



**Kinder durch Forschung
statt vor Forschung
schützen**

OKIDS - das österreichische Kinderforschungsnetzwerk

3. D | A | CH Symposium für klinische Prüfungen
30.05.2022



30. - 31. Mai 2022
Salzburg Congress, Österreich

Univ. Prof. Dr. Ruth Ladenstein, MBA, cPM
OKIDS Geschäftsführung

Organisation



- § **2012 Gründung der OKIDS GmbH** als Tochter-GmbH der österreichischen Gesellschaft für Kinder- und Jugendheilkunde.

- § **1. Förderperiode** (5 Jahre: Juni 2013- Mai 2018) : Privat-Public Partnerschaft aus Mitteln des **Bundesministeriums für Gesundheit**, Mitteln „Gemeinsame Gesundheitsziele aus dem Rahmen-Pharmavertrag (**GHZ 1**) und durch die **Pharmig** – Verband der pharmazeutischen Industrie Österreichs.

- § **2. Förderperiode** (2 Jahre: Juni 2018- Mai 2020): Ko-finanzierung über Projektantrag (**GHZ 2**) und Mittel der fördernden Unternehmen der **Pharmig** und Teilnahme an **EU** Projekten.

- § **3. Förderperiode** (ab Juni 2020): Direkte Vertragslegung mit **fördernden Unternehmen** und der **Pharmig** mit OKIDS, **GHZ 2** und **EU** Projekte.

Ziele und Aufgaben

- **OKIDS ist die einzige österreichische Organisation die zentral die vielfältigen Themen und Aufgaben im Thema Kinderarzneimittel mit weitreichender Vernetzung im In- und Ausland koordiniert.**
- Ziel ist die Förderung der verstärkten Entwicklung und die bessere Verfügbarkeit von kindergerechten Medikamenten in Österreich
 - **Durchführung von Kinderstudien und Bereitstellung von Personal im OKIDS Netzwerk**
 - **Aufklärungsarbeit:** über Kongresse, WEBpage, Broschüren, Publikationen, Pressekonferenzen, künftig inkl. moderne Medien.
 - **OKIDS als nationale Begegnungszone** für Interessensvertreter aus Politik, Pharmaindustrie und Betroffenen für jeweils aktuelle Problembereiche
 - **Internationale Kollaborationen** (EMA-EnprEMA, Connect for Children – IMI2)



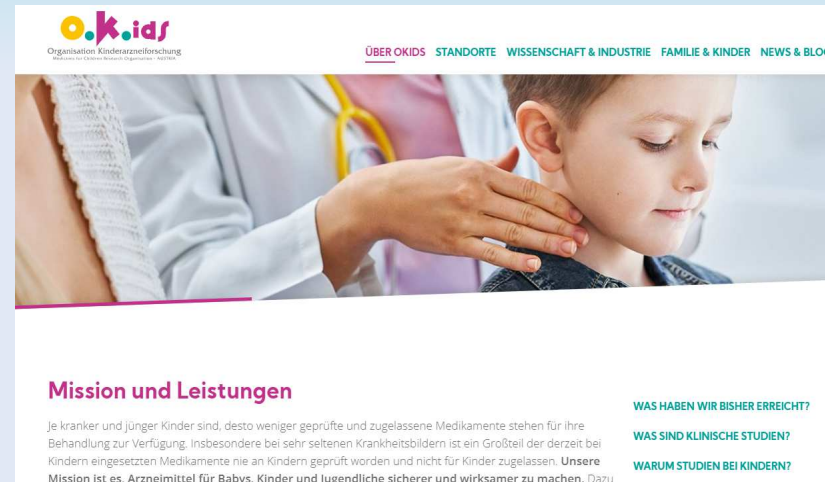
OKIDS WEBPAGE

Smartphone tauglich – Präsenz in Sozialen Medien

www.okids-net.at



OKIDS:
**Ihr Ansprechpartner für
Kinderarzneimittelstudien**



Mission und Leistungen

Je kranker und jünger Kinder sind, desto weniger geprüfte und zugelassene Medikamente stehen für ihre Behandlung zur Verfügung. Insbesondere bei sehr seltenen Krankheitsbildern ist ein Großteil der derzeit bei Kindern eingesetzten Medikamente nie an Kindern geprüft worden und nicht für Kinder zugelassen. **Unsere Mission ist es, Arzneimittel für Babys, Kinder und Jugendliche sicherer und wirksamer zu machen.** Dazu bieten wir als unseres hoch Bindeglied z auch intern:

- WAS HABEN WIR BISHER ERREICHT?
- WAS SIND KLINISCHE STUDIEN?
- WARUM STUDIEN BEI KINDERN?



