



Roma, sabato 2 Dicembre, 2017

*Sala Loyola - Roma Eventi
Piazza della Pilotta 4 (Fontana di Trevi)*

LA RICERCA
sulle malattie rare e
LE PROSPETTIVE
di cura per la malattia di
HUNTINGTON

Convegno annuale FONDAZIONE LIRH ONLUS

Roma, sabato 2 Dicembre, 2017

LA RICERCA sulle malattie rare e LE PROSPETTIVE di cura per la malattia di HUNTINGTON

Convegno annuale FONDAZIONE LIRH ONLUS



Rome, Saturday, December 2, 2017

RESEARCH on Rare Disease and Therapeutic PERSPECTIVES for HUNTINGTON'S DISEASE LIRH Foundation Annual Conference

ORE 9:30 - 11:00

LA RICERCA SCIENTIFICA SULLE MALATTIE RARE SCIENTIFIC RESEARCH ON RARE DISEASES

BARBARA D'ALESSIO

Moderatrice - Fondazione LIRH onlus
Chairperson - LIRH Foundation



Barbara D'Alessio si è laureata in Giurisprudenza e ha successivamente conseguito una specializzazione in marketing management. Ha una esperienza ventennale nel management delle organizzazioni non profit, in particolare nella progettazione e nel marketing. Negli ultimi anni, ha sviluppato una significativa esperienza nell'ambito della Huntington Community.

Barbara D'Alessio is a Law graduate and has a marketing management specialization. She has gained a lot of experience as a not for profit organizations project manager and marketing manager over the last 20 years. She has been involved in HD for the last five years.

DOMENICO CRUPI

Direttore Generale IRCCS Casa Sollievo della Sofferenza
Director General, Casa Sollievo della Sofferenza Research Hospital



Domenico Crupi è Vice Presidente della Fondazione e Direttore Generale dell'I.R.C.C.S. "Casa Sollievo della Sofferenza", Opera di San Pio da Pietrelcina.

Domenico Crupi is Vice President of the Foundation and General Manager of the Research Hospital "Casa Sollievo della Sofferenza", Opera di San Pio da Pietrelcina.

MARIO MELAZZINI

Direttore Generale Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA)
Director General, Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA)



Mario Melazzini è direttore generale di AIFA - Agenzia Italiana del Farmaco. Medico, specialista in Ematologia generale Clinica e Laboratorio; ricercatore in ambito onco-ematologico. Ha ricoperto molti importanti incarichi sia nel privato che nel pubblico e ha pubblicato numerosi articoli di carattere scientifico. E' autore di diversi libri legati alla sua esperienza di medico e paziente.

Mario Melazzini is the Director General at AIFA, the Italian Regulatory Agency. He is a physician with a specialization in General Hematology and Laboratory. He is a researcher in onco-hematology. He has held important responsibilities both in the public and private health sectors. He is author of many scientific publications and books recounting his experience as a doctor and as a patient.

PATRIZIA POPOLI

Direttore del Centro Nazionale Ricerca e Valutazione Preclinica e Clinica dei Farmaci - Istituto Superiore di Sanità (ISS)
Head, National Center for Drug Research and Evaluation – Istituto Superiore di Sanità (ISS)



Patrizia Popoli, neurologa, ha sempre svolto attività di ricerca in farmacologia sperimentale nelle patologie del sistema nervoso centrale (tra cui, malattia di Parkinson, malattia di Huntington, SLA, malattia di Nieman Pick) e attività istituzionale legata ai farmaci, fino a ricoprire la carica di presidente della Commissione Tecnico Scientifica di AIFA. E' Direttore del reparto di Farmacologia del sistema nervoso centrale (Dipartimento del Farmaco) dell'Istituto Superiore di Sanità.

Patrizia Popoli is a Neurologist whose main field of interest is pharmacological research on neurodegenerative disorders, such as Parkinson's disease, Huntington's Disease, Amyotrophic Lateral Sclerosis, Nieman Pick Disease. In addition to research, she has managed many institutional assignments related to the drug policy. Currently she is President of the Advisory Committee of AIFA and Director of the CNS Pharmacology Department at Istituto Superiore di Sanità.

