



# NAKSE

**Gemeinsam Fortschritt erreichen**

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

**28. – 29. September 2023**

Holiday Inn Berlin Airport  
Conference Centre  
sowie online auf [achse.live](https://achse.live)

**Sehr geehrte Damen und Herren,**

die Corona-Pandemie hat der Gesellschaft, dem Staat und der gesetzlichen Krankenversicherung große Anstrengungen abverlangt. Die schlechter werdende finanzielle Lage der Gesetzlichen Krankenversicherung sollte durch das GKV-Finanzstabilisierungsgesetz gelindert werden, hat aber auch für sehr viel Unmut gesorgt. Statt wirtschaftlicher Erholung, war das Jahr 2022 zudem durch den Krieg in der Ukraine, die Energiekrise und die Inflation gekennzeichnet. All dies verunsichert die Gemeinschaft der Seltenen, deren Belastungen in keiner Weise kleiner geworden sind.

Wie können wir vor diesem Hintergrund Menschen mit Seltenen Erkrankungen dennoch gut unterstützen sowie bestmöglich versorgen, während wir sicherstellen, dass sie auch vom wissenschaftlichen Fortschritt profitieren? Dies wollen wir gemeinsam mit Ihnen diskutieren: auf der NAKSE 2023 – Gemeinsam Fortschritt erreichen.

In unserer 3. Nationalen Konferenz zu Seltenen Erkrankungen (NAKSE), die die ACHSE in Kooperation mit den Zentren für Seltene Erkrankungen organisiert, bringen wir engagierte Expertinnen und Experten aus der Selbsthilfe, Medizin und Wissenschaft sowie aus der Politik und dem Gesundheitswesen zusammen, sowohl auf der Bühne als auch im Saal bzw. online. Gemeinsam werden wir nach Lösungen für eine bessere Zukunft, nach Wegen für Fortschritt suchen.

Machen Sie mit? Wir freuen uns auf Sie!

**Mirjam Mann**, Geschäftsführerin ACHSE e.V.

**Dr. Holm Graebner**, Geschäftsführer ZSE Tübingen

**#NAKSE**

**Donnerstag, 28. September 2023**

10:00 – 10:05 | **Eröffnungsfilm**

10:05 – 10:15 | **Eröffnung** durch

Mirjam Mann, ACHSE e.V.

Dr. Holm Graebner, ZSE Tübingen

Moderation: Jörg Thadeusz

10:15 – 10:20 | **Grußwort**

Eva Luise Köhler, Schirmherrin ACHSE e.V.

10:20 – 10:35 | **Wie die Bundesregierung Menschen mit Seltene  
Erkrankungen auch in Zeiten größerer Unsicherheit unterstützen wird**

Bundesgesundheitsminister Prof. Dr. Karl Lauterbach

10:35 – 10:50 | **Was bedeutet „ausreichende Versorgung“ für  
Menschen mit Seltene Erkrankungen?**

Stephan Kruip, Mukoviszidose e.V., Mitglied des Ethikrats

10:50 – 11:05 | **„Ausreichende Versorgung“ – eine persönliche  
Erfahrung**

Anna Wiegandt, Selbsthilfe Ichthyose e.V.

11:05 – 12:30 | **Podiumsdiskussion** mit

Stephan Kruip, Mukoviszidose e.V., Mitglied des Ethikrats

Prof. Dr. Helge Hebestreit, Universitätsklinikum Würzburg

Geske Wehr, Vorsitzende ACHSE e.V.

Franz Knieps, Vorstandsvorsitzender des BKK Dachverband e.V.

Tino Sorge, MdB CDU

Martina Stamm-Fibich, MdB SPD

12:30 – 14:00 | **Mittagessen**

## **Themenblock 1 – Orphan Drugs**

Moderation: Dr. Wolfgang van den Bergh

14:00 – 14:15 | **Film: Wir brauchen Arzneimittel!**

14:15 – 14:25 | **Orphan Drugs: Was wir heute für die Innovationen von  
morgen brauchen**

Jean-Luc Delay, Takeda Pharma Vertrieb GmbH&Co. KG und

Vorsitzender des Ausschusses Orphan Drugs im vfa

14:25 – 14:35 | **Wir entwickeln Orphan Drugs! Wie wir auch in Zukunft  
Innovationen verfügbar machen können**

Dr. Rüdiger Schulze, Ultragenyx GmbH

14:45 – 15:00 | **Akademische Arzneimittelentwicklung für ultra-  
seltene Erkrankungen: Chancen und Risiken am Beispiel des**

„1 Mutation – 1 Medicine“ Netzwerkes

Prof. Dr. Rebecca Schüle, Universität Heidelberg

15:00 – 15:20 | **Wie können wir erreichen, dass wir mehr Produkte  
für mehr Betroffene in Europa sowohl entwickeln als auch zugänglich  
machen, während wir die Evidenz kontinuierlich verbessern und  
Preise sinken lassen?**

Yann Le Cam, EURORDIS – Rare Diseases Europe

15:20 – 16:00 | **Kaffeepause**

16:00 – 16:15 | **Evidenzgenerierung für den frühen Zugang zu  
Arzneimitteln mit Zusatznutzen**

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

16:15 – 16:30 | **Regulierung der Arzneimittel im Umbruch – Risiken  
und Chancen für Menschen, die in Deutschland mit einer Seltene  
Erkrankung leben**

Dr. Antje Haas, GKV-Spitzenverband

16:30 – 17:30 | **Podiumsdiskussion** mit

Jean-Luc Delay, Takeda Pharma Vertrieb GmbH&Co. KG und Vorsitzender  
des Ausschusses Orphan Drugs im vfa

Dr. Rüdiger Schulze, Ultragenyx GmbH

Prof. Dr. Rebecca Schüle, Universität Heidelberg

Yann Le Cam, EURORDIS – Rare Diseases Europe

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

Dr. Antje Haas, GKV-Spitzenverband

Florian Innig, ACHSE e.V.