Kinderforschungsnetzwerk Österreich

Die Netzwerkpartner stellen Ihr know-how im Bereich Klinischer Prüfung zur Verfügung. Ein Aspekt, der für die erfolgreiche Durchführung von Klinischen Prüfungen eine wesentliche Rolle spielt, ist geschultes und erfahrenes Personal.

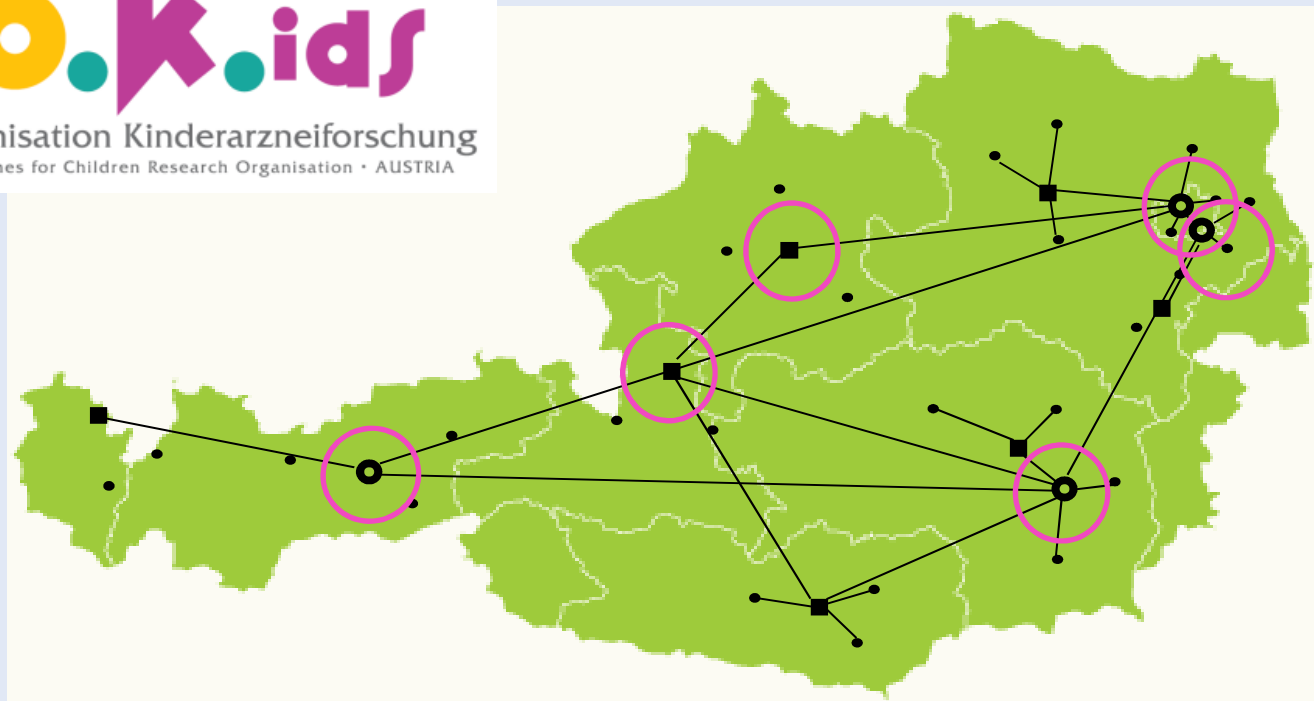


Warum Studien bei Kindern?

