



DIGITAL | 25. KONGRESS

des Medizinisch-Wissenschaftlichen Beirates der
Deutschen Gesellschaft für Muskelkranke e. V.

23.–27. MÄRZ 2021

www.dgm-kongress.de



DGM

Deutsche Gesellschaft
für Muskelkranke e. V.



PROGRAMM



Forschung **Leben zählt**

für das, was im

Hoffnung für Menschen mit SMA

Die spinale Muskelatrophie (SMA) ist eine seltene neuromuskuläre Erkrankung, die zur Schädigung und zum Absterben von Nervenzellen führt. Unter Säuglingen und Kleinkindern ist SMA die häufigste erbliche Erkrankung mit Todesfolge. Mit dem Ziel, die Lebensqualität von Menschen mit SMA zu verbessern, treibt Biogen die Forschung zur Behandlung dieser schweren Erkrankung voran.

biogen.de

 **Biogen.**

Programmübersicht

Dienstag, 23. und Mittwoch, 24. März	4
Donnerstag, 25. März.....	5
7. Hallenser Fortbildungskurs Muskelerkrankungen Freitag, 26. März.....	6
Patientenfachtag, Samstag, 27. März	6
Organisation und Impressum.....	8
Wichtige Informationen zum digitalen DGM-Kongress	9
Grußwort	
der Tagungsleitung	11
des Oberbürgermeisters der Stadt Jena.....	12
des Thüringer Ministers für Wirtschaft, Wissenschaft und Digitale Gesellschaft	13
der Tagungsleitung des 7. Hallenser Fortbildungskurses Muskelerkrankungen	14
Programm	
Dienstag, 23. März.....	15
Mittwoch, 24. März	16
Donnerstag, 25. März.....	22
ePoster-Sitzungen	
Mittwoch, 24. März	27
Donnerstag, 25. März.....	32
7. Hallenser Fortbildungskurs Muskelerkrankungen Freitag, 26. März.....	36
Patientenfachtag Samstag, 27. März	38
Industriesymposien, Meet the Expert.....	40
Weiteres	
Sponsoren und Aussteller	48
Allgemeine Informationen	50
Index präsentierende Autoren, Referenten und Vorsitzende	54
Notizen.....	57

Dienstag, 23. März	Mittwoch, 24. März				
Raum 1 mit Live-Diskussion	Raum 1 mit Live-Diskussion	Raum 2 mit Live-Diskussion	Raum 3 mit Live-Diskussion	Raum 4 mit Live-Diskussion	Raum 5 mit Live-Diskussion
		08:00–09:00 Industrie- symposium 1 Argenx S. 40			
	09:00–11:00 Eröffnung und Plenarsitzung 1 Gesellschaftlicher Impact – Eintritt in das Zeitalter der Gentherapie S. 16				
		11:15–12:15 Industrie- symposium 2 Roche Pharma S. 40	11:15–12:15 Industrie- symposium 3 Sanofi Aventis S. 40	11:15–12:15 Industrie- symposium 4 UCB Pharma S. 42	
		12:30–13:15 Sitzung 1 S. 16	12:30–13:15 Sitzung 3 S. 17		
		13:15–14:00 Sitzung 2 S. 17	13:15–14:00 Sitzung 4 S. 17		
		14:15–15:15 Industrie- symposium 5 Novartis S. 42		14:00–14:15 Meet the Expert S. 42	
		15:30–16:15 Sitzung 5 S. 18	15:30–16:15 Sitzung 7 S. 18		
16:00–18:00 Patientenlotsen an Neuromuskulären Zentren S. 15		16:15–17:00 Sitzung 6 S. 18	16:15–17:00 Sitzung 8 S. 19		
		17:15–18:00 ePoster-Sitzung 1 S. 27	17:15–18:00 ePoster-Sitzung 2 S. 27	17:15–18:15 ePoster-Sitzung 3 S. 28	17:15–18:15 ePoster-Sitzung 4 S. 29
					17:15–17:45 ePoster-Sitz. 5 S. 30
					17:45–18:15 ePoster-Sitz. 6 S. 31
		18:15–19:30 Sitzung 9 S. 19	18:15–19:45 Sitzung 10 S. 20		
		19:45–21:00 Get-Together und Preise S. 21/52			

Wissenschaftliche Sitzungen
mit aktiver Live-Diskussion
und Möglichkeit der
Anschlussdiskussion
nach Sitzungsende

Donnerstag, 25. März				
Raum 1 mit Live-Diskussion	Raum 2 mit Live-Diskussion	Raum 3 mit Live-Diskussion	Raum 4 mit Live-Diskussion	Raum 5 mit Live-Diskussion
	08:00–09:00	08:00–09:00		
	Industrie- symposium 6 Hormosan Pharma S. 44	Industrie- symposium 7 PTC Therapeutics S. 44		
09:00–11:00				
Plenarsitzung 2 Podiumsdiskussion: Herausforderung der modernen Medizin: Was kostet der Fortschritt? S. 22				
11:15–12:15	11:15–12:15	11:15–12:15		
Industrie- symposium 8 Audentes S. 44	Industrie- symposium 9 Alexion Pharma S. 46	Industrie- symposium 10 Sarepta Therapeutics S. 46		
12:30–13:15	12:30–13:15			
Sitzung 11 S. 22	Sitzung 13 S. 23			
13:15–14:00	13:15–14:00			
Sitzung 12 S. 23	Sitzung 14 S. 23			
14:15–15:15				
Industrie- symposium 11 Biogen S. 46				
15:30–16:15	15:30–16:15			
Sitzung 15 S. 24	Sitzung 17 S. 24			
16:15–17:00	16:15–17:00			
Sitzung 16 S. 24	Sitzung 18 S. 25			
17:15–18:15	17:15–18:15	17:15–18:15	17:15–18:15	17:15–18:15
ePoster-Sitzung 7 S. 32	ePoster-Sitzung 8 S. 33	ePoster-Sitzung 9 S. 34	ePoster-Sitzung 10 S. 35	ePoster-Sitzung 11 S. 35
18:30–19:15	18:30–19:15			
Sitzung 19 S. 25	Sitzung 20 S. 25			
19:30–20:00				
Verabschiedung S. 26				

ePoster-Sitzungen
komplett live und Möglichkeit
direkter Einzelgespräche
mit den Referenten

Starke Partnerschaft



© shutterfly/Baranov E. - shutterstock.com

Ob digital, hybrid oder präsent – alle Lösungen
für Ihren Kongress aus einer Hand.

conventus

CONGRESSMANAGEMENT

www.conventus.de

Datum

23.–27. März 2021

Kongresshomepage

www.dgm-kongress.de

Programmbestandteile

Wissenschaftlicher Kongress
7. Hallenser Fortbildungskurs Muskelerkrankungen
Patientenfachtag

23.–25. März 2021

26. März 2021

27. März 2021

Wissenschaftliches Programm

Deutsche Gesellschaft für Muskelkranke e. V. (DGM)



in Kooperation
mit dem Universitätsklinikum Jena und



dem Thüringer Muskelzentrum



Tagungsleitung

PD Dr. med. Julian Grosskreutz

Sprecher des Thüringer Muskelzentrums
Universitätsklinikum Jena | Klinik für Neurologie

Kongress-Komitee

Prof. Dr. med. Cornelia Kornblum (Bonn)
Prof. Dr. med. Wolfgang Müller-Felber (München)
Prof. Dr. med. Ulrike Schara-Schmidt (Essen)
Prof. Dr. med. Jens Schmidt (Göttingen)
Prof. Dr. med. Benedikt Schoser (München)
Prof. Dr. med. Ekkehard Wilichowski (Göttingen)

Tagungsorganisation und Veranstalter

Conventus Congressmanagement & Marketing GmbH
Franziska Thiele | Martin Rennert
Carl-Pulfrich-Straße 1 | 07745 Jena
Tel. +49 3641 31 16-271 | 340
dgm@conventus.de | www.conventus.de

Programmerstellung

Satz krea.tif-studio UG (haftungsbeschränkt)
Druck www.printworld.de
Redaktionsschluss 26. Februar 2021



Nutzen Sie das vielfältige Programmangebot und seien Sie aktiv dabei!

In den Vortragssitzungen

- Möglichkeit der Live-Diskussion – Sprechen Sie live mit Ton und treten mit den Rednern in Direktaustausch (Fragen per Textchat ebenfalls möglich)
- Nutzen Sie den Break-Out-Raum „Anschlussdiskussion“ nach jedem Sitzungsende und treffen sich im gemeinsamen Video-Call mit Kollegen

In den ePoster-Sitzungen

- Präsentation und Diskussion der ePoster komplett live
- Möglichkeit des Einzelgesprächs mit den Rednern in dafür vorbereiteten Break-Out-Räumen



Technische Voraussetzungen

- Um eine bestmögliche Übertragungsqualität und -stabilität zu gewährleisten, wird die Nutzung einer direkten LAN-Verbindung (gegenüber WLAN) empfohlen.
- Vergewissern Sie sich vor dem Kongress, dass die Ton- und Videoqualität Ihres Computers/Laptops gut ist.
- Vergewissern Sie sich, dass Sie die aktuellste Version Ihres Browsers nutzen. Die Nutzung von Internet Explorer als Browser kann nicht empfohlen werden. Achten Sie weiterhin darauf, dass Sie nicht allzu viele Tabs in Ihrem Browser geöffnet haben.



Zur Teilnahme am wissenschaftlichen Programm

Bitte kontrollieren Sie, ob Ihr Browser und Betriebssystem die Wiedergabe von Vimeo unterstützen:

<https://vimeo.zendesk.com/hc/de/articles/360001624108-Systemvoraussetzungenfür-Anschauen-Browsen-und-Apps>



Registrierung und Log-in

Sie erreichen die Seite des digitalen Kongresses über www.dgm-digital.de. Auf der sich anschließenden Startseite können Sie sich unter dem Punkt „Kongressticket buchen“ jederzeit zum Kongress anmelden. Sollten Sie sich schon registriert haben, gelangen Sie dort unter dem Punkt „Login“ zum Anmeldeportal des Kongresses, um in die Welt des digitalen DGM-Kongresses einzutauchen.



On Demand – Kongressmaterial auf Abruf

Das Kongressmaterial mit allen Vorträgen und ePostern steht Ihnen nach Veranstaltungsende bis zum 30. Juni 2021 unter www.dgm-digital.de zur Verfügung. Bitte beachten Sie, dass es den Autoren/innen freigestellt ist, ob ihre Vorträge nach dem Kongress online verfügbar sein dürfen. Daher können Lücken im Programm entstehen.

Bitte beachten Sie weiterhin, dass der Besuch des Kongresses nach dem Kongresszeitraum nicht von der Landesärztekammer anerkannt wird und damit nicht zertifiziert ist.



Programmablauf und Durchführung

Plenarsitzungen

- Die Referenten/innen und Vorsitzenden sind live per Video zugeschaltet.
- Die Referenten/innen halten ihre Vorträge live.
- Die Teilnehmer/innen können Fragen per Chat stellen; die Fragen werden von den Vorsitzenden gesichtet, vorgelesen und von den Referenten/innen live beantwortet.
- Die Sitzung wird öffentlich unter www.dgm-kongress.de für alle Interessierten (auch Nicht-Kongressteilnehmer) gestreamt.

Wissenschaftliche Sitzungen

- Die Referenten/innen nehmen ihre Vorträge im Voraus auf.
- Zur Sitzung werden diese von den Vorsitzenden anmoderiert und anschließend abgespielt.
- Die Referenten/innen und Vorsitzenden sind live per Video zugeschaltet.
- Die Teilnehmer/innen können Fragen per Text-Chat stellen oder direkt am Live-Diskussionsforum mit den Referenten/innen und Vorsitzenden per Wortmeldung teilnehmen.
- Nach offiziellem Ende der Sitzung besteht die Möglichkeit einer 15-minütigen Anschlussdiskussion. Interessierte Vorsitzende, Referenten und Teilnehmer können zum weiteren Austausch in ein separates Meeting wechseln.

ePoster-Sitzungen

- Die Referenten/innen und Vorsitzenden sind live per Zoom-Meeting zugeschaltet.
- Die Referenten/innen halten ihre drei-minütigen ePoster-Vorträge live.
- Die Teilnehmer/innen und Vorsitzenden können im Rahmen der Diskussionszeit Fragen im Zoom-Meeting stellen und die Autoren/innen live antworten.
- Teilnehmer/-gruppen können während der Sitzung und nach vorheriger Chatanfrage des jeweiligen Posterautors in ein gemeinsames Direktmeeting treten (Break-Out-Funktion).
- Die ePoster-Folien sind darüber hinaus online über www.dgm-digital.de zum Selbststudium jederzeit einsehbar.

