



Le attuali prospettive di Cura
per la Malattia di Huntington

SABATO **12 DICEMBRE 2020**

H 10.00-13.00 (CEST)

ONLINE

Con il contributo di:



uniQure



Convegno Annuale LIRH 2020

Le attuali prospettive di cura per la malattia di Huntington

12 Dicembre, 2020 • h 10.00-13.00 CEST

Programma

Sessione 1 • h 10.00-11.30

Apertura dei lavori

Barbara D'Alessio, Direttore Esecutivo, Fondazione LIRH

Ferdinando Squitieri, Responsabile Unità Huntington, Ospedale Casa Sollievo della Sofferenza – Direttore Scientifico, Fondazione LIRH

Le prospettive dei pazienti

Testimonianze di Pazienti e Familiari

Generation HD1

Marco Pacifici, Rare Conditions Partner, Roche

Precision HD1 and Precision HD2

Vissia Viglietta, Vice Presidente Sviluppo Clinico e Medical Affairs, Wave Life Sciences

Proof-HD

Michael R. Hayden, Presidente e Amministratore Delegato, Prilenia Therapeutics

Pausa • h 11.30-11.40

Sessione 2 • h 11.40-13.00

Gene Therapy (ATM-130)

David Cooper, Vice Presidente Sviluppo Clinico, UniQure

Signal

Maurice Zauderer, Presidente e Amministratore Delegato, Vaccinex

Domande/Risposte e Conclusioni

Speakers/ Relatori

Ferdinando Squitieri

Head of the Huntington and Rare Diseases Unit at Fondazione IRCCS Casa Sollievo Sofferenza Research Hospital –LIRH Foundation Scientific Officer

Ferdinando Squitieri is a neurologist with a PhD in Neurobiology. He has been studying 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 associated researcher of the Italian National Research Council (CNR).



Ferdinando Squitieri è un neurologo, con un dottorato di ricerca in neurobiologia. Si occupa di malattia di Huntington, anche nella sua forma giovanile, da oltre 30 anni. E' responsabile della Unità Huntington e Malattie Rare della Fondazione IRCCS Casa Sollievo Sofferenza di San Giovanni Rotondo e 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).

Barbara D'Alessio

Executive Director, LIRH Foundation

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).



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 Huntington Association (EHA) e referente del gruppo di lavoro sulla malattia giovanile della International Huntington Association (IHA).

Marco Pacifici

International Rare Diseases Manager, Italy and Poland at Roche

Dr. Marco Pacifici earned his international PhD in Neuroscience at Temple University in Philadelphia and he worked as Research Associate at LSU Medical School in New Orleans. His scientific research focused on molecular pathways involved in neurodegeneration and in biomarkers development for neurodegenerative diseases. He managed the compassionate use program and the launch of the first Disease Modifying Treatment (DMT) in Spinal Muscular Atrophy (SMA). In September 2019 Dr Pacifici joined Roche as "Rare Conditions Partner" in Huntington Disease.



Il Dr. Marco Pacifici ha conseguito il PhD in Neuroscienze presso la Temple University di Philadelphia e ha lavorato come Research Associate presso la LSU Medical School di New Orleans. La sua attività di ricerca si è concentrata sui percorsi molecolari coinvolti nella neurodegenerazione e nello sviluppo di biomarcatori per le malattie neurodegenerative. Ha gestito il lancio del primo trattamento di modifica della malattia (DMT) nell'Atrofia Muscolare Spinale (SMA). Nel settembre 2019, il Dr. Pacifici è entrato a far parte di Roche come "Rare Conditions Partner" per la malattia di Huntington.

Vissia Viglietta

Vice President of Clinical Development and Medical Affairs at Wave Life Sciences

Dr. Viglietta currently serves as Vice President of Clinical Development at Wave Life Science. She has more than 12 years of experience in neurology clinical development across multiple indications. Prior to entering the biotechnology industry, Dr. Viglietta spent eight years focused on basic and clinical research in immunology and cellular biology at Harvard Medical School, first as a post-doctoral fellow, then as faculty. She previously earned a medical degree and PhD at La Sapienza University of Rome in Italy.



