

Erste deutschsprachige Duchenne-Konferenz in der Schweiz

DUCHENNE **KONFERENZ SCHWEIZ** 2.-3. SEPTEMBER 2016

Seehotel Hermitage Luzern – Raum “Etoiles”



Organisiert von der Stiftung Progena

Progena
Logo consisting of colorful footprints in red, blue, purple, yellow, and green.

Wir machen Sie darauf aufmerksam, dass während des Anlasses fotografiert wird.
Die Fotos verwenden wir für Publikationen in Print- und Social Media.

Fotografin:

SONJA LIMACHER
Photography

Herzlich willkommen zur ersten deutschsprachigen Duchenne-Konferenz in der Schweiz!

Organisiert von der Stiftung Progena



DUCHENNE
KONFERENZ SCHWEIZ
2.-3. SEPTEMBER 2016



Als unser Sohn im Sommer 2009 die Diagnose Duchenne Muskeldystrophie bekam, wollte ich stets auf dem neusten Stand der Informationen sein. Ich durchforschte das Internet und nahm an internationalen Konferenzen teil. Am Anfang verstand ich nur wenig von den Vorträgen, da mir die medizinischen Ausdrücke auf Englisch fremd waren. Wohl wichtiger war, und das wurde mir erst später bewusst, dass ich viele Leute kennenlernte. Ich baute ein grosses Netzwerk zu Eltern, Ärzten, Forschern und Pharmafirmen auf. Ausschliesslich auf diesem Weg bekam unser Sohn die Möglichkeit, an einer klinischen Studie in Frankreich teilzunehmen, was für ihn eine riesige Chance darstellte.

Nach diesen Erfahrungen hatte ich den Wunsch, eine deutschsprachige Duchenne-Konferenz in der Schweiz zu organisieren. Ich möchte den Eltern und anderen Interessierten die Möglichkeit geben, sich in ihrer Muttersprache über Duchenne Muskeldystrophie zu informieren und ihnen eine Netzwerkplattform geben.

Ich wünsche Ihnen zwei interessante, informationsreiche und schöne Tage! Nutzen Sie die Gelegenheit, unseren Rednern und Vertretern der Sponsoren viele Fragen zu stellen und mit den anderen Teilnehmern ins Gespräch zu kommen.

Maria Fries

Eventmanagerin Stiftung Progena

DUCHENNE
KONFERENZ SCHWEIZ
2.-3. SEPTEMBER 2016



Ende Februar 2006, kurz vor seinem 5. Geburtstag, wurde bei meinem jüngeren Sohn Duchenne Muskeldystrophie diagnostiziert. Auch wenn diese Nachricht wie ein Riesen-Schock kam, beschlossen seine Mutter und ich, alles in unserer Macht stehende zu tun, dieses Schicksal zu bekämpfen. Deshalb gründeten wir die Stiftung Progena nur einige Wochen nach der Diagnose.

Die Stiftung hat uns erlaubt, andere Eltern kennenzulernen und durch Europa zu reisen, um an internationalen Konferenzen teilzunehmen und die leitenden Pharmafirmen in diesem Bereich zu besuchen.

In den letzten Jahren hat die Forschung deutliche Fortschritte bewiesen, welche bei uns und anderen Familien neue Hoffnungen geweckt haben. Trotzdem ist der Weg zum Ende dieser schrecklichen Krankheit noch lang und für meinen Sohn bleibt Duchenne ein Damoklesschwert, welches über ihm hängt.

Aus diesem Grund ist es für uns Eltern immer noch lebenswichtig, uns auf dem neusten Stand der Entwicklung zu halten. Ich wünsche Ihnen allen eine reichhaltige und interessante Konferenz!

Robert Palm

Präsident Stiftung Progena



Die Stiftung Progena wurde 2006 von den Eltern eines Duchenne-Kinds gegründet, als ihr Sohn die Diagnose erhielt. Progena ist eine anerkannte, gemeinnützig Schweizer Stiftung, deren Ziel es ist, die Forschung gegen seltene Muskelkrankheiten von Kindern zu fördern und die Familien kranker Kinder zu unterstützen.

Progena vertritt als Patientenorganisation die Schweiz im Ausland und ist Mitglied der internationalen Organisation für neuromuskuläre Erkrankungen, TREAT-NMD, sowie des Vereins internationale Patienten-Organisationen UPPMD. Progena kooperiert auch mit ProRaris, dem Dachverband für Patientenorganisationen von Menschen mit seltenen Erkrankungen. Progena unterhält dazu regelmässigen Kontakt zu Pharmafirmen und Forschern.

Von Anfang an beteiligte sich Progena an der Finanzierung des Schweizer Patientenregisters und erleichterte somit die Teilnahme der Schweizer Patienten an den wichtigsten klinischen Versuchen europä- und weltweit.

