



MALATTIA DI HUNTINGTON
**COSTRUIAMO
INSIEME
IL NOSTRO
FUTURO**



CONVEGNO ANNUALE LIRH
ROMA, SABATO 1 DICEMBRE, 2018
SALA LOYOLA – ROMA EVENTI
PIAZZA DELLA PILOTTA 4
(FONTANA DI TREVI)

ore 9:30

ROMA, 1 DIC 2018
MALATTIA DI HUNTINGTON
**COSTRUIAMO INSIEME
IL NOSTRO FUTURO**



ROME, DEC 1ST 2018
HUNTINGTON'S DISEASE
**BUILDING OUR
FUTURE TOGETHER**

**SALUTI DI BENVENUTO
WELCOME AND OPENING**

BARBARA D'ALESSIO

Direttore Fondazione LIRH onlus
Executive Director, LIRH Foundation



Barbara è laureata in giurisprudenza ed ha una specializzazione in marketing management. Lavora nel settore non profit da oltre vent'anni. E' direttore della Fondazione LIRH onlus, vice presidente della European Huntington Association (EHA) e referente del gruppo di lavoro sulla malattia giovanile della International Huntington Association (IHA).

Barbara is a Law Graduate with a marketing management specialization. She has been working for more than 20 years in the non profit sector. Barbara is managing director at Fondazione Lega Italiana Ricerca Huntington (LIRH) in Rome. She is also Vice President of the European Huntington Association (EHA) and chair of the Juvenile onset Huntington Disease group at the International Huntington Association (IHA).

MASSIMO CARELLA

Vice Direttore Scientifico IRCCS Casa Sollievo della Sofferenza
Deputy Scientific Officer, Casa Sollievo della Sofferenza Research Hospital



Biologo Molecolare, ha focalizzato i suoi studi sulla identificazione dei difetti molecolari alla base di patologie rare. Dal 2016 ricopre il ruolo di Vice Direttore Scientifico della Fondazione IRCCS Casa Sollievo della Sofferenza.

Molecular biologist, his studies are focused on rare diseases molecular abnormalities. He has been Deputy Scientific Officer at Casa Sollievo della Sofferenza Research Hospital since 2016.

**LA RICERCA SCIENTIFICA TERAPEUTICA: PRESENTE E FUTURO
HD THERAPEUTIC RESEARCH: PRESENT AND FUTURE**

FERDINANDO SQUITIERI

Responsabile Unità Huntington e Malattie Rare, IRCCS Casa Sollievo della Sofferenza/Istituto Mendel; Direttore Scientifico Fondazione LIRH onlus
Head of Huntington and Rare Diseases Research Unit, Casa Sollievo della Sofferenza Research Hospital; Scientific Officer, LIRH Foundation



Ferdinando Squitieri è un neurologo, con un dottorato di ricerca in neurobiologia. Si occupa di malattia di Huntington da oltre 30 anni. E' responsabile della Unità Huntington e Malattie Rare della Fondazione IRCCS Casa Sollievo Sofferenza di San Giovanni Rotondo, Responsabile del Dipartimento di Neurologia dell'Istituto CSS-Mendel di Roma. E' anche co-fondatore e responsabile scientifico della Fondazione Lega Italiana Ricerca Huntington (LIRH), oltre che ricercatore associato del Consiglio Nazionale delle Ricerche (CNR).

Ferdinando Squitieri is a neurologist with a PhD in Neurobiology. He has been studying and treating patients with HD and juvenile onset HD (JoHD) over the last 30 years. He is Head of the Huntington and Rare Diseases Unit at Fondazione IRCCS Casa Sollievo Sofferenza Research Hospital in San Giovanni Rotondo and Head of the Neurology Department at CSS-Mendel Institute in Rome. He is also co-founder and scientific officer of Lega Italiana Ricerca Huntington (LIRH) Foundation and CNR (National Research Council) research associate.

G. BERNHARD LANDWEHRMEYER

Dipartimento di Neurologia, Ospedale Universitario di Ulm, Germania
Department of Neurology, Ulm University Hospital, Germany



G. Bernhard Landwehrmeyer è Professore Ordinario di Neurologia presso l'Ospedale Universitario di Ulm, Dipartimento di Neurologia, che è anche la sede del Coordinamento Centrale del network europeo (European Huntington's Disease Network - EHDN), di cui stato cofondatore e responsabile fino al 2014. Nel 1999 ha conseguito la Certificazione in Neurologia, nel 2000 la Venia Legendi e la cattedra di professore ordinario ("C3"). È coinvolto attivamente nei più importanti studi osservazionali e terapeutici sulla malattia di Huntington, incluso lo studio Enroll-HD, di cui è global investigator.

