



Erlanger Schloßgarten mit Orangerie  
erbaut 1705

# Therapiekonzepte bei angeborenen Stoffwechselerkrankungen: Blickpunkt Pharmakotherapie



**23. Jahrestagung  
der Arbeitsgemeinschaft  
für Pädiatrische Stoffwechselstörungen  
vom 11. - 13. März 2009  
Fulda**

# ALLGEMEINE HINWEISE



## **Tagungsort**

MARITIM-Hotel am Schloßgarten  
Pauluspromenade 2

D - 36037 Fulda

Telefon: +49 - 661 - 282 0

Telefax: +49 - 661 - 282 499

## **An- und Abreise**

Mit dem Zug: [nach eigenem Arrangement]

- mit ICE-Zügen sehr gut zu erreichen (auch vom Flughafen Frankfurt aus)

Mit dem PKW: [nach eigenem Zeitplan]

- Autobahn »Kassel – Würzburg«, Ausfahrt FULDA NORD, dann stadteinwärts über die Leipziger Straße, durch die Bahn-Unterführung, geradeaus weiter bis zur 3. Ampel, an der 3. Ampel (vor der Tunneleinfahrt) links einordnen und weiter bis zum ›Paulus-Tor«. Parkmöglichkeit im Parkhaus des Hotels.

## **Tagungsgebühr**

Für *Nicht-Mitglieder* der APS sind 85,- €, für *Mitglieder* 50,- € zum Zeitpunkt der Anmeldung, spätestens aber 1 Woche vor Beginn der Tagung auf das Konto der APS (Deutsche Apotheker- und Ärztekbank Hamburg, Konto 0007 249 330, BLZ 200 906 02) einzuzahlen. In Ausnahmefällen (z. B. für ausländische Teilnehmer) ist eine Zahlung vor Ort möglich.

*Studenten und Doktoranden* sind bei Vorlage einer entsprechenden Bescheinigung von dieser Gebühr befreit.

## **Unterbringung**

Im Tagungshotel wurde ein preiswertes Zimmer-Kontingent reserviert, aus dem Sie (nur über den Symposium-Support-Service) Ihre persönliche Reservierung abrufen können.

MARITIM-HOTEL am Schloßgarten

Komfort-Zimmer, Bad + WC, Schwimmbad

EZ/Nacht incl. Frühstück: 75,- €

DZ/Nacht incl. Frühstück: 120,- €

Über das Städt. Verkehrsbüro (+ 49 - 661-102 1813) können Sie auch andere, individuelle Arrangements organisieren.

# ZEITPLAN



## Vorprogramm

11.3.2009  
14.00 - 20.00 h  
Pavillon I

APS-Vorstandssitzung

## Tagungsprogramm

12.3.2009  
8.50 - 18.15 h  
Großer Saal

Programm der Jahrestagung

12.3.2009  
18.30 - 19.30 h  
Gelber Saal

APS-Mitgliederversammlung

12.3.2009  
19.30 - 20.00 h  
Pavillon I

SSIEM-Kolloquium

12.3.2009  
20.00 h

Abendessen

13.3.2009  
8.45 - 13.00 h  
Großer Saal

Programm der Jahrestagung

## Rahmenprogramm

11.3.2009  
20.30 h

Empfang im MARITIM für die Teilnehmer der Jahrestagung  
Gemeinsames Abendessen und zwangloses Beisammensein

12.3.2009  
20.30 h

»Stoffwechsel-Stammtisch« und Jazz-Abend im 'Diana-Keller'