Workshop Patientenlotse, Preisverleihung und Get Together

- Die Referenten/innen, Laudatoren sowie die Teilnehmer/innen sind live per Zoom-Meeting zugeschaltet.

Industriesymposien

- Industrie gesponserte, wissenschaftliche Veranstaltung
- Live-Symposium oder voraufgezeichnete Präsentationen



Liebe Kolleginnen und Kollegen,

ich möchte Sie sehr herzlich zum 25. Kongress des Wissenschaftlichen Beirats der Deutschen Gesellschaft für Muskelkranke e.V. vom 23.–27. März 2021 einladen, der in diesem Jahr zum ersten Mal digital durchgeführt wird. Das wissenschaftliche Programm beleuchtet die Erforschung neuromuskulärer Erkrankungen aus dem Blickwinkel der Krankheitsprogredienz über alle Altersstufen hinweg. Mit dem Schwerpunkt auf dem Thema Gentherapien nimmt es die aktuellen wissenschaftlichen, medizinischen und gesellschaftlichen Herausforderungen an, die die Verfügbarkeit einzelner hochwirksamer neuer Behandlungsmöglichkeiten und die damit für neuromuskuläre Patienten verbundene Hoffnung mit sich bringen.

Der Blick auf die Entität Krankheitsprogredienz stellt zugleich die Frage nach genetischer Prädisposition, konkreter molekularer Ursache, nach therapeutischen Angriffspunkten, den Folgen von oft lebenslanger Krankheit und ebenso den Folgen potentiell lebenslang wirksamen Therapieformen für die Körper der Betroffenen und die Frage nach den Auswirkungen auf ihre Lebensrealität im System der Gesundheitsökonomie. Eine Reihe von Plenarsitzungen und Symposien werden die Gemeinsamkeiten und Unterschiede zwischen Muskelkrankheiten, Motoneuronerkrankungen, Erkrankungen der neuromuskulären Synapse und der peripheren Nerven in Bezug auf Charakteristika ihrer Progredienz aufgreifen. Dazu werden alle Fachgebiete der Forschung an neuromuskulären Erkrankungen und der interdisziplinären Versorgung wie Neuropädiatrie, Neurologie, Genetik, Neuropathologie, Bildgebung, Orthopädie, Rehabilitationsmedizin, Beatmungsmedizin, Palliativmedizin, Sozialmedizin, Intensivpflege, Heilberufe und Hilfsmittelsversorger beitragen.

Der digitale Kongress bietet Möglichkeiten zur Diskussion und zum Erfahrungsaustausch in bestmöglicher Form. Wir haben das Programm weiterentwickelt, die Realitäten Ihres Alltags integriert und eine Reihe interaktiver Programmmodule aufgenommen. Ein besonderes Highlight ist die Preisverleihung der DGM des Duchenne-Erb-Preises, des Felix- Jerusalem-Preises, des Junior-Preises und des Myositis-Preises am ersten Kongresstag. Die etablierten neuromuskulären Netzwerke werden sich wieder umfassend im Rahmen des Gesamtprogrammes präsentieren.

Ich freue mich auf einen anregenden Kongress mit spannenden Diskussionen!

Ihr
 PD Dr. med. Julian Grosskreutz
 Tagungspräsident DGM Kongress 2021



Sehr geehrte Damen und Herren,

ich begrüße Sie herzlich in Jena, wenn auch leider nur online und nicht vor Ort in unserer schönen Stadt. Deswegen gleich die Einladung: Wenn Sie privat oder dienstlich in Zukunft die Gelegenheit haben, besuchen Sie Jena. Es lohnt sich!

Viele neuromuskuläre Erkrankungen sind bis heute nicht heilbar. Die Forschung und die Suche nach geeigneten Therapien und Medikamenten sind deshalb äußerst wichtig. Ihr Programm beleuchtet die Erforschung neuromuskulärer Erkrankungen aus dem Blickwinkel der Krankheitsprogredienz über alle Altersstufen hinweg. Damit nimmt es die aktuellen wissenschaftlichen, medizinischen und gesellschaftlichen Herausforderungen an. Ich danke Ihnen allen, dass Sie sich dieser wichtigen Forschung annehmen, um neuromuskulären Patienten mit neuen Therapien und Medikamenten Hoffnung zu bringen.

Ich wünsche Ihnen für den Kongress gute Gespräche und einen interessanten fachlichen Austausch.

Ihr
Dr. Thomas Nitzsche
Oberbürgermeister Stadt Jena



Sehr geehrte Damen und Herren,

neuromuskuläre Erkrankungen bedeuten für die Betroffenen oft jahrelanges Leiden mit hohen psychischen Belastungen. Unsicherheit über den individuellen Verlauf einer fortschreitenden Krankheit geht zumeist mit dem entmutigenden Bewusstsein einher, dass Hoffnung auf Heilung momentan nicht besteht.

Die Deutsche Gesellschaft für Muskelkranke hat sich unter anderem der Erforschung dieser Krankheiten und der raschen Umsetzung wissenschaftlicher Erkenntnisse in neue Therapiemöglichkeiten verschrieben. Der 25. Kongress des Wissenschaftlichen Beirats der DGM, der 2021 physisch in Jena stattfinden sollte und nun von hier aus virtuell organisiert wird, richtet sich an ein breites Spektrum von Forschenden und Versorgern, die mit der Verbesserung der Situation von neuromuskulär Erkrankten beschäftigt sind. Während der laufenden COVID-Pandemie ist es sicher schwieriger, öffentliche Aufmerksamkeit für andere Krankheiten zu erlangen. Das ändert aber nichts an der Dringlichkeit, mit der auch hier weitergearbeitet werden muss. Ich danke deshalb der Deutschen Gesellschaft für Muskelkranke und dem Thüringer Muskelzentrum, dass sie den 25. Kongress der DGM stattfinden lassen. Auch wenn die Tagung pandemie-bedingt virtuell ausgetragen wird, bin ich sicher, dass von ihr wichtige Impulse im Kampf gegen neuromuskuläre Erkrankungen und für deren bessere Versorgung ausgehen werden.

Ich wünsche dem Kongress viel Erfolg und allen Teilnehmern wertvolle Erkenntnisse auf einem sehr komplexen medizinischen und therapeutischen Feld.

Ihr

Wolfgang Tiefensee

Thüringer Minister für Wirtschaft, Wissenschaft und Digitale Gesellschaft



Liebe Kolleginnen und Kollegen,
sehr geehrte Damen und Herrn,

es ist mir eine große Freude und Ehre, Sie im Auftrag des Kongresspräsidenten Herrn PD Dr. Julian Grosskreutz zum 25. Kongress des Medizinisch-Wissenschaftlichen Beirates der Deutschen Gesellschaft für Muskelkranke begrüßen zu dürfen.

Nach dem letzten sehr erfolgreichen Kongress 2019 in Göttingen überschattet die Pandemie jetzt auch unseren diesjährigen Kongress. Dies hat die Organisatoren vor erhebliche Aufgaben gestellt, um auch im digitalen Format einen anspruchsvollen und interessanten Kongress zu gestalten. Ein Blick in das Programm zeigt, dass dies in der Planung sehr gut gelungen ist.

Eine Besonderheit stellen die Themen der beiden Plenarsitzungen dar, die sich mit gesellschaftspolitischen Aspekten der Diagnostik und Therapie neuromuskulärer Erkrankungen befassen. Dabei wird auch deutlich, welche wichtige Rolle gerade neuromuskuläre Erkrankungen trotz ihrer relativen Seltenheit in diesem Zusammenhang spielen.

Erwähnenswert und neu ist weiterhin, dass sich die einzelnen Vortragssitzungen überwiegend auf Themen von übergeordneter diagnostischer und therapeutischer Relevanz und weniger auf einzelne Krankheitsgruppen beziehen. Die Attraktivität dieses wissenschaftlichen Programms wird darüber hinaus durch die Beteiligung einer Vielzahl renommierter internationaler Referenten gewährleistet. Wie bereits bei den früheren Kongressen wird das wissenschaftliche Programm wieder durch patienten- und pflegeorientierte Symposien begleitet. Dies dokumentiert eindrücklich die Verbundenheit des wissenschaftlichen Beirates mit der primär patientenorientierten Deutschen Gesellschaft für Muskelkranke. Diese wechselseitige Beziehung zwischen Wissenschaft und Sorge um und für die Patienten ist ein ganz besonderes Kennzeichen unserer Gesellschaft.

Abschließend erlaube ich mir noch den Hinweis auf den Hallenser Muskelkurs. Diese Fortbildungsveranstaltung mit mehrjähriger Tradition in Halle wird überwiegend durch Mitarbeiter der Neurologischen Universitätsklinik Halle/Saale bestritten und von jungen Kollegen aus dem gesamten Bundesgebiet besucht. Pandemiebedingt war ein eigener Kurs in Halle terminlich nicht möglich. Wir sind deshalb der DGM und Herrn PD Dr. Julian Grosskreutz dankbar, diese Veranstaltung in den DGM-Kongress integriert zu haben. Möglicherweise könnte damit auch eine neue Tradition begründet werden, mit der innerhalb der DGM die Weiterbildung des myologischen Nachwuchses gefördert wird, zumal die akademischen Muskelzentren in Deutschland derzeit eher weniger werden.

Abschließend würde ich mich sehr freuen, wenn wir Sie recht zahlreich bei diesem Kongress – wenigstens digital – begrüßen können und hoffen, dass die Veranstaltung Ihre Erwartungen erfüllen wird.

Mit besten Grüßen
Prof. Dr. Stephan Zierz, FEAN
Direktor der Neurologischen Universitätsklinik Halle/Saale

16:00–18:00 Workshop – Patientenlotsen an Neuromuskulären Zentren
Raum 1
Moderatoren Joachim Sproß (Freiburg i. Br.), Stefan Perschke (Osnabrück)



16:00 Begrüßung
Stefan Perschke (Osnabrück)

16:08 Rahmenbedingungen des Patientenlotsen-Projekts
Joachim Sproß (Freiburg i. Br.)

16:12 Grußwort der Tagungsleitung
Julian Grosskreutz (Jena)

16:15 Lotsentätigkeiten Schlaganfallhilfe
Michael Brinkmeier (Gütersloh)

16:40 Patientenlotsen im Gesundheitswesen
Grit Braeseke (Berlin)

17:15 Stand der Evaluation
Thorsten Langer (Freiburg i. Br.)