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

**Freitag, 29. September 2023**

### **Themenblock 2 – Patientenpfade**

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

**09:00 – 09:30 | Dem Patienten den Weg durch das System erleichtern – was wurde bislang erreicht?**

**Dr. Holm Graebner**, ZSE Tübingen

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

**09:30 – 09:45 | Translate-NAMSE hat mir mein Leben zurück gegeben – Patient-Testimonial**

**Dilara Mejzlik**

**09:45 – 10:00 | Ergebnisse des Gutachtens zur Lebens- und Versorgungssituation von Menschen mit Seltene Erkrankungen**

**Diana Schneider**, Fraunhofer-Institut für System- und Innovationsforschung ISI

**10:00 – 10:15 | ZSE-DUO: Eine duale Lotsenstruktur verbessert die Diagnosestellung an Zentren für Seltene Erkrankungen – und nun?**

**Prof. Dr. Helge Hebestreit**, Universitätsklinikum Würzburg

**10:15 – 10:30 | Was können wir von der „Joint Action on Integration of ERNs“ erwarten?**

**Dr. Cornelia Blaschke**, Bundesministerium für Gesundheit

**10:30 – 11:15 | Kaffeepause**

**11:15 – 12:30 | Podiumsdiskussion** mit

**Dr. Holm Graebner**, ZSE Tübingen

**Dilara Mejzlik**

**Diana Schneider**, Fraunhofer-Institut für System- und Innovationsforschung ISI

**Prof. Dr. Helge Hebestreit**, Universitätsklinikum Würzburg

**Dr. Cornelia Blaschke**, Bundesministerium für Gesundheit

**12:30 – 14:00 | Mittagessen und Posterpreis**

### **Themenblock 3 – Daten und Digitalisierung – Nutzen für Patienten mit Seltene Erkrankungen**

Moderation: **Dr. Holm Graebner**, ZSE Tübingen

**14:00 – 14:20 | Transformation des Gesundheitswesens durch Daten und Digitalisierung**

**Prof. Dr. Holger Storf**, Universitätsklinikum Frankfurt

**14:20 – 14:40 | Orphakodierung – Nutzen und Probleme**

**Dr. Andrea Schmedding**, Städtisches Klinikum Braunschweig

**14:40 – 15:00 | Genomische Medizin für Seltene Erkrankungen – genomDE und Modellvorhaben**

**Prof. Dr. Markus Nöthen**, Universitätsklinikum Bonn

**15:00 – 15:30 | Kaffeepause**

**15:30 – 16:45 | Podiumsdiskussion** mit

**Prof. Dr. Holger Storf**, Universitätsklinikum Frankfurt

**Dr. Andrea Schmedding**, Städtisches Klinikum Braunschweig

**Prof. Dr. Markus Nöthen**, Universitätsklinikum Bonn

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

**16:45 – 17:00 | Fazit und Verabschiedung**

**Dr. Holm Graebner**, ZSE Tübingen

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

## Organisatorisches

### Tagungsort

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



Die NAKSE 2023 findet live in Berlin sowie **online auf achse.live** statt.

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

Teilnahmegebühr für die Online-Teilnahme 50 Euro pro Person. Für je eine Vertreterin oder einen Vertreter einer Mitgliedsorganisation der ACHSE ist die Online-Teilnahme frei.

Die LÄK Brandenburg vergibt pro Tag je 6 Fortbildungspunkte. Die Registrierung beruflich Pflegenden vergibt für die Teilnahme an beiden Konferenztagen 10 Fortbildungspunkte. Für die Teilnahme an einem Konferenztag gibt es 6 Fortbildungspunkte.

Während der Konferenz gibt es eine Kinderbetreuung vor Ort. Bedarfsabfrage bei der Anmeldung.

### Anmeldung

Bitte melden Sie sich an unter:  
<https://eveeno.com/nakse2023>



### Bitte reservieren Sie Ihr Zimmer selbst:

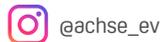
Wir haben im Konferenzhotel bis 15. August 2023 ein begrenztes Kontingent an Zimmern zu Sonderkonditionen unter dem **Stichwort NAKSE2023** geblockt. Über das Registrierungsportal der Konferenz gelangen Sie zu der Reservierungsseite des Hotels.

### 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](mailto:nakse@achse-online.de)

## Wir danken

Die Durchführung der NAKSE wird ermöglicht durch das Sponsoring von



Die Posterausstellung wird ermöglicht durch Centogene.



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.

