



CONVEGNO ANNUALE LIRH

Roma, sabato 28 novembre 2026

*La ricerca terapeutica sulla malattia di Huntington.
Novità e istruzioni per l'uso.*

Centro Congressi Roma Eventi - Piazza della Pilotta, 4 (Fontana di Trevi)

PROGRAMMA PROVVISORIO

MATTINA 10.00 - 13.00

Moderata: Raffaella **Cesaroni**, SKY TG24

Saluti istituzionali e introduzione alla giornata

TbD

Pazienti e caregiver

Testimonianze

La clinica

Prof. Maurizio **Inghilleri**, Neurologo, già Direttore Centro
malattie rare neurogenerative Policlinico Umberto I, Roma

Prof. Maria **Signorelli**, Psichiatra - Università di Catania

Prof. Paola **Mandich**, Genetista - Università di Genova

Dr.ssa Marta **Scocchia**, Neuropsicologa psicoterapeuta - Fondazione LIRH, Roma

La Rete Malattie Rare

Dr.ssa Maria Luisa **Scattoni***, Direttrice Centro Nazionale Malattie Rare - Istituto
Superiore di Sanità

L'accesso ai farmaci per le malattie rare

Dr.ssa Sandra **Petraglia**, Dirigente Ufficio Accessi Precoci, AIFA

Le terapie sperimentali in corso: novità e istruzioni per l'uso

Prof. Ferdinando **Squitieri**, neurologo (PI) e

Dr.ssa Sabrina **Maffi**, Study Coordinator

IRCCS Casa Sollievo della Sofferenza

Overview sui seguenti studi clinici:

- FALCON-HD, molecola SKY-0515 di SKYHAWK
- PRECISE-HD, molecola PRIDOPIDINA di FERRER
- INVEST-HD, molecola VOTOPLAM di NOVARTIS
- SELECT-HD, molecola WVE-003 DI WAVE LIFE SCIENCES
- GENERATION-HD2, molecola TOMINERSEN di ROCHE (concluso anticipatamente a luglio 2026)
- INSIGHTT, molecola SRP-1005 di SAREPTA
- SPERIMENTAZIONE con la molecola SPK-10001 di SPARK THERAPEUTICS
- SPERIMENTAZIONE con la molecola AMT-130 di UNIQUE
- SPERIMENTAZIONE con la molecola SOM-3355 di SOM BIOTECH
- SPERIMENTAZIONE con la molecola ALN-HTT02 di ALNYLAM

Segue: Tavola rotonda con gli sviluppatori delle molecole

12.30 - 13.00 Q&A

13.00 – 14.00 light lunch

POMERIGGIO 14.00-16.00

La parola alla nostra rete associativa

LIRH Friuli-V. Giulia

LIRH Piemonte

LIRH Puglia

LIRH Sardegna

LIRH Sicilia

LIRH Toscana

LIRH Umbria

Noi Huntington – La rete italiana dei giovani

LIFE4Huntington