

OKIDS Aktivitäten von Q3-2013 bis Q1-2020

Über die Notwendigkeit, Kinder durch Forschung statt vor Forschung zu schützen

OKIDS ist die einzige österreichische Organisation für Kinderarzneiforschung, die zentral die vielfältigen Themen und Aufgaben zur Verfügbarkeit von Kinderarzneimittel mit breiter Vernetzung im In- und Ausland koordiniert.

Als Tochter der ÖGKJ (Österreichischen Gesellschaft für Kinder und Jugendheilkunde) und in enger Partnerschaft mit Interessenvertretern sorgt OKIDS (Gründung Mai 2013) für die Förderung, Koordination und Unterstützung von Kinderarzneimittelstudien in Österreich sowie für Ausbildung und positive Information zum Thema.

1. Zusammenfassung der OKIDS-Leistungen:

❖ Feasibilities und Klinische Studien

- **Eine Netzwerkzentrale und jeweils ein Ansprechpartner an den fünf medizinischen Universitäten sowie am St. Anna Kinderspital**
- **112 Feasibilities (27 in Förderperiode 2 (FP2) / 85 in Förderperiode 1 (FP1)) für Industriepartner, CROs, Pharmafirmen und über Enpr-EMA sowie c4c**
- **190 Studien (z.T. Standort überschneidend) mit OKIDS Unterstützung**
- **634 Patienten rekrutiert**
- **9 von 16 bei der AGES erfassten Kinderstudien 2018 wurden von OKIDS betreut**
- **mediane Vertragsdauer 4 Monate (Range, 1 bis 10 Monate)**

- **Aktuelles Indikationsspektrum in FP2:** MS, Nicht zentralnervöse Tumore des Nervensystems, Rezidivierendes oder Therapieresistentes Sarkom, allgemeine Anfrage in der Päd. Rheumatologie, RSV, Kawasaki Syndrom, Päd. Intensivstation (Medikament. Behandlung bei Beatmung), Chron. Neuropathischer Schmerz, eosin. Ösophagitis, Parapneumonischer einfacher Pleuraerguss, Neonatologie, Osteogenesis Imperfecta, M. Crohn, Sichelzellenkrankheit, heterotopische Verknöcherung, Epilepsie, Pneumokokken Impfstoff bei idiopath. Nephrotischem Syndrom, Wachstumshormon, Arterielle Hypertonie, Diabetes Mellitus, Retinopathie,

❖ Synergien mit neuen Stakeholder Partnern

- OKIDS unterzeichnete mit **EUPATI** im Jahr 2016 ein Memorandum of Understanding
- OKIDS definierte im Jahr 2017 gemeinsame Ziele und Aktivitäten mit **ProRare Austria**, da viele seltene Erkrankungen oft früh im Leben beginnen und die Patienten unter einem Mangel an krankheitsspezifischen Medikamenten leiden.

❖ Schulung für Studienpersonal und Prüfärzte über das KKS der Universität Innsbruck (Mag. Embacher-Aichhorn)

- Jährliche GCP-Kurse (Universität Innsbruck - KKS) und bei den Arbeitsgruppentreffen der Österreichischen Gesellschaft für Kinder- und Jugendheilkunde (ÖGKJ): z.B. Rheumatologie (Salzburg 2016), AGPHO (Frühjahrstagung 2017, 2018, 2019)

❖ Öffentlicher Auftritt & Medien

- **2 OKIDS Kongresse**
- **Über 30 themenspezifische Veranstaltungen**
- **8 Pressekonferenzen** (2012: Forum Alpbach, 2013: Kick-off Event im bmf, 2014 & 2015 ÖGKJ Jahrestagung, 2015 & 2016 OKIDS Pressekonferenzen im Cafe Landtmann, 2017 im Rahmen des 1. OKIDS-EUPATI Kongresses, 2018 OKIDS Pressekonferenz im Cafe Landtmann)
- **OKIDS Web Seite Deutsch /Englisch**
- **4 Filme** (<https://okids-net.at>)
- **4 Publikationen**
- **Positionierung von 15 themenrelevanten Leitlinien in Kooperation mit der ÖGKJ** (ÖGKJ Web Seite)

2. Chancen & Erfolge durch Enpr-EMA Mitgliedschaft

OKIDS ist seit Mai 2015 Enpr-EMA Kategorie 1 Mitglied

Hintergrund: Das Europäische Netzwerk für Kinderforschung bei der Europäischen Arzneimittelagentur (Enpr-EMA) ist bestrebt, Studien zu erleichtern, um die Verfügbarkeit von Arzneimitteln, die für die Verwendung in der pädiatrischen Bevölkerungsgruppe zugelassen sind, zu erhöhen. Enpr-EMA ermöglicht die Vernetzung und Zusammenarbeit mit Mitgliedern innerhalb und außerhalb der Europäischen Union (EU), einschließlich Hochschulen und der pharmazeutischen Industrie. (<http://enprema.ema.europa.eu/enprema/showall.php> und <http://www.ema.europa.eu/ema>)

❖ Stärkung der europäischen Sichtbarkeit und Nachhaltigkeit von OKIDS durch Teilnahme an europäischen Projekten

➤ OKIDS ist Partner im pädiatrisch klinischen Forschungsinfrastrukturnetzwerk (PedCRIN)

PedCRIN, finanziert durch die Horizon 2020 (INFRADEV-3 Ausschreibung, Fördervereinbarung Nr. 731046) vereint ECRIN und die European Paediatric Clinical Trial Research Infrastructure (EPCTRI) zusammen, um Kapazitäten für multinationale pädiatrische klinische Studien zu entwickeln sowie spezielle Werkzeuge für pädiatrische und neonatale Studien (Studienmethoden, Ergebnismaßnahmen, Berichte über unerwünschte Ereignisse, Bio-Sample-Management, ethische und regulatorische Datenbanken, Monitoring, Qualität und Zertifizierung). http://cordis.europa.eu/project/rcn/207435_en.html

➤ OKIDS ist Partner im "Collaborative Network for European Clinical Trials For Children" (c4c)

Das Hauptziel ist die Entwicklung, Umsetzung und Evaluierung von robusten, nachhaltigen und integrierten Strukturen für die Durchführung von Studien zur Verbesserung und Unterstützung der Entwicklung pädiatrischer Arzneimittel. c4c ist eine Kooperation zwischen Industrie und nicht-industriellen Partnern, die auf die Bedürfnisse aller Beteiligten und Interessengruppen ausgerichtet ist. OKIDS leitet u.a. die thematische Entwicklung des „Single Point of Contact“ für Europa (WP2 task 2.3)

c4c Studien:

TREOCAPA: Efficacy of paracetamol for PDA in Neonates, n = 30 + 794, WIEN

KD_CAAP: Efficacy of dexamethasone in Kawasaki Disease, n = 290, WIEN, INNSBRUCK

MOI: Efficacy of losartan in Osteogenesis Imperfecta, n = 30, WIEN – wurde gecancelled

(cASPerCF: dosing posaconazole to treat aspergillus in children with Cystic Fibroses, n = 135, GRAZ

➤ Links zu den europäischen Referenznetzwerken

➤ Teil der Enpr-EMA-Arbeitsgruppe zur "Trial Preparedness"

Mit Schwerpunkt auf frühzeitige Synergien und Kooperationen zwischen Industrie und akademischen Partnern in der Medikamentenentwicklung.

