

Quest'anno il **Convegno LIRH** si svolgerà **ONLINE** Registrati subito sul nostro sito per poter partecipare

Sabato 12 dicembre 2020 | ore 10.00 - 13.00 – **ONLINE**

Le attuali prospettive di cura per la malattia di Huntington

Quest'anno, a causa della pandemia da Covid-19 che ci impone ancora prudenza rispetto all'aggregazione tra persone, abbiamo optato per una versione virtuale, che sarà focalizzata sulle sperimentazioni in corso.

Se da un lato questa modalità ci priva del piacere di vederci e parlarci di persona, dall'altro – consentendo a tutti di collegarsi da casa – permette la partecipazione anche di chi avrebbe avuto difficoltà a spostarsi.

Sarà possibile rivolgere domande ai relatori – ma solo per iscritto, attraverso la chat – e usufruire della traduzione simultanea, selezionando un apposito bottone.

Per poter partecipare, è necessario registrarsi in anticipo sul nostro sito:
www.lirh.it/it/convegno-annuale-lirh

Una volta effettuata la registrazione, riceverai

il link e le indicazioni sul funzionamento della piattaforma qualche giorno prima della data.

Per seguire il webinar hai bisogno di tre cose:

1. Un computer
2. Una connessione wi-fi con una velocità di upload e download di 4/6 mbps*
3. Un paio di auricolari (consigliati).

Sentirai – direttamente dalla voce dei protagonisti – come stanno andando le sperimentazioni seguenti, di cui trovi breve schede informative sul nostro sito (www.lirh.it/it/sperimentazioni-terapeutiche):

Generation HD1: studio di fase III col farmaco *tominersen*, in corso di svolgimento anche in Italia (Roche);

Precision HD1 e Precision HD2: studi di fase II con molecole antisense chiamate *WVE-120101*

e *WVE-120102*, in corso di svolgimento in alcuni Paesi europei e in Australia (Wave Life Science);

Signal: studio di fase II con una molecola, anticorpo monoclonale, chiamata *VX15*, in corso di svolgimento in Nord America (Vaccinex)

Terapia Genica: studio di fase I/II con una molecola chiamata *AMT-10*, in corso di svolgimento solo negli Stati Uniti (UniQure)

Proof-HD: studio di fase III con il farmaco *pridopidina* che sta per partire e coinvolgerà attivamente anche l'Italia (Prilenia).



Se hai in mente domande o considerazioni da rivolgere ai relatori, puoi già inviarle a info@lirh.it

* puoi verificare la velocità di connessione attraverso il seguente link:
www.rafiyconnect.speedtestcustom.com/

HUNTINGTON POST



NOTIZIE DALLA FONDAZIONE LEGA ITALIANA RICERCA HUNTINGTON (LIRH)

**Sabato 12 Dic 2020
ore 10.00-13.00**

Le attuali prospettive di cura per la malattia di Huntington

Se hai già domande puoi inviarcele a info@lirh.it

CONVEGNO ANNUALE LIRH

● **ONLINE** Per poter partecipare registrati subito sul nostro sito:
www.lirh.it/it/convegno-annuale-lirh

Fondazione LIRH
LEGA ITALIANA RICERCA HUNTINGTON

**Sabato 12 Dic 2020
ore 10.00-13.00**

Le attuali prospettive di cura per la malattia di Huntington

Se hai già domande puoi inviarcele a info@lirh.it

CONVEGNO ANNUALE LIRH

● **ONLINE** Per poter partecipare registrati subito sul nostro sito:
www.lirh.it/it/convegno-annuale-lirh

Fondazione LIRH
LEGA ITALIANA RICERCA HUNTINGTON



Pridopidina: A breve la sperimentazione in fase III in Italia

“La pridopidina è un farmaco dalla lunga e tormentata storia, i cui meccanismi biologici neuro-protettivi sono emersi solo di recente. Siamo certi che porterà una notevole dose di rinnovata speranza nella cura della malattia.”

La Lega Italiana Ricerca Huntington (LIRH) è una fondazione senza scopo di lucro, l'unica organizzazione italiana completamente dedicata alla ricerca, all'assistenza e alla conoscenza della malattia di Huntington. La Fondazione fa parte dei principali network internazionali. A livello nazionale, ha dato vita ad una rete di organizzazioni che comprende l'Associazione LIRH Puglia, l'Associazione LIRH Toscana e l'Associazione giovanile NOI Huntington.

