

Klinisch onderzoek en zeldzame ziekten

Praktische aspecten van klinisch onderzoek met kleine patiëntengroepen

Datum: 11 Juni 2015
Locatie: Hotel De Bilt (Biltsche Hoek)

Dagvoorzitter Prof.dr. Kit C.B. Roes

Onderzoek naar nieuwe medicijnen voor zeldzame aandoeningen moet worden gestimuleerd. Daar is het iedereen het over eens. Maar dit kan alleen door het klinisch onderzoek naar weesgeneesmiddelen efficiënter en effectiever in te richten.

Om betrouwbare uitspraken te kunnen doen over de werkzaamheid en veiligheid van geneesmiddelen, zijn tijdens de ontwikkelingsfase grote aantallen patiënten nodig. Bij onderzoek naar weesgeneesmiddelen zijn dergelijke aantallen meestal niet haalbaar. Toch is het erg belangrijk dat dit onderzoek plaatsvindt, want bij al deze 'kleine' ziekten gaat het bij elkaar opgeteld toch om ruim 30 miljoen patiënten in Europa.

Zeldzame ziekten vragen om een slimmere aanpak

Het klinische onderzoek naar de behandeling van zeldzame ziekten vraagt om een andere opzet en analysewijze. Alleen zo kan met kleinere aantallen patiënten de werkzaamheid en veiligheid van geneesmiddelen gewaarborgd worden.

Maar welke onderzoeksmethodieken zijn een betrouwbaar alternatief voor een Randomised Clinical Trial (RCT)? En hoe zit het met de (kosten)effectiviteit van interventies in preventie, cure en care? Wat zijn de eigenschappen en de beperkingen van *small clinical trials* en hoe moeten we hier mee omgaan?

Denk met ons mee

Wij nodigen u van harte uit om met ons mee te denken over dit belangrijke onderwerp op 11 juni 2015 in Hotel De Bilt – Utrecht.

Met vriendelijke groeten

Johan G. Hanstede
DutchCC / Dutch Orphan Drug Network
Sijsseltselaan 19A, 6711JE Ede, Nederland
T +31 (0)318 50 8511,
M +31 (0)6 5152 6780
E johan.hanstede@dutchcc.nl
Site: www.dutchCC.nl
KvK: 11048875.

Klinisch onderzoek en zeldzame ziekten

Praktische aspecten van klinisch onderzoek met kleine patiëntengroepen

Datum: 11 Juni 2015

Locatie: Hotel De Bilt (Biltsche Hoek)

Dagvoorzitter Prof.dr. Kit C.B. Roes

09.30	Zeldzame ziekten en Small Clinical Trials Waar praten we over: (Inter)nationaal / ultra-orphans	Prof.dr. Martina Cornel, VUMC Amsterdam
10.00	klinische studies in kleine groepen patiënten Perspectief van de biofarmaceutische ontwikkelaar	Dr. Rob Melief, Genzyme Nederland
10.30	PAUZE	
11.00	Praktische aspecten waar een CRO mee te maken krijgt bij het doen van klinisch onderzoek bij zeldzame ziekten.	Dr. Henk Kamsteeg *, Quintiles
11.30	Het optimaliseren van Small Clinical Trials FP7 Health: ASTERIX, Advances in Small Trials dESign for Regulatory Innovation and eXcellence	Prof.dr. Kit Roes, UMC Utrecht
12.00	Statistische analyses bij Small Clinical Trials FP7 Health: IDEAL, Integrated DEsign and AnaLysis of small population group trials	Prof.dr. Geert Molenberghs, Universiteit Hasselt
12.30	Het modelleren in gezondheidseconomische evaluaties	Dr. Leona Hakkaart *, Erasmus Universiteit Rotterdam
13.00	LUNCH	
14.00	Het patiëntenperspectief bij kinderen	Marianne Naafs-Wilstra, VOKK
	Het patiëntenperspectief bij volwassenen	Dr. Hanneke van der Lee, AMC
15.00	Besluitvorming vanuit de registratieautoriteiten Bewijskracht / Bundelen van casuïstiek / EMA	Prof.dr. Bert Leufkens, CBG-MEB
15.30	Besluitvorming vanuit de vergoedingsautoriteiten Bewijskracht / Bundelen van casuïstiek / ZiNI	Marja Kuijpers, apotheker Zorginstituut Nederland
16.00	Discussie Conclusies en nawoord	Voorzitter Prof.dr. Kit Roes
16.30	Netwerkborrel	