17:50 Vorstellung Standorte der Patientenlotsen

Wir danken den folgenden Unterstützern:



SAREPTA
THERAPEUTICS

PTC
THERAPEUTICS
Translating Science • Transforming Lives

NOVARTIS

P. Schwarz-Schütte (Düsseldorf)

- 08:00–09:00 Industriesymposium 1 (siehe Seite 40)
- 09:00–11:00 Eröffnung und Plenarsitzung 1
Raum 1 Gesellschaftlicher Impact – Eintritt in das Zeitalter der Gentherapie
Vorsitz Stephan Zierz (Halle a. d. Saale), Albert C. Ludolph (Ulm)
- 09:00 Eröffnung des Tagungspräsidenten
Julian Grosskreutz (Jena)
- 09:05 Eröffnung des Direktors der Klinik für Neurologie und Medizinischen Vorstandes
des Universitätsklinikums Jena
Otto W. Witte (Jena)
- 09:15 Ethik der individualisierten Maximalmedizin
V 1 Heiner Fangerau (Düsseldorf)
- 09:40 ALS zwischen Ethik und Genetik
V 2 Nikolaus Knoepffler (Jena)
- 10:05 Resilienz und Coping – Was trägt Betroffene?
V 3 Silke Wiegand-Grefe (Hamburg)
- 10:30 Beyond precision genodiagnosics – staging and stratification
V 4 Ammar Al Chalabi (London/GB)

- 11:15–12:15 Industriesymposium 2–4 (siehe Seite 40–42)
- 12:30–13:15 Sitzung 1 – Molekulare Mechanismen der Myositis und Myasthenie
Raum 1
Vorsitz Andreas Meisel (Berlin), Jens Schmidt (Göttingen)
- 12:30 Wie das moderne pathophysiologische Verständnis die Myasthenie-Therapie
revolutioniert
V 5 Andreas Meisel (Berlin)
- 12:45 Neue Therapieansätze für die Myositis – vom Mechanismus zur klinischen Studie
V 6 Jens Schmidt (Göttingen)
- 13:00 Immunmodulatorische Funktion von GM-CSF in idiopathisch inflammatorischen
V 7 Myopathien
Derya Cengiz (Münster)

- 12:30–13:15 **Sitzung 3 – Elektrophysiologie und Krankheitsprogression**
Raum 2
Vorsitz Mamede De Carvalho (Lissabon/PT), Christoph Neuwirth (St. Gallen/CH)
- 12:30
V 11  Electrophysiology for monitoring progression in ALS?
Mamede De Carvalho (Lissabon/PT)
- 12:45
V 12 MUNIX als Biomarker für die Anzahl an Motoneuronen
Christoph Neuwirth (St. Gallen/CH)
- 13:00
V 13 Handheld Multispectral Optoacoustic Tomography – Precision for Muscle Imaging
Alexandra L. Wagner (Erlangen)
- 13:15–14:00 **Sitzung 2 – Molekulare Schlüsselwege und Motoneuronerkrankungen**
Raum 1
Vorsitz Andreas Hermann (Rostock), Monika S. Brill (München)
- 13:15
V 8 Molekulare Pathophysiologie der (FUS-) ALS – vom DNA-Schaden über Axondefekte zur Stressgranula
Andreas Hermann (Rostock)
- 13:30
V 9 Das Zytoskelett von Axonen – ein funktionales Multitalent
Monika S. Brill (München)
- 13:45
V 10 Amyotrophic lateral sclerosis patients show increased peripheral and intrathecal T cell activation
Marc Pawlitzki (Münster)
- 13:15–14:00 **Sitzung 4 – Hilfsmittel und Apps**
Raum 2
Vorsitz André Maier (Berlin), Patrick Weydt (Bonn)
- 13:15
V 14 Digitale Innovationen im Versorgungsmanagement und in der Outcome-Forschung komplexer Hilfsmittel
André Maier (Berlin)
- 13:30
V 15 Daddeln für Daten? – Apps und digitale Marker als Messinstrumente in klinischen Studien
Patrick Weydt (Bonn)
- 13:45
V 16 Entwicklung eines Zertifizierungssystems für Physiotherapeuten innerhalb des SMArtCARE Register
Sibylle Vogt (Freiburg)

14:15–15:15 Industriesymposium 5 (siehe Seite 42)

15:30–16:15 Sitzung 5 – Bildgebung und Krankheitsprogression

Raum 1

Vorsitz Stefan Vielhaber (Magdeburg), Alexander Grimm (Tübingen)

15:30 Multimodale Ultrahochfeldbildgebung – von Kopf bis Fuß – am Beispiel der ALS
V 17 Stefan Vielhaber (Magdeburg)

15:45 Ultraschall der Nerven in der Prognose- und Progressionsabschätzung erblicher
V 18 und entzündlicher Neuropathien
Alexander Grimm (Tübingen)

16:00 Der Wert der qualitativen Muskel-MRT in der Diagnostik von Myopathien – eine
V 19 biopsiekontrollierte Studie an 191 Patienten
Angela Rosenbohm (Ulm)

15:30–16:15 Sitzung 7 – Rehabilitation und Krankheitsverlauf

Raum 2

Vorsitz Peter Young (Bad Feilnbach), Carsten Schröter (Bad Sooden-Allendorf)

15:30 Neuromuskuläres Impairment und Rehabilitation – Warum und wann?
V 23 Peter Young (Bad Feilnbach)

15:45 Rehabilitation bei neuromuskulären Erkrankungen – Wie und wie oft?
V 24 Carsten Schröter (Bad Sooden-Allendorf)

16:00 Urotherapie Nicht medikamentöse Therapiemöglichkeiten bei neurogenen
V 25 Blasen-/Darmfunktionsstörungen
Isabell Beyer (Unterschleißheim)

16:15–17:00 Sitzung 6 – Biomarker der Krankheitsprogression

Raum 1

Vorsitz Martin Turner (Oxford/GB), Markus Otto (Ulm)

16:15 Measuring up to MND
V 20 Martin Turner (Oxford/GB)



16:30 Neurochemische Marker zur Diagnostik und Verlauf von Motoneuronenerkrankungen
V 21 Markus Otto (Ulm)

16:45 Diagnostic and predictive urinary fingerprints in 5q spinal muscular atrophy
V 22 Afshin Saffari (Heidelberg)

- 16:15–17:00 Sitzung 8 – Beatmung, Ernährung und symptomatische Medikation
Raum 2
Vorsitz Matthias Boentert (Münster), Torsten Grehl (Essen)
- 16:15 Indikation und Stellenwert der nicht-invasiven Beatmung bei ALS
V 26 Matthias Boentert (Münster)
- 16:30 Ernährung und symptomatische Medikation im Verlauf der ALS
V 27 Torsten Grehl (Essen)
- 16:45 Atemmuskeltraining bei ventilatorischer Insuffizienz der Myotonen Dystrophie Typ 1
V 28 Eva Marie Heidsieck (München)
- 17:15–18:15 ePoster-Sitzungen 1–6 (siehe Seite 27–31)
- 18:15–19:30 Sitzung 9 – Molekulare Signaturen genetischer muskulärer Erkrankungen
Raum 1
Vorsitz Michael Gotthardt (Berlin), Maggie C. Walter (München)
- 18:15 Translationale Muskelforschung – von Mäusen, Grizzlybären und Menschen
V 29 Michael Gotthardt (Berlin)
- 18:30 Duchenne Muskeldystrophie – molekulare Signaturen und neue Therapien
V 30 Maggie C. Walter (München)
- 18:45 Drosophila as a myotonic dystrophy model – insights into CELF family function during
V 31 myofibril formation
Maria Spletter (Martinsried-Planegg)
- 19:00 Präzise Geneditierung der häufigsten LGMD2A Mutation
V 32 Stefanie Müthel (Berlin)
- 19:15 Das DMDpig als translationales Großtiermodell für die Duchenne Muskeldystrophie
V 33 in der präklinischen Forschung
Tina Donandt (München)

- 18:15–19:45 Sitzung 10 – Fallkonferenz des Referenzzentrums für Neuromuskuläre
Raum 2 Erkrankungen
Vorsitz Joachim Weis (Aachen), Werner Stenzel (Berlin)
- 18:15 Erstmanifestation einer sporadischen Einschlusskörperchenmyositis (sIBM) nach
V 34 jahrelanger immunsuppressiver Therapie
Maren Winkler (Bonn)
- 18:25 Indikation zur Muskelbiopsie bei isolierten Myalgien ohne Paresen, normaler CK
V 35 und unauffälligem EMG
Thomas Kendzierski (Halle a. d. Saale)
- 18:35 Three cases of neurogenic muscular atrophy – Combined with sporadic late onset
V 36 nemaline myopathy (SLONM)?
Joachim Weis (Aachen)
- 18:45 The first German patient with oculopharyngodistal myopathy?
V 37 Federica Montagnese (München)
- 18:55 Manifest Dystrophinopathy in a 6-years old girl
V 38 Werner Stenzel (Berlin)
- 19:05 Klinisch-histologische Charakterisierung eines Patienten mit einer neuen Mutation
V 39 im MYH14-Gen und komplexem Phänotyp aus peripherer Neuropathie, Myopathie
und Heiserkeit
Alexander Mensch (Halle a. d. Saale)
- 19:15 Calpainopathie mit dem klinischen Phänotyp rezidivierender Rhabdomyolysen
V 40 Thomas Kendzierski (Halle a. d. Saale)
- 19:25 Phenotype and myopathological findings in patient with SLC18A3 mutation:
V 41 Does muscular biopsy help?
Adela Della Marina (Essen)
- 19:35 Kardiale Symptome und milde Gliedergürteldystrophie (LGMD) im Kindesalter
V 42 verursacht durch eine Nonsense Mutation im BVES (c.457C>T; p. Gln153Ter)
Anne Schänzer (Gießen)

19:45–20:40 Preisverleihungen

Raum 1

Moderator Julian Grosskreutz (Jena), Stefan Perschke (Osnabrück)

Junior-Preis der DGM 2021

Laudator: Reinhard Dengler (Hannover)

Preisträgerin: Miriam Fichtner (New Haven/USA)

Myositis-Preis der DGM 2021

Laudator: Arpad von Moers (Berlin)

Preisträger: Samuel Knauss (Berlin)

Felix-Jerusalem-Preis der DGM 2021

1. Preisträger: Tim Hagenacker (Essen), Claudia Wurster (Ulm)

René Günther (Dresden)

Laudator: Reinhard Dengler (Hannover)

2. Preisträger: Markus Weiler (Heidelberg)

Laudator: Arpad von Moers (Berlin)

3. Preisträger: Stephan Wenninger (München)

Laudator: Reinhard Dengler (Hannover)

Internationaler Duchenne-Erb-Preis der DGM 2021

Laudator: Julian Grosskreutz (Jena)

Preisträger: Kevin Talbot (Oxford/GB)

Nationaler Duchenne-Erb-Preis der DGM 2021

Laudator: Arpad von Moers (Berlin)

Preisträger: Wolfgang Müller-Felber (München)

ab 20:40 **Get-Together** (siehe Seite 52)

08:00–09:00 Industriesymposium 6–7 (siehe Seite 44)

09:00–11:00 Plenarsitzung 2 – Podiumsdiskussion:

Raum 1 Herausforderung der modernen Medizin – Was kostet der Fortschritt?

Moderator Carsten Lekutat (Leipzig)

Freuen Sie sich auf eine spannende Diskussion mit folgenden Diskutanten:

„Gentherapie im Kindesalter – Wunsch und Wirklichkeit“

Ulrike Schara-Schmidt (Essen)

„Gentherapie zwischen Heilserwartung und Angst – Brauchen wir gesellschaftlichen Konsens?“

Eckhard Nagel (Bayreuth)

„Gentherapie – gesundheitsökonomisch sinnvoller Sprung in eine gesunde Zukunft?“

Klaus Nagels (Bayreuth)

„Gentherapie – Großer medizinischer Fortschritt mit gesellschaftlichen Nebenwirkungen?“

Stefan Perschke (Osnabrück)

„Gentherapie bei Erwachsenen – Sinnvoll oder einfach nur machbar?“

Julian Grosskreutz (Jena)

11:15–12:15 Industriesymposium 8–10 (siehe Seite 44–46)

12:30–13:15 Sitzung 11 – Stratifizierung in klinischen Studien

Raum 1

Vorsitz Adriano Chio (Turin/IT), Johannes Dorst (Ulm)

12:30 ALS heterogeneity at the light of precision medicine

V 43
Adriano Chio (Turin/IT)



12:45 Design klinischer ALS-Studien – Was können wir aus unseren Erfahrungen lernen?