Je kranker und jünger Kinder sind, desto weniger geprüfte und zugelassene Medikamente stehen für ihre Behandlung zur Verfügung. Der Nachholbedarf an Medikamentenprüfungen bei Kindern ist daher groß und ein **Großteil der derzeit bei Kindern eingesetzten Medikamente ist nie an Kindern geprüft worden und auch nicht für Kinder zugelassen.**

Organisation OKIDS Netzwerks 2022

- **1 NETZWERKZENTRALE (NWZ) WIEN**
- **6 STANDORTE**
Graz MUG, Innsbruck MUI, Linz JKU, Salzburg PMU, Wien (2) MUW und SAK& S²IRP
- **Kooperationspartner** (LKHS- Pädiatrische Abteilungen, Niedergelassene Pädiater)



OKIDS Organisation 2022

INNSBRUCK



Univ.-Prof. Mag. Dr. T. Müller
KINDERKLINIK

SALZBURG



Univ.-Prof. PD Dr.
D. Weghuber
KINDERKLINIK

LINZ



Univ.-Prof. Dr. W. Högler
KINDERKLINIK

WIEN NWZ/SAK



Univ.-Prof. Dr. R. Ladenstein
OKIDS GESCHÄFTSFÜHRUNG

WIEN MUW



Univ.-Prof. Dr. S. Greber-Platzer
KINDERKLINIK

GRAZ



Univ.-Prof. Dr. E. Eber
KINDERKLINIK



Mag. (FH) S. Embacher-Aichhorn
LEITUNG KKS



PD Dr. F. B. Lagler
LEITUNG CRCS



Andrea Mikolasek
PROJEKTMANAGEMENT



Ap. Prof. Mag. DDr. A. Thajer MSc. MBA
PROJEKTMANAGEMENT



Mag. Bettina Gadner
Study Nurse



Natalee Annon-
Eberharter, BSc.
Study Nurse



Lisa Ameshofer MSc
Study Nurse



Christiana Echnner
Angelika Muggi MSc., BSc.
Study Nurses



Claudia Guirguis, BSc.
Karin Harreiter BSc.
Study Nurses



Lucia Jiménez García BSc.
Study Nurse

Nationale Netzwerkaktivitäten

5/2013 – 03/2022



- **142 Feasibilities** von CROs, Pharmafirmen, über Enpr-EMA und c4c
- **273 Studien und Register mit OKIDS Unterstützung** seit der Gründung von OKIDS
- **3704 Patienten** im Netzwerk

Nationale Netzwerkaktivitäten 5/2013 – 03/2022

Standorte	Industrie Studien	Patienten Industrie	Akademische Studien	Patienten Akadem.	Register	Patienten Register
CRCS	11	41	6	276	9	34
KUK	7	24	4	245	4	64
MUG	19	24	0	0	5	589
MUI	6	2	2	12	5	222
MUW	80	246	60	1416	23	356
SAK	17	41	14	72	1	40
GESAMT	140	378	86	2021	47	1305

👉 **273 Studien und Register mit OKIDS Unterstützung**

👉 **3704 Patienten im Netzwerk**



„Strategische Allianzen für Kinderarzneimittel - QUO VADIS“

Dritter OKIDS Kongress

08.06.2022

Apothekertrakt Schloss Schönbrunn

PROGRAMM



Moderation:

Dr. Vera Russwurm



Saal „Maria Theresia“

Willkommensworte

12:00
Univ.-Prof. Dr. Daniela Karall
(Präsidentin der Österr. Gesellschaft für Kinder- und Jugendheilkunde)
Dr. Vera Russwurm

Eröffnungsrede

12:10 - 12:30
Bedeutung des Kinderforschungsnetzwerks OKIDS - 10 Jahre im Rückblick
Univ.-Prof. Dr. Ruth Ladenstein, MD, MBA, cPM (OKIDS)

I. „Erfolgsgeschichten aus der Klinik im Spektrum der Seltenen Erkrankungen - Erfahrungsberichte von OKIDS ExpertInnen“

- Homozygote familiäre Hypercholesterinämie (HoFH)
Univ.-Prof. Dr. Susanne Graber-Platzer, MBA (Medizinische Universität Wien, Universitätsklinik für Kinder- und Jugendheilkunde)
- Cystische Fibrose: Neue CFTR Modulatoren
Univ.-Prof. Dr. Ernst Eber (Medizinische Universität Graz, Universitätsklinik für Kinder- und Jugendheilkunde)

