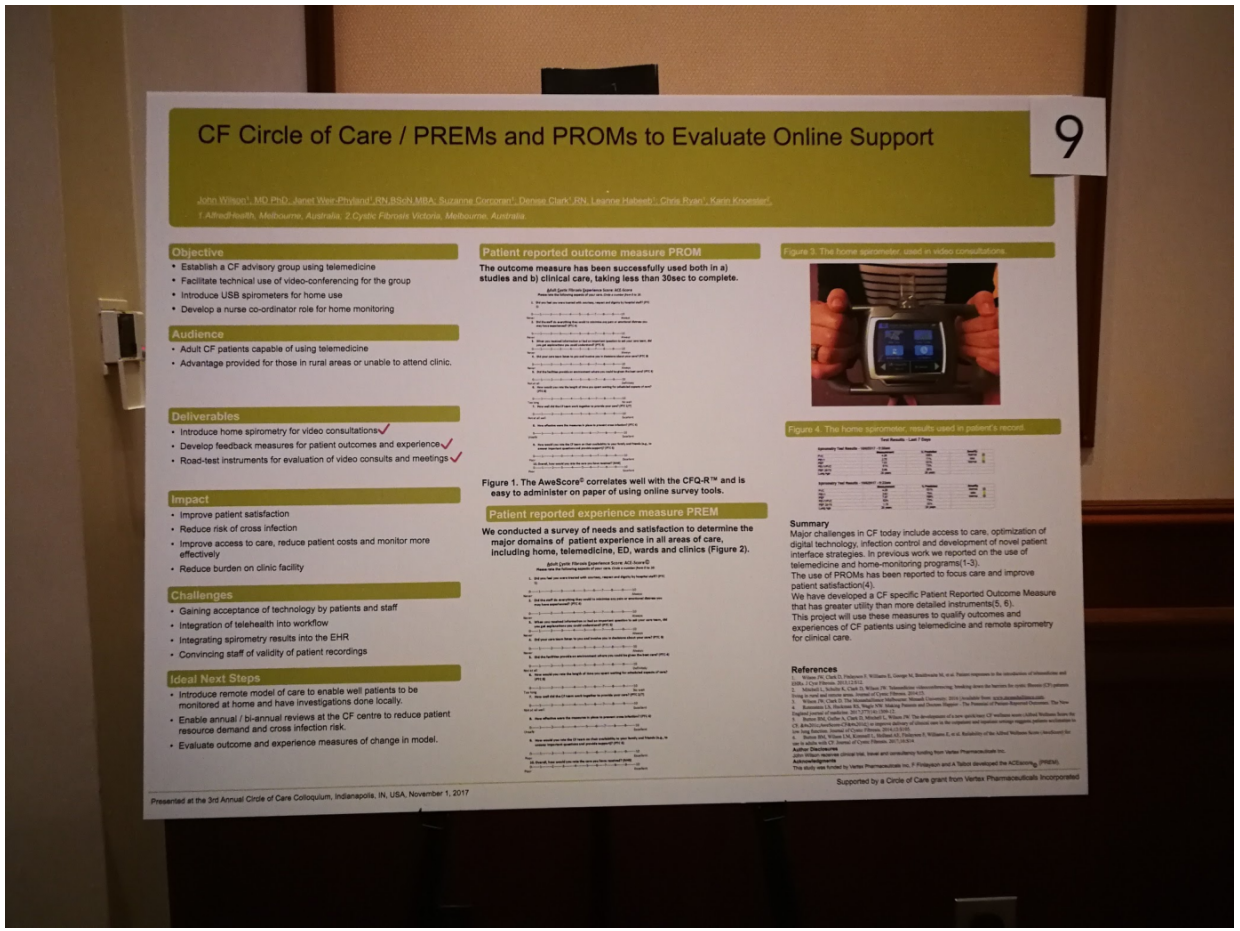
I progetti vincitori:

