



NAKSE

Gemeinsam Fortschritt erreichen

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

18. – 19. September 2025

Holiday Inn Berlin Airport
Conference Centre
sowie online auf achse.live

Sehr geehrte Damen und Herren,

werde ich mit meiner Seltene Erkrankung in Zukunft gut leben können? Werden es unsere erkrankten Kinder einmal besser haben? Was bedeuten die aktuellen Fortschritte für Patientinnen und Patienten? Und welche Maßnahmen können schon heute deren Lebensqualität verbessern, während weiterhin nach neuen Therapien geforscht wird?

Diese Fragen stehen im Mittelpunkt der diesjährigen Nationalen Konferenz zu Seltene Erkrankungen (NAKSE). Die enormen Fortschritte in Medizin und Wissenschaft der letzten Jahre versprechen neue Möglichkeiten für Menschen mit Seltene Erkrankungen. Gemeinsam wollen wir erkunden, wie diese Erkenntnisse unser Leben beeinflussen und wie wir aktiv dazu beitragen können, die Entwicklungen schneller für die Betroffenen nutzbar zu machen.

Im Rahmen der NAKSE bringen wir Expertinnen und Experten aus Selbsthilfe, Medizin und Wissenschaft sowie Politik und Gesundheitswesen zusammen – unter ihnen Prof. Hildegard Büning (MHH), Prof. Harald Schmidt (Maastricht) und Dr. Thomas Kaiser vom IQWiG.

Die Konferenz widmet sich zentralen Themen wie dem Drug Repurposing (Nutzung bewährter Medikamente für weitere Krankheiten) für Seltene Erkrankungen, dem Zugang zu klinischen Studien sowie den Herausforderungen und Hoffnungen der Betroffenen. Diskutiert wird, welche Möglichkeiten die aktuellen Fortschritte für die Zukunft der Patienten bedeuten und welche Maßnahmen bereits jetzt ihre Lebensqualität verbessern können – während weiterhin nach neuen Therapien geforscht wird.

Geske Wehr, Vorsitzende ACHSE e. V.

Prof. Dr. Helge Hebestreit, Sprecher der AG ZSE

#NAKSE

Donnerstag, 18. September 2025

Moderation: Jürgen Zurheide

10:00 – 10:15 | **Eröffnung** durch

Geske Wehr, Vorsitzende ACHSE e.V.

Prof. Dr. Helge Hebestreit, Sprecher der AG ZSE

10:15 – 11:00 | **Werden es unsere Kinder besser haben?**

Gespräch mit Betroffenen verschiedener Generationen

Paulina Kremser

Andreas Funke-Reuter

Karsten Funke-Steinberg

11:00 – 11:20 | **Neue Entwicklungen in der Medizin: Dürfen wir auf Heilung hoffen?**

Prof. Dr. Hildegard Büning, Medizinische Hochschule Hannover

11:20 – 12:20 | **Podiumsdiskussion „Patienten als Partner der Wissenschaft – Gemeinsam mehr erreichen!“** mit

Claudia Finis, Deutsche Gesellschaft für Osteogenesis imperfecta (Glasknochen) Betroffene e.V.

Nadine Grossmann, Förderverein für Fibrodysplasia Ossificans Progressiva Erkrankte e.V. (FOP e.V.)

Prof. Dr. Hildegard Büning, Medizinische Hochschule Hannover

Prof. Dr. Rebecca Schüle, Universität Heidelberg

Prof. Dr. Veronika von Messling, Bundesministerium für Forschung, Technologie und Raumfahrt

12:20 – 12:30 | **20 Jahre Stimme für die Seltenen:** Gespräch mit Eva Luise Köhler über Hoffnungen auf Fortschritt und zukünftige Herausforderungen

12:30 – 14:00 | **Mittagessen**

Themenblock 1 – Gen- und Zelltherapien

Moderation: Dr. Holm Graebner, ZSE Tübingen

14:00 – 14:15 | **Gen- und Zelltherapien als Hoffnung in der Behandlung Seltener Erkrankungen**

Dr. Andreas Ziegler, Universitätsklinikum Heidelberg

14:15 – 14:30 | **Leben mit CAR-T-Zellen-Therapie**

Thu Thao Vu Thi, Patientin

14:30 – 14:45 | **FAIR-DMD – ein neutrales Fachgesellschaftsregister für Muskeldystrophie Duchenne mit paritätischer Beteiligung der Industrie**

Dr. Lena Beilschmidt, Roche Pharma AG

Prof. Dr. Ulrike Schara-Schmidt, Universitätsklinik Essen, Universitätsmedizin Essen

14:45 – 15:30 | **Podiumsdiskussion** mit

Dr. Andreas Ziegler, Universitätsklinikum Heidelberg

Thu Thao Vu Thi, Patientin

Dr. Lena Beilschmidt, Roche Pharma AG

Prof. Dr. Ulrike Schara-Schmidt, Universitätsklinik Essen, Universitätsmedizin Essen

Dr. Andreas Rhode, Medizinischer Dienst Westfalen-Lippe

15:30 – 16:00 | **Kaffeepause**

16:00 – 16:15 | **Verleihung des Posterpreises**

16:15 – 16:30 | **Vortrag der Posterpreisgewinner**

16:30 – 17:30 | **Kurzpräsentationen und Gesprächsrunde** mit Vertreter:innen der fünf besten Poster

17:30 | **Postersession** mit Abendessen und Getränken

Freitag, 19. September 2025

Themenblock 2 – Arzneimittelentwicklung: Fortschritt fördern, Wissen stärken

Moderation: **Dr. Christine Mundlos**, ACHSE e.V.