FABRIZIO FARNETANI

Consigliere Uniamo FIRM onlus

Board member, Uniamo FIRM onlus (Italian Federation of Rare Diseases Associations)



Fabrizio Farnetani è Vice Presidente di Mitocon, associazione che si occupa di malattie mitocondriali e membro del Consiglio Direttivo di UNIAMO FIRM onlus, Federazione Italiana Malattie Rare.

Fabrizio Farnetani is boardmember of UNIAMO FIRM onlus, the Italian Federation of Rare Diseases Associations. He is also Vice President at Mitocon, the Italian patients' association for mitochondrial diseases.

ILARIA CIANCALEONI BARTOLI

Direttore O.Ma.R. - Osservatorio Malattie Rare

Director, O.Ma.R. - Osservatorio Malattie Rare



Ilaria Ciancaleoni Bartoli, giornalista, nel 2010 ha fondato la testata giornalistica on line Osservatorio Malattie Rare (Omar) di cui è direttore e che oggi vanta circa 8000 lettori al giorno e oltre 20.000 iscritti alla newsletter. E' inoltre co-fondatore dell'Osservatorio Farmaci Orfani (Ossfor) e dell'Alleanza Malattie Rare, che include l'Intergruppo Parlamentare Malattie Rare, Ossfor e oltre 50 organizzazioni di pazienti e fondazioni di ricerca.

Ilaria Ciancaleoni Bartoli, journalist, is founder and director of the online journal Osservatorio Malattie Rare (Rare Diseases Observatory - Omar), with 8,000 readers per day and over 20,000 subscribers to the newsletter. She is also co-founder of Osservatorio Farmaci Orfani (Orphan Drugs Observatory - Ossfor), and of the Rare Disease Alliance, a coalition among the Parliamentary Diseases Working Group, Ossfor and more than 50 patient associations and research foundations.

Annotazioni - Note

ORE 11:00-11:15 - COFFEE BREAK

ORE 11:15 - 13:00

LA RICERCA SCIENTIFICA SULLA MALATTIA DI HUNTINGTON: ATTORI E PROSPETTIVE *SCIENTIFIC RESEARCH ON HD: KEY ACTORS AND THERAPEUTIC PERSPECTIVES*

FERDINANDO SQUITIERI

Moderatore - IRCCS Casa Sollievo della Sofferenza e Fondazione LIRH onlus
Chairperson - Casa Sollievo della Sofferenza Research Hospital and LIRH Foundation



Ferdinando Squitieri, neurologo con esperienza clinica in psichiatria d'urgenza e in genetica, è responsabile dell'Unità Ricerca e Cura Huntington e Malattie Rare dell'Ospedale Casa Sollievo della Sofferenza di San Giovanni Rotondo e responsabile della Neurologia dell'Istituto di Genetica Mendel di Roma, nonché direttore scientifico della Fondazione LIRH onlus. E' principal investigator degli studi clinici Enroll-HD, Open-Pride e Legato-HD.

Ferdinando Squitieri is a neurologist with expertise also in genetics and psychiatry. He leads the Huntington and Rare Diseases Unit at the Research Hospital Casa Sollievo della Sofferenza in San Giovanni Rotondo and the Neurology Department of the Mendel Institute of Human Genetics in Rome. He is also LIRH Foundation scientific officer. He is Principal Investigator of ENROLL-HD, LEGATO-HD and Open PRIDE.

ROBERT PACIFICI

Direttore Scientifico Fondazione CHDI, USA
Chief Scientific Officer, CHDI Foundation, USA



Robert Pacifici, laureato in biochimica, è il Direttore Scientifico della Fondazione CHDI, un'organizzazione di ricerca privata e senza scopo di lucro che lavora insieme a una rete globale di scienziati per accelerare lo sviluppo di terapie utili a curare la malattia di Huntington. Ha ricoperto ruoli di responsabilità in molte aziende farmaceutiche tra cui Eli Lilly, Xencor e Amgen.

