

"Tylko Razem Pokonamy tę Chorobę"**"Medycyna translacyjna w DMD/BMD i innych chorobach nerwowo-mięśniowych"**

Moderator konferencji: Lek. med. Łukasz Wiech, MBA

Godzina		Punkt agendy	Temat	Prelegent	
od	do			Imię i nazwisko	Instytucja
Dzień 1					
Część I – Badania podstawowe					
8:00	9:00	Rejestracja	Rejestracja gości		
9:00	9:10	Powitanie	Oficjalne powitanie Gości	Lek. med. Łukasz Więch, MD	Kozminski University Warsaw
				Prof. dr hab. n. med. Anna Kostera-Pruszczyk	Warsaw Medical University Warsaw
				Prof. Józef Dulak	Jagiellonian University Krakow
					StopDuchenne Foundation Warsaw
9:10	10:10	Wykład otwierający	Rozwój terapii genowych nowej generacji w dystrofii mięśniowej Duchenne’a	Prof. Jeffrey S. Chamberlain.	University of Washington USA
10:10	10:40	Wykład	Nowe strategie zwiększenia efektywności terapeutycznego mRNA	Prof. Jacek Jemielity	Warsaw University
10:40	11:10	Wykład	Komórki macierzyste w modelowaniu mechanizmów chorób i testowaniu potencjalnych terapii	Prof. Józef Dulak	Jagiellonian University Krakow
11:10	11:50	Przerwa	Kawa i rozmowy w kularach		
11:50	12:20	Wykład	Terapia genowa ex vivo w dystrofii mięśniowej Duchenne’a	Prof. Giulio Cossu	The University of Manchester UK
12:20	12:50	Wykład	Od zrozumienia dystrofii mięśniowej LAMA2 do innowacyjnej podwójnej terapii genowej z wykorzystaniem AAV	Prof. Markus Rüegg	University of Basel Switzerland
12:50	13:20	Wykład	Terapie oparte na siarkowodorze w dystrofii mięśniowej Duchenne’a: ocena przedkliniczna na modelu myszy dystroficznych	Prof. Agnieszka Łoboda	Jagiellonian University Krakow
13:20	13:50	Wykład	Podejścia do terapii genowej w dominujących dystrofiach mięśniowych	Prof. Joel Chamberlain	University of Washington USA
13:50	14:50	Przerwa	Lunch i rozmowy w kularach		
14:50	15:20	Wykład	Receptor P2X7 jako cel terapeutyczny w DMD – mechanizmy i możliwości	Prof. Dariusz C. Górecki MD. PhD	School of Medicine, Pharmacy and Biomedical Sciences; University of Portsmouth, UK
Day 1					
Część II – Badania kliniczne i zastosowania kliniczne					
15:20	15:35	Wykład	Receptor P2X7 w niekomercyjnych badaniach klinicznych To Slow DMD - Projekt finansowany przez ABM	Dr hab. n. med. Anna Potulska-Chromik PhD Prof. dr hab. n. med. Anna Kostera-Pruszczyk	Warsaw Medical University
15:35	16:05	On-Line Wykład	Rozwój terapii klinicznej opartej na pomijaniu egzonomów – analiza niepowodzeń wynikających z niewłaściwego przygotowania i błędnych założeń oraz wnioski, jakie można z tego wyciągnąć	Prof. Annemieke Aartsma-Rus	Leiden University The Netherlands
16:05	16:40	Przerwa	Kawa i rozmowy w kularach		
16:40	18:10	Panel dyskusyjny	Nowe terapie w badaniach podstawowych – od koncepcji do obiecujących wyników” Panel dyskusyjny z udziałem czołowych badaczy na temat tego, jak odkrycia laboratoryjne są przekładane na potencjalne terapie. Rozmowa skoncentruje się na obiecujących podejściach terapeutycznych w dystrofii mięśniowej Duchenne’a (DMD) oraz innych chorobach erwowo-mięśniowych (takich jak LAMA2-CMD, dystrofie miotoniczne, LGMD i inne), które znajdują się na wczesnym etapie rozwoju.	Moderator Prof. Józef Dulak Uczestnicy dyskusji: Prof. Jeffrey S. Chamberlain, Prof. Joel Chamberlain Prof. Giulio Cossu, Prof. Markus Rüegg, Dr Jean-François Briand PhD Prof. Agnieszka Łoboda Prof. Darek Górecki Prof. Anna Kostera-Pruszczyk Prof. Annemieke Aartsma-Rus	
18:10	18:20	Zdjęcie	Wspólne zdjęcie uczestników konferencji		
18:20		Zakończenie pierwszego dnia konferencji			

