

OKIDS Aktivitäten von Q3-2013 bis 12/2018

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 vier medizinischen Universitäten sowie am St. Anna Kinderspital**
- **104 Feasibilities (19 in Förderperiode 2 (FP2) / 85 in Förderperiode 1 (FP1)) für Industriepartner, CROs, Pharmafirmen und über Enpr-EMA sowie c4c**
- **172 Studien (z.T. Standort überschneidend) mit OKIDS Unterstützung mit ca.200 Patienten (12 Studien in FP2 / 160 in FP1)**
- **201 Patienteneinschlüsse (31 in FP2 / 170 in FP1)**
- **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 Verknocherung, Epilepsie, Pneumokokken Impfstoff bei idiopath. Nephrotischem Syndrom, Wachstumshormon, Arterielle Hypertonie

❖ 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 Prüfarzte 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

- **29 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>)
- **2 Publikationen**
- **Positionierung von 15 themenrelevanten Leitlinien in Kooperation mit der ÖGKJ** (ÖGKJ Web Seite)

- Rezente Aktivitäten in Österreich und Europa in "Policy Foren", Teilnahme an und/oder Organisation von Meetings mit Kinder und Arzneimittel relevanten Themen.
 - ÖGKJ Jahrestagung in Linz, inkl. dem Vortrag "OKIDS als Teil der Europäischen Kinderarzneientwicklung" (26. – 29.09.2018) sowie Strategiegelgespräche mit allen univ. Klinikchefs und weiteren Professoren
 - Annual Enpr-EMA Meeting London (07. – 08.06.2018)
 - Rare Disease Dialog - Nutzenbewertungen/HTA bei seltenen Erkrankungen – (wie) kann es funktionieren? in Wien (13.06.2018)
 - Rare Disease Dialog – Kostenexplosion Rare Diseases oder rare Kosten mit hohem Wert? Podiumsteilnahme in Wien (05.11.2018)
 - c4c Meeting in Paris (04. – 05.09.2018)
 - Partnership in Clinical Trial Congress in Barcelona (27. – 29.11.2018)

2. BERATUNGSGREMIUM NEU

❖ (06-12/2018 - FP2: Aktuelle Besetzung)

OKIDS GmbH: 2 Mitglieder - Prof.Dr. Ruth Ladenstein, Andrea Mikolasek

ÖGKJ: 2 Mitglieder - Prof.Dr. Susanne Greber-Platzer, Prof.Dr. Reinhold Kerbl, ab März: Prof.Dr. Ernst Eber auf Einladung

Pharmig: 2 Mitglieder - Mag. Helga Tieben, Dr. Johannes Pleiner

Koordinierungszentrum für klinische Studien: 3 Mitglieder (Die Leiter der KKSe vertreten sich im Rotationsprinzip) - Stefanie Sach-Friedl BSc MSc – Ablöse durch Klinikchef Prof.Dr. Ernst Eber, Mag. Sabine Embacher-Aichhorn, PD Dr. Florian Lagler

Bundesministerium für Arbeit, Soziales, Gesundheit und Konsumentenschutz: 1 Mitglied - Mag. Gunilt Veider

Bundesamt für Sicherheit im Gesundheitswesen:

1 Mitglied - DI Dr. Christa Wirthumer-Hoche

Europäische Patientenakademie: 1 Mitglied - Ing. Claas Röhl

Pro Rare Austria: 1 Mitglied - Benennung Dr. Rainer Riedl, ab 2019 Umbenennung auf DI Veronika Mauritz

❖ OKIDS Jahresabschlüsse, Bilanz G&V 2018 – Auswertung gelegt

3. 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)

➤ **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.

**4. 1. OKIDS – EUPATI Kongress am 15.11.2017 im Apothekertrakt des Schloss Schönbrunn
Multi-Stakeholder-Community (Keynotes, Runder Tisch, Workshop) und Pressekonferenz**

Nunmehr in Planung:

**2. OKIDS Kongress am 20.11.2019 im Apothekertrakt des Schloss Schönbrunn –
SAVE THE DATE!**