G. Bernhard Landwehrmeyer, MD, FRCP is Full Professor of Neurology at Ulm University Hospital, Dept. of Neurology where the Central Coordination of the European Huntington's Disease Network (EHDN) is located. He was chair of EHDN 2004 until 2014. He received the Board Certification in Neurology in 1999 and the Venia Legendi and full Professorship ('C3') in 2000. He served as Principal Investigator in all the most relevant HD trials. He is global PI of the Enroll-HD study, a prospective longitudinal observational study on HD and a clinical research platform with a worldwide reach that annually collects phenotypical clinical data and biomaterials.

ANNA MARIA PORRINI

Direttore Medico Roche S.p.A.
Medical Affairs and Clinical Operations, Roche Italia



Laureata in Medicina e Chirurgia con specializzazione in Neurologia, Dottore di Ricerca in Neuroscienze, da oltre venti anni lavora nel settore farmaceutico. Attualmente responsabile della Direzione Medica di Roche S.p.A., azienda impegnata nella ricerca, sviluppo e commercializzazione di farmaci biotecnologici nelle aree oncologia, ematologia, neuroscienze, immunologia e infettivologia.

Dr. Porrini is a Neurologist with a PhD in Neuroscience. She has been working in the pharmaceutical sector for over twenty years. Currently she is Head of the Medical Department of Roche SpA, a company engaged in research, development and marketing of biotechnological drugs in the areas of oncology, hematology, neuroscience, immunology and infectiology.

WENDY ERLER

Vice Presidente Patient Advocacy and Commercial Market Insights presso Wave Life Sciences.
Vice President of Patient Advocacy and Market Insights, Wave Lifescience, USA



Wendy è Vice Presidente Patient Advocacy and Commercial Market Insights presso Wave Life Sciences. Wave è una azienda che sviluppa farmaci per malattie genetiche, tra cui la malattia di Huntington, la distrofia muscolare di Duchenne e altre malattie rare. Prima di lavorare in Wave, ha lavorato per oltre 15 anni in Biogen e Shire. È stata membro del primo team sulle malattie rare di Biogen e ha coordinato il team che ha lanciato sul mercato i farmaci per l'Emofilia. Wendy ha conseguito il suo MBA all'Università St. Joseph e si è laureata all'Università di Miami.

Wendy is the Vice President of Patient Advocacy and Commercial Market Insights at Wave Life Sciences. Wave is a genetic medicines company working to develop treatments for Huntington's disease, Duchenne muscular dystrophy, and other rare diseases. Prior to joining Wave, Wendy spent over 15 years at Biogen and Shire and was a member of Biogen's first rare disease business team and led teams for commercial launches in Hemophilia for Biogen. Wendy earned her MBA from St. Joseph's University and her BA from Miami University.

SANDRA PETRAGLIA

Direttore Area Pre-Autorizzazione, AIFA (Agenzia Italiana del Farmaco)
Pre-Authorization Area Director, AIFA (Agenzia Italiana del Farmaco)



Sandra Petraglia è Direttore dell'Area Pre-Autorizzazione di AIFA e delegato italiano ai gruppi europei sul Regolamento 536/2014 sugli studi clinici. Medico chirurgo, è specializzata in Dermatologia e dottore di ricerca in Immunologia Dermatologica. È in AIFA dal 2004, dove si è occupata di valutazioni cliniche e coordinamento di procedure europee

Sandra Petraglia is Pre-Authorization Area Director at AIFA, the Italian Regulatory Authority. She is also Italian delegate to the European groups on Clinical Trials Regulation 536/2014. She is a dermatologist with a PhD in Dermatological Immunology. Dr. Petraglia has been working at AIFA since 2004, where she deals with clinical evaluations and coordination of the European procedures.

ore 12:00

ore 12:30

ARMANDO MAGRELLI

Vice Presidente Comitato per i Farmaci orfani (COMP) e membro dello Scientific Advice Working Party (SAWP) di EMA (European Medicine Agency)
EMA Committee for Orphan Medicinal Products (COMP) Vice President and Scientific Advice Working Party (SAWP) member



Armando Magrelli è ricercatore presso l'Istituto Superiore di Sanità (ISS) e Professore associato presso la Facoltà di Farmacia dell'Università Tor Vergata di Roma. È vice presidente del Comitato per i Farmaci Orfani (COMP) e membro del Gruppo di lavoro per la consulenza scientifica (SAWP) di EMA, istituito dal Comitato per i Medicinali per Uso Umano (CHMP).

