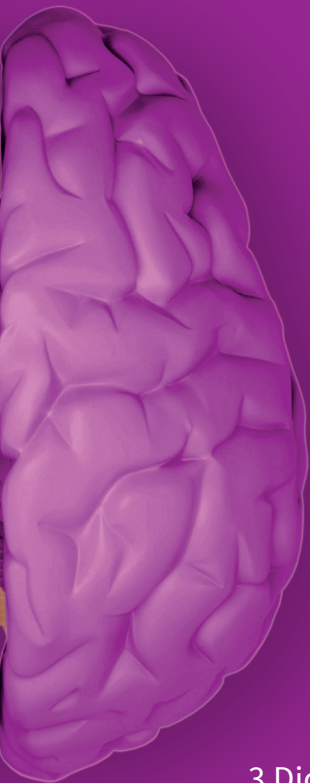


# Conferenza annuale LIRH 2022

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  
*\*in attesa di conferma*

■ 10.15 - 13.30

### Le principali sperimentazioni terapeutiche in corso

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

Overview a cura di Ferdinando **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  
Advocay, 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

**uniQure**

**WAVE**  
LIFE SCIENCES

**PTC**  
THERAPEUTICS

**prilenia**

Patrocini

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



Partners

## 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



Patrocini

Silver Sponsor

Friendly Sponsor