



# NAKSE

**Gemeinsam besser versorgen**

Eine Konferenz der Allianz Chronischer Seltener Erkrankungen (ACHSE) e. V. in Kooperation mit den Zentren für Seltene Erkrankungen

**26. – 27. September 2019**

Holiday Inn Berlin Airport  
Conference Centre

**#NAKSE2019**

**Sehr geehrte Damen und Herren,**

4 Millionen Kinder und Erwachsene in Deutschland leben mit chronischen seltenen Erkrankungen. Sie erleben häufig eine jahrelange vergebliche Suche nach der richtigen Diagnose, einen eklatanten Mangel an Experten für die jeweilige Krankheit sowie unzureichende Therapiemöglichkeiten, fast immer ohne Aussicht auf Heilung. Doch wie sieht eine adäquate Versorgung für Menschen mit Seltene Erkrankungen heute aus und wie kann sie gelingen, damit Betroffene länger und besser leben können? Dieser Frage wollen wir in unserer Nationalen Konferenz zu Seltene Erkrankungen auf den Grund gehen.

Wir laden Sie ein, sich über das Thema Seltene Erkrankungen zu informieren und mit den Experten aus Medizin, Forschung und Selbsthilfe sowie Vertretern aus Selbstverwaltung und Politik:

- ins Gespräch zu kommen und sich zu vernetzen.
- über Maßnahmen zu diskutieren, die die Versorgung von Betroffenen verbessern.
- deren mögliche Umsetzung zu beraten.
- aktiv zu werden.

**Nur wenn sich Patientenvertreter, Pflegekräfte, Haus- und Fachärzte, Forscher, Informatiker, Sozialarbeiter, Psychologen, Politiker sowie Kliniken, Krankenkassen und Industrie vernetzen, ihre Expertise teilen, Wissen austauschen und Veränderungen herbeiführen, können wir gemeinsam Fortschritte erzielen.**

**Werden Sie Impulsgeber auf unserer Nationalen Konferenz zu Seltene Erkrankungen.**

Wir freuen uns auf Sie.

**Mirjam Mann**, Geschäftsführerin ACHSE e. V.  
**Holm Graebner**, Geschäftsführer ZSE Tübingen

11:00 – 11:15 | **Eröffnung** durch

**Dr. Jörg Richstein**, ACHSE und **Dr. med. Cornelia Zeidler**, AG Zentren für Seltene Erkrankungen (AG ZSE)

11:15 – 11:25 | **Grußwort**

**Eva Luise Köhler**, Schirmherrin der ACHSE

11:25 – 11:40 | **Impulsvortrag**

**Sabine Weiss**, Parlamentarische Staatssekretärin beim Bundesminister für Gesundheit

11:40 – 11:55 |

**Folker Quack**, **Birgit Hardt** und **Dario**, von Tay-Sachs und Sandhoff betroffene Familie / Hand in Hand gegen Tay-Sachs und Sandhoff in Deutschland e. V.

11:55 – 12:10 |

**Dr. Jörg Richstein** (ACHSE): Politisches Statement der ACHSE

12:10 – 12:30 |

**Yann le Cam** (EURORDIS): A European vision for better healthcare for people with rare diseases

12:30 – 13:30 | **Podiumsdiskussion**

- **Sabine Weiss**, Parlamentarische Staatssekretärin beim Bundesminister für Gesundheit, CDU
- **Sabine Dittmar**, MdB, SPD
- **Dr. Kirsten Kappert-Gonther**, MdB, Bündnis 90/Die Grünen
- **Mirjam Mann**, ACHSE
- **Prof. Dr. Annette Grüters-Kieslich**, Universitätsklinikum Heidelberg
- **Dr. Doris Pfeiffer**, GKV Spitzenverband

13:30 – 15:00 | **Mittagessen – Posterausstellung**

15:00 – 15:15 | **Warum ist die Diagnosestellung so wichtig?**

**Sandra Mösche**, Elterninitiative Apert-Syndrom und verwandte Fehlbildungen e. V. (EAS)

15:15 – 15:30 | **Etablierte Diagnosewege der Innovationsfondsprojekte TRANSLATE-NAMSE und ZSE-DUO**