Armando Magrelli is a Istituto Superiore di Sanità (ISS) researcher and a Tor Vergata University in Rome Faculty of Pharmacy associate professor. He is the EMA Committee for Orphan Medicinal Products (COMP) Vice President and Scientific Advisory Working Group (SAWP) member. The SAWP is a permanent consultancy group established by the Committee for Medicinal Products for Human Use of Medicinal Products (CHMP).

ORE 12:00-12:30 - PAUSA - LIGHT LUNCH

PREMIO LIRH PER LA RICERCA ITALIANA – 2[^] EDIZIONE LIRH FOUNDATION AWARD – 2[^] EDITION

SELENE CAPODARCA

Responsabile dello studio Enroll-HD - European Huntington Disease Network (EHDN)
Global Project Manager for the Enroll-HD Study, European Huntington Disease Network (EHDN)



Selene Capodarca si è laureata in Chimica e Tecnologie Farmaceutiche presso l'Università di Firenze. Ha lavorato nello sviluppo clinico per 20 anni in Irlanda, Stati Uniti e Italia, principalmente nel campo delle neuroscienze. Nel 2013 è entrata a far parte di EHDN (European Huntington Disease Network) ricoprendo diversi ruoli. Selene è attualmente Global Project Manager per lo studio Enroll-HD, studio osservazionale globale per la Malattia di Huntington.

Selene Capodarca has a degree in Pharmaceutical Chemistry and Technology from the University of Florence, Italy. She worked in clinical development for 20 years in Ireland, US and Italy, with a particular focus on neuroscience. In 2013 she joined the European Huntington Disease Network where she has been involved in several tasks. Selene is currently the Global Project Manager for the Enroll-HD study, a global observational study for Huntington Disease.

OLTRE IL 'MONDO ADULTO' E OLTRE IL 'MOVIMENTO' BEYOND THE 'ADULTS' AND BEYOND THE 'MOVEMENTS'

CATHERINE MARTIN

Direttore Esecutivo HDYO (Huntington's Disease Youth Organization)
Executive Director, HDYO (Huntington's Disease Youth Organization)



Cat Martin è Direttore Esecutivo della Huntington's Disease Youth Organization (HDYO) e vive nel Regno Unito. Lavora con famiglie e ragazzi colpiti dalla malattia di Huntington sia in quanto lei stessa familiare, che in quanto professionista. Negli ultimi 20 anni ha lavorato con ragazzi soggetti a traumi e povertà, inclusi ragazzi con Huntington e con disturbi mentali. Sta frequentando un Master in 'Cittadinanza e Diritti Umani'. Cat è responsabile dell' Associazione Huntington Scozzese e co-responsabile del Gruppo di Lavoro Giovani Adulti di EHDN.

Cat Martin is Executive Director of Huntington's Disease Youth Organization and she is based in UK. Cat has both personal and professional background in working with families and young people impacted by Huntington's Disease. She has worked for the last 20 years with young people impacted by trauma and poverty including case managing families and young people impacted by Huntington's Disease and Mental Health Disease. Cat is a qualified youth worker with a business qualification and is currently studying for a Masters in Citizenship & Human Rights. She is Chairperson of the Scottish Huntington's Association and a co-lead for Youth Adult Working Group at European HD Network.

ALESSIA MIGLIORE

Vice Presidente, NOI Huntington – la rete italiana dei giovani
Vice President, NOI Huntington – the Italian HD Youth Network



Alessia, familiare e aderente Lirh, "milita" nella Fondazione da diversi anni promuovendo iniziative a favore della ricerca scientifica. Ha dato testimonianza, in diverse occasioni, dell'impatto che la malattia di Huntington ha avuto nella sua famiglia. Lavora come Terapista della Riabilitazione Psichiatrica presso il Dipartimento di Salute Mentale dell'Asl Napoli2Nord, occupandosi di Progetti Terapeutici Riabilitativi Individualizzati (PTRI). E' stata il principale promotore del progetto "Noi Huntington".