Ripartirà anche in Italia una fase III di studio, annunciata a giugno 2020 da Prilenia Therapeutics che ha raccolto 62,5 milioni di dollari per finanziare due studi sulla Sclerosi Laterale Amiotrofica (SLA) e sulla malattia di Huntington. Non è la prima volta che la pridopidina viene sperimentata su persone con malattia di Huntington, ma speriamo che sia quella definitiva e che confermi gli effetti neuroprotettivi di questa molecola attraverso la mediazione di un recettore denominato SIGMA-1. Questo meccanismo biologico è stato solo recentemente attribuito alla pridopidina, assegnando così un ruolo rilevante nella protezione delle aree cerebrali colpite dalla malattia.

“La speranza di osservare benefici concreti di

questo farmaco è molto forte e ci vedrà impegnati in primo piano nei prossimi mesi”, afferma Ferdinando Squitieri, Responsabile del Centro Coordinatore in Italia dello studio presso l'Unità Huntington dell'IRCCS Casa Sollievo della Sofferenza/CSS-Mendel di Roma. *“Le precedenti sperimentazioni non hanno potuto confermare la reale potenzialità di questo farmaco e questa sperimentazione rappresenta una grande opportunità per la comunità dei pazienti nel nostro Paese”,* conclude Squitieri. Michael Hayden, CEO di Prilenia Therapeutics, è uno dei massimi esperti di malattia di Huntington e la pridopidina è stata designata da Arvid Carlsson, premio Nobel per la Medicina nel 2000.



Numero Verde
800 388 330

www.lirh.it
info@lirh.it

SOSTIENI ANCHE TU LA RICERCA E L'ASSISTENZA GRATUITA

DONAZIONE ONLINE
Tramite PayPal www.lirh.it

NUOVO IBAN BANCARIO
IT 46 010 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 conto: **60428976** | Intestato a Fondazione LIRH onlus

ROMA
Via Varese, 31
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
V.le Cappuccini, 1
c/o Casa Sollievo della Sofferenza

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

HD-CLARITY: Ricercatori e pazienti, insieme, alla ricerca di nuovi biomarcatori



Come sappiamo, esistono farmaci utili a trattare specifici sintomi della malattia di Huntington, ma non esistono ancora farmaci in grado di impedirne l'insorgenza o rallentarne il decorso. Per poterli avere, c'è bisogno di altre informazioni dai pazienti, di studiare, di imparare, di capire di più. Gli studi clinici servono proprio a questo, a capire di più. In particolare, HD-Clarity intende identificare nuovi possibili biomarcatori (indicatori della esistenza) della malattia di Huntington attraverso l'analisi del sangue e del liquor (il liquido cerebrospinale che circonda l'encefalo). Lo studio, finanziato dalla Fondazione statunitense CHDI, viene condotto in diversi Centri in Nord America, Europa, America

Latina, Australia, Nuova Zelanda e in alcuni paesi dell'Asia. È iniziato a gennaio del 2017 e terminerà una volta raggiunto il numero massimo di persone coinvolgibili nel programma di ricerca (1200).

I partecipanti sono sottoposti a due visite, una di "screening" – per verificare la sussistenza dei requisiti richiesti - e una di "sampling" per raccogliere il sangue (puntura venosa) e il liquor (puntura lombare).

I principali criteri di inclusione sono:

- Essere parte dello Studio Enroll-HD
- Avere tra i 21-75 anni di età
- Essere in grado di fornire il consenso informato

o avere un rappresentante legale autorizzato a dare il consenso per conto del partecipante

- Essere in grado di rispettare le procedure di studio: digiuno (dalla mezzanotte del giorno antecedente a quello del prelievo), prelievo di sangue e puntura lombare.

È previsto un rimborso spese per i partecipanti e per i loro accompagnatori.

Vi invitiamo a partecipare, il sostegno alla ricerca passa anche e soprattutto attraverso la partecipazione agli studi clinici.

Contattateci al numero verde 800 388 330 o scrivete a info@lirh.it per concordare tempi e modalità della vostra partecipazione.

Dall'Oman emergono dati relativi alla genetica e alla epidemiologia della malattia di Huntington utili per tutta la comunità dei pazienti

Nel lontano 2013 è arrivata alla Fondazione LIRH la richiesta d'aiuto da parte di una famiglia omanita, colpita da molte generazioni dalla malattia di Huntington, pressoché sconosciuta da istituzioni e medici locali, per cui sembrava, ai loro occhi, non esistere alcun tipo di risposta.

Dall'incontro con questa realtà, la Fondazione LIRH ha condotto negli anni una sistematica raccolta di informazioni genetiche, cliniche ed epidemiologiche che sono sfociate in importanti pubblicazioni, due recentemente apparse su "Genetics in Medicine", un Nature Journal

e su Journal of Neurology, Neurosurgery and Psychiatry' del British Medical Journal", entrambe coordinate da Ferdinando Squitieri.