**Prof. Dr. Heiko Krude**, Berliner Centrum für Seltene Erkrankungen (BCSE)

15:30 – 15:45 | **Interdisziplinäre Sprechstunde für Patienten ohne Diagnose (InterPoD)**

**Dr. Christiane Stieber**, Zentrum für Seltene Erkrankungen Bonn

15:45 – 16:00 | **Pädiatrische Patienten ohne Diagnose – Stand der Exomdiagnostik**

**Prof. Dr. Stefan Mundlos**, Charité Berlin

16:00 – 16:15 | **Find Zebra, Dr. Google, Big Data – Wie kann die Digitalisierung bei der Diagnostik Seltener Erkrankungen helfen?**

**Dr. Tobias Müller**, Zentrum für unerkannte und seltene Erkrankungen (ZusE), Universitätsklinikum Marburg

16:15 – 17:00 | **Kaffeepause**

17:00 – 17:15 | **„Genome First“ Diagnostik in der Regelversorgung – Ist das die Zukunft?**

**Prof. Dr. Olaf Rieß**, Universitätsklinikum Tübingen

17:15 – 17:30 | **Chancen der Medizininformatik-Initiative für Patienten mit Seltene Erkrankungen**

**Sebastian C. Semler**, TMF – Technologie- und Methodenplattform für die vernetzte medizinische Forschung e. V.

17:30 – 18:30 | **Diskussionsrunde: Was muss sich verbessern, damit der Weg zur Diagnose in Zukunft kürzer wird?**

- **Sandra Mösche**, EAS
- **Prof. Dr. med. Heiko Krude**, BCSE
- **Prof. Dr. med. Olaf Rieß**, Universitätsklinikum Tübingen
- **PD Dr. med. Martin Mücke**, ZSE Bonn und niedergelassener Arzt

19.30 Uhr | **Empfang und Abendessen 15 Jahre ACHSE**

„Wir geben den Seltenen eine Stimme.“



## Freitag, 27. September 2019

### Themenblock 2 – Zugang zu guten Arzneimitteln

09:00 – 09:15 | **Gute Arzneimittel aus Sicht von Patienten mit Seltene Erkrankungen am Beispiel der Mukoviszidose: Bedürfnisse, Mitwirkung, Zugang und Preise**  
Stephan Kruip, Mukoviszidose e. V.

09:15 – 09:30 | **Zulassung von Orphan Drugs**  
Dr. Frauke Naumann-Winter, Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte

09:30 – 09:45 | **Evidenzanforderung für die Nutzenbewertung: Warum bedarf es einer Datenerhebung nach Marktzugang?**  
Dr. Antje Behring, Gemeinsamer Bundesausschuss

09:45 – 10:00 | **Datenerhebung nach Zulassung – Chancen und Herausforderungen aus Sicht der Industrie**  
Martina Ochel, Sanofi-Aventis

10:00 – 10:15 | **Ist der Zugang zu Orphan Drugs für Patienten in Deutschland in Gefahr?**  
Mirjam Mann, ACHSE

10:15 – 10:30 | **Innovativität und Bezahlbarkeit: Wo geht die Reise hin und wer hält die Balance?!**  
PD Dr. Thorsten Wolf, Pronova BKK

10:30 – 11:00 | **Diskussionsrunde: Wie stellen wir sicher, dass gute Arzneimittel entwickelt werden?**

- Stephan Kruip, Mukoviszidose e. V.
- Tina Taube, Verband der forschenden Pharma-Unternehmen in Deutschland
- Mirjam Mann, ACHSE
- Dr. Frauke Naumann-Winter, Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte
- Dr. Antje Behring, Gemeinsamer Bundesausschuss
- PD Dr. Thorsten Wolf, Pronova BKK

11:00 – 11:30 | **Kaffeepause**

Gebärden- und Schriftdolmetscher sind angefragt.

### Themenblock 3 – Zentren

11:30 – 11:45 | **Vision für eine vernetzte Versorgung**  
Anke Widenmann-Grolig, KEKS e. V.