Robert Pacifici is the Chief Executive Officer of CHDI Foundation, a private, not-for-profit research organization that works with an international network of scientists to accelerate therapeutics development for Huntington's Disease. He has held roles of responsibility in several pharma companies, among which Eli Lilly, Xencor e Amgen.

JEAN MARC BURGUNDER

Coordinatore, European Huntington Disease Network
Chair, European Huntington Disease Network (EHDN)



Jean-Marc Burgunder, professore di Neurologia Sperimentale alla Facoltà di Medicina dell'Università di Berna, è coordinatore del Network Europeo dei Ricercatori Huntington (EHDN), co-chair del Panel di Esperti in Neurogenetica dell'Accademia Europea di Neurologia, coordinatore dell'Advisory Board dello European Reference Network sulle malattie rare neurologiche. Dirige il NeuroZentrum Siloah in Gümliigen (Berna) un centro per pazienti rari neurologici.

Jean-Marc Burgunder, professor of Experimental Neurology at the faculty of medicine of the University in Bern, is Chair of the EHDN Executive Committee, Co-Chair of the Specialist Scientists Panel on Neurogenetics of the European Academy of Neurology, Chair of the European Reference Network on Rare Neurological disorders Advisory board. He is director of the NeuroZentrum Siloah in Gümliigen (Bern), for rare neurological diseases patients.

ASTRI ARNESEN

Presidente, European Huntington Association (EHA)
President, European Huntington Association (EHA)



Astri Arnesen ha guidato per oltre dieci anni l'associazione delle famiglie Huntington norvegese. Dal 2016 è presidente della European Huntington Association, che rappresenta circa 30.000 pazienti a livello europeo. In questo ruolo, Astri è impegnata in prima linea a costruire una Comunità forte sia tra le associazioni dei familiari, sia tra queste, i ricercatori e le industrie farmaceutiche.

Astri Arnesen has been leading the Norwegian HD Association for more than ten years. In September 2016, she was elected as President of the European Huntington Association (EHA), which represents more than 30.000 people with HD from all over Europe. Astri is strongly committed to strengthening the HD Community at a European level as well as in reinforcing the collaboration among patients in the HD community, the HD research community and the pharma industry.

ANTONELLA VENEZIANO

Global Medical Director Multiple Sclerosis & Neurodegenerative Disorders, Teva



Antonella Veneziano lavora in Teva in qualità di Global Medical Director ed è responsabile dell'Area Terapeutica Sclerosi Multipla e Malattie Neurodegenerative. Ha conseguito la Laurea in Farmacia presso l'Università degli Studi Di Bari ed un Master in Ricerca Clinica presso l'Università degli Studi di Ferrara. Ha maturato sedici anni di esperienza in diverse Aziende Farmaceutiche Multinazionali, ricoprendo vari ruoli di nell'ambito della Direzione Medica.

Antonella Veneziano is Global Medical Director at Teva, where she is responsible for the Multiple Sclerosis and Neurodegenerative Disorders Therapeutic Area. She graduated in Pharmacy at Bari University and Specialized in Clinical Research at Ferrara University. She has 16 years experience in the Medical Division of several different Multinational Pharma Industries.

MAURO PATRONCINI

Pipeline Product Strategy Leader, Roche



Laureato in medicina e con diversi anni di esperienza nell'Industria Farmaceutica in diverse funzioni: medica, marketing, accesso. In Roche, attualmente responsabile dell' area 'Pipeline Product Strategy' il cui obiettivo è 'influenzare' lo sviluppo globale di un nuovo farmaco considerando e recependo le esigenze dei principali 'stakeholders' locali e i bisogni dei pazienti.

Mauro Patroncini is graduated in Medicine. He has been working in pharma industries for several years, holding positions in different areas in medical divisions as well as market access divisions. He is currently responsible for the 'Pipeline Product Strategy' at Roche, with the aim of developing new molecules by taking into account stakeholders expectations and patients needs.

