LE NUOVE FRONTIERE DELLA RICERCA

CONVEGNO ANNUALE 2019 - ROMA, SABATO 14 DICEMBRE
SALA LOYOLA - ROMA EVENTI - PIAZZA DELLA PILOTTA, 4

Fondazione LIRH
LEGA ITALIANA RICERCA HUNTINGTON
E MALATTIE CORRELATE - ONLUS

Con il sostegno di:

WAVE LIFE SCIENCES

Roche

uniQure

Con il patrocinio di:

ROMA Assessorato alla Persona, Scuola e Comunità Solidale

Istituto Superiore di Sanità

AIFA AGENZIA ITALIANA DEL FARMACO

Consiglio Nazionale delle Ricerche

Associazione Farmaceutici Industria Società Scientifica

PONTIFICIO CONSIGLIO DELLA CULTURA

EHDN EUROPEAN HUNTINGTON'S DISEASE NETWORK

EUROPEAN Huntington Association

HDYO HUNTINGTON'S DISEASE YOUTH ORGANIZATION

OMAR OSSERVATORIO MALATTIE RARE

150 1869 2019 Bambino Gesù OSPEDALE PEDIATRICO

CASA SOLLIEVO DELLA SOFFERENZA SAN GIOVANNI ROTONDO

MEDAGLIA DEL PRESIDENTE DELLA REPUBBLICA

Istituto Leonarda Vaccari per la riabilitazione, l'integrazione e l'inserimento delle persone con disabilità

Fondazione LIRH LEGA ITALIANA RICERCA HUNTINGTON E MALATTIE CORRELATE - ONLUS

ISTITUTO ITALIANO DONAZIONE ID DONARE CON FIDUCIA

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

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

CODICE FISCALE PER IL 5X1000
900 26 22 09 48

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

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

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

SAN GIOVANNI ROTONDO
Viale Cappuccini, 1
c/o Casa Sollievo della Sofferenza

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

GRAPHIC SERVICE S.N.C. - WWW.GSERVICE.EU

LE NUOVE FRONTIERE DELLA RICERCA

CONVEGNO ANNUALE 2019 - ROMA, SABATO 14 DICEMBRE - SALA LOYOLA - ROMA EVENTI - PIAZZA DELLA PILOTTA, 4

9:00

SALUTI DI BENVENUTO
WELCOME AND OPENING

BARBARA D'ALESSIO
Direttore Fondazione LIRH onlus
Executive Director, LIRH Foundation

PADRE BERNARDO FRANCESCO MARIA GIANNI
Abbate di San Miniato al Monte, Firenze (video messaggio)
Abbot of San Miniato al Monte, Florence (video message)

PANTALEONE MEGNA
Regista
Film Maker

MARIA GABRIELE
Responsabile segreteria Fondazione LIRH onlus
Office Manager, LIRH Foundation

9:30

I SESSIONE: LE NUOVE TERAPIE PER LA MALATTIA DI HUNTINGTON ALL'ORIZZONTE
I SESSION: NEW THERAPIES ON HORIZON FOR HUNTINGTON DISEASE

MODERATORI - CHAIR PERSONS:

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

UMBERTO SABATINI
Direttore Unità Operativa di Neuroradiologia, Policlinico Universitario "Mater Domini" Catanzaro; Membro Comitato Scientifico Fondazione LIRH onlus
Head of Neuroradiology Unit, "Mater Domini" University Hospital Catanzaro; LIRH Foundation Scientific Committee Member

RELATORI - SPEAKERS

ALESSIA NICOTRA
Direttore Medico Neuroscienze, Programma ASO HTT Malattia di Huntington, Roche Product Limited, Regno Unito
Medical Director, Neuroscience, Huntington's Disease HTT ASO Program, Roche Product Limited, United Kingdom

PAVLINA KONSTANTINOVA
Vice Presidente New Therapeutic Target Discovery, Ricerca, UniQure, Olanda
VP NTTD (New Therapeutic Target Discovery), Research at UniQure, The Netherlands