- Innovationen in der Therapie von Adipositas und Typ 2 Diabetes mellitus bei Kindern und Jugendlichen
Univ.-Prof. Dr. Daniel Weghuber (Universitätsklinik für Kinder- und Jugendheilkunde, Uniklinikum Salzburg/Landeskrankenhaus, Uniklinikum der Paracelsus Medizinischen Privatuniversität)

- Forschungs-Fortschritte bei seltenen neuropädiatrischen Erkrankungen
PD Dr Gudrun Gröppel (Universitätsklinik für Kinder- und Jugendheilkunde, Johannes Kepler Universität Linz, Kepler Universitätsklinikum)

- Die Verbesserung der Behandlung der Langerhanszell Histiozytose durch zielgerichtete Therapie.
PD DDr. Caroline Hutter (St. Anna Kinderspital)

- Bericht zur geplanten Therapiestudie „Allogeneic Human Liver Stem Cells (HLSCs) in urea cycle disorders (UCD)“
Univ.-Prof. Dr. Daniela Karall
(Medizinische Universität Innsbruck, Universitätsklinik Pädiatrie I)

II. Strategische Partnerschaften für Kinder in Österreich und der EU

- Nutzung von Gesundheitsdaten - zwischen Forschung und Datenschutz
PD.Dr. Johannes Pleiner-Duxneuner (GPMed, Roche Austria)

- Wunsch und Wirklichkeit – pädiatrische klinische Forschung in Österreich
Dr. Katharina Hauer (Sanofi-Aventis GmbH)

- Impfstoffentwicklung bei Kindern, ein spezielles Setting
Dr. Sylvia Nanz (Pfizer Corporation Österreich)

- Das Expertisenzentrum für junge Patienten mit Neurofibromatose: Kooperation der Patientenorganisation NF Kinder mit der Univ. Klinik Wien
Ing. Claas Röhl, Bakk.phil (EUPATI Österreich, Neurofibromatose Kinder, Allianz der onkologischen PatientInnenorganisationen)

- Versorgungsaspekte bei Kindern mit seltenen Erkrankungen
Mag. Elisabeth Weigand (Pro Rare)

CAFÉPAUSE

15:15 - 16:00

III. Roundtable: „Gemeinsam Hürden überwinden“ Impulsstatements der RoundtableteilnehmerInnen, geführte Diskussion mit Einbindung des Publikums

16:00 - 17:00

VR DI Dr. Michaela Fritz (Medizinische Universität Wien)

KR Mag.-Alexander Herzog (PHARMIG - Verband der pharmazeutischen Industrie Österreichs)
Univ.-Prof. Dr. Ruth Ladenstein, MD, MBA, cPM (OKIDS GmbH)

PD Dr. Johannes Pleiner-Duxneuner (GPMed, Roche Austria)

Ing. Claas Röhl, Bakk.phil (Pro Rare, Neurofibromatose Kinder, EUPATI,
Allianz der onkologischen PatientInnenorganisationen)
Dr. Stefan Strasser (BASS-AGES)

IV. Europäische Perspektiven der Arzneimittelentwicklung und Neues aus der Gesetzgebung

17:00 - 18:30

- Clinical Trial Regulation – status quo
Dr. Stefan Strasser (BASS-AGES)

- Datenschutzrecht und darüber hinaus: ein europarechtliches Update
Univ.-Prof. Mag. iur. Dr. iur. Nikolaus Forgó (Vorstand des Instituts für Innovation und Digitalisierung im Recht, Universität Wien)

- Arzneimittelentwicklung und CTR aus der Sicht der Industrie
Dr. Dejan Baltic (Amgen GmbH)

- Verbesserung der studienbezogenen, klinischen Infrastruktur in Europa: das IMI connect4children (c4c) Projekt
Heidrun Hildebrand (Bayer AG)

ABENDESSEN und gemeinsamer Kongressausklang

Catering Buffet (Pool7-Grüner Kreis)

18:30 - 20:00



OKIDS

OKIDS wurde mit Hilfe der Österreichischen Gesellschaft für Kinder und Jugendheilkunde (ÖGKJ) gegründet und ist gefördert aus den Mitteln „Gemeinsame Gesundheitsziele aus dem Rahmen-Pharmavertrag“, eine Kooperation von österreichischer Pharmawirtschaft und Sozialversicherung.