V 44
Johannes Dorst (Ulm)

13:00 Non-dystrophic myotonias – clinical and mutation spectrum of seventy

V 45
German patients

Noemi Vereb (München)

- 12:30–13:15 Sitzung 13 – Differentialdiagnostik neuromuskulärer Erkrankungen
Raum 2
Vorsitz Susanne Petri (Hannover), Johannes Prudlo (Rostock)
- 12:30 Risiko- und verlaufsmodulierende Faktoren der ALS – Was wissen wir wirklich?
V 49 Susanne Petri (Hannover)
- 12:45 Differentialdiagnose bulbärer Syndrome
V 50 Johannes Prudlo (Rostock)
- 13:00 Whole Genome Sequencing (WGS) – a solved case of Dystrophinopathy in a young girl
V 51 Natalie Pluta (Würzburg)
- 13:15–14:00 Sitzung 12 – Wertigkeit von OMICS-Analysen
Raum 1
Vorsitz Albert Sickmann (Bochum), Kay Ohlendieck (Maynooth/IE)
- 13:15 Proteomics-Strategien und deren Anwendung bei seltenen Erkrankungen
V 46 Albert Sickmann (Bochum)
- 13:30 Proteomanalyse der Muskeldystrophie
V 47 Kay Ohlendieck (Maynooth/IE)
- 13:45 NME-GPS – Gen- und Protein-Signaturen als GPS für Patienten mit neuromuskulären Erkrankungen
V 48 Andrea Gangfuß (Essen)
- 13:15–14:00 Sitzung 14 – Neue therapeutische Prinzipien
Raum 2
Vorsitz Benedikt Schoser (München), Cornelia Kornblum (Bonn)
- 13:15 Neue therapeutische Prinzipien – Wohin geht die Reise für neuromuskuläre Erkrankungen?
V 52 Benedikt Schoser (München)
- 13:30 Innovative Therapiekonzepte mitochondrialer Erkrankungen – von Enzym- über Substratersatz bis Gentherapie
V 53 Cornelia Kornblum (Bonn)
- 13:45 Realisierung einer Muskelstammzelltherapie
V 54 Verena Schöwel-Wolf (Berlin)

14:15–15:15 Industriesymposium 11 (siehe Seite 46)

15:30–16:15 Sitzung 15 – Medizin jenseits des Einzelfalls: Screening, Register und
Raum 1 künstliche Intelligenz

Vorsitz Frank Klawonn (Braunschweig), Janbernd Kirschner (Bonn)
Wolfgang Müller-Felber (München)

15:30 Von der Diagnose bis zur Therapie – Potenziale und Grenzen künstlicher Intelligenz
V 55 Frank Klawonn (Braunschweig)

15:45 Neue Therapien für neuromuskuläre Erkrankungen – Was kann Real-World
V 56 Evidenz leisten?
Janbernd Kirschner (Bonn)

16:00 Neugeborenencreening bei neuromuskulären Erkrankungen – Wann
V 57 sinnvoll, wann machbar?
Wolfgang Müller-Felber (München)

15:30–16:15 Sitzung 17 – Hilft die Genetik bei der Abschätzung der Prognose?

Raum 2

Vorsitz Volker Straub (Newcastle/GB), Ulrike Schara-Schmidt (Essen)

15:30 Von Punktmutationen und Kopienzahlvarianten zur Prognose
V 61 Volker Straub (Newcastle/GB)

15:45 Hilft die Genetik bei der Abschätzung der Prognose?
V 62 Ulrike Schara-Schmidt (Essen)

16:00 Clinical, histological and molecular analysis of ANO5-myopathy
V 63 Caroline Richert (Halle a. d. Saale)

16:15–17:00 Sitzung 16 – Platform Trials und Real-Life-Outcome

Raum 1

Vorsitz Thomas Meyer (Berlin), Leonard Van den Berg (Utrecht/NL)

16:15 Ambulanzpartner – 10 Jahre digitale Plattformmedizin bei der ALS und SMA:
V 58 Erfahrungen, Daten und Perspektiven
Thomas Meyer (Berlin)

16:30 Platform trials – The road to the future?
V 59 Leonard Van den Berg (Utrecht/NL)



16:45 Real-world-Erfahrungen mit Onasemnogen Apeparvovec (Zolgensma®) bei
 V 60 Spinaler Muskelatrophie (SMA)
 Claudia Weiß (Berlin)

16:15–17:00 Sitzung 18 – Langzeitanwendung von Gentherapien

Raum 2

Vorsitz Tim Hagenacker (Essen), Andreas Ziegler (Heidelberg)

16:15 Gentherapie bei SMA – Chancen, Grenzen, Sequenzen
 V 64 Tim Hagenacker (Essen)

16:30 Gentherapien bei neuromuskulären Erkrankungen
 V 65 Andreas Ziegler (Heidelberg)

16:45 Real-World-Daten zur Therapie der Spinalen Muskelatrophie
 V 66 Astrid Pechmann (Freiburg)

17:15–18:15 ePoster-Sitzungen 7–11 (siehe Seite 32–35)

18:30–19:15 Sitzung 19 – Progressionsmodelle und clinico-genetische Phänotypen

Raum 1

Vorsitz Julian Grosskreutz (Jena), Jan H. Veldink (Utrecht/NL)

18:30 The genetic basis of ALS – the past, present and future
 V 67 Jan H. Veldink (Utrecht/NL)



18:50 Utility of progression modelling
 V 68 Julian Grosskreutz (Jena)

18:30–19:15 Sitzung 20 – Video-Forum – gelöste und ungelöste Fälle

Raum 2

Vorsitz Stephan Wenninger (München), Andrea Gangfuß (Essen)

18:30 Late-onset SEPNI1-assoziierte Myopathie infolge einer neuen compound
 V 69 heterozygoten Mutation im Selenon-Gen
 Jochen Schaefer (Dresden)

18:39 Klinischer Phänotyp und Effekt der Therapie bei einem Patienten mit
 V 70 SLC18A3 mutation im Langzeitverlauf
 Adela Della Marina (Essen)

18:48
V 71

Geschwister mit einer homozygoten KIAA1033/WASHC4 Mutation:
Dysmorphien und erhöhter Muskelfaservulnerabilität
Andrea Gangfuß (Essen)

19:01
V 72

Faszikulationen in der klinischen Praxis – Motoneuronerkrankung oder nicht?
Stephan Wenninger (München)

19:30–20:00
Raum 1
Vorsitz

Preisverleihung, Verabschiedung und Ausblick 2023

Julian Grosskreutz (Jena), Ulrike Schara-Schmidt, Tim Hagenacker (Essen)

Details zur Verleihung der ePoster-Preise und des Young Investigator Awards
siehe Seite 52.



DGKN2022

66. Kongress
Würzburg | 10-12 MRZ 22

www.dgkn-kongress.de

Deutsche Gesellschaft für Klinische
Neurophysiologie und Funktionelle
Bildgebung

Fortbildungsakademie
RICHARD-JUNG-KOLLEG

**CONGRESS CENTRUM
WÜRZBURG**



17:15–18:00 ePoster-Sitzung 1 – Gewebspathologie

Raum 1

Vorsitz Claudia Sommer (Würzburg), Christian Mawrin (Magdeburg)

17:15 Post mortem histopathologische Analyse bei der Einschlusskörpermyositis
P 1 Karsten Kummer (Göttingen)

17:21 A specific type of capillary pathology is pathognomonic of scleroderma-associated
P 2 myositis
Werner Stenzel (Berlin)

17:27 Effekte des selektiven iNOS-Inhibitors 1400W auf den Entzündungsstress im
P 3 LPS-induzierten Myositismodell
Johanna Pohlner (Göttingen)

17:33 Der Kaliumkanal KCNK2 als Regulator für inflammatorische Prozesse in idiopathischen
P 4 inflammatorischen Myopathien
Thomas Müntefering (Münster)

17:39 Analyse des interstiellen Fibrosegrades bei kindlichen Kardiomyopathien in
P 5 Abhängigkeit der verschiedenen Kardiomyopathie-Subtypen
Matthias Keuper (Gießen)

17:45 Untersuchungen des Zytoskeletts von sensorischen Nervenfasernendigungen in
P 6 Hautbiopsien von Gesunden
Klara Metzner (Jena)

17:51 Kapillarmikroskopische Untersuchung der mikrovaskulären Architektur bei
P 7 nicht-rheumatischen neuromuskulären Erkrankungen
Dominik Penka (Bad Nauheim)

17:15–18:00 ePoster-Sitzung 2 – Devices in Diagnose und Behandlung

Raum 2

Vorsitz Andreas Hahn (Gießen), Ulrich Dillmann (Homburg)

17:15 Somatosensory-related but not vestibular-related spatial navigation is impaired
P 8 in patients with myasthenia gravis
Patrick Müller (Magdeburg)

17:21 Implantation eines intrathekalen Kathetersystems zur Applikation von Nusinersen
P 9 bei Kindern mit Spinaler Muskelatrophie Typ 2
Ralf A. Husain (Jena)

- 17:27
P 10
Ultrasound of peripheral nerves as preclinical marker for disease progression in mutant SOD1G93A mice?
Nadine Thau-Habermann (Hannover)
- 17:33
P 11
Robotik bei der ALS – Nutzererwartung an die zukünftige Versorgung mit einem Roboterarm
André Maier (Berlin)
- 17:39
P 12
Erfassung von Heilmitteln und alternativen Therapien bei neuromuskulären Erkrankungen Fragestellung: Erfassung und Vergleich der Anwendung und Zufriedenheit von Heilmitteln und alternativen Therapien
Lene Böhne (Leipzig)
- 17:45
P 13
suMus, ein digitales Ökosystem rund um die Quantifizierung der Muskelaktivität
Elisabetta Gazzo (Berlin)
- 17:51
P 14
Fulminanter Verlauf einer Chronisch-aktiven Epstein-Barr-Virus-Infektion mit Myositis und Hämophagozytischer Lymphohistiozytose
Kathleen Kleeberg (Halle a. d. Saale)
- 17:15–18:15
Raum 3
Vorsitz
ePoster-Sitzung 3 – Surrogatmarker
Angela Rosenbohm (Ulm), Alexander Grimm (Tübingen)
- 17:15
P 15
Hochauflösende Nerven- und Muskelsonographie als Marker für Differentialdiagnostik und Progression bei hereditären Polyneuropathien
Natalie Winter (Tübingen)
- 17:21
P 16
Untersuchung mikrostruktureller Veränderungen ALS-spezifischer Traktsysteme bei asymptomatischen ALS-Mutationsträgern
Jan Kassubek (Ulm)
- 17:27
P 17
Zusatznutzen quantitativer MRT-Analyseverfahren bei seltenen Muskelerkrankungen am Beispiel der MATR3-assoziierten distalen Myopathie
Alexander Mensch (Halle a. d. Saale)
- 17:33
P 18
Signaturen der Krankheitsaggressivität von Amyotropher Lateralsklerose in der weißen Substanz – eine Anwendung des D50 Krankheitsprogressionsmodells
Robert Steinbach (Jena)
- 17:39
P 19
Sind Neurofilamente geeignete Biomarker in spinaler Muskelatrophie (SMA)?
Kyriakos Martakis (Gießen)

- 17:45
P 20 Novel circulating Biomarkers may serve as sensitive outcome measures in Charcot-Marie-Tooth Disease (CMT1A)
Michael W. Sereda (Goettingen)
- 17:51
P 21 Evaluation von Schluckstörungen bei Patienten mit Myotoner Dystrophie mittels Echtzeit-MRT (real-time MRI)
Rachel Zeng (Göttingen)
- 17:57
P 22 Predictors for myasthenic crisis in a myasthenia gravis cohort study
Christopher Nelke (Münster)
- 18:03
P 23 Thrombozytäre Granulasekretionsstörung bei Muskeldystrophie Duchenne: Ergebnisse einer prospektiven Diagnostikstudie
Cornelia Müller (Freiburg)
- 18:09
P 24 Increased peripheral serum BDNF levels in patients with myasthenia gravis
Patrick Müller (Magdeburg)
- 17:15–18:15
Raum 4
Vorsitz ePoster-Sitzung 4 – Krankheitsverlauf
Johannes Prudlo (Rostock), Katja Kollwee (Hannover)
- 17:15
P 25 Hochdosis-IvIg-Therapie bei chronisch inflammatorischer demyelinisierender Polyneuropathie (CIDP) unter Serum-IgG-Spiegel Kontrolle – ein Fallbericht
Stefanie Meyer (Göttingen)
- 17:21
P 26 Langzeitverlauf älterer Patienten mit late-onset Pompe disease (LOPD) unter Enzymersatztherapie (enzyme replacement therapy, ERT)
Maren Winkler (Bonn)
- 17:27
P 27 Inzidenz des postpunktionellen Syndroms bei Patienten mit SMA unter Therapie mit Nusinersen
David Christof Schorling (Freiburg)
- 17:33
P 28 Versorgungssituation von ALS-Patienten in den letzten Lebensmonaten: die Sicht der Angehörigen
Katharina Linse (Dresden)
- 17:39
P 29 Langzeitverlauf eines 13-jährigen Patienten mit schwerem Freeman-Sheldon-Syndrom
Sabine Rudnik-Schöneborn (Innsbruck/AT)