ARMANDO MAGRELLI
Vice Presidente Comitato per i Farmaci Orfani (COMP) e membro dello Scientific Advisory Working Party di EMA (Agenzia Europea per i Medicinali)
EMA Committee for Orphan Medicinal Products (COMP) Vice President and Scientific Advisory Working Party member

SANDRA PETRAGLIA
Direttore Area Pre-Autorizzazione AIFA (Agenzia Italiana del Farmaco)
Head of Pre-Authorisation Department, AIFA (Agenzia Italiana del Farmaco)

PAZIENTI COINVOLTI NELLE SPERIMENTAZIONI - PATIENTS INVOLVED IN HD CLINICAL TRIALS

SABRINA MAFFI
Coordinatore Operativo dello studio Generation HD1 presso IRCCS Casa Sollievo della Sofferenza
Study Coordinator Generation-HD1, Casa Sollievo della Sofferenza Research Hospital

DOMANDE E RISPOSTE - QUESTIONS & ANSWERS

12:00

PAUSA - LIGHT LUNCH

12:30

SESSIONE II – SPAZIO HUNTINGTON: UN APPROFONDIMENTO SULLA MALATTIA PEDIATRICA
SESSION II - SPAZIO HUNTINGTON: AN INSIGHT ON PAEDIATRIC HD

MODERATORE - CHAIR PERSON:

BARBARA D'ALESSIO
LIRH FOUNDATION

SALUTI - AKNOWLEDGMENTS

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

FEDERICO VIGEVANO
Direttore Dipartimento di Neuroscienze, IRCCS Ospedale pediatrico Bambino Gesù
Director of Neuroscience Department Bambino Gesù Children's Hospital

IL PROGETTO 'SPAZIO HUNTINGTON'
THE 'SPAZIO HUNTINGTON' PROJECT

FERDINANDO SQUITIERI
IRCCS Casa Sollievo della Sofferenza/Istituto Mendel; Fondazione LIRH onlus

ALESSANDRO CAPUANO
Clinica Disordini del Movimento, Dipartimento di Neuroscienze, IRCCS Ospedale pediatrico Bambino Gesù
Movement Disorder Clinic -Department of Neuroscience, IRCCS Bambino Gesù Children's Hospital

RELATORI - SPEAKERS

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

MARCO SALVADORI E ALESSIA MIGLIORE
Presidente e Vice Presidente Noi Huntington – La Rete Italiana dei giovani
President and Vice President Noi Huntington – The Italian Youth HD Association

GENITORI DI PAZIENTI CON MALATTIA DI HUNTINGTON AD ESORDIO GIOVANILE O PEDIATRICO - PARENTS OF JOHD PATIENTS

MOHAMMED AL-HAJRI
Presidente della Oman HD Association e membro del board della International Huntington Association (IHA), Sultanato dell'Oman
President of the Oman Huntington's Disease Association and board member of the International Huntington Association, Sultanate of Oman

15:30

DISCUSSIONE E CONCLUSIONI - FINAL REMARKS

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 Huntingon 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).

PADRE BERNARDO FRANCESCO MARIA GIANNI

Abbate di San Miniato al Monte, Firenze (video messaggio)
Abbot of San Miniato al Monte, Florence (video message)

Padre Bernardo è nato a Firenze, dove si è laureato in lettere classiche sull'umanesimo fiorentino. E' entrato a San Miniato al Monte nel 1996 dove è superiore dal 2009.

Father Bernardo was born in Florence, where he graduated in classical literature on Florentine humanism. He entered San Miniato al Monte in 1996 where he has been superior since 2009.

PANTALEONE MEGNA

Regista
Film Maker

Pantaleone A. Megna, Regista e Ingegnere delle Telecomunicazioni con indirizzo in Sistemi Multimediali. Dal 2005 si dedica all'aspetto artistico dei multimedia. Realizza come regista, dal 2007 al 2017, diciotto cortometraggi con diversi riconoscimenti nazionali e internazionali e documentari per History Channel.

Pantaleone A. Megna, Film Maker and Telecommunications Engineer with specialization in Multimedia Systems. Since 2005 he has been focusing on the artistic aspect of multimedia. From 2007 to 2017 he made eighteen short films and documentaries for the History Channel, winning national and international awards.

