



13. Österreichischer Kongress für Seltene Erkrankungen

6.-7. Oktober 2023, Josephinum Wien



Hoffnung

Der Blick in die Zukunft:
Gentherapien für Seltene Erkrankungen
im Brennpunkt



Willkommen

Sehr geehrte Damen und Herren,
liebe Kolleginnen und Kollegen,
liebe Patientinnen, Patienten und Angehörige!

Im Namen des Vereins Forum Seltene Krankheiten dürfen wir Sie herzlich zum 13. Österreichischen Kongress für Seltene Erkrankungen im Josephinum Wien, Freitag, 06.10. – Samstag, 7.10.2023 willkommen heißen!

Wir freuen uns sehr, uns in diesem Jahr zum 4. Mal in den letzten 13 Jahren in Wien zu versammeln, um im Jahre 2023 über die neuesten Entwicklungen und Fortschritte im Bereich der Gentherapien für Seltene Erkrankungen zu diskutieren.

Das Motto unseres Kongresses “Hoffnung – Der Blick in die Zukunft” spiegelt unsere Überzeugung wider, dass wir durch Zusammenarbeit, Austausch und Fortschritt auf dem Gebiet der Gentherapien eine positive Zukunft für Menschen mit Seltene Krankheiten schaffen können.

Wir sind stolz darauf, eine hochkarätige Liste von Referentinnen und Referenten begrüßen zu dürfen, die ihre Kompetenz, Forschungsergebnisse und Erfahrungen mit uns teilen werden. Die neuesten Gentherapien wie zum Beispiel bei schwerer Hämophilie A, Leber´sche Hereditärer Optikusatrophie, erblicher Netzhautdystrophie, und äquivalente neuartige Therapien (Advanced Therapy Medicinal Products, ATMPs) bzw. Therapieansätze betreffend Hautkrankheiten, Porphyrien und weiterer hämatologischer Erkrankungen werden präsentiert. Auch speziell im pädiatrischen Bereich sind Gen- und alternative ATMPs erfolgreich mit bemerkenswerten Ergebnissen angewendet, wie z.B. bei Aromatischem L-Aminosäure-Decarboxylase (AADC) Mangel, Spinaler Muskelatrophie, metachromatischer Leukodystrophie und schweren angeborenen Immundefekten (SCID).

Für uns als Organisationsteam ist es besonders wichtig, die Betroffenen und deren Familien aktiv einzubeziehen und ihre Erfahrungen mit diesen revolutionären Therapien aus erster Hand zu hören. Wir haben unser Bestes getan, sie zu den Vorträgen einzuladen, um ihre Odyssee und ihre hoffnungsbringenden Erfolgsgeschichten zu erleben.



Willkommen

Zusätzlich planen wir interessante Diskussionspanels, die unter anderem auch die Kostenübernahme teurer Behandlungsoptionen und weiterer Versorgungsmöglichkeiten österreichweit behandeln sollen. Nicht zu kurz sollen auch diejenigen Patientinnen- und Patientengruppen kommen, für die derzeit noch keine Gentherapien oder ursächliche Alternativtherapien in Sicht sind.

Wir sind zuversichtlich, dass dieser Kongress eine wichtige Plattform für neue Ideen, neue Beziehungen und neue Partnerschaften sein wird.

Wir hoffen, dass Ihnen das von uns gestaltete Programm zusagt und bedanken uns bereits vorab für Ihren Besuch, die Zusammenarbeit sowie die rege Unterstützung!

Ein weiterer hoffnungsbringender Meilenstein wird gesetzt!

Herzliche Grüße,



Susanne Greber-Platzer
Univ. Prof. Drin., MBA
Leiterin der Universitätsklinik
für Kinder-/ Jugendheilkunde



Vassiliki Konstantopoulou
Dr.ⁱⁿ, Pädiatrische Metabolische Medizin
Medizinische Leiterin des
Österreichischen Neugeborenen Screenings



Ulrike Holzer
Obfrau Vorstand Pro Rare Austria



Programm

Freitag, 6. Oktober 2023

08:30 – 08:50

Begrüßung

Christiane Druml (Wien), Susanne Greber-Platzer (Wien),
Markus Müller (Wien)

08:50 – 09:45

Eröffnungsvortrag

Vorsitz: Julia Vodopiutz (Wien)

Alles was Sie über Gentherapie wissen wollten

Kaan Boztug (Wien)

09:45 – 12:00

Sitzung 1: Gentherapie – „game changer“ bei Seltene Erkrankungen? Allround Sicht

Vorsitz: Katharina Thom (Wien), Berthold Pemp (Wien)

Gentherapie für Patienten mit Hämophilie A (Roctavian): Anwendung und Erfolge

Wolfgang Miesbach (Frankfurt)

10:15 – 10:45

Pause

Rare eye diseases: advanced Therapie am Beispiel der er- blichen Retinopathien

Markus Ritter (Wien)

Seltene Erkrankungen der Haut – Gentherapie und mehr

Georg Stary (Wien)

Patientenvortrag

N.N.

12:00 – 13:30

Mittagspause

Lunchsymposium

Meet the Experts Eye



Programm

Freitag, 6. Oktober 2023

13:30 – 15:00 **Sitzung 2: Gentherapie und neuartige Therapien (Advanced Therapy Medicinal Products, ATMPs)**

Vorsitz: Miriam Hufgard-Leitner (Wien)

Neue Therapiemöglichkeiten für die Porphyrinen – Erfahrungen eines nationalen Zentrums

Anna Minder (Zürich)

Patientenvortrag

N.N.