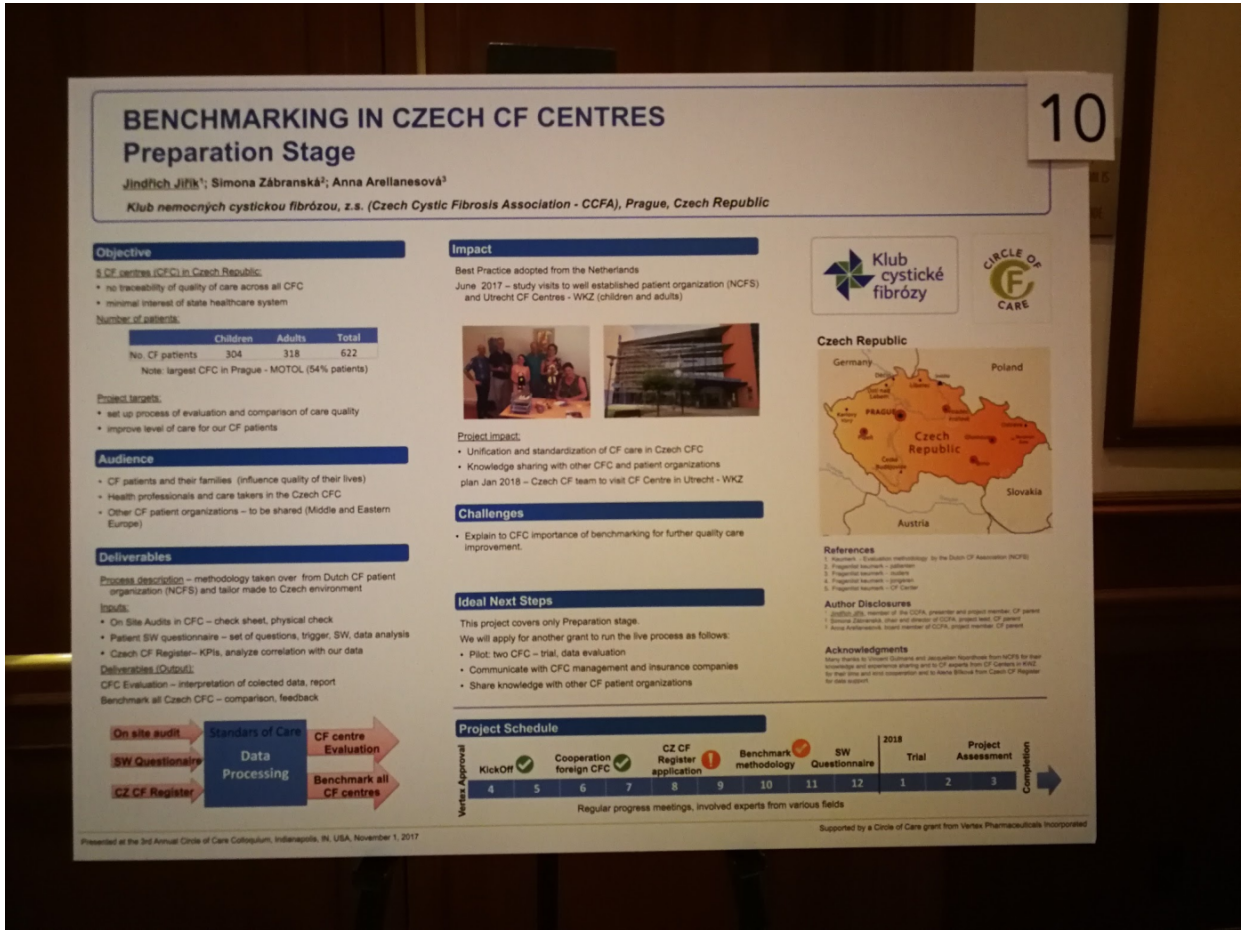




Marco Magrì, Consiglio direttivo LIFC, V