MARIA GABRIELE

Responsabile segreteria Fondazione LIRH onlus
Office Manager, LIRH Foundation

Maria ha maturato una lunga esperienza nel campo delle malattie rare neurologiche, svolgendo per molti anni attività di segreteria sia clinica che scientifica.

Maria has a long experience in the rare neurological diseases field as office manager for both clinical and scientific activities.

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 studing 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.

UMBERTO SABATINI

Direttore Unità Operativa di Neuroradiologia, Policlinico Universitario "Mater Domini" Catanzaro; Membro Comitato Scientifico Fondazione LIRH onlus

Head of Neuroradiology Unit, "Mater Domini" University Hospital Catanzaro; LIRH Foundation Scientific Committee Member

Specialista in Radiologia e Neurologia, con un dottorato di ricerca all'Università di Tolosa e all'Università di Catania, dal 2015 è Professore di Neuroradiologia presso l'Università "Magna Graecia" e Direttore dell'Unità di Neuroradiologia del policlinico universitario "Mater Domini" di Catanzaro.

Graduated in Medicine and Surgery, specialist in Radiology and Neurology, with a European research doctorate (University of Toulouse, France) and an Italian research doctorate (University of Catania). Since 2015 he is professor of neuroradiology at the University "Magna Graecia" and Director of Neuroradiology Unit at the "Mater Domini" University Hospital of Catanzaro.

ALESSIA NICOTRA

Direttore Medico Neuroscienze, Programma ASO HTT Malattia di Huntington, Roche Product Limited, Regno Unito

Medical Director, Neuroscience, Huntington's Disease HTT ASO Program, Roche Product Limited, United Kingdom

Neurologa, con un dottorato di ricerca presso l' Università di Londra e una Fellowship presso il Royal College of Physicians di Londra, ha contribuito allo sviluppo di nuovi farmaci per le malattie neurodegenerative. Come direttore medico di Roche, supporta il programma di sviluppo di oligonucleotidi antisenso per la malattia di Huntington.

Neurologist, with a PhD at University of London and a Fellowship (FRCP) with the Royal College of Physicians in London. During her career, she has contributed to the development of new drugs for neurodegenerative diseases. As Medical Director at Roche, she supports the HD huntingtin antisense oligonucleotide program.

PAVLINA KONSTANTINOVA

Vice Presidente New Therapeutic Target Discovery, Ricerca, UniQure, Olanda

VP NTTD (New Therapeutic Target Discovery), Research at UniQure, The Netherlands

Vice President Research di uniQure, azienda specializzata nella terapia genica per le malattie genetiche rare, con cui collabora da circa 10 anni, lavorando sulla terapia genica RNAi per il sistema nervoso centrale e le malattie epatiche. Ha avviato in azienda il programma di ricerca sulla malattia di Huntington.

Vice President Research at uniQure, a gene therapy company focusing on orphan genetic diseases including HD. With uniQure for almost 10 years, working on RNAi gene therapy for CNS and liver indications, she started the HD project at the company.

ARMANDO MAGRELLI

Vice Presidente Comitato per i Farmaci Orfani (COMP) e membro dello Scientific Advisory Working Party di EMA (Agenzia Europea per i Medicinali)

EMA Committee for Orphan Medicinal Products (COMP) Vice President and Scientific Advisory Working Party 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. E' 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).

SABRINA MAFFI

Coordinatore Operativo dello studio Generation HD1 presso IRCCS Casa Sollievo della Sofferenza

Study Coordinator Generation-HD1, Casa Sollievo della Sofferenza Research Hospital

Psicologa esperta in neuropsicologia clinica con esperienza in diagnosi e trattamento di disturbi neuropsicologici e malattie neurodegenerative. Study coordinator di trial clinici sulla malattia di Huntington.

Clinical neuropsychology with experience in neuropsychological disorders and neurodegenerative diseases diagnosis and treatment. Huntington Disease (HD) clinical trials study coordinator.

SANDRA PETRAGLIA

Direttore Area Pre-Autorizzazione AIFA (Agenzia Italiana del Farmaco)
Head of Pre-Authorisation Department, 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. E' 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 dealth with clinical evaluations and coordination of the European procedures.