Alessia, a very active HD advocate within LIRH Foundation, is from an HD family. She works in a Mental Health Department as a Psychiatric Rehabilitation Therapist in Naples. Alessia is the original founder of the Italian HD youth project, which she has been leading over the last year and a half. She is currently Vice President of NOI Huntington.

MARCO SALVADORI

Presidente NOI Huntington – la rete italiana dei giovani
President NOI Huntington - the Italian HD Youth Network



Marco è un familiare di 29 anni. Ha contribuito attivamente al "progetto giovani" della LIRH e lo ha rappresentato nel contesto internazionale dell' EHDN 2018 a Vienna. E' presidente della neo associazione NOI Huntington APS (Associazione di Promozione Sociale).

Marco is 29 years old. He is from an HD family. He actively contributed to the LIRH foundation youth project. He represented it at EHDN 2018 international conference in Vienna. He was recently elected as President of the Italian youth HD association NOI Huntington.

ADRIANO TOMBA

Segretario Generale, Fondazione Cattolica Assicurazioni – Verona
Secretary General, Fondazione Cattolica Assicurazioni – Verona



Adriano Tomba è Segretario Generale della Fondazione Cattolica Assicurazioni e dirigente presso il Gruppo Cattolica Assicurazioni dal 2011. Dal 2011 al 2015 è stato amministratore della Cassa di Risparmio di San Miniato Spa. In precedenza ha lavorato per 28 anni nel settore bancario. E' amministratore di ESICERT SpA Impresa Sociale – Istituto di certificazione etica nello sport; presidente del Gruppo Veneto e Vice Presidente Nazionale dell'UCID, Unione Cristiana Imprenditori e Dirigenti. Ha costituito nel 2010 la Fondazione della Comunità Veronese, della quale è Vice Presidente.

Adriano Tomba has been Secretary General of the Cattolica Assicurazioni Foundation and manager of the Cattolica Assicurazioni Group since 2011. He was director of the Cassa di Risparmio di San Miniato Spa from 2011 to 2015. He previously worked for 28 years in the banking sector. He is director of ESICERT SpA Impresa Sociale - Institute of ethical certification in sport; president of the Veneto Group and National Vice President of UCID, Christian Union of Entrepreneurs and Executives. He is Vice President of the Verona Community Foundation.

SIMONE MIGLIORE

Neuropsicologo e Psicoterapeuta, IRCCS Casa Sollievo della Sofferenza e Fondazione LIRH OLUS
Neuropsychologist and Psychotherapist, IRCCS Casa Sollievo della Sofferenza and LIRH Foundation



Ricercatore presso l'Unità Huntington e malattie rare, Casa Sollievo della Sofferenza. Esperienza clinica nell'ambito del counselling genetico, nelle valutazione delle funzioni cognitive superiori e nel trattamento cognitivo-comportamentali delle principali forme di psicopatologia. Interesse scientifico focalizzato su plasticità cerebrale, riserva cognitiva, metodi di stimolazione cerebrale e potenziali biomarcatori cognitivi nelle principali malattie neurodegenerative.

Researcher at the Huntington and Rare Diseases Unit, Casa Sollievo della Sofferenza Research Hospital Clinical experience in the field of genetic counseling, in the evaluation of higher cognitive functions and in the cognitive-behavioral treatment of the main forms of psychopathology. His work has been focused on brain plasticity, cognitive reserve, brain stimulation methods and potential cognitive biomarkers in the main neurodegenerative diseases. Simone has also been collaborating with LIRH Foundation since 2016.

9:30

SALUTI DI BENVENUTO WELCOME AND OPENING

BARBARA D'ALESSIO

Direttore Fondazione LIRH onlus
Executive Director, LIRH Foundation

MASSIMO CARELLA

Vice Direttore Scientifico IRCCS Casa Sollievo della Sofferenza
Deputy Scientific Officer, Casa Sollievo della Sofferenza Research Hospital

LA RICERCA SCIENTIFICA TERAPEUTICA: PRESENTE E FUTURO THERAPEUTIC RESEARCH: PRESENT AND FUTURE

FERDINANDO SQUITIERI

Responsabile Unità Huntington e Malattie Rare, IRCCS Casa Sollievo della Sofferenza/Istituto Mendel; Direttore Scientifico Fondazione LIRH onlus
Head of Huntington and Rare Diseases Research Unit, Casa Sollievo della Sofferenza Research Hospital; Scientific Officer, LIRH Foundation