# PROGRAMM



**Donnerstag, 12. März 2009**

- 8.50 h *Begrüßung und Einleitung* I. Knerr  
Erlangen
- Rechtliche Aspekte und Rahmenbedingungen:  
Klinische Studien, Orphan Drugs, Off-Label-Use  
von Medikamenten für die Behandlung seltener  
Stoffwechselkrankheiten**  
Vorsitz: I. Knerr, Erlangen H. G. Koch, Braunschweig
- 9.00 h Klinische Studien und Zulassung von Arzneimitteln  
in Folge der EU-Kinderarzneimittelverordnung W. Rascher  
Erlangen
- 9.30 h Orphan-Drug-Verordnung:  
ein Meilenstein auch aus klinischer Sicht? F. Lagler  
Innsbruck
- 10.00 h Wirtschaftlichkeitsgebot und Off-Label-Use von Medikamenten  
für die Behandlung seltener Stoffwechselerkrankungen aus  
Sicht des MDK L. Grell  
Paderborn
- .....
- 10.30 - 11.00 h *Kaffee-Pause / Poster*  
.....
- Neuere Therapieansätze und Therapieprinzipien:  
Chaperone systems; Transportersysteme und  
anaplerotische Substanzen**  
Vorsitz: H.-J. Böhles, Frankfurt A. M. Das, Hannover
- 11.00 h Chaperone systems: From the pathogenesis of metabolic  
disorders to potential areas of intervention N. Gregersen  
Århus
- 11.45 h Transportersysteme und andere Targets für die Pharmako-  
therapie metabolischer Erkrankungen A. Nies  
Stuttgart
- 12.15 h Therapeutisches Potential von anaplerotischen Substanzen  
und Cofaktoren bei mitochondrialen Erkrankungen P. Freisinger  
München
- .....
- 12.45 - 14.00 h *Mittagessen*  
.....

# PROGRAMM



**Donnerstag, 12. März 2009**

14.00 h **Posterführung**

bis 15.00 h  
Vorsitz: S. Schweitzer-Krantz, Düsseldorf W. Marg, Bremen

**Therapiestrategien am Beispiel ausgewählter metabolischer Erkrankungen, basierend auf Tiermodell und Patientenevaluation (I)**

Vorsitz: R. Ensenauer, München R. Santer, Hamburg

15.00 h Therapiestrategien bei Glutaracidurie Typ 1

S. Kölker  
Heidelberg

15.20 h Therapiestrategien bei SSADH-Mangel

I. Knerr  
Erlangen

15.40 h *Freie Vorträge I*

- ◇
- ◇
- ◇

---

16.10 - 16.45 h *Kaffee-Pause*

---

**Therapiestrategien am Beispiel ausgewählter metabolischer Erkrankungen, basierend auf Tiermodell und Patientenevaluation (II)**

Vorsitz: S. Grünewald, London E. Mengel, Mainz

16.45 h Substrate depletion therapy and enzyme inhibition in  
GAMT deficiency

A. Schulze  
Toronto

17.05 h Enzymersatztherapie am Beispiel der Mucopolysaccharidose Typ II

O. Bodamer  
Wien

17.25 h *Freie Vorträge II*

- ◇
- ◇
- ◇
- ◇

18.15 h Ende des wissenschaftlichen Programms des 1. Tages

---

18.30 - 19.30 h *APS-Mitgliederversammlung*

---

# PROGRAMM

**APS**  
2009

**Freitag, 13. März 2009**

8.45 h *Begrüßung*

**Stammzelltherapie und Gentherapie:  
Therapieoption bei genetisch bedingten Stoffwechselkrankheiten  
– Present State and Future Perspectives**

Vorsitz: U. Spiekercötter, Düsseldorf J. Zschocke, Innsbruck

8.50 h Stammzelltherapie – Therapieoption bei genetisch bedingten Stoffwechselerkrankungen W. Engel  
Göttingen

9.20 h Gentherapie – Therapieoption bei genetisch bedingten Stoffwechselerkrankungen J. Reiss  
Göttingen

9.50 h *Freie Vorträge III*

◇

◇

◇

◇

---

10.30 - 11.00 h *Kaffee-Pause / Poster*

---

**Praktische Aspekte bei der Pharmakotherapie und Diätetik  
angeborener Stoffwechselkrankheiten**

Vorsitz: D. Möslinger, Wien J. O. Saß, Freiburg

11.00 h *Freie Vorträge IV*

◇

◇

◇

◇

◇

◇

12.00 h Diätetische und medikamentöse Therapiestrategien bei Phenylketonurie: Ein Update J. Hennermann  
Berlin

12.20 h Postprandiale Kinetik der Plasma-Aminosäuren: Konsequenzen für Diagnostik und Therapie C. Bachmann  
Böttmingen/Basel

---

13.00 h *Mittagessen*

---

*Individuelle Abreise bzw. Teilnahme am »Stoffwechselfseminar«*

# BESONDERE HINWEISE



## **Deadline für Abstracts ist der 18. Januar 2009**

Die *Abstracts* sollten nicht mehr als 1200 Zeichen umfassen (incl. Titel und Autoren). Sie sollten die übliche Strukturierung (Einleitung, Patienten/Methoden, Ergebnisse, Schlussfolgerung) einhalten.

