

PROGRAMMÜBERSICHT

**International Network
Meeting –
for MPS Delegates only**

**Mittwoch, 3.
April, 2024**



Donnerstag, 4. April, 2024

Wissenschaftler und Familien 15:00 - 15:30 Uhr Eröffnungsfeier

UHRZEIT	TITEL	REFERENT
15:00 Uhr	Eröffnungsvortrag: "Auf Augenhöhe – On Eye Level"	Ali Mahlodji, Fredri Wiesbauer, Carmen Kunkel, Michaela Weigl, Eva Luise Köhler
16:00 – 18:00 Uhr	"Auf Augenhöhe - On Eye Level" Diskussion über Kommunikation auf gleicher Ebene	Jibreel Arshad, Jonathan Montagu, Jenny Klein, Julie Eisengardt, Elke Schubert Hjalmarsson, Georg Schetter
18:00 – 20:00 Uhr	Get Together in der Ausstellung	

Freitag, 5. April, 2024

 Scientists Breakfast Symposium – registration will be
offered via congress APP

Breakfast Symposium for
scientists
Sponsored by SANOFI

**07:15 –
08:30 Uhr** Journey through the MPS I
history: a story of commitment
and lessons learned
Prof. Scarpa
Prof. Lampe

Wissenschaftler und Familien 08:45 – 10:15 Uhr Klinisches Management

Chair: Maurizio Scarpa & Bob Stevens

UHRZEIT	TITEL	REFERENT
08:45 – 09:15 Uhr	Vorteile und Grenzen der personalisierten Medizin	NN
09:15 – 09:45 Uhr	Endpunkte von klinischen Versuchen – jenseits von IO	Julie Eisengardt
09:45 – 10:15 Uhr	Schlafkontrolle bei MPS und verwandten Krankheiten	Osman Ipsiroglu
10:15 – 10:45 Uhr	Kaffeepause	

Zusätzlicher Workshop für Eltern von Betroffenen

10:45 – 12:00 Uhr	Workshop 1 "Achtsamkeit und Wohlbefinden"	Claire Garthwaite
------------------------------	--	------------------------------



Wissenschaftler 10:45 – 12:15 Uhr Translationale Forschung

Chair: Roberto Giugliani & Terri Klein

- | | | |
|----------------------|--|-------------------------------|
| 10:45 –
11:05 Uhr | Die Rolle der
Entzündungsreaktio | Brian
Bigger |
| 11:05 –
11:25 Uhr | Genetische
Diagnosemethoden
bei Seltenen
Krankheiten | Holger
Prokisch |
| 11:25 –
11:55 Uhr | Quantitative
Kernspinresonanz-
Metabolomik
von Urinproben
bei
metachromatischer
Leukodystrophie:
Identifizierung
von Indikatoren
für
Neurodegeneration
und
Krankheitsprogressi | Lucia
Laugwitz |
| 11:45 –
12:05 Uhr | Techniken zur
Medikamentenerfor | Johannes
Kirchmair |

Families: 10:45 – 12:15 Uhr Clinical research

Chair: Barbara Plecko

- | | | |
|----------------------|---|-------------------------------|
| 10:45 –
11:05 Uhr | Kardiale
Manifestationen
bei MPS und
verwandten
Krankheiten | Christoph
Kampmann |
| 11:05 –
11:25 Uhr | Luftwegserkrankung
und ihre
Behandlung bei
MPS und | Joe
Muenzer |



verwandten
Krankheiten

**11:25 –
11:55 Uhr** Luftröhrenoperation
bei MPS IVA **Iain Bruce**

**11:45 –
12:05 Uhr** Lebensqualität
bei Kindern und
Jugendlichen mit
chronischen
Stoffwechselkrankh. **Philip
Kunkel**

**12:15 –
14:00 Uhr** Mittagessen

Scientists Lunch Symposium – registration will be offered via congress APP

Takeda Lunch Symposium for
scientists
Sponsored by TAKEDA
Title:
Neurocognitive Aspects of MPS
II: >From Developmental
Assessment to Emerging
Therapies

