

Liebe Kolleginnen und Kollegen,
sehr geehrte Damen und Herren,

„Precision Medicine for Rare“ – was vor wenigen Jahren noch wie eine Zukunftsvision schien, wird zunehmend Realität. Wir laden Sie herzlich ein, dieses zukunftsweisende Thema beim 9. Rare Disease Symposium der Eva Luise und Horst Köhler Stiftung genauer zu beleuchten.

Für Menschen mit Seltenen Erkrankungen birgt die Präzisionsmedizin enormes Potenzial: schnellere Diagnosen und maßgeschneiderte Behandlungen können Lebensqualität und Krankheitsverlauf signifikant verbessern. Zugleich wirft der Fortschritt Fragen auf: Wie gelingt eine sichere, ethisch vertretbare Nutzung von Patientendaten bei kleinen Fallzahlen? Wie organisieren wir interdisziplinäre Zusammenarbeit, die Präzisionsmedizin trotz begrenzter Evidenz und Infrastruktur zu den Betroffenen bringt? Welche Finanzierungsmodelle tragen hohe Kosten und sichern den globalen Zugang?

Beim Symposium diskutieren wir diese und weitere Fragen. Internationale Expertinnen und Experten geben Impulse, präsentieren aktuelle Forschungsansätze, Technologien und praxisnahe Lösungen. Im Mittelpunkt stehen immer die Betroffenen: Ihre Perspektiven und Erfahrungen sind unverzichtbar für die Gestaltung einer zukunftsfähigen Versorgung.

Lassen Sie uns diese Zukunft gemeinsam gestalten. Bringen Sie Ihre Ideen ein, damit wir die Chancen der Präzisionsmedizin bestmöglich für Seltene Erkrankungen nutzen.

Ich freue mich darauf, Sie in Berlin zu begrüßen!

Herzlich
Ihre

Prof. Dr. med. Annette Grüters-Kieslich
Vorsitzende des Vorstands,
Wissenschaftliche Leitung



English Version

Teilnahme

Die Teilnahme ist kostenlos nach vorheriger Anmeldung unter www.elhks.de/rds2025

Die Ärztekammer Berlin gewährt 7 CME Punkte.



Eva Luise und Horst Köhler Stiftung für Menschen mit Seltenen Erkrankungen

Die Eva Luise und Horst Köhler Stiftung setzt sich durch gezielte Forschungsförderung und Netzwerkarbeit seit bald 20 Jahren für eine bessere medizinische Versorgung von Menschen mit Seltenen Erkrankungen ein. Der jährlich vergebene Eva Luise Köhler Forschungspreis für Seltene Erkrankungen gehört zu den renommiertesten Auszeichnungen in diesem Forschungsbereich. Mit der Alliance4Rare initiierte die Stiftung die Zusammenarbeit führender Universitätskinderkliniken entlang einer gemeinsamen translationalen Forschungsstrategie.



„Egal, ob Kind oder erwachsen, niemand sollte sich mit einer ersten, oft chronischen und lebensverkürzenden Erkrankung allein gelassen fühlen – schon gar nicht in einem der besten Gesundheitssysteme der Welt.“

Eva Luise und Bundespräsident a. D. Horst Köhler(†)

Spendenkonto

Sparkasse KölnBonn
IBAN DE83 3705 0198 1901 4480 17
BICCOLSDE33X

Mehr über unsere Arbeit erfahren Sie unter www.elhks.de



 Eva Luise
und Horst Köhler
Stiftung

RARE DISEASE SYMPOSIUM 2025

Precision Medicine

for Rare



Freitag, 20. Juni 2025

KARL STORZ Besucher- und Schulungszentrum
Scharnhorststraße 3 | 10115 Berlin



Eva Luise und Horst Köhler Stiftung
Simrockstr. 4 | 53113 Bonn
Telefon: 0228 617 796 73
info@elhks.de



from 08:30 a.m. | Registration and Coffee

09:00 a.m. | Welcome Address
Eva Luise Köhler

09:05 a.m. | Opening Keynote "Unlocking the Secrets of Rare Diseases: How Precision Medicine is Turning Discovery into Hope"
Professor Anna Greka, Harvard Medical School, Brigham and Women's Hospital