Patientenvortrag

N.N.

Gentherapie bei Sichelzellerkrankung

Leo Kager (Wien)

15:00 – 16:00 **Pause**

15:00 – 16:00 **Generalversammlung Forum Seltene Krankheiten**

Seminarraum

15:15 – 16:00 **Meet the Experts**

16:00 – 19:15 **Sitzung 3: Hoffnungsbringende Therapien: Gentherapie und neuartige Therapien und die Rolle des Neugeborenscreenings**

Vorsitz: Elisabeth Förster-Waldl (Wien), Maximilian Zeyda (Wien)

Gentherapie bei metachromatischer Leukodystrophie & die Rolle des Neugeborenscreenings – Neue Möglichkeiten, neue Herausforderungen

Lucia Laugwitz (Tübingen)

Patientenvortrag

N.N.



Programm

Freitag, 6. Oktober 2023

Hereditärer Adenosindesaminase-Mangel – SCID (ADA-SCID) – ein Rollenmodell für seltene Krankheiten

Fabian Hauck (München)

Patientenvortrag

N.N.

Spinale Muskelatrophie – Prognoseänderung durch die neuen Therapien

Simone Weiss (Wien)

Patientenvortrag

N.N.

Podiumsdiskussion zum Thema im Brennpunkt: **Kostenübernahme der hoffnungsbringenden neuartigen Therapien für Seltene Erkrankungen**

Moderation: Wolfgang Sperl (Salzburg)

Herwig Ostermann (Wien)

Michael Binder (Wien)

Bernhard Rupp (Wien)

Dominique Sturz (Wien)

Ronald Pichler (Wien)

Thomas Müller-Sacherer (Wien)

Barbara Plecko (Graz)

Daniela Karall (Innsbruck)

ab 19:30 **Gemeinsames Abendessen**
Restaurant KELSEN, Parlament Österreich



Programm

Samstag, 7. Oktober 2023

08:30 – 08:40 **Begrüßung**
Ulrike Holzer (Wien), Vassiliki Konstantopoulou (Wien)

08:40 – 09:25 **Sitzung 3: Hoffnungsbringende Therapien: Gentherapie und neuartige Therapien und die Rolle des Neugeborenscreenings (Fortsetzung)**
Vorsitz: Anne Roscher (Wien), Sandy Siegert (Wien)

Gentherapie für den AADC-Mangel: Theorie, Durchführung und Outcome
Thomas Opladen (Heidelberg)

Patientenvortrag
N.N.

Symposium Pro Rare Austria

09:25 – 10:05 **Session 1: Patient:innenkompetenz: Krankheitsspezifisches Management**
Vorsitz: Elisabeth Weigand (Wien), Susanne Greber-Platzer (Wien)

Krankheitsspezifisches Management: was ist noch neben Gen- und advanced Therapien wichtig?
Julia Vodopiutz (Wien)

Lessons learned am Weg zur Versorgung
Cornelia Dechant (Wien)

10:05 – 10:35 **Pause**

10:35 – 11:15 **Session 2: Patient:innenkompetenz: Psychosoziale Versorgung**

Patient:innensicht: Psychosoziale Versorgung bei seltenen Erkrankungen – Bedarf, Lücken und Herausforderungen aus der Perspektive von Betroffenen und Angehörigen
Ulrike Holzer (Wien)



Programm

Samstag, 7. Oktober 2023

Expert:innensicht: Psychosoziale Versorgung von Kindern mit Seltene Krankheiten und deren Familien – Erfahrungen aus dem klinischen Alltag

Verena Wasinger-Brandweiner (Wien)

11:15 – 12:45 Session 3: Patient:innenkompetenz: Transition

Vorsitz: Marion Herle (Wien), Elisabeth Weigand (Wien)

Patient:innensicht: Transition bei seltenen Erkrankungen in Österreich – Ergebnisse einer Befragung von betroffenen Personen, Angehörigen und medizinischem Personal im Rahmen des Projektes Booster NAP.se

Michaela Weigl (Wien)

Expert:innensicht: Vom Brückenbauen: Transition und Transfer von Patient:innen mit Seltene Erkrankungen

Miriam Hufgard-Leitner (Wien)

Podiumsdiskussion zum Thema
Transition aus der Sicht der Seltene Erkrankungen

Moderation: Caroline Culen (Wien)

Claas Röhl (Wien)

Irene Promussas (Wien)

Marion Herle (Wien)

Miriam Hufgard-Leitner (Wien)

Dorothea Möslinger (Wien)

Gabriele Hartmann (Wien)

Saskia Gruber (Wien)

Andrea Lakatos-Krepcik (Wien)

12:45 – 13:00 Abschied & Outline

Susanne Greber-Platzer (Wien), Vassiliki Konstantopoulou (Wien), Ulrike Holzer (Wien)

13:00 Ende



Kontakt

Träger des wissenschaftlichen Programms

Forum Seltene Krankheiten



Lokales Organisationskomitee

Ao.Univ.-Prof.ⁱⁿ Dr.in Susanne Greber-Platzer, MBA
Dr.ⁱⁿ Vassiliki Konstantopoulou
Ulrike Holzer



Kongressorganisation

S12! studio12 gmbh
Frau Lena Werner
Kaiser-Josef-Straße 9
6020 Innsbruck
T: +43 660 324 1126
E: lew@studio12.co.at
I: www.studio12.co.at



Tagungsort

Medizinische Universität Wien
Josephinum
Währinger Straße 25
1090 Wien

Website

www.forum-sk.congresspilot.com