

### **Veranstaltungstermin**

12. Mai 2009  
10 Uhr bis 17 Uhr

### **Veranstaltungsort**

Berlin-Brandenburgische  
Akademie der Wissenschaften  
Jägerstr. 22/23  
10117 Berlin

### **Anfahrt**

Einen Lageplan finden Sie  
auf unserer Internetseite:  
[www.paul-martini-stiftung.de/de/  
veranstaltungen/2009.html](http://www.paul-martini-stiftung.de/de/veranstaltungen/2009.html)

### **Anmeldung**

Ihre Anmeldung nehmen wir sehr gern entgegen.  
Bitte verwenden Sie dazu das beiliegende  
Antwortfax.

### **Wissenschaftliche Leitung**

Prof. Dr. Dr. h. c. Peter C. Scriba  
Ludwig-Maximilians-Universität München  
Klinikum der Universität  
Medizinische Klinik Innenstadt  
Ziemssenstraße 1  
80336 München  
Telefon +49 89 5160-4400  
Telefax +49 89 5160-4422  
[peter.scriba@med.uni-muenchen.de](mailto:peter.scriba@med.uni-muenchen.de)

Prof. Dr. Torsten Strohmeyer  
Sprecher des Vorstands  
der Paul-Martini-Stiftung

GlaxoSmithKline GmbH & Co. KG  
Mitglied der Geschäftsleitung  
Leiter Forschung + Medizin  
Theresienhöhe 11  
80339 München  
Telefon +49 89 36044-8600  
Telefax +49 89 36044-98600  
[torsten.strohmeyer@gsk.com](mailto:torsten.strohmeyer@gsk.com)

### **Kontakt**

Paul-Martini-Stiftung  
Hausvogteiplatz 13  
10117 Berlin  
Telefon +49 30 20604-599  
Telefax +49 30 20604-598  
[info@paul-martini-stiftung.de](mailto:info@paul-martini-stiftung.de)  
[www.paul-martini-stiftung.de](http://www.paul-martini-stiftung.de)

## **Programm**



## **PMS-Workshop**

**Arzneimitteltherapie  
seltener Krankheiten –  
Herausforderungen und  
Chancen**

**Dienstag, 12. Mai 2009**

**Berlin-Brandenburgische  
Akademie der Wissenschaften, Berlin**

- 10:00 – 10:15 Begrüßung**  
*Prof. Dr. Dr. h.c. Peter C. Scriba*  
 Medizinische Klinik Innenstadt  
 Ludwig-Maximilians-Universität  
 München
- 10:15 – 10:35 Allgemeine Einführung/  
 Regulatorische Rahmenbedingungen  
 für die Entwicklung und Zulassung von  
 Orphan Medicinal Products**  
*Prof. Dr. Rembert Elbers*  
 Bundesinstitut für Arzneimittel  
 und Medizinprodukte (BfArM)  
 Bonn
- 10:45 – 11:05 Orphan Diseases und Orphan  
 Drug-Entwicklung im Kindes- und  
 Jugendalter**  
*Prof. Dr. Fred Zepp*  
 Kinderklinik und Kinderpoliklinik  
 Johannes Gutenberg-Universität  
 Mainz
- 11:15 – 11:35 Enzymersatztherapien bei  
 seltenen Stoffwechselstörungen –  
 Herausforderungen und Chancen  
 Sicht der Klinik**  
*Prof. Dr. Stephan vom Dahl*  
 St. Franziskus Hospital  
 Köln
- 11:45 – 12:05 Enzymersatztherapien bei  
 seltenen Stoffwechselstörungen –  
 Herausforderungen und Chancen  
 Sicht der Industrie**  
*Dr. Hans Peter Schulz*  
 Genzyme GmbH  
 Neu-Isenburg
- 12:15 – 13:15 *Mittagspause*
- 13:15 – 13:35 Therapiemöglichkeiten von Leukämien –  
 Herausforderungen und Chancen  
 Sicht der Klinik**  
*Dr. med. Nicola Gökbüget*  
 Medizinische Klinik II  
 Johann Wolfgang Goethe-Universität  
 Frankfurt/Main
- 13:45 – 14:05 Therapiemöglichkeiten von Leukämien –  
 Herausforderungen und Chancen  
 Sicht der Industrie**  
*Peter Schuld*  
 Novartis Pharma S.p.A.  
 Origgio, Italien
- 14:15 – 14:35 Forschungsförderung für seltene  
 Erkrankungen**  
*Dr. Birgit Wetterauer*  
 Bundesministerium für Bildung  
 und Forschung  
 Berlin
- 14:45 – 15:15 *Kaffeepause*
- 15:15 – 15:35 Der Patient im Mittelpunkt:  
 Bedürfnisse und Beiträge  
 der Betroffenen**  
*Mirjam Mann*  
 ACHSE e.V.  
 Berlin
- 15:45 – 16:05 Epidemiologie von seltenen  
 Krankheiten – Beiträge des  
 Robert-Koch-Instituts**  
*Prof. Dr. Reinhard Burger*  
 Robert-Koch-Institut  
 Berlin
- 16:15 – 16:35 Sinn und Caveats von/bei  
 Neugeborenencreening und  
 privaten Gentests auf seltene  
 Krankheiten**  
*PD Dr. Martin Zenker*  
 Humangenetisches Institut  
 Universitätsklinikum Erlangen  
 Friedrich-Alexander-Universität  
 Erlangen-Nürnberg
- 16:45 – 17:00 Schlusswort**  
*Prof. Dr. Torsten Strohmeyer*  
 Sprecher des Vorstands  
 der Paul-Martini-Stiftung