

Konferencja z okazji Międzynarodowego Dnia Dystrofii Mięśniowej 7 września 2023
Aula im. Leona Koźmińskiego Akademii Leona Koźmińskiego
"TYLKO RAZEM POKONAMY TĘ CHOROBE"
(uczelnie, naukowcy, badacze, lekarze, firmy farmaceutyczne, pacjenci i organizacje pacjenckie)

Prowadzenie konferencji: Lek. Łukasz Więch

Godzina		Temat	Panelista/Wykładowca	
od	do		Instytucja	Imię i Nazwisko
8:00	9:00	Rejestracja uczestników		
9:00	9:15	Przywitanie gości		
9:15	9:30	Film o Dystrofii Mięśniowej Duchenne'a	"Chcemy marzyć dłużej"	
9:30	11:00	Diagnoza i pomoc medyczna; Opieka w pierwszych latach choroby; Opieka nad pacjentem z zaawansowaną dystrofią mięśniową Duchenne'a Prowadzący: Prof. dr hab. n. med. Anna Kostera-Pruszczyk		
		Neurologia	Warszawski Uniwersytet Medyczny	Prof. dr hab. n. med. Anna Kostera-Pruszczyk Doc. dr hab. n. med. Anna Potulska-Chromik
		Fizjoterapia	Akademia Wychowania Fizycznego w Warszawie Warszawski Uniwersytet Medyczny	Dr hab.n. kf. Agnieszka Stępień mgr Małgorzata Burlewicz
		Zdrowie kości	Instytut Centrum Zdrowia Matki Polki w Łodzi	Dr n. med. Izabela Michałus
		Kardiologia	Warszawski Uniwersytet Medyczny	Doc. dr hab. n. med. Piotr Bienias
		Rejestr DMD - Treat-NMD	Warszawski Uniwersytet Medyczny	Dr n. med. Anna Łusakowska
11:00	11:20	Współpraca pomiędzy CKiK MSWiA i Fundacją StopDuchenne na rzecz chorych z DMD	Centrum Kardiologii Klinicznej Państwowego Instytut Medyczny MSWiA	Prof. dr hab. n. med. Piotr Szymański Dr n. med. Małgorzata Setny
11:20	11:30	Przerwa kawowa		
11:30	11:45	Mowa motywacyjna		Łukasz Krasoń
11:45	12:00	Jak istotny jest dobór odpowiedniego sprzętu rehabilitacyjnego	Firma CWI - Centrum Wózków Inwalidzkich	Rafał Kowalski
		Farmakoterapia DMD - dziś i jutro		
12:00	12:15	Leczenie pacjentów z mutacją nonsensowną Programy lekowe NFZ	Warszawski Uniwersytet Medyczny	Prof. dr hab. n. med. Anna Kostera-Pruszczyk
12:15	12:45	Ongoing clinical trials and emerging new treatment for DMD patients	University of Oxford	Profesor Laurent Servais
12:45	12:50	Film o Aptece i badaniach klinicznych	"Jak leki trafiają do Apteki"	
12:50	13:20	Udział pacjenta i jego rodziców w badaniach klinicznych Prowadzący: Magdalena Margasińska-Brach		
		Rola pacjenta, rodzica i organizacji pacjenckich w badaniach klinicznych (od projektu do wprowadzenia na rynek)	Caidya - Senior Director Project Management / Academic Lecturer and Educator	Magdalena Margasińska-Brach
		Etyczne aspekty udziału chorych w badaniach klinicznych	Uniwersytet Warszawski - Wydział Filozofii UW - Zakład Etyki Centrum Bioetyki i Bioprawa Naczelna Komisja Bioetyczna przy ABM	Prof. dr hab. Paweł Łuków
		Prawne aspekty udziału w badaniach - zasady organizacji i funkcjonowania Funduszu Kompensacyjnego Badań Klinicznych oraz odszkodowania.	Z-ca Dyrektora Departamentu Prawnego Biura Rzecznika Praw Pacjenta	Tomasz Młynarski
13:20	14:05	Przerwa - Lunch		

Konferencja z okazji Międzynarodowego Dnia Dystrofii Mięśniowej 7 września 2023
 Aula im. Leona Koźmińskiego Akademii Leona Koźmińskiego
"TYLKO RAZEM POKONAMY TĘ CHOROBE"
 (uczelnie, naukowcy, badacze, lekarze, firmy farmaceutyczne, pacjenci i organizacje pacjenckie)

Prowadzenie konferencji: Lek. Łukasz Więch

Godzina		Temat	Panelista/Wykładowca	
od	do		Instytucja	Imię i Nazwisko
14:05	14:35	Perspektywy czyli co czai się za rogiem. Background about stem cells and CRISPR Cas9 in general. Recent findings in testing of CRISPR therapies for DMD	Uniwersytet w Getyndze	Dr. rer. nat. Lukas Cyganek
14:35	15:05	Komórki macierzyste w badaniach mechanizmów i możliwości terapii dystrofii mięśniowej Duchenne'a.	Uniwersytet Jagielloński	Prof. dr hab. Józef Dulak
15:05	15:20	"Niekommercyjne badanie kliniczne MeDMD-pokonywanie barier w profilaktyce kardiologicznej i pacjentów DMD" Badanie finansowane przez budżet państwa z Agencji Badań Medycznych	Gdański Uniwersytet Medyczny	Prof. dr hab. n.med. Joanna Kwiatkowska Dr n. med. Jarosław Józef Meyer-Szary
15:20	15:30	Przerwa kawowa		
		Plan dla Chorób Rzadkich Prowadzący: Prof. dr hab. n. med. Anna Kostera-Pruszczyk		
15:30	15:45	Plan dla Chorób Rzadkich – założenia i realizacja	Warszawski Uniwersytet Medyczny	Prof. dr hab. n. med. Anna Kostera-Pruszczyk
15:45	16:00	Modele opieki koordynowanej w chorobach rzadkich	Warszawski Uniwersytet Medyczny	Dr hab. n. med. Anna Potulska-Chromik
16:00	16:15	Rejestr Chorób Rzadkich	Instytut "Pomnik-Centrum Zdrowia Dziecka"	Dr hab. n. med. Agnieszka Madej-Pilarczyk
		Badania kliniczne i co dalej. Dostęp do leków, wyrobów medycznych i środków specjalnego przeznaczenia żywieniowego stosowanych w chorobach rzadkich. Prowadzący: Dr n. med. Iga Lipska		
16:15	17:00	Rejestracja leków (dopuszczenie do obrotu). Ułatwienia i zachęty w procesie rejestracji dla produktów leczniczych stosowanych w chorobach rzadkich. Compassionate use. Refundacja leków stosowanych w chorobach rzadkich. Programy lekowe jako mechanizm refundacji leków w chorobach rzadkich. Włączanie pacjentów do programów lekowych. Ustawa o prawach pacjenta i Rzeczniku Praw Pacjenta	URPL - Dyrektor Departament Oceny Dokumentacji Produktów Leczniczych	Monika Trojan
			INFARMA - Związek Pracodawców Innowacyjnych Firm Farmaceutycznych	Przedstawiciel INFARMA
			ABM - Zastępca Dyrektora Centrum Rozwoju Badań Klinicznych	Dr n. med. Elżbieta Bylina
			CEO Sieradzka&Partners oraz Lawfully.pl	Aneta Sieradzaka
17:00		Zakończenie konferencji		