Forum FC Napoli

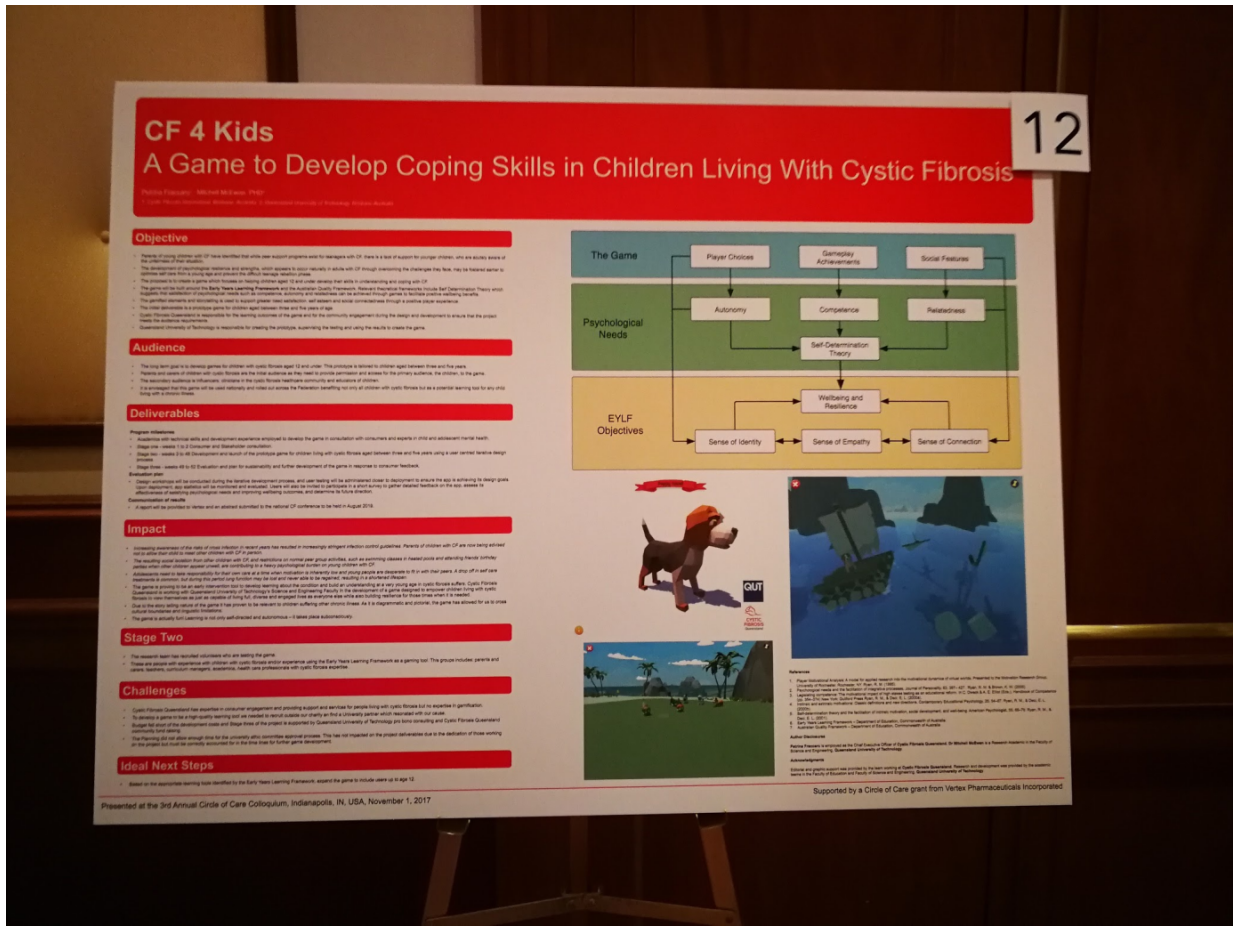
I progetti vincitori:





