



## „Innovative Paediatric Drug Development for Children and Adolescents“ International and National News

### 4<sup>th</sup> OKIDS Congress

15.06.2024  
Apothekertrakt Schloss Schönbrunn

### Advanced PROGRAMM



Moderation: Dr. Vera Russwurm



UNIVERSITÄTSKLINIK FÜR KINDER- UND JUGENDHEILKUNDE



**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 und durch die ÖGK



#### Unterstützende Unternehmen



unter 5.000 €

#### 7 DFP Punkte (werden angesucht)

Die Kongressteilnahme ist kostenfrei  
Anmeldung über die OKIDS WEBpage ab sofort bis 10. Juni 2024

**Fotorechte:** Dr. Vera Russwurm: Zach-Kiesling, Schönbrunn: Peter Olschinsky

## Saal Maria Theresia

*WELCOME COFFEE: 8:30 – 9h*

**Moderation:** Vera Russwurm

I.	<b>Opening</b>	<b>09.00 – 10:15</b>
----	----------------	----------------------

**Welcome:** Univ.-Prof.Dr. Daniela Karall

(President of Österr. Gesellschaft für Kinder- und Jugendheilkunde)

**Key Notes:**

- **Roadmap to the European Health Data Space**  
Dr. Franz Leisch, Praevenire Gesundheitsforum , Chief Digital Officer , Vienna (confirmed)
- **European Funding Landscape 2024 – Austrian Impact (Titel tbc)**  
Dr. Hemma Bauer (BMBWF) – (confirmed)

## II. Paediatric Medications and Access to Innovations

National aspects	<b>10:15 – 10:30</b>
------------------	----------------------

**•OKIDS – The Medicines for Children Network**

Univ.-Prof. Dr. Ruth Ladenstein (OKIDS GmbH); Vienna

International aspects	<b>10:30 – 11:15</b>
-----------------------	----------------------

- **Connect for Children (C4C) - towards a sustainable European Network**  
Prof Mark Tuner, University of Liverpool , C4C Co-chair (confirmed)
- **Accelerate Forum in Paediatric Oncology - Role Modell for Rare Disease Indications**  
Prof. Gilles Vassal - Gustave Roussy (confirmed)

*COFFEE BREAK 15'*

**III. Fostering Drug Development for Young People -  
The Austrian Experience**

**11:30 – 13:30**

- "New therapeutic strategies in homozygous familial hypercholesterolemia" (confirmed)  
**Univ. Prof. Dr. Susanne Greber-Platzer, MBA** (Medizinische Universität Wien,  
Universitätsklinik für Kinder- und Jugendheilkunde)
- "Pulmonary Hypertension in Childhood – New Treatment Approaches and Trials "  
**Herr Prof. Sallmon** (Kardiologie, Medizinische Universität Graz,  
Universitätsklinik für Kinder- und Jugendheilkunde) - (confirmed)
- "Paediatric Networks in Rheumatology"  
**Univ.-Prof. Brunner** Universitätsklinik für Kinder- und Jugendheilkunde Medizinische  
Universität Innsbruck (confirmed)
- "Preventive allergen-specific-immunotherapy in 4y-old children: a placebo-controlled,  
academic trial from 2017-2024"  
**Univ. Prof. Dr. Zsolt Szépfalusi**, Klinische Abteilung für Pädiatrische Pulmologie,  
Allergologie und Endokrinologie; Universitätsklinik für Kinder- und Jugendheilkunde  
Medizinische Universität Wien (confirmed)
- "Medical Simulation for successful Study Design and Conduct"  
**Univ.-Prof. Dr. Florian Lagler** (Universitätsklinik für Kinder- und Jugendheilkunde,  
Uniklinikum Salzburg/Landeskrankenhaus,  
Uniklinikum der Paracelsus Medizinischen Privatuniversität (confirmed)
- **Novel therapeutic Options in Achondroplasia – A new Era**  
Prof. Wolfgang Höglar (Universitätsklinik für Kinder- und Jugendheilkunde, Johannes Kepler  
Universität Linz, Kepler Universitätsklinikum) (confirmed)
- **Blinatumomab Success Story in ALL**  
Prof. Dr. Andishe Attarbashi , St. Anna Kinderspital, Vienna Austria (confirmed)
- **Kinaseinhibitors as novel Agents for Paediatric Brain Tumors**  
Univ.-Prof. Dr. Gojo - Medizinische Universität Wien, Universitätsklinik für Kinder- und  
Jugendheilkunde) (confirmed)

*LUNCH BREAK 13:30 – 14:15*  
Catering Buffet (Pool7-Grüner Kreis)

**IV. New European Legislation – Impact on drug development and provision      14:15 – 15:30**

**Academic perspectives**

- **Pharmaceutical Legislation – Paediatric Aspects**  
**Prof. Gilles Vassal** - Gustave Roussy (confirmed)

**Industry perspectives**

- **Pharmaceutical Legislation – Paediatric Aspects**  
**Dr. Sylvia Nanz**, Medical Director Pfizer (AT) /PHARMIG (confirmed)

**Regulators perspectives**

- **Insights on the impact of the Clinical Trial Regulation and CTIS Transition on paediatric trials in Europe:**  
**Fr. Dr. Marianne Lunzer** BASG/AGES, Chairwoman of CTCG (confirmed)

**Ethical Committees – AT perspectives**

- **Austrian Experience with CTR/CTIS – the Ethical Committee perspectives**  
**Prof. Martin Brunner** (confirmed)

**Patients perspectives**

- **Implementation of EU-HTA and the New Appraisal Board in Austria:  
The Patients' Perspective.**  
**Mag. Elisabeth Weigand**, MBA (Pro Rare Austria) (confirmed)

**III. Roundtable Discussion:**

**„Impact of New Legislations on Paediatric Trials and Drug Development“**

**15:30 – 16:00**

- **Prof. Gilles Vassal**, Accelerate & Gustave Roussy (confirmed)
- **Dr. Marianna Lunzer** BASG/AGES (BASG-AGES) (confirmed)
- **Prof. Dr. Martin Brunner**, Ethical Committee, Medical University Vienna (confirmed)
- **Mag. Elisabeth Weigand** (Pro Rare) (confirmed)
- **Dr. Sylvia Nanz**, Pfizer / Pharmig (confirmed )
- **Univ.-Prof. Dr. Ruth Ladenstein** (OKIDS GmbH)

**Conclusions of the Day**

*Farwell Drinks & Snacks 16:00 – 16:30*

---