



12th Annual ICORD Conference 6th China Rare Disease Summit
第十二届国际罕见病与孤儿药大会暨第六届中国罕见病高峰论坛

September 7th~10th, 2017 | Beijing China



Pre-Conference Symposium

International Niemann Pick Disease Symposium

Organized by International Niemann-Pick Disease Alliance (INPDA) in conjunction with China Niemann-Pick Disease Patient Association (CNPDA) & Chinese Organization for Rare Disorders (CORD)

7th September 2017, Beijing, China

JW Marriott Hotel Beijing

83 Jianguo Rd, DaWang Lu, Chaoyang Qu, Beijing Shi, China, 100025 (Phone: +86 10 5908 6688)

Confirmed Speakers:

- **Professor Marc Patterson, M.D.**, Chair, Division of Child and Adolescent Neurology, Mayo Clinic Children's Center, USA
- **Dr Teresa Wu, Principal Clinical Scientist**, Manchester University Hospital Trust, Deputy Director at Willink Biomedical Genetics, UK
- **Professor Huiwen Zhang, M.D.**, Deputy Chief Physician, Department of Endocrine and Genetic Metabolic Disease, Shanghai Xinhua Hospital, Shanghai Institute for Pediatric Research, China
- **Professor Melissa Wasserstein, M.D.**, (By video) Chief, Division of Pediatric Genetic Medicine, Department of Pediatrics, Associate Professor, Department of Pediatrics (Pediatric Genetic Medicine), Associate Professor, Department of Genetics, The Children's Hospital at Montefiore, New York, USA

Target Attendees:

- Treating Physicians for Niemann-Pick Disease, and/or Hereditary Metabolic Rare Disorders
- Policy makers, patient organizations, industry representatives

Meeting Registration:

- Registered participants of ICORD 2017 meeting can attend the meeting for free
- To register for the symposium alone, please register at ICORD 2017 meeting website. <http://icord2017.medmeeting.org/Content/63573>





AGENDA

Thursday, 7th September 2017

1.30 pm – 2.00 – Meeting Registration

2:00 pm – 2.15 pm – *Introductory Session*

Chair: Jim Green President INPDA

- Welcome on behalf of INPDA
- Meeting – Structure and Objectives

2:15 pm – 2.25 pm – *Introductory Session*

- Overview of Niemann Pick Disease Patients in China – Mrs. Zhang, Aijun, President CNPDA

2.25 pm – 3.45 pm *Session 1: Niemann Pick Diagnosis*

- Current practice: NPD diagnosis in China (25 min) – Dr Zhang, Huiwen
- Current practice: NPD diagnosis in the US/Europe (25 min) – Dr Teresa Wu
- Current practice: NPD ASMD diagnosis in the US/Europe
- Questions and panel discussions (30 min)

3.45 pm – 4.15 pm Coffee and Refreshments

4.15 pm – 5:50 pm *Session 2: Clinical Management*

- Clinical management of ASMD (25 min) – Professor Melissa Wasserstein (Video Presentation)
- Clinical management of NPC (25 min) – Professor Marc Patterson
- Questions and discussions (45 min)

5.50 pm – 6:00 pm Conclusions and closing remarks



12th Annual ICORD Conference 6th China Rare Disease Summit
第十二届国际罕见病与孤儿药大会暨第六届中国罕见病高峰论坛

September 7th~10th, 2017 | Beijing China



第十二届国际罕见病与孤儿药大会暨第六届中国罕见病高峰论坛会前研讨会
国际尼曼匹克

由国际尼曼匹克联盟（INPDA）中国尼曼匹克关爱中心（CNPDA）和中国罕见病组织（CORD）联合组织

2017年9月7日，中国北京
北京万豪酒店

中国北京市朝阳区大望路建国路83号100025（电话：+86 10 5908 6688）

已确认专家讲者：

- Marc Patterson 教授，美国梅奥诊所儿童中心，儿童和青少年神经学专科主任
- Teresa Wu 博士，曼彻斯特大学医院主任临床科学家，英国 Willink 生物医学遗传学副主任
- 张惠文教授，上海交通大学医学院附属上海市儿科医学研究所小儿内分泌遗传科，副主任医师，博士研究生导师
- Melissa Wasserstein 教授（视频演讲），儿科遗传医学系主任，小儿科副教授（儿科遗传医学），遗传学系副教授，美国 Montefiore 儿童医院

参加者：

- 尼曼匹克或代谢类神经类罕见病的临床医师和专家
- 决策者，患者组织的管理人员，以及医药行业代表

（请注意本次研讨会不是直接针对患者及家庭的会议）

会议注册：

- 已注册第十二届国际罕见病和孤儿药大会的参会人员注册后可以免费参加本次研讨会
- 仅参加本次研讨会请按照如下网址注册

<http://icord2017.medmeeting.org/Content/63572>





12th Annual ICORD Conference 6th China Rare Disease Summit
第十二届国际罕见病与孤儿药大会暨第六届中国罕见病高峰论坛
September 7th~10th, 2017 | Beijing China



会议议程

2017年9月7日，星期四

1.30 pm – 2.00 会议注册

下午 2 时至 2 时 15 分 – 会议开幕介绍
国际尼曼匹克联盟总裁 Jim Green 欢迎致辞以及介绍本次会议议程

下午 2 时 15 分至 2 时 25 分 – 介绍中国尼曼匹克患者群体现状
中国尼曼匹克关爱中心主席张爱军女士

下午 2 时 25 分至 3 时 45 分 第 1 场：尼曼匹克病的诊断

- 目前的做法：中国的尼曼匹克病诊断（25 分钟）– 张惠文医生
- 目前的做法：美国/欧洲的尼曼匹克病诊断（25 分钟）– Teresa Wu 博士
- 问题和讨论（30 分钟）

下午 3 时 45 分 - 4 时 15 分 茶歇

下午 4 时 15 分 - 5 时 50 分 第 2 场：尼曼匹克病的临床管理

- 酸性鞘磷脂酶缺乏症(尼曼匹克 A 型, B 型)的临床管理（25 分钟）– Melissa Wasserstein 教授（视频演讲）
- 尼曼匹克 C 型临床管理（25 分钟）– Marc Patterson 教授
- 问题和讨论（45 分钟）

下午 5 时 50 分 – 6 时 结束语和闭幕词