**12:30 –
01:45 Uhr**

1. Dr. Christina Lampe: MPS II
Disease Burden and
Neuronopathic Manifestation
2. Dr. Hannerieke van den
Hout: Neuropsychological and
Behavioral Assessment of
Patients with MPS II
3. Dr. Nicole Muschol:
Emerging Therapies in MPS II

Wissenschaftler 14:00 – 15:30 Uhr Klinische Präsentationen und Diagnostik

**14:00 –
14:25 Uhr** Störungen der
Speicherung von
freier Sialinsäure **Jonathan
Montagu**



14:25 – 14:40 Uhr	MPS X	Barbara Plecko
14:40 – 15:05 Uhr	Multipler Sulfatase Mangel	Lars Schlotawa
15:05 – 15:30 Uhr	Neugeborenencreening für MPS and verwandte Krankheiten – Vor- und Nachteile, Risiken	Barbara Burton

Familien 14:00 – 15:30 Uhr Transition, Entwicklung und Herausforderungen

14:00 – 14:25 Uhr	Transition und Empowerment	Karolina Stepien
14:25 – 14:40 Uhr	Altern mit MPS: Physische Aspekte	John Mitchell
14:40 – 15:05 Uhr	Altern mit MPS: Soziale Aspekte	Zsuzsanna Almassy
15:05 – 15:30 Uhr	Lebensqualität bei Kindern und Jugendlichen mit chronischen Stoffwechselerkrankungen	Daniela Pertl

Zusätzlicher Workshop für Betroffene

14:00 – 18:00 Uhr	Workshop 3 “Simulations Workshop”	Florian Lagler
15:30 – 16:00 Uhr	Kaffeepause	



Wissenschaftler & Familien 16:00 – 18:00 Uhr Updates zu Diagnostik und Behandlung

16:00 – 16:30 Uhr	Klinischer Leitfaden zu Sanfilippo	Cara O’Neill
16:30 – 17:00 Uhr	Übersicht über Gentherapien bei lysosomalen Krankheiten	Simon Jones
17:00 – 17:30 Uhr	HSCT und/oder ERT bei alpha- Mannosidosis	Julia Hennermann
17:30 – 18:00 Uhr	Intra-uterine ERT	Paul Harmatz
18:00 – 20:00 Uhr	Gedenkfeier	

Samstag, 6. April, 2024

Scientists Breakfast Symposium – registration will be offered via congress APP

07:15 – 08:30 Uhr	Breakfast Symposium for scientists Sponsored by CHIESI Title tbd
------------------------------	---

Wissenschaftler & Familien 08:45 – 10:15 Uhr Aktuelles zu Studien



Chair: Brian Bigger

UHRZEIT	TITEL	REFERENT
08:45 – 09:10 Uhr	Late breaking news 1	NN
09:10 – 09:30 Uhr	Late breaking news 2	NN
09:30 – 09:55 Uhr	Late breaking news 3	NN
09:55 – 10:15 Uhr	Late breaking news 4	NN

Zusätzlicher Workshop für Betroffene

08:45 – 10:15 Uhr	Workshop 2 “Wichtige Aspekte der Physiotherapie” Die Hände (Karpaltunnel, Kontrakturen)	Christine Wurlitzer
10:15 – 10:45 Uhr	Kaffeepause	

Zusätzlicher Workshop für Betroffene

10:45 – 12:15 Uhr	“Wichtige Aspekte der Physiotherapie” Immobilität und ihre Konsequenzen	Christine Wurlitzer
10:45 – 12:15 Uhr	Workshop 5 “Achtsamkeit	Claire Garthwaite



und
Wohlbefinden"

Wissenschaftler 10:45 – 12:15 Uhr Neue Studienansätze

Chair: Paul Harmatz & Kim Angel

10:45 – 11:15 Uhr	Laufende klinische Studien bei ML	Patty Dickson
11:15 – 11:35 Uhr	Fusion proteins – Laufende klinische Studien	Mireia del Toro
11:35 – 11:55 Uhr	Update zu laufenden Studien zu PPS	Roberto Giugliani
11:55 – 12:15 Uhr	ICV / IT ERT	Fatih Ezgü