G. BERNHARD LANDWEHRMEYER

Dipartimento di Neurologia, Ospedale Universitario di Ulm, Germania
Department of Neurology, Ulm University Hospital, Germany

ANNA MARIA PORRINI

Direttore Medico Roche S.p.A.
Medical Affairs and Clinical Operations, Roche Italia

WENDY ERLER

Vice Presidente Patient Advocacy and Commercial Market Insights presso Wave Life Sciences.
Vice President of Patient Advocacy and Market Insights, Wave Lifescience, USA

SANDRA PETRAGLIA

Direttore Area Pre-Autorizzazione, AIFA (Agenzia Italiana del Farmaco)
Pre-Authorization Area Director, AIFA (Agenzia Italiana del Farmaco)

ARMANDO MAGRELLI

Vice Presidente Comitato per i Farmaci orfani (COMP) e membro dello Scientific Advice Working Party (SAWP) di EMA (European Medicine Agency)
EMA Committee for Orphan Medicinal Products (COMP) Vice President and Scientific Advice Working Party (SAWP) member

12:00
12:30

PAUSA - LIGHT LUNCH

PREMIO LIRH PER LA RICERCA ITALIANA – 2[^] EDIZIONE LIRH FOUNDATION AWARD – 2[^] EDITION

SELENE CAPODARCA

Responsabile dello studio Enroll-HD Study - European Huntington Disease Network (EHDN)
Global Project Manager for the Enroll-HD Study, European Huntington Disease Network (EHDN)

OLTRE IL 'MONDO ADULTO' E OLTRE IL 'MOVIMENTO' BEYOND THE 'ADULTS' AND BEYOND THE 'MOVEMENTS'

CATHERINE MARTIN

Direttore Esecutivo HDYO (Huntington's Disease Youth Organization)
Executive Director, HDYO (Huntington's Disease Youth Organization)

ALESSIA MIGLIORE

Vice Presidente NOI Huntington – la rete italiana dei giovani
Vice President NOI Huntington – the Italian HD Youth Network

MARCO SALVADORI

Presidente NOI Huntington – la rete italiana dei giovani
President NOI Huntington - the Italian HD Youth Network

ADRIANO TOMBA

Segretario Generale, Fondazione Cattolica Assicurazioni – Verona
Secretary General, Fondazione Cattolica Assicurazioni – Verona

SIMONE MIGLIORE

Neuropsicologo e Psicoterapeuta, IRCCS Casa Sollievo della Sofferenza e Fondazione LIRH
Neuropsychologist and Psychotherapist, IRCCS Casa Sollievo della Sofferenza and LIRH Foundation

15:00

DISCUSSIONE E CONCLUSIONI - FINAL REMARKS

Annotazioni - Note

Gold sponsor:



Silver sponsor:



Con il patrocinio di:

Ministere della Salute

Istituto Superiore di Sanità



Ringraziamo:



Numero Verde
800 388 330

www.lirh.it
info@lirh.it

SOSTIENI ANCHE TU LA RICERCA E L'ASSISTENZA GRATUITA

DONAZIONE ON LINE
Tramite PayPal www.lirh.it

CODICE FISCALE PER 5X1000
900 26 22 09 48

NUOVO IBAN BANCARIO

IT 46 N 010 0503 2110 0000 0001 712
(Swift code: BNLIITRR)
Intestato a Fondazione LIRH onlus

IBAN POSTALE
IT 40 T 07601 15600 000060 428976
Versamento con bollettino postale:
Numero del conto: 60428976
Intestato a: Fondazione LIRH onlus

ROMA
Via Varese, 31 (sede operativa)
V.le Regina Margherita, 261
c/o Istituto CSS Mendel

CAMPIS BISENZIO
(FIRENZE)
Via Orly 35
c/o Pubblica Assistenza

MILANO
V.le Certosa 121
c/o Centro Medico
Certosa

ISERNIA
Via Umbria, snc (sede legale)
SAN GIOVANNI ROTONDO
(FOGGIA)
Viale Capuccini, 1
Unità Huntington

CATANIA
Via Leucatia Croce, 6
S. Agata Li Battisti
c/o UMR - Hera onlus