La Dr.ssa Viglietta è vicepresidente dello sviluppo clinico di Wave Life Science. Ha oltre 12 anni di esperienza nello sviluppo clinico neurologico. Prima di entrare nel settore delle biotecnologie, si è occupata per otto anni di ricerca nel settore della immunologia e biologia cellulare presso la Harvard Medical School, prima come borsista post-dottorato, poi come docente. Ha conseguito la Laurea in medicina ed un dottorato di ricerca presso l'Università La Sapienza di Roma in Italia.

Michael Hayden

Chief Executive Officer at Prilenia

Dr. Hayden, accomplished scientist and physician, is President and CEO at Prilenia Therapeutics. He is a Killam Professor at the University of British Columbia and Senior Scientist at the Centre for Molecular Medicine and Therapeutics. He is also a Canadian Research Chair in Human Genetics and Molecular Medicine. Dr. Hayden is the recipient of numerous prestigious honours and awards. He was named one of the 50 Canadians born in the 20th century who have changed the world. Dr. Hayden is the most cited author in the world on ABCA1 and Huntington Disease.



Il Dr. Hayden, medico e scienziato, è Presidente e amministratore delegato di Prilenia Therapeutics. È Killam Professor presso l'Università della British Columbia e Senior Scientist presso il Center for Molecular Medicine and Therapeutics. Oltre ad essere docente di genetica umana e medicina molecolare, il Dr. Hayden ha ricevuto prestigiosi riconoscimenti e premi. È considerato tra i 50 canadesi nati nel XX secolo che hanno cambiato il mondo. Hayden è l'autore più citato al mondo su ABCA1 e malattia di Huntington.

David Cooper

Vice President of Clinical Development at UniQure

Dr. David Cooper is the Vice President of Clinical Development at uniQure, where he is the clinical program lead for uniQure's gene therapies for neurologic disorders. Dr. Cooper is a senior pharmaceutical professional with 20 years of experience within biopharmaceuticals and an excellent track record of driving successful cross-functional teams as the medical lead within the clinical development and medical affairs organizations. Dr. Cooper is a neurosurgeon with broad clinical development experience in the field of critical bleeding, cardiac surgery, spinal surgery, hemophilia and rare bleeding disorders.



Il Dr. David Cooper, vicepresidente dello sviluppo clinico di UniQure, è responsabile dello sviluppo di terapie geniche per il trattamento di disturbi neurologici. Ha 20 anni di esperienza nel settore farmaceutico, alla guida di team dedicati alla ricerca clinica. Il Dr. Cooper è un neurochirurgo con grande esperienza nel campo della chirurgia cardiaca e spinale, dell'emofilia e delle malattie emorragiche rare.

Maurice Zauderer

Founder, President, and CEO of Vaccinex Inc.

Maurice Zauderer is the founder, president, and CEO of Vaccinex Inc., a public biotechnology company headquartered in Rochester, USA. Vaccinex is pioneering a differentiated approach to treating neurodegenerative disease through the inhibition of SEMA4D, a potent biological effector whose expression is upregulated in neuroinflammatory diseases including HD and Alzheimer's. The safety, tolerability, and efficacy of Vaccinex's VX15/2503 monoclonal antibody has recently been evaluated in the Phase 2 SIGNAL trial in HD.



Il Dr. Maurice Zauderer è fondatore, presidente e amministratore delegato di Vaccinex Inc., una società di biotecnologia con sede a Rochester, USA. Vaccinex sta sperimentando un approccio differenziato al trattamento delle malattie neurodegenerative attraverso l'inibizione di SEMA4D, la cui espressione è sovra regolata nelle malattie neuro infiammatorie tra cui la Malattia di Huntington e l'Alzheimer. La sicurezza, la tollerabilità e l'efficacia dell'anticorpo monoclonale VX15 / 2503 di Vaccinex sono state recentemente valutate nello studio di fase 2 SIGNAL per il trattamento della malattia di Huntington.