WENDY ERLER

Vice President, Patient Advocacy and Market Insights, Wave Life Science



Wendy Erler è Vicepresidente Advocacy Patient e Market Insights presso Wave Life Sciences. Il suo compito è quello aiutare Wave a costruire e sviluppare relazioni solide con la comunità dei pazienti e a rafforzare la cultura della centralità del paziente, attraverso l'interazione costante anche con le organizzazioni, i pazienti e i caregiver che fanno parte della 'Comunità Huntington'.

Wendy Erler currently serves as Vice President Patient Advocacy and Market Insights at Wave Life Sciences. She works with professional advocacy organizations, patients and caregivers within the Huntington's Disease community to listen and learn from them and bring this insight back to Wave to work to develop innovative solutions to meet the needs of the HD community. At Wave, her role is to support the company's commitment to building strong relationships with the patient community and enhance the patient-focused culture of Wave.

Annotazioni - Note

ORE 13:30-14:30 - PRANZO - LUNCH

ORE 14:30 - 16:00

COSA E' UTILE DA SAPERE SU:
WHAT IS USEFUL TO KNOW ABOUT:

BARBARA D'ALESSIO

Moderatrice - Fondazione LIRH onlus
Chairperson - LIRH Foundation

ALESSIA MIGLIORE

Familiare - I giovani e la malattia di Huntington
Family member - Young People and HD



Alessia Migliore, familiare e aderente Lirh, "milita" nella Fondazione da diversi anni promuovendo varie iniziative a livello territoriale, soprattutto regionale, in favore della ricerca scientifica. Ha dato testimonianza, in diverse occasioni, dell'impatto che la Malattia di Huntington ha avuto nella sua famiglia.

As a family member, Alessia Migliore is an active volunteer of LIRH Foundation. She has been promoting awareness raising initiatives at a local level several times. Alessia is an HD advocate and she is leading the LIRH Foundation 'Youth Program'.

IOLANDA SANTIMONE

Biologa nutrizionista CSS Mendel - Consigli sulla nutrizione nella malattia di Huntington
Biologist and Nutritionist, CSS Mendel - Advices on Nutrition for HD patients



Biologa nutrizionista. Ha lavorato diversi anni all'Università Cattolica del Sacro Cuore di Campobasso occupandosi di malattie metaboliche e partecipando a progetti internazionali legati all'obesità e ai fattori di rischio per patologie croniche. Da circa due anni ha focalizzato il suo interesse verso le malattie neurodegenerative, con particolare attenzione alla malattia di Huntington.

Nutritionist and biologist. She worked for several years at the Catholic University of Sacro Cuore in Campobasso, conducting researches on metabolic diseases and participating in international projects related to obesity and risk factors for chronic diseases. Over the last two years she has been focusing her interest on neurodegenerative diseases, with particular attention to Huntington's disease.

LORENZO COTTINI

Amministratore delegato High Research - L'uso compassionevole dei farmaci sperimentali
General Manager, High Research, Milan - The compassionate use of experimental drugs



Laureato in farmacia presso l'Università degli Studi di Milano, Lorenzo Cottini vanta 16 anni di esperienza nell'ambito della sperimentazione clinica promossa da enti profit e non. Ha ricoperto il ruolo di Clinical Monitor e di manager in Clinical Operation occupandosi di tutte le fasi della sperimentazione. Da Dicembre 2013 è Presidente e General Manager di High Research, CRO con sede a Milano.

Graduated in Pharmacy at Milano University, Lorenzo Cottini has more than 16 years experience in profit and non profit clinical trials. He has been Clinical Monitor and Clinical Operation Manager for several studies. Since December 2013, he is President and General Manager of the CRO High Research. He has many responsibilities within AFI (Associazione farmaceutici dell'Industria) the Association of Pharmaceuticals operating within Industries.

