

Annual Conference LIRH 2023

Saturday, Dec 2nd

Centro Congressi
Roma Eventi
SALA LOYOLA
Piazza della Pilotta, 4



New Hopes from Huntington's disease Clinical Research

Program



10.00 - 10.45

Clinical trials update session

Barbara D'Alessio
President and CEO at LIRH Foundation

Umberto Sabatini
Full professor of Neuroradiology
Department of Medical and Surgical Sciences,
University Magna Graecia Head of Neuroradiology
Unit, Mater Domini Hospital Catanzaro

Ferdinando Squitieri, MD, PhD, Neurologist
Co-Founder & CSO Fondazione Lega Italiana Ricerca
Huntington; Head of Huntington Unit IRCCS Casa
Sollievo Sofferenza

10.45 - 12.30

New Hopes

- ▶ The Pivot-HD study: **Toon Van Gool** - Executive Director, Head of Commercial Development at PTC Therapeutics; question from a patient/caregiver
- ▶ The HD GeneTRX1 study: **David Margolin** -VP of Clinical Development at uniQure; question from a patient/caregiver
- ▶ The Proof-HD study: **Andrés Cruz-Herranz** - Director, Clinical Development at Prilenia; question from a patient/caregiver

12.30 - 13.00

Renewed hopes

- ▶ The Select HD Study: **Asela Bandara**, Sr. Director Clinical Development at Wave Life Science; question from a patient/caregiver
- ▶ The Generation HD2 study: **Lauren Boak**, Lifecycle Leader, Neurosciences and Rare Diseases, Global Product Strategy at Roche; question from a patient/caregiver

13.00-13.30

Q&A, Final Discussion and Conclusions

13.30-14.30

Lunch

14.30 - 16.30

HD Associations Session

This session will be mainly focused on young people involvement in clinical trials and disease management.

With: **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; **Barbara D'Alessio**, President, Fondazione LIRH



Patrocini



Gold Sponsor



Silver Sponsor



Friendly Sponsor

Convegno Annuale LIRH 2023

Sabato, 2 Dicembre

Centro Congressi
Roma Eventi
SALA LOYOLA
Piazza della Pilotta, 4



Nuove Speranze dalla Ricerca Clinica sulla malattia di Huntington

Agenda



Partners

10.00 - 10.45

Sessione sugli studi clinici

Barbara D'Alessio

Presidente e Direttore Esecutivo Fondazione LIRH

Umberto Sabatini

Professore Ordinario di Neuroradiologia
Dipartimento di Scienze Mediche e Chirurgiche,
Università degli Studi Magna Graecia - Direttore
U.O.C. Neuroradiologia, Azienda Ospedaliero -
Universitaria Mater Domini, Catanzaro

Ferdinando Squitieri, MD, PhD, Neurologo
Co-Fondatore e Direttore Scientifico Fondazione
LIRH; Responsabile Unità Huntington e Malattie
Rare IRCCS Casa Sollievo della Sofferenza (CSS)

10.45 - 12.30

Speranze nuove

- ▶ Lo studio Pivot-HD: **Toon Van Gool**, Executive Director, Head of Commercial Development, PTC Therapeutics; domanda da un paziente/caregiver
- ▶ Lo Studio HD GeneTRX1: **David Margolin**, VP Clinical Development; domanda da un paziente/caregiver
- ▶ Lo studio Proof-HD: **Andrés Cruz-Herranz**, Director Clinical Development, Prilenia; domanda da un paziente/caregiver

12.30 - 13.00

Speranze rinnovate

- ▶ Lo studio Select HD: **Asela Bandara**, Sr. Director Clinical Development, Wave Life Science; domanda da un paziente/caregiver
- ▶ Lo studio Generation HD2: **Lauren Boak**, Lifecycle Leader, Neurosciences and Rare Diseases, Global Product Strategy, Roche; domanda da un paziente/caregiver

13.00 - 13.30

Domande e Risposte, Discussione finale e conclusioni

13.30 - 14.30

Pausa pranzo

14.30 - 16.30

Sessione con le Associazioni della Fondazione LIRH

Questa sessione sarà incentrata soprattutto sul coinvolgimento delle persone più giovani nei programmi di ricerca e sulla gestione della malattia.

Con: **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; **Barbara D'Alessio**, Presidente Fondazione LIRH



Patrocini



Gold Sponsor



Silver Sponsor



Friendly Sponsor