2011 war Progena Mitorganisatorin des TREAT-NMD-Kongresses in Genf und hat schon Erfahrung in der Organisation von Konferenzen.

Robert Palm ist Mitgründer und Präsident der Stiftung Progena

Maria Fries ist Eventmanagerin bei der Stiftung Progena

www.progena.ch

Stiftung Progena, Postfach 3009, 1110 Morges 3

DUCHENNE
KONFERENZ SCHWEIZ
2.-3. SEPTEMBER 2016



DUCHENNE AWARENESS DAY

7 sept 

Awareness bedeutet Bewusstsein, Erkenntnis, Sensibilisierung. Sie, liebe Teilnehmer, wissen alle, dass Duchenne Muskeldystrophie in der Öffentlichkeit überhaupt nicht bekannt ist!

In den letzten zwei Jahren fanden überall auf der Welt verschiedene Events zum World Duchenne Awareness Day (WDAD) statt. Initiatorin ist die Organisation United Parent Projects Muscular Dystrophy (UPPMD) mit Sitz in den Niederlanden. Die WDAD wurde ins Leben gerufen, um auf Duchenne Muskeldystrophie aufmerksam zu machen. Der 7/9 wurde gewählt, da der Genfehler, der Duchenne verursacht, sich innerhalb der 79 Exonen auf dem X-Chromosom befindet.



Letztes Jahr führte SOS-Duchenne als einzige Organisation in der Schweiz eine Standaktion auf der Bahnhofstrasse in Zürich durch. Dieses Jahr organisiert SOS-Duchenne am 7. September ein Benefizkonzert mit Andrew Bond in Horgen. Vielen Dank für das Engagement!

Der WDAD lebt vom freiwilligen Engagement. Haben Sie vielleicht Ideen, was wir in Zukunft zusammen durchführen können oder verfügen Sie über Kontakte zu den Medien? Wir freuen uns über Ihre Kontaktnahme!

Mehr über den WDAD erfahren:



www.worldduchenneday.org

Programm Freitag, 2. September 2016

- 08.30 Empfang und Registration
- 09.00 **Begrüssung**
Maria Fries und Robert Palm, Stiftung Progena
- 09.10 **World Duchenne Awareness Day**
Elizabeth Vroom, Präsidentin United Parents Project Muscular Dystrophy, NL
- 09.40 **Das Schweizer Patientenregister für die Muskeldystrophien Duchenne & Becker**
Dr. med. Clemens Bloetzer, Universitätsspital Lausanne
- 10.20 **Schweizerische Muskelgesellschaft**
Martin Knoblauch, Geschäftsführer
- 10.40 Kaffeepause
- 11.00 **Medikamentenzulassung bei seltenen Krankheiten**
PharmD Cordula Landgraf, Swissmedic
- 11.45 **Kostenübernahme bei Medikamenten von seltenen Krankheiten**
Rechtsanwalt lic. iur. Felix Kesselring, Vischer AG
- 12.30 Stehlunch
- 13.30 **Einführung in klinische Medikamentenstudien**
Prof. Dr. med. Volker Straub, Inst. of Genetic Medicine, Newcastle University, UK
- 14.15 **Santhera Pharmaceuticals**
Dr. Robert Schupp
Aktuelles über Duchenne-Therapien
Prof. Dr. med. Ulrike Schara
- 15.00 Kaffeepause
- 15.20 **PTC Therapeutics**
Dr. Birgit Hutz
- 16.05 **Sarepta Therapeutics**
Dr. Petra Duda
- 16.50 **Zusammenfassung**
- 17.00 Networking
- 18.30 **Treffpunkt** vor dem Hoteleingang für den Netzwerkabend
- 18.45 **Abfahrt** mit Car
- 22.45 **Zurück** im Hotel

Programm Samstag, 3. September 2016

- 08.30 Empfang und Registration
- 09.00 **Begrüssung**
Maria Fries und Robert Palm, Stiftung Progena
- 09.05 **Klinische Medikamentenstudien in Europa**
Prof. Dr. med. Volker Straub, Inst. of Genetic Medicine, Newcastle University, UK
- 09.40 **Klinische Medikamentenstudien in der Schweiz**
PD. Dr. med. Dirk Fischer, Universitäts-Kinderspital beider Basel
- 10.20 **Duchenne-Schweiz**
Anneli Cattelan, Gründerin
- 10.40 Kaffeepause
- 11.00 **Muskelforschung in der Schweiz**
Dr. Raffaella Willmann, Stiftung für die Erforschung der Muskelkrankheiten
- 11.30 **Behandlungsstandards und Notfälle**
PD Dr. med. Andrea Klein, Universitäts-Kinderspital beider Basel
Kortisontherapie
Prof. Dr. Daniel Konrad, Universitäts-Kinderspital Zürich
- 12.30 Stehlunch
- 13.30 **Kognitives Verhalten**
Dr. James Poysky, Baylor College of Medicine in Houston, USA
- 14.40 **SOS-Duchenne**
Remo Santi, Verantwortlicher Fundraising
- 15.00 **World Duchenne Awareness Day 2016 Ballonaktion**
- 15.20 Kaffeepause
- 15.40 **Lernschwierigkeiten**
Dr. James Poysky, Baylor College of Medicine in Houston, USA
- 16.50 **Zusammenfassung**
- 17.00 Networking





