

Conferenza annuale LIRH 2022

Centro Congressi Roma Eventi

SALA LOYOLA

Piazza della Pilotta, 4



Sabato,
3 Dicembre 2022
h 09.30-16.30



Il Punto sulle SPERIMENTAZIONI TERAPEUTICHE in corso sulla malattia di Huntington



Partners

Agenda

■ 09.30 - 10.15 | Apertura lavori

Introduzione e saluti di benvenuto

Barbara **D'Alessio**, Presidente e Direttore Esecutivo
Fondazione LIRH

Le sperimentazioni cliniche e il ruolo dei pazienti alla luce della legge 1/2018

Eva **Pesaro**, Vicepresidente UNIAMO – Federazione
Italiana Malattie Rare

Approvazione e commercializzazione dei farmaci per le malattie rare

Sandra **Petraglia**, Dirigente Area Pre-Autorizzazione,
AIFA – Agenzia Italiana del Farmaco

■ 10.15 - 13.30

Le principali sperimentazioni terapeutiche in corso

*Terapie sintomatiche, terapie neuroprotettive, terapie
geniche e terapie genetiche.*

Overview a cura di Ferdinando **Squitieri**, MD, PhD,
Direttore Scientifico Fondazione LIRH, Responsabile
Unità Huntington IRCCS Casa Sollievo della
Sofferenza/Istituto Mendel - Chairman della sessione

Intervengono:

- ▶ Chelley **Casey**, Vice President, Patient
Advocacy, Wave Life Sciences
- ▶ Y Paul **Goldberg**, Chief Scientific Officer, Head
of Early Clinical Development, Prilenia

- ▶ Selene **Capodarca**, Global Project Manager
Enroll-HD, EHDN - European Huntington Disease
Network
- ▶ Rappresentante persona con malattia di Huntington

■ 11.15 - 11.30 | Pausa caffè

- ▶ Catherine **Scart**, Chief Medical Officer, SOM Biotech
- ▶ Alessandra **Baroni**, Senior Director Medical Affairs,
PTC Therapeutics
- ▶ Daniel **Leonard**, Senior Director, Global Patient
Advocacy, Corporate Affairs, uniQure
- ▶ Rappresentante persona con malattia di Huntington

Domande e risposte

■ 13.30 - 14.30

Pausa pranzo

■ 14.30 - 16.30

Studi osservazionali, bisogni dei pazienti, iniziative 2023

Intervengono:

- ▶ Alessia **Migliore**, Presidente NOI
Huntington-La Rete Italiana dei Giovani
- ▶ Giuseppe **Scandale**, Presidente LIRH Toscana
- ▶ Nicola **Micchetti**, Presidente LIRH Puglia
- ▶ Alessia **Zurru**, Presidente LIRH Sardegna
- ▶ Team Fondazione LIRH e CSS-Mendel



Patrocini

Silver Sponsor

Friendly Sponsor

Annual conference **LIRH 2022**

Roma Eventi Congress Center

LOYOLA ROOM

Piazza della Pilotta, 4



Saturday,
December 3, 2022
h.09.30-16.30 CET



Focus on the ONGOING THERAPEUTIC TRIALS on Huntington's disease



Partners

Program

09.30 - 10.15 | Opening session

Welcome

Barbara **D'Alessio**, LIRH Foundation
President & CEO

Clinical Trials Scenario and patients' role in the light of Law 1/2018

Eva **Pesaro**, Vice President UNIAMO, The Italian
Federation of Rare Diseases Organizations

Approval and marketing access for orphan drugs

Sandra **Petraglia**, Head of Pre-Authorisation
Department, Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA)

10.15 - 13.30

The main therapeutic trials on HD

*Symptomatic therapies, neuroprotective therapies, gene
therapies and genetic therapies.*

Overview by Ferdinando **Squitieri**, MD, PhD, LIRH
Foundation CSO, Head of the HD Unit at IRCCS Casa
Sollievo della Sofferenza/Mendel Institute - Chairman of
the session

Speakers:

- ▶ Chelley **Casey**, Vice President, Patient
Advocacy, Wave Life Sciences
- ▶ Y Paul **Goldberg**, Chief Scientific Officer, Head
of Early Clinical Development, Prilenia
- ▶ Selene **Capodarca**, Global Project Manager

Enroll-HD, EHDN - European Huntington Disease
Network

- ▶ Patients

11.15 - 11.30 | Coffee break

- ▶ Catherine **Scart**, Chief Medical Officer, SOM Biotech
- ▶ Alessandra **Baroni**, Senior Director Medical Affairs,
PTC Therapeutics
- ▶ Daniel **Leonard**, Senior Director, Global Patient
Advocacy, Corporate Affairs, uniQure*
- ▶ Patients

Questions & Answers

13.30 - 14.30

Lunch

14.30 - 16.30

Observational research programs, patients' needs and 2023 advocacy initiatives

Speakers:

- ▶ Alessia **Migliore**, President NOI
Huntington-La Rete Italiana dei Giovani
- ▶ Giuseppe **Scandale**, President LIRH Toscana
- ▶ Nicola **Micchetti**, President LIRH Puglia
- ▶ Alessia **Zurru**, President LIRH Sardegna
- ▶ LIRH Foundation and CSS-Mendel team



Patrocini

Silver Sponsor

Friendly Sponsor