- 17:45
P 30 Individuelle gesundheitsbezogene Lebensqualität und gesamtgesellschaftliche Kosten bei amyotropher Lateralsklerose (ALS) unter Berücksichtigung unterschiedlicher Verlaufsformen
Felix Heinrich (Hannover)
- 17:51
P 31 A comparison of the EuroQoL 5-Dimension 5-Level Questionnaire (EQ-5D-5L) and the Amyotrophic Lateral Sclerosis Assessment Questionnaire (ALSAQ-5) assessing health-related quality of life in amyotrophic lateral sclerosis (ALS) patients in Germany
Tara Peseschkian (Hannover)
- 17:57
P 32 Adaptation einer psychotherapeutisch-supportiven Kurzzeitintervention für Patienten mit Amyotropher Lateralsklerose – eine Pilotstudie
Moritz Metelmann (Leipzig)
- 18:03
P 33 Integration von Beatmungsmedizin, Rehabilitation und Palliativmedizin in einer interdisziplinären Ambulanz
Martin Groß (Oldenburg)
- 18:09
P 34 Das traumatische Kiloh-Nevin-Syndrom als Folge eines Retroversionstraumas
Karsten Kummer (Göttingen)
- 17:15–17:45
Raum 5
Vorsitz ePoster-Sitzung 5 – Versorgung und Real-Life-Outcome
Janbernd Kirschner (Bonn), Petra Baum (Leipzig)
- 17:15
P 35 Edaravone Therapie bei Amyotropher Lateralsklerose – klinische Parameter und Erfahrungen aus einer multizentrischen Analyse von Real-World-Daten
Simon Witzel (Ulm)
- 17:21
P 36 X-chromosomale Myotubuläre Myopathie – 20 Jahre Nachbeobachtungszeit in einem Zentrum
Andrea Gangfuß (Essen)
- 17:27
P 37 Patientenrelevante Faktoren der gesundheitsbezogenen Lebensqualität und Versorgungssituation bei sporadischer Einschlusskörpermyositis – erster qualitativer Teil einer Krankheitskostenanalyse im Mixed-Methods Design
Katja C. Senn (Bayreuth)
- 17:33
P 38 Rapamycin als Therapieoption für Patienten mit Einschlusskörpermyositis: ein Fallbericht
Marc Pawlitzki (Münster)

- 17:39
P 39 Auswirkungen eines Therapieabbruches mit Nusinersen bei SMA3
Miriam Hiebeler (München)
- 17:45–18:15
Raum 5 ePoster-Sitzung 6 – Innovationen in der Wirtschaft
Vorsitz Alexander Storch (Rostock), Simone Spuler (Berlin)
- 17:45
P 40 Therapeutische Bewegungsgeräte bei der ALS – Anwendungshäufigkeit und subjektiver Nutzen in einer multizentrischen Beobachtungsstudie
Marcel Gaudlitz (Berlin)
- 17:51
P 41 Safety, β -sarcoglycan Expression and Functional Outcomes from Systemic Gene Transfer of rAAVrh74.MHCK7.SGCB in Patients with Limb-Girdle Muscular Dystrophy Type 2E (LGMD2E)
André Müller-York(Berlin)
- 17:57
P 42 Long-term safety and efficacy of exon 53 skipping in male patients with Duchenne Muscular Dystrophy
André Müller-York (Berlin)
- 18:03
P 43 Modulating the neurogenic niche – a new treatment concept in neurodegenerative disorders like ALS
Ulrich Bogdahn (Regensburg)
- 18:09
P 44 Stationäre Aufwendungen für XLMTM Patienten – eine Erhebung in deutschen Gesundheitseinrichtungen
Dirk Schmitt (Berlin)

17:15–18:15 ePoster-Sitzung 7 – Methode clinico-genet-omique

Raum 1

Vorsitz Katja von Au (Berlin), Albert C. Ludolph (Ulm)

17:15 Die Pathogenität einer häufigen CAPN3 c.1746-20C> G Spleißvariante
P 45 Magdalena Mroczek (Newcastle upon Tyne/GB)

17:21 Bi-allelic truncating mutations in VWA1 cause neuromyopathy
P 46 Marcus Deschauer (München)

17:27 Splice-Regulation durch CHERP in Myotoner Dystrophie Typ 1
P 47 Vanessa Todorow (München)

17:33 ePoster entfällt
P 48

17:39 Novel form of congenital myopathy caused by bi-allelic mutations in uncoordinated
P 49 mutant number-45 myosin chaperone
Sebahattin Cirak (Köln)

17:45 Novel bi-allelic variants in KIF21A cause a novel phenotype of fetal akinesia
P 50 Sebahattin Cirak (Köln)

17:51 Combined biochemical and targeted-next generation sequencing panel for
P 51 differential diagnosis of inherited myopathies
Thomas Wiesinger, David Kasper (Wien/AT)

17:57 Metabolisches Profiling primärer Muskelzellkulturen erblicher Muskelerkrankungen
P 52 Peter Meinke (München)

18:03 Detection of a pericentric inversion in DMD by Whole Genome Sequencing
P 53 Ann-Kathrin Zaum (Würzburg)

18:09 Charakterisierung eines neuen humanisierten LGMD2D Mausmodell
P 85 M. Bolsinger (Jena)

- 17:15–18:15 ePoster-Sitzung 8 – Differentialdiagnostik
Raum 2
Vorsitz Ulf Schminke (Greifswald), Anne Schänzer (Gießen)
- 17:15 Camptocormie bei M. Parkinson – diagnostische und therapeutische
P 55 Implikationen
Angela Rosenbohm (Ulm)
- 17:21 Muskelatrophie, Faszikulationen und Gewichtsabnahme – immer ein
P 56 Red-Flag für eine Motoneuronerkrankung?
Ulrike Schöne (Aachen)
- 17:27 Neonataler Phänotyp einer SCN4A-assoziierten Natriumkanal-Myotonie
P 57 Matthias Eckenweiler (Freiburg)
- 17:33 Myotonie, Muskelsteifheit und -elastizität bei neuromuskulären
P 58 Erkrankungen
Katharina Lukas (München)
- 17:39 Prävalenz von Neuropathien bei entzündlich-rheumatischen Erkrankungen
P 59 Rebecca Hasseli (Bad Nauheim)
- 17:45 LGMD R9 (=LGMD 2I): Der lange Weg zur Diagnose – ein Fallbericht
P 60 Stefanie Glaubitz (Göttingen)
- 17:51 Thinking outside the box – persistent hypokalemia and intermittent muscle
P 61 weakness
Monika Rabenstein (Köln)
- 17:57 Die Myotonia congenita Thomsen und der Beitrag von Adolph Seeligmüller aus
P 62 Halle a. d. Saale
Carolin Arendt (Halle a. d. Saale)
- 18:03 Novel lysosomal positioning defects due to bi-allelic mutations in BORCS7 causes
P 63 a neurodegenerative disease presenting as hereditary-spastic paraplegia
Hülya-Sevcan Daimagüler (Köln)
- 18:09 Characterization of oropharyngeal dysphagia in idiopathic inflammatory
P 64 myopathies using FEES – retrospective data on dysphagia pathology and outcome
Marc Pawlitzki (Münster)

17:15–18:15 ePoster-Sitzung 9 – Neue therapeutische Prinzipien

Raum 3

Vorsitz Maggie C. Walter, Wolfgang Müller-Felber (München)

17:15 Efficacy and safety results of the avalglucosidase alfa phase 3 COMET trial in
P 65 late-onset Pompe disease patients
Benedikt Schoser (München)

17:21 Lamotrigin als first-line Therapie bei dystrophen und nicht-dystrophen Myotonien
P 66 Annika Saak (Dresden)

17:27 Klinische Aspekte vor und nach der Versorgung durch eine
P 67 Knie-Ankle-Foot-Orthosis (KAFO) mit einem standphasenverriegelndem
Kniegelenk (SCO) bei Post-Polio-Syndrom Patienten
Axel Ruetz (Koblenz)

17:33 Somatisches Gen-Editing verbessert Skelett- und Herzmuskelversagen bei
P 68 translationalen Modellen der Duchenne Muskeldystrophie
Sabine Krause (München)

17:39 In vitro und in vivo Untersuchungen zur muskulären Aufnahme und Aktivität von
P 69 in Moos produziertem, nicht phosphoryliertem rhGAA (Moss-GAA)
Stefan Hintze (München)

17:45 A Phase I/II Open-label gene replacement – clinical study for late onset pompe disease
P 70 Stephan Wenninger (München)

17:51 NCAM knock-out als einfaches und rasches read-out System zur Evaluierung
P 71 von CRISPR/Cas-basiertem Gene-Editing in primären humanen Myoblasten
Christian Stadelmann (Berlin)

17:57 Hocheffiziente Reparatur einer SGCA-Muskeldystrophie-verursachenden Mutation
P 72 in Patienten-Muskelstammzellen durch CRISPR/Cas9-basierend „base editing“
Helena Escobar Fernandez (Berlin)

18:03 Generierung von hiPS Zellen aus Muskelbiopsien als Basis für die Produktion
P 73 einer unbegrenzten Anzahl induzierter myogener Zellen
Eric Metzler (Berlin)

18:09 Gene Editing in LMNA related Muscular Dystrophy Patient-derived Cells
P 74 Haicui Wang (Berlin)

- 17:15–18:15 ePoster-Sitzung 10 – Stratifizierung und Behandlungskohorten
Raum 4
Vorsitz Jens Schmidt (Göttingen), Tanja Schlereth (Wiesbaden)
- 17:15 P 75 Untersuchungen des Zytoskeletts von sensorischen Nervenfaserverendigungen in Hautbiopsien von Motoneuronerkrankten
Annekathrin Rödiger (Jena)
- 17:21 P 76 Pain assessment and characterization in Charcot-Marie-Tooth Disease (CMT)
Michael W. Sereda (Goettingen)
- 17:27 P 77 Plasma-1-Desoxy-sphingolipid-Spiegel und (para-) klinische Korrelationen bei
Christina Dumke (Aachen)
- 17:33 P 78 Diagnose SMA im Neugeborenencreening – Was bedeuten 2 SMN2 Kopien für die Prognose?
Katharina Vill (München)
- 17:39 P 79 Diagnose SMA mit 4 SMN2 Kopien im Neugeborenencreening – Behandeln oder nicht?
Katharina Vill (München)
- 17:45 P 80 Patientenregister für seltene neuromuskuläre Erkrankungen – Nutzen und Erfordernisse – gemeinsame Anstrengungen zur Etablierung einer besseren Datenlage
Simone Thiele (München)
- 17:51 P 81 Getting ready for clinical trials – globale, multizentrische Studie zur detaillierten Genotyp-Phänotyp-Charakterisierung der SORD-Neuropathie
Maike F. Dohrn (Aachen)
- 17:57 P 82 Deep phenotyping of CMT1A patients in a longitudinal prospective multicenter study within the German Charcot-Marie-Tooth Disease network (CMT-NET)
Arne B. Krahn (Goettingen)
- 18:03 P 83 The wide spectrum of symptoms in female XL-MTM carriers – results of an international questionnaire study
Frederik Braun (Essen)
- 18:09 P 84 Medication in Amyotrophic Lateral Sclerosis – Results from the ALS Registry Swabia
Angela Rosenbohm (Ulm)
- 17:15–18:15 ePoster-Sitzung 11 – Late-Breaker (siehe Online-Programm)
Raum 5
Vorsitz Stefan Vielhaber (Magdeburg), Susanne Petri (Hannover)