Dr. med. Clemens Bloetzer

Spitalarzt für die Neuromuskuläre Sprechstunde der Abteilung Neuropädiatrie des Universitätsspitals Lausanne (CHUV). Neben seiner klinischen Tätigkeit ist er zuständig für die multizentrischen therapeutischen Versuche, an denen die Neuromuskuläre Sprechstunde für Kinder in Lausanne teilnimmt. Zudem führt er das Schweizer Register für Patienten mit Muskeldystrophie Duchenne/ Becker und Spinaler Muskelatrophie.



MD, PhD Petra Duda

Sarepta Therapeutics, Cambridge, USA. Sie ist seit fast 3 Jahren als ärztliche Leiterin der Eteplirsen-Entwicklung Mitglied des Sarepta-Teams. In dieser Tätigkeit ist sie für alle medizinischen Aspekte des klinischen Entwicklungsprogramms für Patienten mit Duchenne Muskeldystrophie verantwortlich, was unter anderem die Studienplanung und -durchführung, Patientensicherheit und wissenschaftliche Analyse der Studienresultate umfasst.



PD. Dr. med. Dirk Fischer

Abteilung für Neuro- und Entwicklungspädiatrie, Leitender Arzt Elektrophysiologie, Facharzt und Privatdozent für Neurologie am Universitäts-Kinderspital beider Basel (UKBB). Seine klinischen Schwerpunkte liegen in den peripheren neurologischen Erkrankungen, speziell neuromuskulären Erkrankungen und der neurophysiologischen Diagnostik. Seine wissenschaftlichen Interessen liegen in der Erforschung neuer bildgebender Techniken zur Darstellung der Muskulatur bei hereditären Muskelerkrankungen, speziell bei den Muskeldystrophien im Kindesalter.



Dr. Birgit Hutz

Country Manager Österreich und Schweiz, PTC Therapeutics. Sie ist seit Oktober 2014 bei PTC Therapeutics tätig. Im ersten Jahr hat sie die Einführung des neuen Präparates in Deutschland und in Österreich begleitet. Seit Herbst 2015 ist sie Landesleiterin (Country Manager) von Österreich und der Schweiz und somit verantwortlich für alle Aktivitäten von PTC in diesen beiden Ländern. Die Tätigkeit umfasst unter anderem die Kommunikation mit Ärzten, Patientenvereinigungen, Apotheken und Krankenkassen.



lic. iur. Felix Kesselring, LL.M.

Rechtsanwalt, Senior Associate, Vischer AG, Zürich. Er ist vor allem in den Bereichen des Gesundheits-, Pharma- und Life-Sciences-Rechts tätig. Er berät schweizerische und internationale Unternehmen und vertritt sie regelmässig in Verfahren vor Verwaltungsbehörden und Gerichten. Weitere Tätigkeitsschwerpunkte von Felix Kesselring sind die Beratung und Vertretung von Unternehmen in anderen regulierten Märkten (z.B. im Energiemarkt und im Lebensmittelmarkt), in Verwaltungsstrafverfahren und in Bereichen des Europarechts.



PD Dr. med. Andrea Klein

Leitende Ärztin Neuropädiatrie, Neuromuskuläre Sprechstunde Neuropädiatrie, Fachärztin für Pädiatrie, speziell Neuropädiatrie und Privatdozentin, UKBB, Basel. Ihr Spezialinteresse für neuromuskuläre Krankheiten führte sie 2006 und 2009 zu Weiterbildungs- und Forschungsaufenthalten im Dubowitz Neuromuscular Centre in London bei Prof. Francesco Muntoni und anschliessend zu gemeinsamen Forschungsarbeiten.



Prof. Dr. Daniel Konrad

Leiter der Abteilung für Kinderendokrinologie und -Diabetologie am Universitäts-Kinderspital in Zürich. Neben seiner klinischen Tätigkeit leitet er eine Forschungsgruppe, die sich mit der Entstehung der Insulinresistenz bei Übergewichtigen befasst.