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.

FEDERICO VIGEVANO

Direttore Dipartimento di Neuroscienze, IRCCS Ospedale pediatrico Bambino Gesù
Director of Neuroscience Department Bambino Gesù Children's Hospital

Specializzato in Neurologia e Psichiatria a Roma, si è formato in epilessia pediatrica presso il Centro Saint Paul di Marsiglia nel 1977. Dal 1978 lavora presso l'Ospedale pediatrico Bambino Gesù, dove è Responsabile del Dipartimento di Neuroscienze. Ha pubblicato oltre 200 articoli nelle più importanti riviste internazionali dedicate principalmente all'epilessia e alla neurologia pediatrica.

Neurologist and psychiatrist, trained in Pediatric Epilepsy at Saint Paul Center of Marseilles in 1977. Since 1978, he has been working as a pediatric neurologist at Children's Hospital Bambino Gesù, where he is head of the Neuroscience Department. He his author of more than 200 articles in the most important epilepsy and paediatric neurology international journals.

ALESSANDRO CAPUANO

Clinica Disordini del Movimento, Dipartimento di Neuroscienze, IRCCS Ospedale pediatrico Bambino Gesù
Movement Disorder Clinic -Department of Neuroscience, IRCCS Bambino Gesù Children's Hospital

Responsabile della Clinica dei Disturbi del Movimento presso l'Ospedale Pediatrico Bambino Gesù di Roma. E' un ricercatore esperto in farmacologia, neuroscienze e genetica. Il suo principale campo di interesse riguarda la genetica dei disturbi del movimento e altre malattie rare nei bambini.

Consultant Neurologist and Head of Movement Disorder Clinic at Bambino Gesù Children's Hospital in Rome. He is an experienced researcher in Pharmacology, Neuroscience and Genetics.
His main field of interest involves movement disorders genetics and other rare diseases in children.

CATHERINE MARTIN

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

Direttore esecutivo dell'organizzazione giovanile HDYO, con sede nel Regno Unito. Esperta nel lavorare con bambini e ragazzi, è anche una familiare. È presidente dell'associazione Huntington scozzese e co-responsabile del gruppo di lavoro sui giovani adulti della rete europea dei ricercatori (EHDN).

Cat is Executive Director of Huntington's Disease Youth Organization (HDYO) and based in UK. She has both personal and professional background in working with families and young people impacted by Huntington's Disease. Cat is Chairperson of the Scottish Huntington's Association and a co-lead for Youth Adult Working Group at European HD Network (EHDN).

ALESSIA MIGLIORE

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

Familiare, Alessia lavora come Terapista della Riabilitazione Psichiatrica a Napoli. E' cofondatrice e vice president di NOI Huntington - la Rete Italiana dei Giovani, prima e unica associazione italiana giovanile sulla malattia di Huntington.

Alessia is from an HD family. She works in a Mental Health Department as a Psychiatric Rehabilitation Therapist in Naples. She is co-founder and Vice President of NOI Huntington - the Italian HD Youth Association.

MARCO SALVADORI

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

Marco è un familiare. Ha contribuito attivamente al 'progetto giovani' della Fondazione LIRH. Oggi è Presidente dell'Associazione Noi Huntington, di cui cura la relazioni internazionali.

Marco is from an HD family. He actively contributed to the LIRH Foundation 'youth program'. As President of NOI Huntington, he is currently responsible for international relations.

MOHAMMED AL-HAJRI

Presidente della Oman HD Association e membro del board della International Huntington Association (IHA), Sultanato dell'Oman
President of the Oman Huntington's Disease Association and board member of the International Huntington Association, Sultanate of Oman

Con un Master in Risk management e finanza, Mohammed è consulente finanziario della società Sharqiyah. In quanto familiare, è a capo della Associazione Huntington del Sultanato dell'Oman e membro del consiglio di amministrazione dell'International Huntington Association (IHA).

With a Master in Risk management and finance, Mohammed is Financial Advisor in Sharqiyah financial consultancy. As an HD family member, he is head of the Oman HD Association and board member of the International Huntington Association (IHA).

Annotazioni - Note