Im Anschluss an den DGM-Kongress findet unter der Leitung von Prof. Stephan Zierz, Dr. Alexander Emmer und Dr. Alexander Mensch der 7. Hallenser Fortbildungskurs Muskelerkrankungen statt. Mehr Infos finden Sie unter: www.hallenser-fortbildungskurs.de. Sie haben die Möglichkeit ein Kombinationsticket für beide Veranstaltungen zum reduzierten Gesamtpreis zu buchen. Das Programm gestaltet sich inhaltlich wie folgt:

Grundlagen-Kurs

08:00–08:45 Einführung

Vorträge Covid-19 und neuromuskuläre Erkrankungen
Neue therapeutische Optionen in der Myologie

09:20–09:45 Einführung in die Myologie

Vortrag Einführung – Überblick Myopathien

09:45–11:45 Diagnostik bei Muskelerkrankungen I

Vorträge Labordiagnostik
Bildgebung bei Muskelerkrankungen
Muskelbiopsie/Histologie
Genetik bei Myopathien – Grundlagen

13:15–15:15 Spezielle Muskelerkrankungen I

Vorträge Muskeldystrophien
Myotone Erkrankungen
Mitochondriopathien
Inflammatorische Myopathien

16:45–18:45 Spezielle Muskelerkrankungen II

Vorträge Metabolische Myopathien
Myasthene Erkrankungen
Motoneuronerkrankungen
Distale und Myofibrilläre Myopathien

Fortgeschrittenen-Kurs

09:20–09:45 **Neue Entwicklungen in der Myologie**

Vortrag Einführung – Aktuelle Herausforderungen in der Myologie

09:45–11:45 **Spezielle Muskelerkrankungen I**

Vorträge Spinale Muskelatrophie
Muskeldystrophien
Myasthene Erkrankungen
Myotone Erkrankungen

13:15–15:15 **Spezielle Muskelerkrankungen II**

Vorträge Inflammatorische Myopathien
Amyotrophe Lateralsklerose
Metabolische Myopathien – M. Pompe
Mitochondriopathien

16:45–18:15 **Diagnostik bei Muskelerkrankungen**

Vorträge Klinische Parameter zur Therapiebeurteilung – von Labordiagnostik bis zu Scoring-Systemen
Bildgebung bei Muskelerkrankungen – aktuelle Entwicklungen und Möglichkeiten des therapeutischen Monitorings
Genetik bei Myopathien – Indikationsstellung, Probleme und neue Entwicklungen in Zeiten von NGS

Referenten: Marcus Deschauer (München), Alexander Emmer (Halle a. d. Saale)
Dieter Gläser (Neu Ulm), René Günther (Dresden), Tim Hagenacker (Essen)
Berit Jordan (Heidelberg), Thomas Kendzierski (Halle a. d. Saale)
Kathleen Kleeberg (Halle a. d. Saale), Malte Kornhuber (Sangerhausen)
Torsten Kraya (Leipzig), Albert C. Ludolph (Ulm), Alexander Mensch (Halle a. d. Saale)
Steffen Nägel (Halle a. d. Saale), Elena Schlapakow (Halle a. d. Saale)
Jens Schmidt (Göttingen), Ilka Schneider (Halle a. d. Saale)
Christiane Schneider-Gold (Bochum), Bernhard Sehm (Halle a. d. Saale)
Anne-Dorte Sperfeld (Altscherbitz), Bjarne Udd (Tampere/FI)
Matthias Vorgerd (Bochum), Stephan Zierz (Halle a. d. Saale)

Der Patientenfachtag findet in Form einer Online-Konferenz statt. Mit dem Anmeldeformular unter www.dgm-kongress.de/registrierung können Sie sich separat vom wissenschaftlichen Kongress anmelden. Das Programm ist in folgende Tagungsstränge mit jeweils verschiedenen Vorträgen und Gesprächskreisen unterteilt:

09:15–16:15 ALS (Amyotrophe Lateralsklerose)

Webinar 1

- 09:15 Begrüßung
Julian Grosskreutz (Jena), Tatjana Reitzig (Berlin)
- 09:25 Behandlungsmöglichkeiten bei ALS, medikamentös und nicht-medikamentös – aktuelle Studien und Studien in der Pipeline
Reinhard Dengler (Hannover), Julian Grosskreutz (Jena)
- 11:15 Selbsterfahrung zur Außerklinischen Intensivpflege, invasive Beatmung: psychologische Betreuung bei Amyotropher Lateralsklerose
Antje Mehlei (Berlin), Moritz Metelmann (Leipzig)
- 14:00 Hygiene in der außerklinischen Intensivpflege – Atemwegsinfektionen bei ALS unter der besonderen Berücksichtigung von Covid-19? – IPReG und die Pflegereform – Gilt künftig „stationär vor ambulant“?
Patrick Ziech (Hannover), Martin Groß (Oldenburg), Nicole Westig (Berlin)
- 16:00 Ausblick und Verabschiedung
Tatjana Reitzig (Berlin)

09:15–16:00 CMT (Charcot-Marie-Tooth-Krankheit) Webinar 2 HMSN (Hereditär Motorisch-Sensorische Neuropathien)

- 09:15 Begrüßung
Ingolf Pernice (Berlin)
- 09:25 Neues zu Forschung und Therapie bei CMT/HMSN
- Entwicklungen der CMT-Forschung
 - Symptomatische Behandlung und Rehabilitation
- Peter Young (Bad Feilnbach), Carsten Schröter (Bad Sooden-Allendorf)
- 11:15 Patientenpartizipation bei Forschung und Diagnose
- Das CMT-Netzwerk als Grundlage neuester CMT-Studien
 - Neue Ansätze zur genetischen Diagnostik
- Michael W. Sereda (Goettingen), Wolfgang M. Pernice (New York, NY/US)

- 14:00 Gesprächsforen – Wie kommen wir gemeinsam zu einer Therapie?
 1. Meet the Experts – Podiumsdiskussion
 Michael W. Sereda, Peter Young, Wolfgang M. Pernice
 • Verbesserung der Zusammenarbeit Patienten/Forscher
 • Aktuelle Fragen – z.B. Präimplantationsdiagnostik zu CMT in Deutschland
 • Corona (Impfungen) und CMT-Patienten
 2. Die Zukunft der DG CMT: Ideen, Anregungen, Prioritäten – Austausch mit dem
 Vorstand der DG CMT/HMSN
- 15:45 Ausblick und Verabschiedung
 Ingolf Pernice (Berlin)
- 09:15–16:00 DMD (Muskeldystrophie Duchenne)
 Webinar 3 BMD (Muskeldystrophie Becker)
- 09:15 Begrüßung
 Christian Schmidt (Oberderdingen)
- 09:25 Therapie bei DMD/BMD
 • Diagnose und Behandlungsmöglichkeiten
 • Überblick über laufende und neue Entwicklungen
 Janbernd Kirschner (Bonn)
- 11:15 Zum Stellenwert verschiedener nichtmedikamentöser Therapiemethoden im
 Krankheitsverlauf der DMD/BMD
 • Therapiemethoden der Physiotherapie, Ergotherapie, Logopädie und
 Psychotherapie
 • Hilfsmittelversorgung
 Dirk Heinicke (Kreischka)
- 14:00 Gesprächsrunde – Junge DGM
 Offener Erfahrungsaustausch – persönliche Assistenten:
 • Praktische Umsetzung im Alltag
 • Persönliche Assistenz für Jugendliche/Junge Erwachsene
 • Konfliktbewältigung von Problemen mit der Assistenz
- 15:45 Ausblick und Verabschiedung
 Christian Schmidt (Oberderdingen)

08:00–09:00 Industriesymposium 1 – Argenx bv
Raum 2 Myasthenia gravis – Autoantikörper und neue klinische
Entwicklungen
Vorsitz Andreas Meisel (Berlin), Benedikt Schoser (München)
Michael Schröter (Köln)



08:00 Management der Myasthenia gravis – die Rolle der Spezifität und Serumspiegel
von Autoantikörpern
Michael Schröter (Köln)

08:30 Efgartigimod in Patienten mit generalisierter Myasthenia gravis – Studiendesign
und Ergebnisse der ADAPT-Studie
Andreas Meisel (Berlin)

11:15–12:15 Industriesymposium 2 – Roche Pharma AG
Raum 1 SMA und DMD: Therapielandschaft in Bewegung
Vorsitz Albert C. Ludolph (Ulm)



11:20 BeweGENd: Spezifische Ansätze definieren die Möglichkeiten bei DMD und SMA neu
Wolfgang Müller-Felber (München)

11:50 Unterwegs: Risdiplam FISH-Studienprogramm
Andreas Ziegler (Heidelberg)

12:10 Fragen und Antworten

11:15–12:15 Industriesymposium 3 – Sanofi Aventis Deutschland GmbH 
Raum 2 Es tut sich was – Entwicklungen in der Versorgung bei
Morbus Pompe
Vorsitz Benedikt Schoser (München)

Die Atmung im Blick – neue Erkenntnisse zum frühen Therapiestart bei M. Pompe
Matthias Boentert (Münster)

Innovative MRT-Bildgebung – Veränderungen der Muskulatur früher erkennen
Matthias Vorgerd (Bochum)

Neue Real-Life-Daten – Langzeittherapie bei Morbus Pompe
Benedikt Schoser (München)



Was hält die Zukunft für mich bereit?

Kasey, 27 Jahre
Lebt mit SMA Typ 2



**Möchten Sie mehr über neue Therapie-
Optionen in der SMA erfahren?**

Weitere Informationen finden Sie auf:
<https://go.roche.com/RocheSMA>

Melden Sie sich an!

SMN DESTINATION
EVERYWHERE
NEUE WEGE ERKUNDEN

11:15–12:15 Industriesymposium 4 – UCB Pharma GmbH
Raum 3 Fortschritte in der Therapie immunvermittelter
neuromuskulärer Erkrankungen



Vorsitz Jens Schmidt (Göttingen)

11:15 Therapiegrenzen bei der Myasthenie und der CIDP
Jens Schmidt (Göttingen)

11:25 Zukunftsaussichten 1 – Neue Therapieoptionen bei der Myasthenie
Jörn Peter Sieb (Stralsund)

11:42 Zukunftsaussichten 2 – CIDP – Maßgeschneiderte Therapien für eine heterogene
Erkrankung?
Helmar Lehmann (Köln)

11:59 Diskussion und Fragen

14:00–14:15 Meet the Expert – Biogen GmbH
Raum 3 Neue therapeutische Ansätze bei ALS
Referent Albert C. Ludolph (Ulm)



14:15–15:15 Industriesymposium 5 – Novartis Gene Therapies
Raum 2 Spinale Muskelatrophie – Neue Perspektiven bei Therapie
und Diagnose



Vorsitz Ralf A. Husain (Jena), Angela Kaindl (Berlin)

14:15 Begrüßung

14:20 Gentherapie in der Indikation SMA – eine systematische Analyse an Patienten der
Charité
Claudia Weiß (Berlin)

14:40 Gentherapie im klinischen Alltag in Ulm
Benedikt Winter (Ulm)

14:50 SMA-Neugeborenen Screening – Ergebnisse der Pilotstudie und Herausforderungen
in der Implementierung
Wolfgang Müller-Felber (München)

15:10 Abschlussdiskussion



Fortschritte in der Therapie immunvermittelter neuro-muskulärer Erkrankungen



Moderation: Prof. Jens Schmidt

- **Therapiegrenzen bei der Myasthenie und der CIDP**
Prof. Jens Schmidt
- **Zukunftsaussichten 1: Neue Therapieoptionen bei der Myasthenie**
Prof. Jörn Peter Sieb
- **Zukunftsaussichten 2: CIDP – Maßgeschneiderte Therapien für eine heterogene Erkrankung?**
Prof. Helmar Lehmann
- **Diskussion und Fragen**

Diskutieren Sie mit!