PharmD Cordula Landgraf

Sie ist Apothekerin und leitet bei Swissmedic, Schweizerisches Heilmittelinstitut, seit August 2007 das Networking. In dieser Position ist Cordula Landgraf für die Koordination der nationalen und internationalen Zusammenarbeit von Swissmedic verantwortlich und ist erste Kontaktstelle für die Anliegen der verschiedenen Stakeholder des Institutes. Sie leitet bei Swissmedic die Arbeitsgruppe mit Patienten- und Konsumentenorganisationen und vertritt Swissmedic im EUPATI (European Patients' Academy on Therapeutic Innovation) Regulatory Advisory Panel.



Dr. James Poysky

Baylor College of Medicine in Houston, USA. Er ist klinischer Psychologe, pädiatrischer Neuropsychologe und ein international bekannter Experte für Verhalten und Lernschwierigkeiten in Zusammenhang mit Duchenne Muskeldystrophie. Nebst seiner Arbeit am Baylor College of Medicine in Houston USA, hat er eine private Praxis. Zusätzlich zu seiner Forschungsarbeit hält er Workshops für Familien über das Verhalten und die Lernschwierigkeiten bei Duchenne. Bis vor Kurzem war er Vorstandsmitglied im Parent Project Muscular Dystrophy (PPMD). Dr. James Poysky ist Vater eines 13-jährigen Duchenne-Jungen.



Prof. Dr. Ulrike Schara

Ihr wissenschaftlicher Schwerpunkt sind die neuromuskulären Erkrankungen im Kindes- und Jugendalter, hier besonders die Muskeldystrophien, kongenitale myasthene Syndrome und die Myasthenia gravis. Seit 2007 arbeitet Professor Schara am Universitätsklinikum in Essen, wo sie den Bereich Neuropädiatrie, Entwicklungsneurologie und Sozialpädiatrie leitet. Seit 2012 hat sie eine Professur für Neuropädiatrie/neuromuskuläre Erkrankungen im Kindes- und Jugendalter.



Prof. Dr. med. Volker Straub

Er arbeitet am The Harold Macmillan Chair of Medicine, MRC Centre for Neuromuscular Diseases at Newcastle, Institute of Genetic Medicine, Newcastle University, Grossbritannien. Er ist Studienleiter für mehrere klinische Studien mit DMD-Patienten. Zudem ist er Forschungsdirektor für zwei Krankenhäuser in Nord-England. An der Universität Newcastle in England im Institute of Genetic Medicine hat er einen Lehrstuhl inne. Professor Straub ist Mitbegründer und Mitkoordinator des deutschen Muskeldystrophie-Netzwerkes (MD-NET). Er koordinierte gemeinsam mit Professor Kate Bushby das von der EU geförderte Exzellenz-Netzwerk für seltene genetische neuromuskuläre Erkrankungen, TREAT-NMD, mit einem Schwerpunkt auf translationaler Forschung.

**Wir danken unseren Rednern für ihre spontane
Zusage und Bereitschaft, die Duchenne-Konferenz
mit ihrem Wissen zu unterstützen!**



Elizabeth Vroom

Sie ist Präsidentin des United Parent Project Muscular Dystrophy – UPPMD – und Präsidentin des holländischen Duchenne Parent Project. Elizabeth Vroom ist auch Mitglied im TREAT-NMD's Projekt "Ethics Council" und im Komitee des TACTs.



Dr. Raffaella Willmann

Sie ist promovierte Biologin und hat zehn Jahre in der Muskelforschung gearbeitet, bevor sie für das Europäische Netzwerk TREAT-NMD die Entwicklung standardisierter Arbeitsprotokolle für die präklinische Phase der Medikamentenentwicklung koordiniert hat. Seit 2012 ist Raffaella Willmann bei der Schweizerischen Stiftung für die Erforschung der Muskelkrankheiten (FSRMM) für die internationalen Kontakte, die Förderung des Austausches und die Forschungsvermittlung zuständig. Seit 2016 ist sie Vorsitzende des Executive Committees des European Neuro Muscular Centre (ENMC) mit Sitz in den Niederlanden.

IHRE MEINUNG IST UNS WICHTIG!

- **Wie hat Ihnen die erste deutschsprachige Duchenne-Konferenz gefallen?**
- **Was haben wir gut gemacht?**
- **Was hätten wir anders machen können?**
- **An welchen Themen hätten Sie auch Interesse gehabt?**

Diese und andere Fragen senden wir Ihnen nächste Woche in einem Feedback-Formular zu. Wir legen grossen Wert auf Ihre Rückmeldung und danken Ihnen, wenn Sie sich ein paar Minuten Zeit nehmen und den Fragebogen ausfüllen.

Herzlichen Dank an unsere Sponsoren!

GOLD



BRONZE



WIR ERHALTEN UNTERSTÜTZUNG VON



Progena



Aktion für Kinder mit
seltenen Muskelkrankheiten

www.progena.ch