ORE 16:00 - 16:30

DOMANDE E RISPOSTE - CONCLUSIONI
Q&A - CONCLUSION

9:30

LA RICERCA SCIENTIFICA SULLE MALATTIE RARE *SCIENTIFIC RESEARCH ON RARE DISEASES*

BARBARA D'ALESSIO

Moderatrice – Fondazione LIRH onlus
Chairperson - LIRH Foundation

DOMENICO CRUPI

Vice Presidente della Fondazione e Direttore Generale dell'I.R.C.C.S. “Casa Sollievo della Sofferenza”, Opera di San Pio da Pietrelcina.
Vice President of the Foundation and General Manager of the Research Hospital “Casa Sollievo della Sofferenza”, Opera di San Pio da Pietrelcina.

MARIO MELAZZINI

Direttore Generale Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA)
Director General, Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA)

PATRIZIA POPOLI

Direttore del Centro Nazionale Ricerca e Valutazione Preclinica e Clinica dei Farmaci Istituto Superiore di Sanità (ISS)
Head, National Center for Drug Research and Evaluation – Istituto Superiore di Sanità (ISS)

FABRIZIO FARNETANI

Consigliere Uniamo FIRM onlus
Board member, Uniamo FIRM onlus (Italian Federation of Rare Diseases Associations)

ILARIA CIANCALONI BARTOLI

Direttore O.Ma.R. - Osservatorio Malattie Rare
Director, O.Ma.R. - Osservatorio Malattie Rare

COFFEE BREAK

LA RICERCA SCIENTIFICA SULLA MALATTIA DI HUNTINGTON: ATTORI E PROSPETTIVE *SCIENTIFIC RESEARCH ON HD: KEY ACTORS AND THERAPEUTIC PERSPECTIVES*

FERDINANDO SQUITIERI

Moderatore – IRCCS Casa Sollievo della Sofferenza e Fondazione LIRH onlus
Chairperson - Casa Sollievo della Sofferenza Research Hospital and LIRH Foundation

ROBERT PACIFICI

Direttore Scientifico Fondazione CHDI, USA
Chief Scientific Officer, CHDI Foundation, USA

JEAN MARC BURGUNDER

Coordinatore, European Huntington Disease Network
Chair, European Huntington Disease Network (EHDN)

ASTRI ARNESEN

Presidente, European Huntington Association (EHA)
President, European Huntington Association (EHA)

ANTONELLA VENEZIANO

Global Medical Director Multiple Sclerosis & Neurodegenerative Disorders, Teva

MAURO PATRONCINI

Pipeline Product Strategy Leader, Roche

WENDY ERLER

Vice President, Patient Advocacy and Market Insights Wave Life Science

PRANZO - LUNCH

COSA E' UTILE DA SAPERE SU: *WHAT IS USEFUL TO KNOW ABOUT:*

BARBARA D'ALESSIO

Moderatrice – Fondazione LIRH onlus
Chairperson - LIRH Foundation

ALESSIA MIGLIORE

Familiare - I giovani e la malattia di Huntington
Family member - Young People and HD

IOLANDA SANTIMONE

Biologa nutrizionista CSS Mendel - Consigli sulla nutrizione nella malattia di Huntington
Biologist and Nutritionist, CSS Mendel – Advices on Nutrition for HD patients

LORENZO COTTINI

Amministratore delegato High Research - L'uso compassionevole dei farmaci sperimentali
General Manager, High Research, Milan - The compassionate use of experimental drugs

DOMANDE E RISPOSTE - CONCLUSIONI - Q&A - CONCLUSION

11:00

11:15

13:00

14:30

16:00

Con il contributo di:



Con il patrocinio di:

Ministero della Salute



Agenzia Italiana del Farmaco

AIFA



Istituto Superiore di Sanità



PONTIFICIO CONSIGLIO
DELLA
CULTURA



Ringraziamo la Fondazione CHDI per il sostegno al programma di ricerca Enroll-HD
We thank CHDI Foundation for supporting the ENROLL-HD research program.



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 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 dei Mille 41/A
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

ISERNIA
Via dell'Acqua Solfurea, 1
c/o Istituto Europeo di
Riabilitazione Gea Medica

CATANIA
Sede in corso di
programmazione.