Ihr Weg zum UCB-Symposium:

- in der Programmübersicht den 24.03. auswählen
- in Spalte Raum 3 auf „Industriesymposium 4 der UCB Pharma GmbH“ von 11:15 – 12:15 Uhr klicken
- Session „Raum 3 mit Live-Diskussion“ wählen

08:00–09:00 Industriesymposium 6 – Hormosan Pharma GmbH
Raum 2 Leben mit seltenen neuromuskulären Erkrankungen
Vorsitz Andreas Meisel (Berlin), Benedikt Schoser (München)



08:00 Optionen der Therapie myotoner Syndrome
Benedikt Schoser (München)

08:20 Nicht-dystrophe Myotonien – der lange Weg zu mehr Lebensqualität
Tim Hagenacker (Essen)

08:40 Myasthenia gravis – Wofür braucht es eigentlich noch eine Therapie mittels Acetylcholinesterase-Hemmer?
Andreas Meisel (Berlin)

08:00–09:00 Industriesymposium 7 – PTC Therapeutics Germany GmbH
Raum 3 Neueste Expertenempfehlung zu DMD
Vorsitz Maja von der Hagen (Dresden)



Was gibt es Neues zu DMD?
Maggie C. Walter (München)

Das STRIDE Register – Daten aus dem Real-World Patientenregister zu DMD
Regina Trollmann (Erlangen)

11:15–12:15 Industriesymposium 8 – Audentes Therapeutics Inc.
Raum 1 Update XLMTM – von der Diagnose bis zur Behandlung
Vorsitz Ulrike Schara-Schmidt (Essen)



11:15 Bausteine auf dem Weg zur Diagnose
Ulrike Schara-Schmidt (Essen)

11:35 X-chromosomale myotubuläre Myopathie – ein sich erweiterndes Krankheitsspektrum
Heinz Jungbluth (London/GB)

11:55 Von der Pathophysiologie zur klinischen Anwendung
Wolfgang Müller-Felber (München)

AUDENTES

An Astellas Company

**Audentes Therapeutics
is developing potential gene therapies
for rare neuromuscular disease.**

Visit the Audentes booth to learn more!



Investigational Therapies

X-linked Myotubular Myopathy
Pompe Disease
Duchenne Muscular Dystrophy
Myotonic Dystrophy Type 1

www.audentestx.com
© 2021 Audentes Therapeutics

DE-Corporate-022021-00001

11:15–12:15 Industriesymposium 9 – Alexion Pharma Germany
Raum 2 Komplementsystem und neuroimmunologische
Muskelerkrankungen – Quo Vadis?



Vorsitz Andreas Meisel (Berlin)

11:15 Unterschiedliche Pathophysiologien, ein Verursacher – Komplement in der Neurologie
Werner Stenzel (Berlin)

11:35 Myasthenia gravis behindert Lebensqualität der Patienten
Sophie Lehnerer (Berlin)

11:55 Komplement-Therapie – Wie? Eine fallbasierte Betrachtung
Nico Melzer (Münster)

11:15–12:15 Industriesymposium 10 – Sarepta Therapeutics Germany GmbH
Raum 3 Neuromuskuläre Erkrankungen und gentherapeutische Ansätze



SAREPTA
THERAPEUTICS

11:15 LGMD – Eine Herausforderung?
Maggie C. Walter (München)

11:45 Update zu AAV Gentherapien bei neuromuskulären Erkrankungen
Wolfgang Müller-Felber (München)

14:15–15:15 Industriesymposium 11 – Biogen GmbH
Raum 1 Nusinersen – Wirksamkeit bei 5q-SMA ist keine Frage
des Alters?



Vorsitz Thomas Meyer (Berlin)

14:15 Begrüßung und Einleitung

14:18 Frühe Diagnose und Studien Follow-up – Nusinersen-Therapie bei Kindern
und Jugendlichen
Heike Kölbel (Essen)

14:35 Aus Kindern werden Erwachsene – Transition bei der spinalen Muskelatrophie
Tim Hagenacker (Essen)

14:50 Versorgungsrealität und Therapieerfahrungen bei Erwachsenen mit 5q-SMA
Thomas Meyer (Berlin)

15:05 Diskussion

Komplementsystem und neuroimmunologische Muskel-erkrankungen – Quo vadis?

**VIRTUELLES ALEXION
LIVE-SYMPOSIUM**

25. MÄRZ 2021, 11:15 – 12:15 UHR

Chair: Prof. Dr. med. Andreas Meisel (Berlin)

**Unterschiedliche Patho-
physiologien, ein Verursacher**
Komplement in der Neurologie

Prof. Dr. med. Werner Stenzel (Berlin)

Myasthenia gravis behindert
Lebensqualität der Patienten

Dr. med. Sophie Lehnerer (Berlin)

Komplementtherapie – Wie?
Eine fallbasierte Betrachtung

PD Dr. med. Nico Melzer (Düsseldorf)

SPONSOREN UND AUSSTELLER

Wir danken allen Firmen für ihr Engagement bei der Vorbereitung und Durchführung des digitalen 25. Kongresses des Medizinisch-Wissenschaftlichen Beirates der Deutschen Gesellschaft für Muskelkranke (DGM) e.V. Den nachfolgend genannten Hauptsponsoren gilt der besondere Dank für ihre großzügige Unterstützung:

Hauptsponsoren

Biogen GmbH



Novartis Gene Therapies



Alexion Pharma Germany GmbH



Audentes Therapeutics Inc.



ITF Pharma GmbH



Roche Pharma AG



Sanofi Aventis Deutschland GmbH



UCB Pharma GmbH



Stand bei Veröffentlichung

Aussteller

argenx BV



Grifols Deutschland GmbH



Hormosan Pharma GmbH



MGZ – Medizinisch Genetisches Zentrum



PTC Therapeutics Germany GmbH



Sarepta Therapeutics Germany GmbH



TalkTools GmbH



Unterstützer

Fresenius Kabi Deutschland GmbH



Kedrion Biopharma GmbH



Löwenstein Medical GmbH & Co. KG



Pfizer Pharma GmbH



Santhera (Germany) GmbH



Stand bei Veröffentlichung



Kongressgebühren

	DGM	DGM + HFK*
Ärztliches Fachpersonal	85 EUR	125 EUR
Ärztliches Fachpersonal in Weiterbildung (ohne Facharztstitel)	55 EUR	100 EUR
Wissenschaftliches Fachpersonal	55 EUR	100 EUR
Studierende**	kostenfrei	kostenfrei
Industrie (kein Standpersonal)	300 EUR	450 EUR

* Kombinationsticket 25. DGM-Kongress und 7. Hallenser Fortbildungskurs Muskelerkrankungen (HFK)

** Nachweis per E-Mail an registrierung@conventus.de, per Fax +49 3641 31 16-244 oder per Post an Conventus GmbH • Carl-Pulfrich-Straße 1 • 07745 Jena • Stichwort: DGM 2021



Patientenfachtag

Der Patientenfachtag findet in Form einer Online-Konferenz statt. Mit dem Anmeldeformular unter www.dgm-kongress.de/registrierung können Sie sich anmelden.



Registrierung

Bitte registrieren Sie sich online unter www.dgm-kongress.de. Zutritt zum Kongress erhalten Sie mit Ihrem virtuellen Namensschild, das Sie nach Ihrem Log-In erhalten. Die Kongressregistrierung beinhaltet:

- Teilnahme am wissenschaftlichen Programm sowie Zugang zu den Industriesymposien und der virtuellen Ausstellung
- Tagungsunterlagen inklusive digitalem Programmheft, Abstractband
- Verfügbarkeit aller Vorträge und ePoster on Demand bis 30. Juni 2021



Begleichung der Gebühren

Zahlung per Überweisung: Mit Erhalt der Rechnung wird der Gesamtbetrag unter Angabe des Namens und der Rechnungsnummer überwiesen. Hinweis: Bei Onlineregistrierung unter www.dgm-kongress.de ist auch eine direkte Online-Zahlung (SOFORT Überweisung, giropay, iDeal oder Kreditkarte) möglich.



Allgemeine Geschäftsbedingungen

Die Allgemeinen Geschäftsbedingungen entnehmen Sie bitte der Kongresshomepage www.dgm-kongress.de.



Abstractband

Die Abstracts der auf der Tagung präsentierten Vorträge und ePoster werden in der Zeitschrift „Nervenheilkunde“ (03/2021, Thieme Verlag) abgedruckt. Der Abstractband steht Ihnen auch als digitale Version auf der virtuellen Kongresshomepage zur Verfügung.



Transparenz

Die Offenlegung der Sponsoringbeträge in aktueller Höhe sind online unter www.dgm-kongress.de einsehbar.



Zertifizierung und Fortbildungspunkte

Der 25. Kongress des Medizinisch-Wissenschaftlichen Beirates der Deutschen Gesellschaft für Muskelkranke (DGM) e.V. wird durch die Landesärztekammer Thüringen wie folgt zertifiziert:

Wissenschaftliches Programm

24. März – DGM-Kongress	Kategorie A	max. 9 Punkte
25. März – DGM-Kongress	Kategorie A	max. 8 Punkte
26. März – Hallenser Fortbildungskurs (zertifiziert durch die Ärztekammer Sachsen-Anhalt)	Kategorie A	8 Punkte

Bitte beachten Sie, dass die Anerkennung der Fortbildungspunkte allein für das Live-Programm des digitalen Kongresses, nicht aber für die Sichtung des Kongressmaterials nach Kongressende gilt.

Teilnahmezertifikate wissenschaftliches Programm

Ihre Teilnahme wird mittels Ihres EFN-Barcodes automatisch beim Log-In zum digitalen Kongress elektronisch erfasst. Bitte tragen Sie hierfür Ihre EFN-Nummer bei der Registrierung oder in Ihrem Profil beim digitalen Kongress ein. Ihre Fortbildungspunkte werden nach der Veranstaltung automatisch an Ihre Landesärztekammer übermittelt (nur für Deutschland gültig). Im Anschluss an die Online-Evaluation erhalten Sie Ihre Teilnehmerzertifikate als PDF-Datei zum Download und Ausdruck.

Fortbildungspunkte Ärztekammer Österreich

Die vergebenen Fortbildungspunkte werden durch die österreichische Ärztekammer anerkannt.

Fortbildungspunkte Ärztekammer Schweiz

Die vergebenen Fortbildungspunkte werden durch die Ärztekammer Schweiz anerkannt.



Pressekontakt

Für Auskünfte über Presseinformationen zum DGM-Kongress steht Ihnen unsere Ansprechpartnerin der Presseabteilung gern zur Verfügung:

Conventus Congressmanagement & Marketing GmbH
 Kerstin Aldenhoff
 presse@conventus.de | Tel. +49 172 351 69 16



Get-Together • Mittwoch, 24. März (19:45–21:00 Uhr)

Stoßen Sie im Anschluss an die Preisverleihungen virtuell mit dem Kongress-Komitee an und tauschen sich zu aktuellen Themen in gemütlicher Atmosphäre aus.



Preise und Auszeichnungen

Duchenne-Erb-Preis

Der höchstrangige Preis der DGM zeichnet herausragende Forscher für ihr Lebenswerk aus.

International	Kevin Talbot (Oxford/GB)
National	Wolfgang Müller-Felber (München)

DGM-Forschungspreise

Den Felix-Jerusalem-Preis erhalten:

1. Preis: Tim Hagenacker (Essen), Claudia Wurster (Ulm), René Günther (Dresden)
2. Preis: Markus Weiler (Heidelberg)
3. Preis: Stephan Wenninger (München)

Den Juniorpreis erhält Miriam Fichtner (New Haven/USA).

Den Myositis-Preis erhält Samuel Knauss (Berlin).



Young Investigator Award

Diese Auszeichnung ehrt den besten Nachwuchsbeitrag im Vortragsprogramm und ist mit 1.000 EUR dotiert. Die Vergabe findet in der Abschluss-Session am Donnerstag, den 25. März statt. Der Preis wird von der Biogen GmbH gestiftet.



ePosterpreise

Alle ePoster werden im Hinblick auf die Wissenschaftlichkeit und Vortragsweise bewertet. Im Anschluss an die ePoster-Sitzungen werden die besten drei Poster mit 750 EUR, 500 EUR und 250 EUR im Rahmen der Abschluss-Session prämiert.