Unterstützende Unternehmen



7 DFP Punkte
Die Kongressteilnahme ist kostenfrei.
Anmeldung bitte bis 01. Juni 2022

Fotorechte:
Dr. Vera Russwurm; Manfred Baumann
Schönbrunn: Peter Olschinsky

<https://www.okids-net.at/de/kongressanmeldung>

STRUKTURUNTERSTÜTZUNG OKIDS AB Förderperiode 3

- **Änderung des Fördermodells**
 - Verträge werden mit fördernden Unternehmen direkt abgeschlossen
 - Verschiedene Unterstützungsmodelle:
Spendenanträge, konkrete Projekte für Förderung & Anträge, Sponsoring für Veranstaltungen,
 - Problematik u.a. unterschiedliche Compliance Regeln, Bedarf an Projektformulierungen, Streuung der Förderthemen, ...

Silber ab 5.000€	Gold ab 10.000€	Platin ab 20.000€
Logo auf den Unterlagen Logo auf der Webpage	Logo auf den Unterlagen Logo auf der Webpage 1 Artikel auf der Webpage 5 x Social Media/Blogbeiträge 1 Speaker-Platz beim Kongress	Logo auf den Unterlagen Logo auf der Webpage 2 Artikel auf der Webpage 10 x Social Media/Blogbeiträge 2 Speaker-Platz beim Kongress Ein Firmenvortrag Förderung des CSEK Projektes



C4C Project Leadership Team

Coordinator: Carlo Giaquinto (PENTA)

Co-coordinator: Mark Turner (University of Liverpool)

Project Leader: Katharine Cheng (JANSSEN)

Co-leader: Heidrun Hildebrand (Bayer)

