

# Conferenza annuale LIRH 2022

Centro Congressi Roma Eventi

## SALA LOYOLA

Piazza della Pilotta, 4



Sabato,  
3 Dicembre 2022  
h 09.30-16.30

Fondazione  
**LIRH**  
LEGA ITALIANA RICERCA HUNTINGTON

# 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  
\*invitata

10.15 – 13.30

### Le principali sperimentazioni terapeutiche in corso

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

Overview a cura di Ferdinand 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

Con il patrocinio di  
**UNIAMO**  
Federazione Italiana Malattie Rare

Consiglio Nazionale delle Ricerche

EHDN  
EUROPEAN HUNTINGTON'S DISEASE NETWORK  
Advancing Research, Conducting Trials, Improving Care

**uniQure**

**WAVE**  
LIFE SCIENCES

**PTC**  
THERAPEUTICS

**prilenia**

Patroni

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

## 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)  
\*tbc

■ 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



Patrocinii



National Research Council of Italy



uniQure



WAVE  
LIFE SCIENCES



Silver Sponsor



Friendly Sponsor



Partners