

## IQWIG-HERBST-SYMPOSIUM 2023

# Herausforderung Seltene Erkrankungen

Programm am 24./25.11.2023

Moderation: Holger Wormer

### Freitag, 24.11.2023 | Tag 1

- 13:30 – 13:45 Begrüßung und Einführung**  
Holger Wormer (Moderation), Thomas Kaiser (IQWiG, Köln)
- 13:45 – 14:45 Leben mit einer seltenen Erkrankung: suchen, kämpfen, hoffen**  
Mirjam Mann, Christine Mundlos, Michael Scholz (ACHSE e. V., Berlin)
- 14:45 – 15:30 Aus der Perspektive der pharmazeutischen Industrie: Warum ist klinische Forschung hier so schwierig?**  
Christiane Denzel (Alexion Pharma Germany GmbH, München)
- 15:30 – 16:00 Kaffeepause**  
individuelle Diskussion
- 16:00 – 16:45 Diagnostik seltener Erkrankungen mit KI-Unterstützung**  
Martin C. Hirsch (Philipps-Universität, Marburg)
- 16:45 – 17:30 Ein gesundheitsökonomischer Blick auf die Kostenstruktur im Arzneimittelmarkt einschließlich Orphan Drugs**  
Julian Witte (Vandage GmbH, Bielefeld)
- 17:30 – 18:15 Moderiertes Streitgespräch: Sind die aktuell hohen Ausgaben für Orphan Drugs zu rechtfertigen und perspektivisch leistbar?**  
Martin J. Hug (Apotheke Universitätsklinikum, Freiburg),  
Wolf-Dieter Ludwig (Arzneimittelkommission der deutschen Ärzteschaft, Berlin)
- ab 18:15 Get-together**  
Abendessen – individuelle Diskussion

**IQWiG-HERBST-SYMPOSIUM 2023**

# **Herausforderung Seltene Erkrankungen**

**Programm am 24./25.11.2023**

Moderation: Holger Wormer

## **Samstag, 25.11.2023 | Tag 2**

- 9:00 – 9:45**    **Arzneimittelzulassung im Bereich seltener Erkrankungen – die regulatorische Perspektive**  
Martina Schüßler-Lenz (Paul-Ehrlich-Institut, Langen)
- 9:45 – 10:30**    **Methodische Lösungsansätze zur Generierung belastbarer(er) Evidenz bei seltenen Erkrankungen**  
Ralf-Dieter Hilgers (RWTH Aachen)
- 10:30 – 11:00**    **Kaffeepause**  
individuelle Diskussion
- 11:00 – 11:45**    **Patientenregister und natural-history-Studien zur Evidenzgenerierung bei seltenen Erkrankungen**  
Thomas Klopstock (Ludwig-Maximilians-Universität, München)
- 11:45 – 12:30**    **Patientenregister auf dem Weg zu (randomisiert) kontrollierten Studien**  
Lutz Nährlich (Justus-Liebig-Universität, Gießen)
- 12:30– 12:45**    **Abschlussdiskussion**  
Holger Wormer, Thomas Kaiser (IQWiG)
- ab 12:45**        **Verabschiedung**  
Ausklang beim Mittagsimbiss