

# I confini della ricerca sulla Malattia di Huntington.

Dalle scoperte iniziali ai risultati sperimentali.



Sabato 3 Dicembre 2016  
Istituto Leonarda Vaccari - Viale Angelico 22, Roma

In occasione della Giornata Internazionale delle Persone con Disabilità  
l'Istituto Leonarda Vaccari si apre alla comunità dei pazienti  
con malattia di Huntington

Ore 10.00 - 14.00

## Saluti di Benvenuto

**Saveria Dandini de Sylva**

Presidente Istituto Leonarda Vaccari per la Riabilitazione, l'Integrazione e l'Inserimento delle Persone con Disabilità

## Moderano

**Ilaria Ciancaleoni Bartoli**

Direttore Osservatorio Malattie Rare

**Umberto Sabatini**

Professore Associato di Neuroradiologia, Università Magna Grecia di Catanzaro

## Le sperimentazioni farmacologiche e osservazionali in corso nel mondo

**Ferdinando Squitieri**

Responsabile Unità Ricerca e Cura Huntington e Malattie Rare IRCCS Casa Sollievo della Sofferenza di San Giovanni Rotondo, Responsabile Neurologia Istituto Mendel di Roma, Direttore Scientifico Fondazione LIRH onlus

## Gene Silencing - Il primo tentativo di 'spegnere' il gene malato

**Blair R. Leavitt**

Professor, Department of Medical Genetics and Division of Neurology, Department of Medicine - Senior Scientist, Centre for Molecular Medicine and Therapeutics (CMMT), The University of British Columbia, Canada

## Perché investire nella ricerca su una malattia rara

**Ralph Laufer, PhD**

Discovery & Product Development, Global R&D TEVA, Israele

## Domande e risposte

14.00-15.00 Light Lunch

Ore 15.00 - 16.00

## Testimonianze

**Maurizio Stumpo**

Neurologo, Istituto per la Sicurezza Sociale, Repubblica di San Marino

**Mohammed Al-Hajri**

Presidente della Oman Huntington Disease Association, Sultanato dell'Oman

## Aggiornamenti sulle iniziative nazionali e internazionali della Fondazione LIRH onlus e di EHA (European Huntington Association)

**Barbara D'Alessio**

VP e Responsabile Comunicazione, Marketing e Sviluppo Fondazione LIRH onlus,  
VP EHA (European Huntington Association)

## Domande e risposte

## Conclusioni

Con il patrocinio di:



Ministero della Salute



Consiglio Nazionale delle Ricerche



Assessorato alla Persona, Scuola e Comunità Solidale



REGIONE LAZIO



EUROPEAN HUNTINGTON'S DISEASE NETWORK



European Huntington Association



OSSERVATORIOMALATTIERARE



CASA SOLLIEVO DELLA SOFFERENZA  
SAN GIOVANNI ROTONDO

Con il contributo di:



Pfizer



Integrative Research Laboratories

Uno speciale ringraziamento a:



Istituto Leonarda Vaccari



Enroll-HD