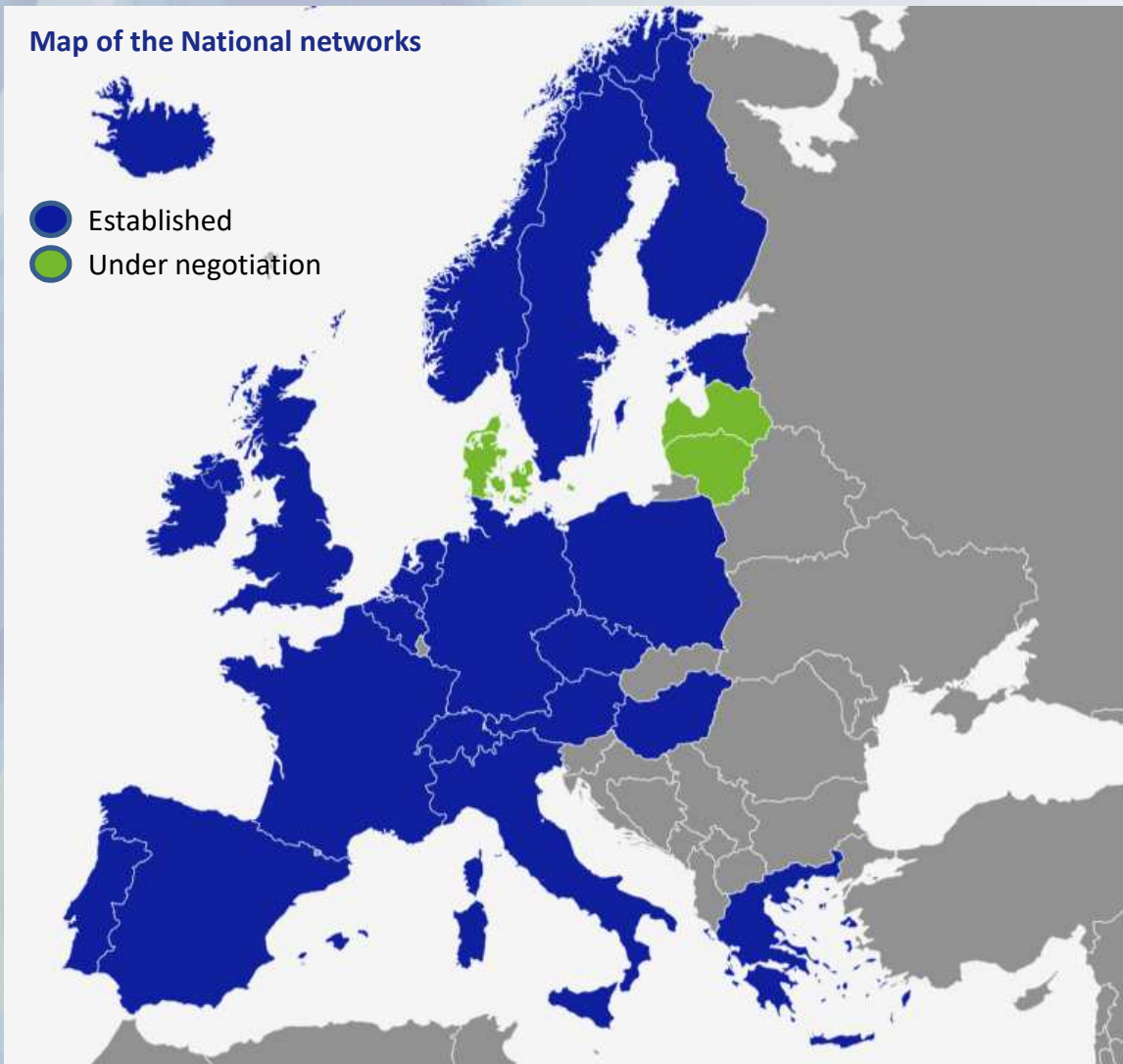
communication@conect4children.org

This project has received funding from the Innovative Medicines Initiative 2 Joint Undertaking under grant agreement No 777389. The Joint Undertaking receives support from the European Union's Horizon 2020 research and innovation programme and EFPIA.

The c4c Consortium Members

Map of the National networks

-  Established
-  Under negotiation



- 10 EFPIA companies
- 19 paediatric national networks established (Iceland and Finland one single network) + Denmark
- 2 paediatric national networks under negotiation
- 2 large patient advocacy groups
- 8 EU multinational specialty networks
- 3 global research networks
- 150 large children's hospitals