Grazie a questi due studi, ora conosciamo quanti malati possono essere presenti anche nel Medio Oriente, sappiamo che la malattia di Huntington si è in parte diffusa in quell'area dall'Africa sub-Sahariana, determinando un'alta concentrazione di forme giovanili e pediatriche. La stima del numero globale di pazienti al mondo era orientativamente circa 150.000 persone ammalate.

Questi studi faranno riconsiderare la stima in sostanziale aumento. Gli studi hanno inoltre evidenziato l'esistenza di un background genetico diverso e mai descritto prima che caratterizza questa condizione, rispetto a quello delle popolazioni occidentali.

Questa osservazione avrà ricadute sull'approccio con terapie innovative future, che dovranno tener conto della variabilità genetica delle popolazioni.

Approfondisci sul nostro [sito www.lirh.it](http://www.lirh.it).



THAT DISORDER

PHOTOGRAPHY PROJECT ON HUNTINGTON DISEASE



Nato dall'idea di Gabriele Berti, fotografo per passione e da poco consapevole di essere coinvolto in prima persona, il progetto si propone di raccontare l'Huntington attraverso i ritratti fotografici e le testimonianze dirette di pazienti e caregivers.

Gli scatti e le testimonianze raccolte verranno esposti in una mostra fotografica itinerante, destinata ad arricchirsi sempre di più di nuovi volti e "storie". Se sei un paziente, una persona a rischio o un caregiver e hai voglia di mostrare il tuo volto e raccontare la tua storia per unirti a noi nella lotta contro lo stigma che da anni accompagna la malattia, contattaci.

Diventa anche tu protagonista del progetto, scopri come visitando il sito www.lirh.it.

Amaryllis: Un fiore speciale per un Natale speciale

Quest'anno per Natale acquista i bulbi dell'Amaryllis, il bellissimo fiore africano simbolo internazionale della malattia di Huntington

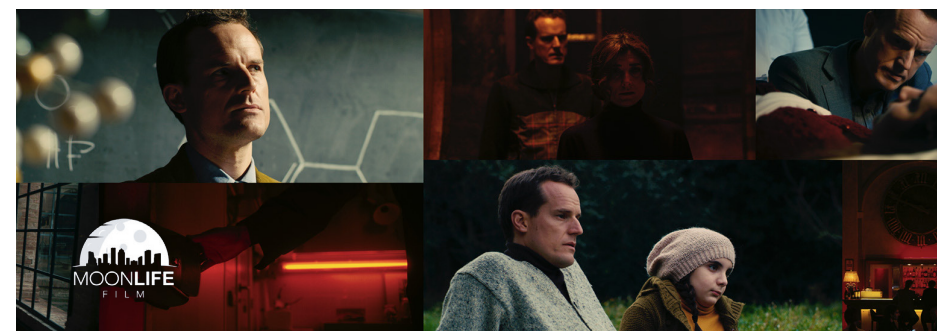
L'Amaryllis potrà diventare il tuo regalo di Natale speciale, da condividere anche con le persone a te care.

I bulbi saranno prenotabili fino al 30 novembre, a fronte di una donazione di almeno 15 euro, sul sito www.lirh.it.

Entra nel nostro sito e prenota il tuo bulbo. Ogni fiore che sboccia ci avvicina sempre di più ad un mondo in cui la malattia di Huntington non farà più paura.



THE SHAPE OF LIFE: UNA PRODUZIONE CINEMATOGRAFICA INTERNAZIONALE ACCENDE I RIFLETTORI SULLA MALATTIA DI HUNTINGTON



"The Shape of Life" è un progetto cinematografico internazionale in cui la malattia di Huntington, anche nella sua forma pediatrica, gioca un ruolo essenziale nello sviluppo della trama. Oltre ad avere un grandissimo potenziale comunicativo per far conoscere questa malattia rara ad un pubblico esteso su scala mondiale, il film si propone di esplorare il controverso rapporto tra scienza ed etica e veicolare un messaggio fondamentale: la necessità di una cura accessibile a tutti. La nostra Fondazione è partner del progetto sin dall'inizio, insieme ad organizzazioni che si sono aggiunte successivamente anche da altri Paesi.

Visita il sito <https://www.theshapeoflifefilm.com/> registrati, avrai così accesso ad approfondimenti, video e interviste e ti sarà riservata la possibilità di assistere all' anteprima, appena il film sarà concluso e proiettato!

Visita il nostro sito per saperne di più.