



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,

was wird die Zukunft bringen? Werde ich mit meiner Erkrankung besser leben können? Werden unsere Kinder es einmal besser haben? 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, Fortschritte für Betroffene schneller zu realisieren.

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. Dr. Harald Schmidt (Maastricht) und Prof. Dr. Thomas Kaiser vom IQWiG.

Die Konferenz widmet sich zentralen Themen wie dem Drug Repurposing für Seltene Erkrankungen, der Gen- und Zelltherapie, 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 die Forschung weiterhin nach neuen Therapien sucht.

Mirjam Mann, Geschäftsführerin ACHSE e.V.

Dr. Holm Graebner, Geschäftsführer ZSE Tübingen

#NAKSE

Donnerstag, 18. September 2025

Moderation: Jürgen Zurheide

10:00 – 12:30 | **Eröffnung** durch

Mirjam Mann, ACHSE e.V.

Dr. Holm Graebner, ZSE Tübingen

Werden es unsere Kinder besser haben?

Gespräch mit Betroffenen verschiedener Generationen

Neue Entwicklungen in der Medizin: Dürfen wir auf Heilung hoffen?

Prof. Dr. Hildegard Büning, Medizinische Hochschule Hannover

Podiumsdiskussion „Patienten als Partner der Wissenschaft – Gemeinsam mehr erreichen!“ mit

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

Nadine Grossmann, Fibrodysplasia Ossificans Progressiva Deutschland 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 Bildung und Forschung

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

Prof. Dr. Benedikt Schoer, LMU Klinikum

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

Referent angefragt

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

Lena Beilschmidt, Roche

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

Dr. Andreas Ziegler, Universitätsklinikum Heidelberg

Prof. Dr. Benedikt Schoer, LMU Klinikum

Lena Beilschmidt, Roche

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 Fingerfood 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 Forschungsverbünde für Seltene Erkrankungen – Mehrwert für die Patientenversorgung
Prof. Dr. Frank Leybold, 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.
Mathias Wilken, Bundesverband der Pharmazeutischen Industrie (BPI)

12:30 – 14:00 | Mittagessen

Themenblock 3 – Zugang zur bestmöglichen Versorgung sicherstellen, Lebensqualität stärken

Moderation: **Frederike Gramm**

14:00 – 14:15 | Von Community Health Nurse bis Gesundheitskiosk – was macht Sinn für Menschen mit Seltenen Erkrankungen?
Nicole Heider, ACHSE e.V.

14:15 – 15:45 | Podiumsdiskussion mit
Nicole Heider, ACHSE e.V.
Vanessa Dreibrodt, Stiftung Deutsche Schlaganfall-Hilfe
Joachim Sproß, Deutsche Gesellschaft für Muskelkranke e.V.
weitere Teilnehmende angefragt

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
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



Weiterbildungspunkte bei der LÄK Brandenburg sind beantragt.

Die Registrierung beruflich Pflegenden vergibt 14 Punkte für die Teilnahme an beiden Konferenztagen. Für die Teilnahme an einem Konferenztage 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**



@ACHSEeV



@achse_ev



ACHSE e.V.

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-Schwwesterschaft Berlin e. V. für ihre Unterstützung.



DRK-Schwwesterschaft Berlin e.V.

NAKSE ist ein Veranstaltungsformat der



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



Behandlungs- und Forschungszentrum für Seltene Erkrankungen
Universitätsklinikum Tübingen