SESSION 1: Case Study Neuronale Ceroid-Lipofuszinose (NCL) – Understanding and Addressing a Rare Neurological Disorder

9:45 a.m. | NCL research: Progress and Challenges
Dr. Angela Schulz, UKE Hamburg

10:05 a.m. | Research Initiation and Networking for NCL: Strategies and Successes
Dr. Frank Stehr, NCL-Foundation

10:25 a.m. | A Family Perspective on living with NCL
Christian Thulfaut, NCL-Group Germany e.V.

10:45 a.m. | Questions and Discussion

10:55 a.m. | Coffee Break

SESSION 2: Unlocking the Power of Data in Rare Diseases

11:30 a.m. | Data on Rare Diseases: How to balance the Necessity of Sharing and Privacy?
Prof. Dr. Louisa Specht-Riemenschneider, Federal Commissioner for Data Protection and Freedom of Information

12:00 p.m. | The European Rare Diseases Research Alliance (ERDERA) – a unique opportunity to consolidate RD research ecosystem in EU and beyond
Dr. Daria Julkowska, European Joint Programme on Rare Diseases

Professor Anna Greka, M.D., Ph.D. Harvard Medical School, Brigham and Women's Hospital



"Let's start a molecular sleuthing revolution. From a few to more and more until we have precision cures for all."

Professor Dr. Claudia Bozzaro, University of Münster



"The future lies in precision medicine, but its complexities demand ethical reflection and a societal dialogue."

12:20 p.m. | UNRARE ME – Establishing New Joint Paths for Patients and Health Care Professionals
Prof. Dr. Lorenz Grigull, University Hospital Bonn (UKB)

12:40 p.m. | SATURN – Smart Doctor Portal for Patients with Unclear Diseases
Dr. Andreas Jedlitschka, Fraunhofer Institute for Experimental Software Engineering IESE

1:00 p.m. | Questions and Discussion

1:10 p.m. | Lunch Break

SESSION 3: Spotlight Talks: Cutting-Edge Development – Recognizing, Understanding and Treating Rare Diseases

2:15 p.m. | Introduction
Prof. Dr. Annette Grüters-Kieslich, Eva Luise and Horst Köhler Foundation

2:25 p.m. | Next-Generation Genomics – A Cornerstone in Rare Disease Diagnostics
Prof. Dr. Malte Spielmann, University Hospital Schleswig-Holstein (UKSH)

2:40 p.m. | Molecular Pathways: Unveiling the Mechanisms of Rare Diseases
Prof. Mehul Dattani, Great Ormond Street Hospital for Children (GOSH) London

2:55 p.m. | Redefining Treatment: Innovations in Gene and Cell Therapies
Prof. Dr. Hildegard Büning, Hannover Medical School

3:10 p.m. | Privacy-preserving Multi-center AI – A Prerequisite for Rare Disease Research
Prof. Dr. Jan Baumbach, UKE Hamburg

3:25 p.m. | Summary, Questions and Discussion

3:40 p.m. | Coffee Break

SESSION 4: Looking ahead: Visions and Advances for Tomorrow's Healthcare of Rare Diseases

4:10 p.m. | Precision Medicine: Opportunity or Risk for Vulnerable Groups
Prof. Dr. Claudia Bozzaro, University of Münster

4:40 p.m. | Closing Discussion

4:55 p.m. | Farewell
Prof. Dr. Annette Grüters-Kieslich

5:00 p.m. | Bus Transfer to the venue of the Eva Luise Köhler Research Award ceremony

PREISVERLEIHUNG

Eva Luise Köhler Forschungspreis



18:00 | Verleihung des 17. Eva Luise Köhler Forschungspreises für Seltene Erkrankungen

Festakt mit anschließendem Empfang

Berlin-Brandenburgische Akademie der Wissenschaften (BBAW)
Jägerstraße 22 – 23, 10117 Berlin
(Eingang über Markgrafenstraße)

*** Teilnahme nur nach vorheriger Anmeldung ***