To know more about the c4c Consortium visit:
www.conect4children.org

September 28th, 2021

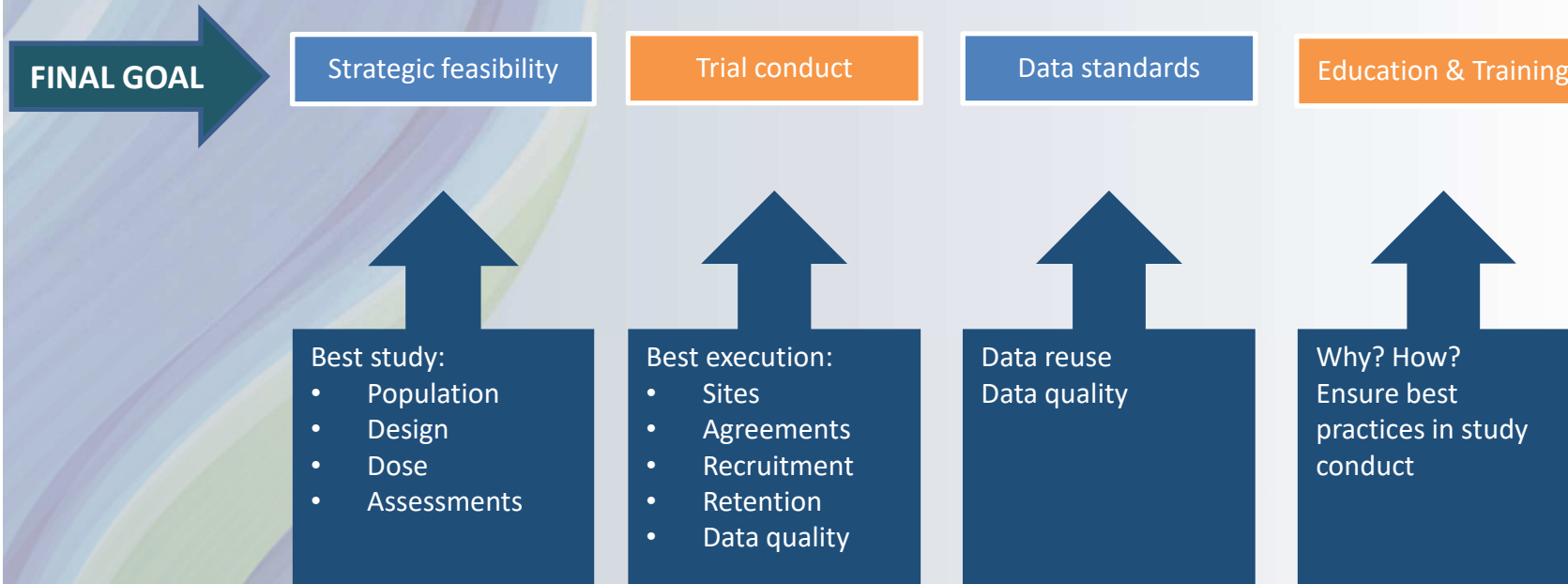


Private-public partnership between Academia and Pharma



EnprEMA September 28th 2021

c4c Services



c4c Academy



TRAIN THE TRAINERS
COURSE



FAMILIES AND PATIENTS
INVOLVEMENT COURSES



POV STUDIES' TRAINING
COURSES



GOOD CLINICAL PRACTICE
COURSES

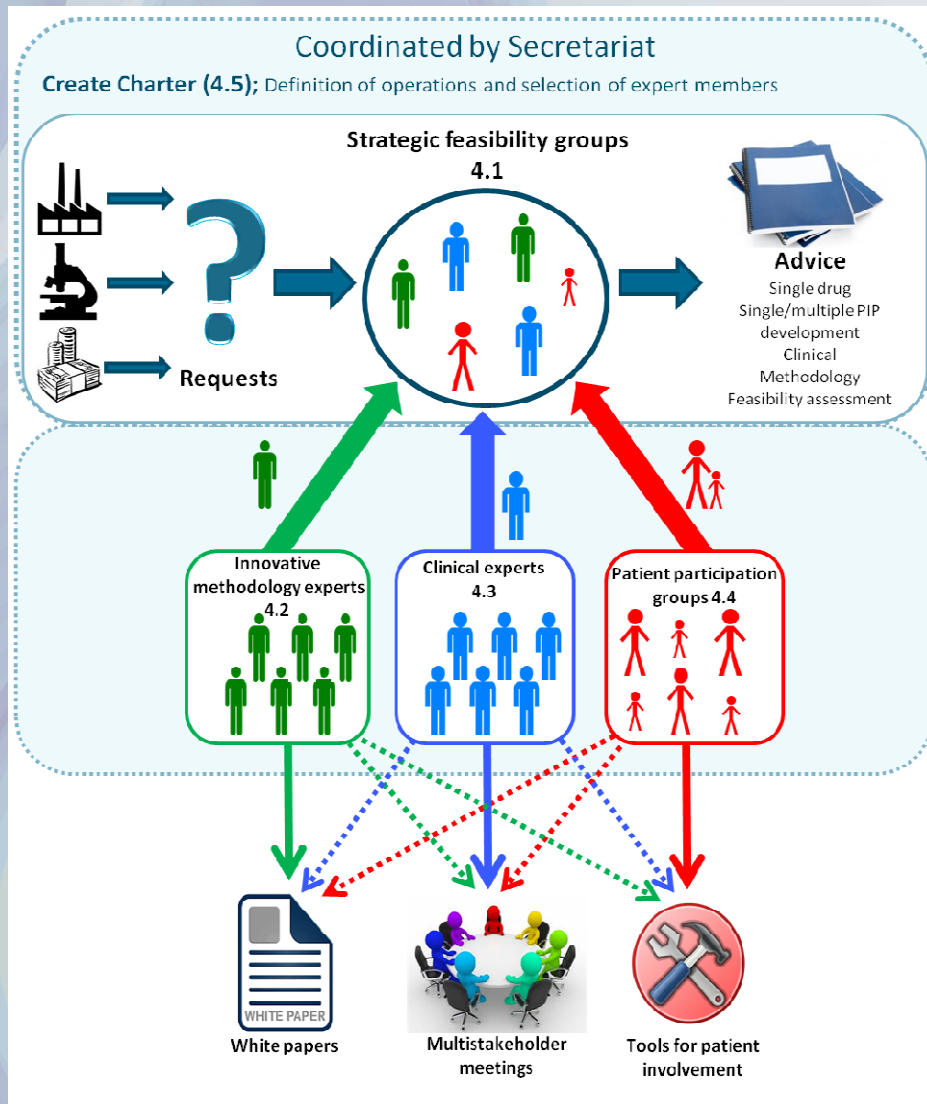


SHORT THEMATIC
COURSES



ADVANCED COURSE

Strategic Feasibility Advice



- Provide Strategic Feasibility advice
- Provide guidance to assure innovative development plans
- Organize multi-stakeholder strategic discussions
- Integrate children and young people in strategic feasibility

Standing Expert Groups

Clinical		Methodology
Adolescent Medicine	Nephrology	Developmental pharmacology
Cardiology	Neuromuscular diseases	Ethics
Endocrinology & Diabetes	Neuroscience & Epilepsy	Formulations
Gastroenterology & Hepatology	Oncology (incl. heamatology)	Health Technology Assesment
Infectious diseases & Vaccinology	Psychiatry	Pharmacogenomics and other Omics technologies
Intensive care	Respiratory	Pharmacometrics
Metabolic diseases	Rheumatology & Autoimmune diseases	Pharmacovigilance
Neonatology	RSV	Study design & Clinical trial methodology
PPI		
YPAGs		Parents/caregivers
Patient organisations		Patients

If needed other Experts can be assigned, via our extended network



c4c Studien - Training und Test im Europäischen c4c Network

Prozessmanagement (Funktion von OKIDS Site Personal):

Studienanbahnungsprozesse – Initiierung – Durchführung - Close out

3 Akademische Studien:

- **INSERM-TREOCAPA:**