*) tbc

VOORZITTER



Prof.dr. Kit Roes,
*Hoogleraar Biostatistiek en
Directeur 'Quality and Patient
Safety' aan het UMC Utrecht*



Prof.dr. Geert Molenberghs
*Buitengewoon hoogleraar
Universiteit Hasselt. Vice-
voorzitter Examencommissie
Master of Statistics*



Dr. Henk Kamsteeg,
*Senior Director Clinical
Operations & General
Manager at Quintiles*



**Dr. Leona Hakkaart-van
Roijen***, Associate Professor
*economic evaluations in
health care. iMTA Erasmus
University Rotterdam*



Dr. Rob Melief,
*Medisch directeur Genzyme
Nederland*



Prof.dr. Martina Cornel
*Clinical Genetics/EMGO
Institute for Health and Care
Research at the VU Medical
Center*



Dr. Hanneke van der Lee,
*Pediatric clinical Research
Office, Woman-Child center,
AMC*



Marianne Naafs-Wilstra,
*Directeur Vereniging Ouders,
Kinderen en Kanker VOKK*



Prof dr Bert Leufkens
*Voorzitter College ter
beoordeling van
geneesmiddelen (CBG) en lid
CHMP/EMA*



Dr. Marja Kuijpers,
*Farmaceutisch adviseur
Zorginstituut Nederland*

ORGANISATIE



DutchCC
Ir. Johan G. Hanstede
M: 06 5152 6780
johan.hanstede@dutchcc.nl

PRAKTISCHE INFORMATIE

Datum

11 juni 2015

Locatie

Hotel De Bilt - Utrecht
De Holle Bilt 1
3732 HM De Bilt
Tel 030 220 5811



Route beschrijving :

http://www.biltschehoek.com/nl/over_ons/contact/routebeschrijving

Gratis parkeren en gratis WiFi

Aanmelden kan uitsluitend via: www.dutchcc.nl

Kosten

De kosten van dit seminar bedragen € 395,- per persoon voor de industrie . Universiteiten en instellingen betalen € 200,- en patiëntenorganisaties € 150,- per persoon. Deze bedragen zijn inclusief koffie, thee en lunch. Daarnaast ontvangt u een waardevolle syllabus die u als naslagwerk kunt gebruiken. Alle prijzen zijn exclusief BTW.

Annuleren

Bij ontvangst van uw schriftelijke annulering 4 weken vóór de datum van de studiedag vindt restitutie plaats onder aftrek van € 50- administratiekosten. Na deze datum kan geen restitutie meer plaatsvinden. Indien u verhinderd bent, kan uw collega u zonder bijkomende kosten vervangen.

Over DutchCC

Uw bijeenkomst is in professionele handen bij DutchCC, een advies- en congresorganisatiebureau gespecialiseerd in biomedische congressen en symposia. DutchCC organiseert bij- en nascholing voor biomedische professionals. Ook organiseren wij bijeenkomsten in opdracht van de biomedische en farmaceutische industrie. Het management van DutchCC beschikt over een groot biomedisch netwerk en ruim 30 jaar ervaring in het succesvol initiëren, ontwikkelen en organiseren van congressen en cursussen.

*DutchCC; Ir.Johan G. Hanstede, Sijsseltselaan 19/A, 6711 JE Ede
T: +31 (0)318 50 8511, M: +31 (0)6 5152 6780, E: johan.hanstede@dutchcc.nl
KvK 11048875, BTW nummer NL085114431B01, ING bankrekening 4461254*

Mailing en adressering

Graag houden wij u op de hoogte van voor u interessante bijeenkomsten en diensten. U bent daartoe opgenomen in ons adressenbestand. Natuurlijk kunt zich ook rechtstreeks via de website aanmelden. Dit bestand zal niet ter beschikking gesteld worden aan derden.