11:45 – 12:00 | **Das NAMSE-Zentrenmodell – Ziele, Kriterien, Zertifizierung**  
Dr. Miriam Schlangen, Nationales Aktionsbündnis für Menschen mit Seltene Erkrankungen

12:00 – 12:15 | **Was leisten die Zentren für Seltene Erkrankungen zurzeit?**  
Prof. Dr. Helge Hebestreit, ZSE Würzburg

12:15 – 12:30 | **Europäische Referenznetzwerke (ERN) – Mehrwert für die Versorgung der Patienten mit Seltene Erkrankungen in Deutschland**  
Dr. Holm Graebner, ZSE Tübingen

12:30 – 12:45 | **Kodieren von Seltene Erkrankungen – Chancen und Herausforderungen für Versorgung und Epidemiologie**  
Dr. Stefanie Weber, Deutsche Institut für Medizinische Dokumentation und Information

12:45 – 13:00 | **Der se-atlas – Eine Plattform zur Darstellung von Zentren, Experten und Selbsthilfe**  
Johanna Schäfer, Medical Informatics Group, Universitätsklinikum Frankfurt

13.00 – 14:00 | **Mittagspause**

14:00 – 14:15 | **Hat die Ambulante Spezialfachärztliche Versorgung (ASV) für Seltene noch eine Zukunft oder was müsste sich ändern?**  
Sonja Froschauer, Bundesverband ambulante spezialfachärztliche Versorgung e. V.

14:15 – 14:30 | **Welche Möglichkeiten der Finanzierung gibt es – Chancen und Herausforderungen?**  
Ralf Heyder, Verband der Universitätsklinika Deutschlands

14:30- 14:45 | **Wie kann die Finanzierung der Zentren sichergestellt werden?**  
Johannes Wolff, GKV Spitzenverband

14:45 – 15:30 | **Diskussionsrunde – Wie wird Qualität finanziert?**

- Anke Widenmann-Grolig, KEKS e. V.
- Ralf Heyder, Verband der Universitätsklinika Deutschlands (VUD)
- Geske Wehr, ACHSE
- Johannes Wolff, GKV Spitzenverband
- Sonja Froschauer, Bundesverband ambulante spezialfachärztliche Versorgung e. V.

## Organisatorisches

Teilnahmegebühr für zwei Tage inkl. Verpflegung – 150 Euro pro Person. Für je einen Vertreter einer Mitgliedsorganisation der ACHSE ist der Eintritt frei.

Bei der Landesärztekammer Berlin sind 7 CME-Punkte beantragt.

Bitte melden Sie sich an unter:

<https://eveeno.com/Konferenz-Seltene-Erkrankungen>

Kinderbetreuung während der Konferenz vor Ort geplant. Bedarfsabfrage über Registrierungsportal.



## Posterausstellung

Sie arbeiten an innovativen Projekten und Studien oder möchten Ihre Erfolge im Bereich der Seltene Erkrankungen einem breiten Publikum vorstellen? Bewerben Sie sich um einen Platz in der Posterausstellung, die während der gesamten Konferenz zugänglich sein wird. Das Poster mit dem innovativsten Konzept wird von der Programmkommission prämiert. Bitte bewerben Sie sich mit einem Abstract bis einschließlich 9. August 2019. Details und Anmeldung unter:

<https://eveeno.com/Konferenz-Seltene-Erkrankungen-Poster>

## Tagungsort

Holiday Inn Berlin Airport  
Conference Centre  
Hans-Grade-Allee 5  
Schönefeld bei Berlin  
12529 Berlin



Es gibt einen Bus-Shuttle vom S-Bahnhof Schönefeld zum Konferenzort.

## Bitte reservieren Sie Ihr Zimmer selbst:

Wir haben im Konferenzhotel bis 30. Juni 2019 ein begrenztes Kontingent an Zimmern zu Sonderkonditionen unter dem Stichwort NAKSE2019 geblockt. Über das Registrierungsportal der Konferenz gelangen Sie zu der Reservierungsseite des Hotels.

## Weitere Hotels in der Nähe:

IntercityHotel Berlin-Brandenburg Airport  
Albergo Hotel Berlin  
MEININGER Hotel Berlin Flughafen

## Wir danken

Die Durchführung der NAKSE wird ermöglicht durch:

die Förderung von



Stiftung  
Universitätsmedizin  
Aachen

und das Sponsoring von



AstraZeneca

NAKSE ist eine Konferenz der



in Kooperation mit den Zentren  
für Seltene Erkrankungen.

Der Beitrag der Zentren für  
Seltene Erkrankungen wurde  
koordiniert vom