Prophylactic Treatment of the Ductus Arteriosus in **Preterm infants** by Acetaminophen, **WIEN**

- **UCL-KD-CAAP:**

Efficacy of dexamethasone in **Kawasaki Disease**, **INNSBRUCK**

- **OPBG-cASPerCF:**

dosing posaconazole to treat aspergillus in children with **Cystic Fibroses**, **GRAZ** (reserve site) *stopped as study question overrun by era of CFTR modulators Survey and alternatives under discussion*

c4c Studien - Training und Test im Europäischen c4c Network

Prozessmanagement (Funktion von OKIDS Site Personal):

Studienanbahnungsprozesse – Initiierung – Durchführung - Close out

4 Industrie Proof of Viability Studien:

- **Bayer – Chronic Kidney Disease**

OKIDS involviert – 4 sites (Wien, Graz, Salzburg, Linz) FPFV im Mai 2022

- **Janssen - RSV**

Janssen made strategic decision to discontinue study, multifactorial reasons including difficultier in recruitment

- **Novartis – Pediatric Respiratory**

OKIDS involviert – 3 sites (information pending), FPFV im November 2022

- **Roche - Neuroscience**

FPFV im April 2022

FÖRDERUNGEN & PROJEKTMITTEL

„Gemeinsame Gesundheitsziele aus dem Rahmen Pharmavertrag“
IMI2 Project C4C - ÖGKI

DANKSAGUNG

Unterstützende Unternehmen



ab 20.000 €

WERKZEUGE • MASCHINEN • BAU- und GÄRTENERÄTE
ZGONC
Das echte Fachgeschäft Österreichs



ab 10.000 €

Roche

SANOFI



ab 5.000 €

AMGEN®

Boehringer
Ingelheim

Bristol Myers Squibb™

Chiesi

CSL Behring
Biotherapies for Life™

FRESENIUS
KABI
caring for life

GILEAD
Creating Possible

INFECTOPHARM
Wissen wirkt.

MSD

Pfizer

PHARMIG
Verband der pharmazeutischen
Industrie Österreichs

ratiopharm

teva

SANDOZ

Takeda

VERTEX
THE SCIENCE OF POSSIBILITY



unter 5.000 €

A. MENARINI PHARMA

sobi