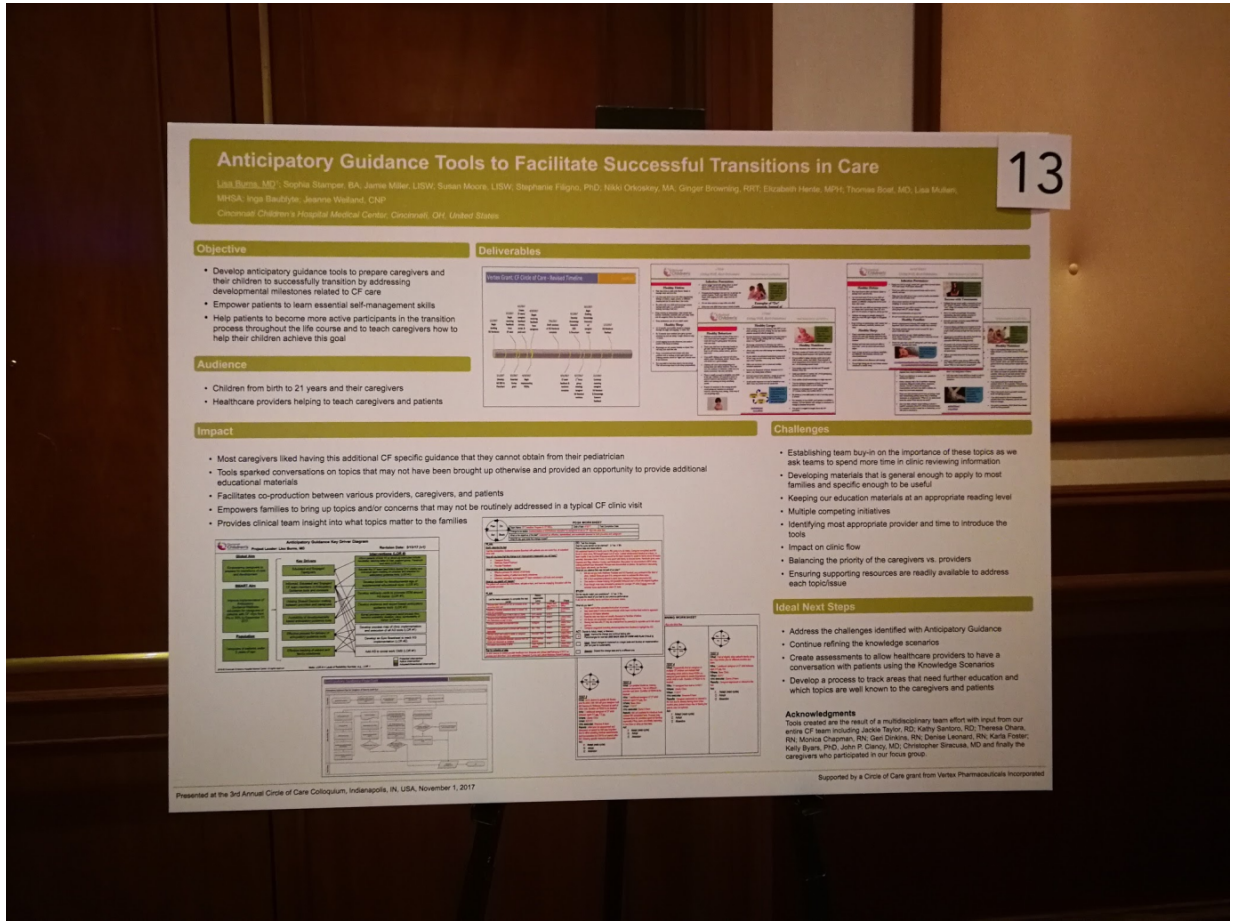
Marco Magrì, Consiglio direttivo LIFC, V Forum FC Napoli

I progetti vincitori:



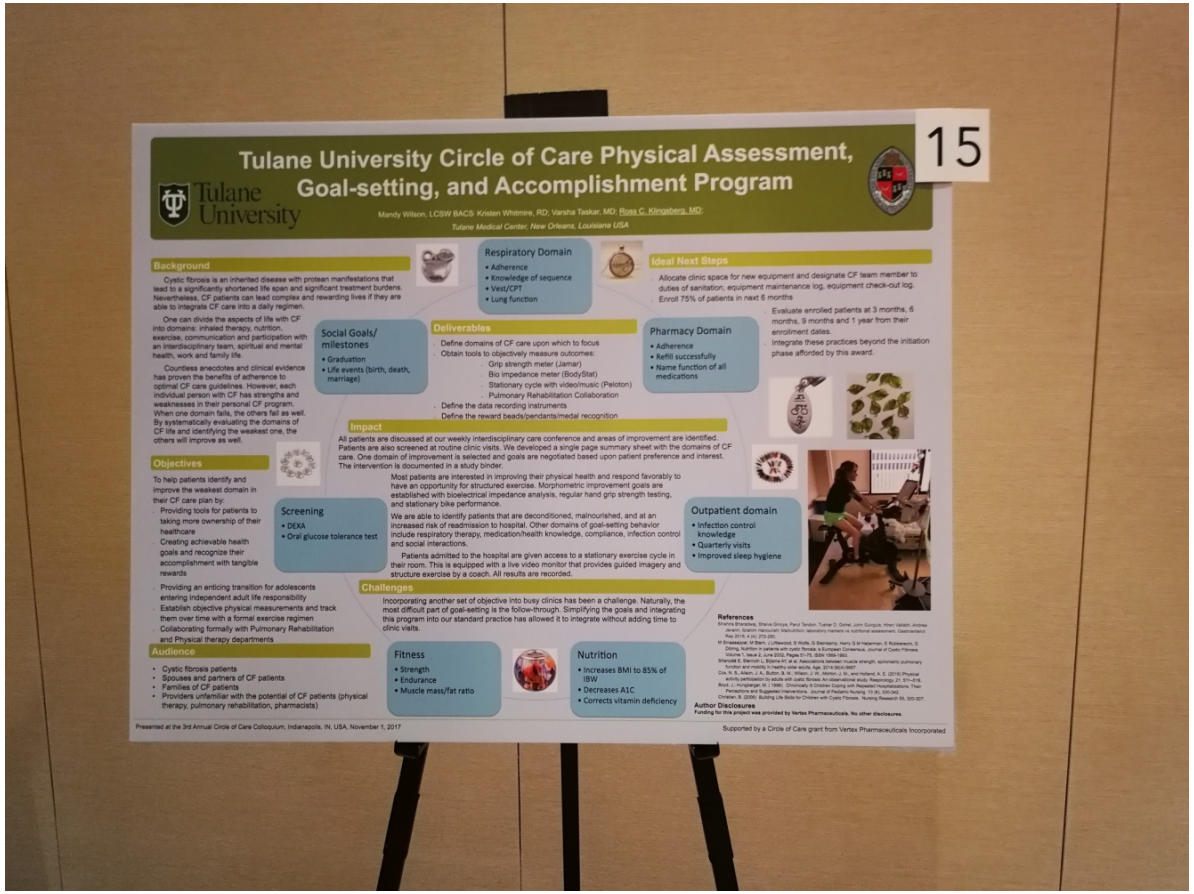
Marco Magrì, Consiglio direttivo LIFC, V Forum FC Napoli

I progetti vincitori:



Marco Magrì, Consiglio direttivo LIFC, V Forum FC Napoli

I progetti vincitori:



Fine progetti.

Marco Magrì, Consiglio direttivo LIFC, V Forum FC Napoli

Stato dell'arte del progetto LIFC

Attualmente sono stati individuati circa 10 pazienti seguiti dal Centro Trapianti della Lombardia.

La maggiore difficoltà che abbiamo incontrato è trovare personale qualificato per monitorare i dati. Attualmente è stato impiegato un fisioterapista a Milano.

LIFC
Lega Italiana
Fibrosi Cistica

Passi successivi

Identificare nuovi pazienti e nuovo personale qualificato.

Dopo un anno dall'avvio del progetto (settembre 2017) si potranno analizzare i risultati ottenuti attraverso la realizzazione di report.

LIFC
Lega Italiana
Fibrosi Cistica

Vertex Innovation Forum - Milton Park 20/11

La LIFC è stata invitata a partecipare al meeting che si legge nel titolo.

Sono stato al meeting che si è svolto presso i laboratori di Ricerca della Vertex in Europa a Milton Park - Abingdon, Oxforshire (UK)

L'obiettivo del meeting è stato il confronto fra diversi e qualificati player del settore al fine di identificare nuove strategie e prodotti per la cura delle Fibrosi Cistica.

LIFC
Lega Italiana
Fibrosi Cistica

Alcune foto di Milton Park

LIFC
Lega Italiana
Fibrosi Cistica

Marco Magrì, Consiglio direttivo LIFC, V Forum FC Napoli

Alcune foto di Milton Park

LIFC
Lega Italiana
Fibrosi Cistica

Marco Magrì, Consiglio direttivo LIFC, V Forum FC Napoli

Alcune foto di Milton Park

LIFC
Lega Italiana
Fibrosi Cistica

Alcune foto di Milton Park

LIFC
Lega Italiana
Fibrosi Cistica

Marco Magrì, Consiglio direttivo LIFC, V Forum FC Napoli

Alcune foto di Milton Park

Marco Magrì, Consiglio direttivo LIFC, V Forum FC Napoli

LIFC
Lega Italiana
Fibrosi Cistica

Grazie a tutti per l'attenzione…..e

Avanti e veloci !

magri.marco@gmail.com

LIFC
Lega Italiana
Fibrosi Cistica