*Abstracts* zu freien Vorträgen sollen, wie die Vorträge selbst, in deutscher Sprache verfasst sein, aber auch Englisch ist im Ausnahmefall möglich. Es werden 15 bis 20 freie Vorträge (zu je 10 min inkl. Diskussion) und maximal 25 Poster angenommen.

*Abstracts* bitte online über die **APS-Homepage** ([www.aps-med.de](http://www.aps-med.de)) einreichen. Sollte es technische Probleme geben, ist alternativ auch die Einreichung per e-mail an [ina.knerr@uk-erlangen.de](mailto:ina.knerr@uk-erlangen.de) möglich.

## **Die APS verleiht wieder Preise zu je 500 €**

- 1 Anerkennungspreis für die beste Präsentation aus dem Bereich 'Klinik'
- 1 Anerkennungspreis für die beste Präsentation aus dem Bereich 'Labor'

Außerdem hat Frau Dr. Wachtel, Ehrenmitglied der APS, einen zusätzlichen, mit 500 € dotierten Preis gestiftet. Mit diesem Preis soll in jedem Jahr ein(e) Wissenschaftler(in) aus Europa (unter 35 Jahren) ausgezeichnet werden, die/der auf der APS-Jahrestagung das beste Poster über eine pädiatrische Stoffwechselstörung präsentiert.

Die Preise werden durch eine Jury aus dem APS-Vorstand vergeben und am Ende der Jahrestagung verliehen. Es wird darum gebeten, dass die Preisträger zur Verleihung der Preise persönlich anwesend sind.

**Die Veranstaltung wurde von der Landesärztekammer Hessen anerkannt und ist mit insgesamt 14 Punkten anrechenbar.**

Für Ihre Powerpoint-Präsentationen können Sie folgende Leistungsmerkmale von der eingesetzten Präsentationstechnik erwarten:

Server: 3,3 GHz Taktfrequenz, 2 GB RAM, Grafikkarte 512 MB, Windows XP und Powerpoint 2003.

Beamer: Panasonic DLP Datenprojektor 1.400 x 1.050 (SXGA+) und 10.000 ANSI-Lumen.

Aus Kompatibilitäts-Gründen sollten Sie auf den Einsatz Ihres eigenen Notebooks für Ihre Präsentation verzichten.

Bitte, bringen Sie Ihre Präsentation als pc-lauffähige Datei auf einem Datenträger mit. CD-ROM, DVD oder Memory-Stick sind sehr willkommen. Sie sollten nach dem Kopieren oder Brennen die Lauffähigkeit der Präsentation überprüfen. Die Verantwortung für die Lauffähigkeit der Präsentation liegt beim Vortragenden.

Soweit Sie bei der Erstellung der Powerpoint-Präsentation Bilder, Videos und Audios einbeziehen, bitte darauf achten, dass die einbezogenen Daten folgende Formate aufweisen:

Bilder: **.jpg**

Videos: **.avi**

Audios: **.wav**

Selbstverständlich müssen die Bilder, Videos oder Audios auf Ihrem Datenträger vollständig mitgeführt werden. Bitte, beim Kopieren der Präsentation unbedingt darauf achten!

**Bitte, geben Sie Ihren Datenträger 2 h vor Ihrem Präsentationstermin am ‚PreView‘-Desk ab.**

Sie können Ihre Präsentation auch vorab als e-mail-attachment an [meetings@shs-heilbronn.de](mailto:meetings@shs-heilbronn.de) schicken (spätestens bis zum 9. März 2009).

MAC-User werden dringend gebeten, ihre Präsentation pc-lauffähig auf den Datenträger zu kopieren und sich unbedingt selbst zu vergewissern, dass die problemlose Lauffähigkeit gewährleistet ist.







Ausrichter:

PD Dr. med. Ina Knerr  
Kinder- und Jugendklinik  
Schwerpunkt Kinder-Endokrinologie,  
Diabetologie und Stoffwechselmedizin  
Loschgestraße 15  
D-91054 Erlangen  
Telefon: + 49-9131-853 3118  
Telefax: + 49-9131-853 3713  
e-mail: ina.knerr@uk-erlangen.de

Service:

Symposium Support Service  
SHS Gesellschaft für klinische Ernährung mbH  
Patricia Stäbe / Silja Korn/Christine Berg  
Postfach 3061  
D-74020 Heilbronn  
Telefon: + 49 -7131- 58 30 12/64/81  
Telefax: + 49 -7131- 58 30 61  
e-mail: meetings@shs-heilbronn.de