Godzina		Punkt agendy	Temat	Prelegent	
od	do			Imię i nazwisko	Instytucja
Day 2					
Część III – Badania kliniczne i zastosowania kliniczne					
9:00	9:30	Wykład	Z perspektywy Parexel jako wiodącej organizacji CRO - Przegląd aktualnych kluczowych osiągnięć w badaniach klinicznych DMD - Jak uczynić badania kliniczne bardziej przyjaznymi dla pacjentów - Wczesne włączanie pacjentów w proces rozwoju leków w firmach farmaceutycznych i biotechnologicznych – ich wkład w programy i dokumenty projektowe - Partnerstwo pomiędzy CRO a organizacjami pacjentskimi: szanse i wyzwania	Rachel Smith (Rare Disease Therapeutic Area Lead) Dominika Wolska-Mularzuk (Project Leader)	Parexel International
9:30	10:00	Wykład	GNT-0004 – aktualne informacje: rola organizacji pacjentskiej w rozwoju obiecującej terapii genowej w DMD	Dr Jean-François Briand PhD	AFM Telethon - France
10:00	10:30	Wykład	To Slow DMD - Niekomercyjne badanie kliniczne III fazy mające na celu spowolnienie postępu DMD - Projekt finansowany przez ABM	Dr hab. n. med. Anna Potulska-Chromik PhD Prof. dr hab. n. med. Anna Kostera-Pruszczyk	Warsaw Medical University
10:30	11:00	Wykład	Terapie DMD dostępne w Europie	Dr hab. n. med. Anna Potulska-Chromik PhD	Warsaw Medical University
11:00	11:10	Prezentacja firmy	Innowacyjne urządzenia wspomagające i rozwiązania mobilne		Centrum Wózków Inwalidzkich (CWI) Lublin
11:10	11:50	Przerwa	Kawa i rozmowy w kularach		
11:50	12:20	Wykład	Doskonalenie i optymalizacja badań klinicznych - znaczenie perspektywy pacjenta w ich projektowaniu i realizacji	Dr Hanna Preus MBA, FRQA, MICR	TFS HealthScience Imperial College Business School London UK
12:20	12:40	Wykład	Bezpieczeństwo przede wszystkim – co każdy pacjent powinien wiedzieć o badaniach klinicznych i nowych lekach	Weonika Lepionka	Ekspert ds.. Bezpieczeństwa Farmakoterapii firma Pfizer
12:40	13:00	Wykład	Bezpieczeństwo prawne pacjenta w badaniach klinicznych: zgoda, odszkodowania, odpowiedzialność	Piotr Zięcik, Adwokat	Adwokat Partner w kancelarii ZFlegal Zięcik, Miłowska i Partnerzy
13:00	13:30	Wykład	Mechanizmy refundacji leków stosowanych w chorobach rzadkich i rola pacjentów	Izabela Pieniazek, MSc	Senior Director Centre of Excellence at Global Evidence Synthesis Department - Arcana a Certara Company
13:30	13:45	Wykład	Walidacja modyfikacji α-synukleiny w przebiegu choroby Parkinsona (VaMPIRE)	Dr hab. Tomasz Stępień PhD	IPIN Warszawa
13:45	13:55	Prezentacja firmy	Innowacyjne urządzenia transferowe w codziennej opiece - bezpieczeństwo pacjenta i komfort opiekuna.		WinnCare Polska Sp. z o.o.
13:55	14:55	Przerwa	Lunch i rozmowy w kularach		
14:55	15:15	Wykład	Wprowadzenie do panelu dyskusyjnego Jak rodzice stali się inicjatorami badań. Rzecznik pacjentów reprezentujący osoby dotknięte chorobami ultrazadkami podzieli się osobistą historią – od momentu diagnozy ultrazadkowej choroby genetycznej u swojej córki, aż po założenie międzynarodowej fundacji badawczej. To wprowadzenie ukaże historię PACS2, wyzwania i osiągnięcia oddolnych działań na rzecz rozwoju terapii oraz stworzy kontekst dla dalszej dyskusji panelowej.	Piotr Kośła	PACS2 Research Foundation
15:15	16:45	Panel dyskusyjny	Od badań do zastosowań terapeutycznych – jak przyspieszyć i odblokować ścieżkę do nowych leków” Panel zgromadzi klinicystów, naukowców, przedstawicieli firm farmaceutycznych oraz rzeczników pacjentów, aby omówić, w jaki sposób obiecujące wyniki badań można skutecznie przekładać na dostępne terapie. Dyskusja przeanalizuje istniejące bariery regulacyjne, finansowe i organizacyjne oraz rozważy, które rozwiązania można wdrożyć szybko, a które wymagają długoterminowych inwestycji i zmian strukturalnych. Celem jest nakreślenie wizji, w której Polska staje się innowacyjnym, dynamicznym ośrodkiem badań naukowych i klinicznych – miejscem, w które firmy farmaceutyczne chcą inwestować, a pacjenci zyskują szybszy dostęp do najnowocześniejszych metod leczenia.	Moderator: Piotr Sawicki - Luxmed Onkologia Uczestnicy dyskusji: Dr Jean-François Briand - AFM Thelethon Ireneusz Staroń - Z-ca Prezesa ABM Prof. Anna Kostera-Pruszczyk - WUM Aldona Chmielewska - Fundacja AGO Alliance Poland Magdalena Margasińska-Brach - Caidya Kinga Adamczyk	
16:45	16:50	Podsumowanie konferencji	Podsumowanie i oficjalne zakończenie Przedstawiciele komitetu organizacyjnego podsumują kluczowe wątki dyskusji i oficjalnie zamkną konferencję. Podziękują prelegentom, uczestnikom oraz sponsorom za ich cenny wkład. W wystąpieniu końcowym zostanie podkreślona nasza wspólna misja oraz znaczenie dalszych, wspólnych działań — ponieważ tylko razem możemy pokonać tę chorobę.		
16:50	17:00	Zdjęcie	Wspólne zdjęcie uczestników konferencji		
17:00		Zakończenie konferencji			