25. Kongress des Medizinisch-Wissenschaftlichen Beirates der Deutschen Gesellschaft für Muskelkranke (DGM) e. V.

Virtueller Kongress

23.03.-27.03.2021

<https://www.dgm-kongress.de/>



„ES TUT SICH WAS -
ENTWICKLUNGEN
IN DER VERSORGUNG
BEI MORBUS POMPE“

24.03.2021
11:15-12:15 Uhr

PROGRAMM

Chair:

Prof. Dr. med. Benedikt Schoser

Friedrich-Baur-Institut, Neurologische Klinik,
Klinikum der Universität München

Begrüßung

PD Dr. med. M. Boentert

Klinik für Neurologie mit Institut für Translationale Neurologie,
Universitätsklinikum Münster

Die Atmung im Blick -

neue Erkenntnisse zum frühen Therapiestart bei Morbus Pompe

Prof. Dr. med. M. Vorgerd

Neurologische Klinik der Ruhr-Universität Bochum

Innovative MRT-Bildgebung -

Veränderungen der Muskulatur früher erkennen

Prof. Dr. med. B. Schoser

Friedrich-Baur-Institut, Neurologische Klinik,
Klinikum der Universität München

Neue Real-Life-Daten -

Langzeittherapie bei Morbus Pompe

Anschließende
Live-Diskussion, in
der die Referenten
Fragen aus dem
Chat beantworten
und diskutieren

A

Al Chalabi, A. 16
Arendt, C. 33

B

Baum, P. 30
Beyer, I. 18
Boentert, M. 19, 40
Bogdahn, U. 31
Böhne, L. 28
Braeseke, G. 15
Braun, F. 35
Brill, M. S. 17
Brinkmeier, M. 15

C

Cengiz, D. 16
Chio, A. 22
Cirak, S. 32

D

Daimagüler, H.-S. 33
De Carvalho, M. 17
Della Marina, A. 20, 25
Dengler, R. 21, 38
Deschauer, M. 32, 37
Dillmann, U. 27
Dohrn, M. F. 35
Donandt, T. 19
Dorst, J. 22
Dumke, C. 35

E

Eckenweiler, M. 33
Emmer, A. 36, 37
Escobar Fernandez, H. 34

F

Fangerau, H. 16
Fichtner, M. 21

G

Gangfuß, A. 23, 25, 26, 30
Gaudlitz, M. 31
Gazzerro, E. 28
Glaubitz, S. 33
Gläser, D. 37
Gotthardt, M. 19
Grehl, T. 19
Grimm, A. 18, 28
Groß, M. 30, 38
Grosskreutz, J. 15, 16, 21, 22, 25, 26, 38
Günther, R. 21, 37

H

Hagenacker, T. 21, 25, 26, 37, 44, 46
Hahn, A. 27
Hasseli, R. 33
Heidsieck, E. M. 19
Heinicke, D. 39
Heinrich, F. 30
Hermann, A. 17
Hiebel, M. 31
Hintze, S. 34
Husain, R. A. 27, 42

J

Jordan, B. 37
Jungbluth, H. 44

K

Kaindl, A. 42
Kasper, D. 32
Kassubek, J. 28
Kendzierski, T. 20, 37
Keuper, M. 27
Kirschner, J. 24, 30, 39
Klawonn, F. 24
Kleeberg, K. 28, 37
Knauss, S. 21
Knoepffler, N. 16
Kölbel, H. 46
Kollewe, K. 29

Kornblum, C.	23	N	
Kornhuber, M.	37	Nagel, E.	22
Krahn, A. B.	35	Nagels, K.	22
Krause, S.	34	Nägel, S.	37
Kraya, T.	37	Nelke, C.	29
Kummer, K.	27, 30	Neuwirth, C.	17
L		O	
Langer, T.	15	Ohlendieck, K.	23
Lehmann, H.	42	Otto, M.	18
Lehnerer, S.	46	P	
Lekutat, C.	22	Pawlitzki, M.	17, 30, 33
Linse, K.	29	Pechmann, A.	25
Ludolph, A. C.	16, 32, 37, 40, 42	Penka, D.	27
Lukas, K.	33	Pernice, I.	38, 39
M		Pernice, W. M.	38, 39
Maier, A.	17, 28	Perschke, S.	15, 21, 22
Martakis, K.	28	Peseschkian, T.	30
Mawrin, C.	27	Petri, S.	23, 35
Mehlei, A.	38	Pluta, N.	23
Meinke, P.	32	Pohlner, J.	27
Meisel, A.	16, 40, 44, 46	Prudlo, J.	23, 29
Melzer, N.	46	R	
Mensch, A.	20, 28, 36, 37	Rabenstein, M.	33
Metelmann, M.	30, 38	Reitzig, T.	38
Metzler, E.	34	Richert, C.	24
Metzner, K.	27	Rödiger, A.	35
Meyer, S.	29	Rosenbohm, A.	18, 28, 33, 35
Meyer, T.	24, 46	Rudnik-Schöneborn, S.	29
Montagnese, F.	20	Ruetz, A.	34
Mroczek, M.	32	S	
Müller-York, A.	31	Saak, A.	34
Müller, C.	29	Saffari, A.	18
Müller, P.	27, 29	Schaefer, J.	25
Müller-Felber, W.	21, 24, 34, 40, 42, 44, 46	Schänzer, A.	20, 33
Müntefering, T.	27	Schara-Schmidt, U.	22, 24, 26, 44
Müthel, S.	19	Schlapakow, E.	37
		Schlereth, T.	35
		Schmidt, C.	39

Schmidt, J.	16, 35, 37, 42	Van den Berg, L.	24
Schminke, U.	33	Veldink, J. H.	25
Schmitt, D.	31	Vereb, N.	22
Schneider, I.	37	Vielhaber, S.	18, 35
Schneider-Gold, C.	37	Vill, K.	35
Schöne, U.	33	Vogt, S.	17
Schorling, D. C.	29	von Au, K.	32
Schoser, B.	23, 34, 40, 44	von der Hagen, M.	44
Schöwel-Wolf, V.	23	von Moers, A.	21
Schröter, C.	18, 38	Vorgerd, M.	37, 40
Schröter, M.	40		
Sehm, B.	37	V	
Senn, K. C.	30	Wagner, A. L.	17
Sereda, M. W.	29, 35, 38, 39	Walter, M. C.	19, 34, 44, 46
Sickmann, A.	23	Wang, H.	34
Sieb, J. P.	42	Weiler, M.	21
Sommer, C.	27	Weiß, C.	25, 42
Sperfeld, A.-D.	37	Weis, J.	20
Spletter, M.	19	Wenninger, S.	21, 25, 26, 34
Sproß, J.	15	Westig, N.	38
Spuler, S.	31	Weydt, P.	17
Stadelmann, C.	34	Wiegand-Greife, S.	16
Steinbach, R.	28	Wiesinger, T.	32
Stenzel, W.	20, 27, 46	Winkler, M.	20, 29
Storch, A.	31	Winter, B.	42
Straub, V.	24	Winter, N.	28
		Witte, O. W.	16
		Witzel, S.	30
		Wurster, C.	21
T		Y	
Talbot, K.	21	Young, P.	18, 38, 39
Thau-Habermann, N.	28		
Thiele, S.	35	Z	
Todorow, V.	32	Zaum, A.-K.	32
Trollmann, R.	44	Zeng, R.	29
Turner, M.	18	Ziech, P.	38
		Ziegler, A.	25, 40
U		Zierz, S.	16, 36, 37
Udd, B.	37		

TEGLUTIK

Eine Lösung. Viele Vorteile.



Das **einzig** flüssige Riluzol



Das **einzig** zugelassene Riluzol zur Verabreichung über eine Ernährungssonde (**PEG**)



Konsistenz optimiert für **ALS**-Patienten mit **Schluckstörungen**¹



Leitlinien-gerechte Darreichungsform^{2,3}



 **TEGLUTIK**[®]

1 Clin Ther. 2019 Dec; 41(12):2490-2499, Riluzole Oral Suspension: Bioavailability Following Percutaneous Gastrostomy Tube-modeled Administration Versus Direct Oral Administration | 2 Leitlinie der DGEM, Aktuelle Ernährungsmedizin 2013; 38: e49-e89 | 3 Administering drugs via enteral feeding tubes, a practical guide; https://www.bapen.org.uk/pdfs/d_and_e_de_pract_guide.pdf, abgerufen am 21.01.2021

Teglutik® 5 mg/ml Suspension zum Einnehmen. Wirkstoff: Riluzol. **Zus.:** 1 ml enth. 5 mg Riluzol. **Sonstige Bestandt.:** 1 ml enth. 400 mg Sorbitol (E420), Aluminium-Mg-Silikat, Xanthangummi, Saccharin-Na, Simethicon-Emul. 30 %, Na-laurylsulfat, Macrogolstearylether, Dest. Wasser. **Anwendungsgebiet:** Zur Verläng. d. Lebenserwartung od. zur Hinauszögerung d. Zeit bis zum Einsatz d. mechan. Beatmung b. Pat. m. amyotropher Lateralsklerose (ALS). **Gegenanzeigen:** Überempfindlichk. gg. Riluzol od. sonst. Bestandt., Lebererkrank. od. initiale Transaminasespiegel, d. den oberen Normbereich um mehr als das 3-fache übersteigen, Schwangere od. still. Pat. **Nebenwirkungen:** *Sehr häufig:* Übelk., abnormale Leberfunktionstests, Asthenie. *Häufig:* Kopfschm., Benommenheit, orale Parästhesien, Schläfrigkeit, Tachykardie, Diarrhö, Bauchschm., Erbrechen, Schmerzen. *Gelegentl.:* Anämie, anaphylaktoid Reaktion, Angioödem, interstitielle Lungenerkrank., Pankreatitis. *Häufigk. nicht bekannt:* schwerwieg. Neutropenie, Hepatitis. **Warnhinweise:** Arzneimittel f. Kinder unzugänglich aufbewahren. **Verschreibungspflichtig.** Weitere Hinweise siehe Fach- u. Gebrauchsinfo **Pharmazeutischer Unternehmer:** Italpharmaco S.A., C/ San Rafael, 3, Pol. Ind. Alcobendas, Alcobendas, 28108 Madrid, Spanien. **Mitvertrieb:** ITF Pharma GmbH, Steinsdorfstraße 2, 80538 München. **Stand:** 02/2020.  **ITF Pharma**

FRÜHE ZEICHEN DER SPINALEN MUSKELATROPHIE (SMA) ERKENNEN¹⁻³

Ein frühes Handeln ist bei SMA sehr wichtig, da der Verlust der Motoneurone irreversibel ist.^{4,5}

Bei Kindern bis zu 3 Monaten können folgende Zeichen auf eine SMA Typ 1 hindeuten.^{1-3,6,7}



ZUNGEN-
FASZIKULATIONEN

MUSKEL-
HYPOTONIE

AREFLEXIE

BULBÄRE
MUSKELSCHWÄCHE

BEI VERDACHT ZEITNAH AN EINEN NEUROPÄDIATER ÜBERWEISEN^{4,8}

Referenzen: 1. Kolb SJ and Kissel JT. *Neurol Clin.* 2015;33(4):831-46. 2. Prior TW, et al. *NCBI Bookshelf* 2019. Available at <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/books/NBK1352>. Date accessed: September 2020. 3. Wang CH, et al. *J Child Neurol.* 2007;22(8):1027-49. 4. Govoni A, et al. *Mol Neurobiol.* 2018;55(8): 6307-18. 5. Stifani N. *Front Cell Neurosci.* 2014;8:293. doi:10.3389/fncel.2014.00293. 6. Pera MC, et al. *PLoS One.* 2020;15(3):e0230677. 7. Lin CW, et al. *Pediatr Neurol.* 2015;53(4):293-300. 8. Mercuri E, et al. *Neuromuscul Disord.* 2018;28(2):103-115.
DE-UNB-20-0089 Erstellungsdatum: Oktober 2020

#ZEICHENDER **SMA**

ZEICHENDERSMA.DE