09:00 – 09:15 | Wie komme ich in eine (passende) klinische Studie?

Florian Innig, ACHSE e.V.

09:15 – 09:30 | Zwischen Hoffnung und Enttäuschung: Erfahrungen aus der Teilnahme an einer medizinischen Studie

Antonia Waszczuk, Betroffene Mutter

Christoph Kuschidlo, Betroffener Vater

09:30 – 09:45 | BMBF Forschungsverbände für Seltene Erkrankungen – Mehrwert für die Patientenversorgung

Prof. Dr. Frank Leyboldt, Universitätsklinikum Schleswig-Holstein

09:45 – 10:00 | Wie IITs zu Seltenen Erkrankungen zu mehr Fortschritt beitragen könnten

Prof. Dr. Roman Müller, Universitätsklinikum Köln

10:00 – 10:30 | Hoffnung auf Therapie: Chancen des Repurposings

Prof. Dr. Harald Schmidt, Universität Maastricht

10:30 – 11:00 | Kaffeepause

Moderation: **Mirjam Mann**, ACHSE e.V.

11:00-11:30 | Der Einfluss der EU auf die Arzneimittelversorgung in Deutschland

Impulse von:

Dr. Norbert Gerbsch, IGES Institut

Dr. Thomas Kaiser, Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG)

Florian Innig, ACHSE e.V.

11:30-12:30 | Podiumsdiskussion mit

Dr. Norbert Gerbsch, IGES Institut

Dr. Thomas Kaiser, Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG)

Florian Innig, ACHSE e.V.

Dr. Matthias Wilken, Bundesverband der Pharmazeutischen Industrie (BPI)

12:30 – 14:00 | Mittagessen

Themenblock 3 – Mehr Lebensqualität durch Case Management?

Moderation: **Frederike Gramm**

14:00 – 14:15 | Wirkungsweisen durch Care und Case Management

Prof. Dr. Stefan Schmidt, Deutsche Gesellschaft für Care und Case Management e.V. (DGCC)

14:15 – 15:45 | Podiumsdiskussion mit

Stefan Schwartz, MdB, Patientenbeauftragter der Bundesregierung

Nicole Heider, ACHSE e.V.

Vanessa Dreibrodt, Stiftung Deutsche Schlaganfall-Hilfe

Prof. Dr. Stefan Schmidt, Deutsche Gesellschaft für Care und Case Management e.V. (DGCC)

Prof. Dr. Helge Hebestreit, Universitätsklinikum Würzburg

Gabriele Keßler, RETT Deutschland e.V.

15:45 – 16:00 | Abschlussrunde

Mirjam Mann, ACHSE e.V. und **Dr. Holm Graebner**, ZSE im Gespräch mit

Prof. Dr. Helge Hebestreit, Universitätsklinikum Würzburg

Geske Wehr, Vorsitzende ACHSE e.V.

Julia Knierim, Takeda Pharma Vertrieb GmbH & Co. KG

Tobias Hagedorn, Deutsche Interessengemeinschaft Phenylketonurie (DIG PKU) e.V.

Organisatorisches

Die NAKSE 2025 findet live in Berlin sowie **online auf achse.live** statt.

Tagungsort

Holiday Inn Berlin Airport Conference Centre

Hans-Grade-Allee 5

Schönefeld bei Berlin

12529 Berlin



Die LÄK Brandenburg vergibt pro Tag je 6 Fortbildungspunkte.

Die Registrierung beruflich Pflegenden vergibt 14 Punkte für die Teilnahme an beiden Konferenztagen. Für die Teilnahme an einem Konferenztag gibt es 7 Punkte.

Anmeldung

Bitte melden Sie sich an unter:
<https://eveeno.com/nakse2025>



Bitte reservieren Sie Ihr Zimmer selbst:

Wir haben im Konferenzhotel bis 17. August 2025 ein begrenztes Kontingent an Zimmern zu Sonderkonditionen unter dem Stichwort **NAKSE2025** geblockt. Über das Registrierungsportal der Konferenz gelangen Sie zu der Reservierungsseite des Hotels.

Weitere Hotels in der Nähe:

InterCityHotel Berlin-Brandenburg Airport,
MEININGER Hotel Berlin Flughafen

Wir freuen uns auf Ihre zahlreiche Teilnahme!

Bleiben Sie informiert: **#NAKSE**



Kontakt Organisationsteam

ACHSE e.V.

Telefon: 030-330 07 08-0

E-Mail: nakse@achse-online.de

Wir danken

Die Durchführung der NAKSE wird ermöglicht durch das Sponsoring von



Wir danken der Aktion Mensch für die Förderung der Gebärdens- und Schriftdolmetscherinnen sowie -dolmetscher.



Wir danken der DRK-Schwesternschaft Berlin e. V. für ihre Unterstützung.



NAKSE ist ein Veranstaltungsformat der



in Kooperation mit den Zentren für Seltene Erkrankungen (ZSE). Der Beitrag der ZSE wird koordiniert vom ZSE Tübingen.