Familien 10:45 – 12:15 Uhr Neue Studienansätze verstehen

10:45 – 11:15 Uhr	Neue Behandlungsmetho	Maurizio Scarpa
11:15 – 11:35 Uhr	Gentherapie verstehen	Alex Broomfield
11:35 – 11:55 Uhr	Wiederverwendung von zugelassenen Medikamenten	Anna Maria Wiesinger
11:55 – 12:15 Uhr	Diskussion	
12:15 – 13:45 Uhr	Mittagessen	



Scientists Lunch Symposium – registration will be offered via congress APP

12:30 – 01:30 Uhr Lunch Symposium for scientists
Sponsored by BIOMARIN
Title tbd

Wissenschaftler & Familien 13:45 – 15:15 Uhr Anästhesie und Skelettmanifestationen

13:45 – 14:15 Uhr Anästhesie bei MPS/ML und verwandten Krankheiten
Thorsten Dohrmann

14:15 – 14:45 Uhr Chirurgische and nicht chirurgische Behandlungsmöglichkeiten für Wirbelsäulenerkrankungen
Neil Oxborrow

14:45 – 15:15 Uhr Behandlungsmöglichkeiten für Hüftdysplasie und Deformitäten der unteren Gliedmaßen bei MPS/ML
Sandra Breyer

Zusätzlicher Workshop für Betroffene

14:00 – 15:30 Uhr Workshop 4 “Technical orthopedics”
Mike Unmacht

15:15 – 16:00 Uhr Kaffeepause

Wissenschaftler und Familien 16:00 – 18:00 Uhr Leben mit MPS aus Kinder-/Jugendperspektive



Chair: Stewart Rust

16:00 – 18:00 Uhr	Aus Erfahrung der Patienten“Älterwerd mit MPS”	Balint Velich, Alexia Brandau, Rachel Siew, Jenny Klein, Manoe Susanna
------------------------------	--	---

19:30– 22:30 Uhr	Netzwerk-Dinner in der Kongresshalle
-----------------------------	---

Sonntag, 7. April, 2024

**Wissenschaftler 09:00 – 10:30 Uhr
Posterprämierung**

Chair: Maurizio Scarpa

UHRZEIT	TITEL	REFERENT
09:00 – 09:30 Uhr	2 x short presentations	
09:30 – 10:00 Uhr	2 x short presentations	
10:00 – 10:30 Uhr	2 x short presentations	



Familien 09:00 – 10:30 Uhr Unterstützende Therapien

**09:00 –
09:30 Uhr** Osteopathie **Susanne
Kiener**

**09:30 –
10:00 Uhr** Schmerz-
Management –
State of the art **Lucia de
Zen**
sowie
zusätzliche
Behandlungsansatz

**10:00 –
10:30 Uhr** Psychologische
Unterstützung **Stewart
Rust**
für Patienten and
Familien

**10:30 –
11:00 Uhr** Kaffeepause

Wissenschaftler & Familien 11:00 – 12:30 Uhr Gesundheitsdienste Next Level

Chair: Simon Jones

**11:00 –
11:20 Uhr** MPS ähnliche
Erkrankungen **Kurt
Ullrich**

**11:20
-11:40 Uhr** Sichere Systeme
für MPS gestalten:
Eine neue **Florian
Lagler**
Perspektive für die
Patientensicherheit

**11:40 –
12:00 Uhr** Innovative Ansätze |
in der **Jama
Nateqi**
Gesundheitsversorg
- was sie leisten kör

**12:00 –
12:30 Uhr** Podiumsdiskussion:
Wohin gehen wir? **Umut
Akyol,
Roberto
Giugliani,
Mireia del**
Bedarfsorientierte
Entwicklung oder



produktgesteuerte
Nachfrage der
Patienten?

**Torro,
Jama
Nateqi,
Terri Klein**

**12:30 –
13:00 Uhr**

Auszeichnung der
wissenschaftlichen
Arbeiten & Take
home

**13:00–
13:15 Uhr**

Ausblick 2026 /
Verabschiedung

Seite drucken

