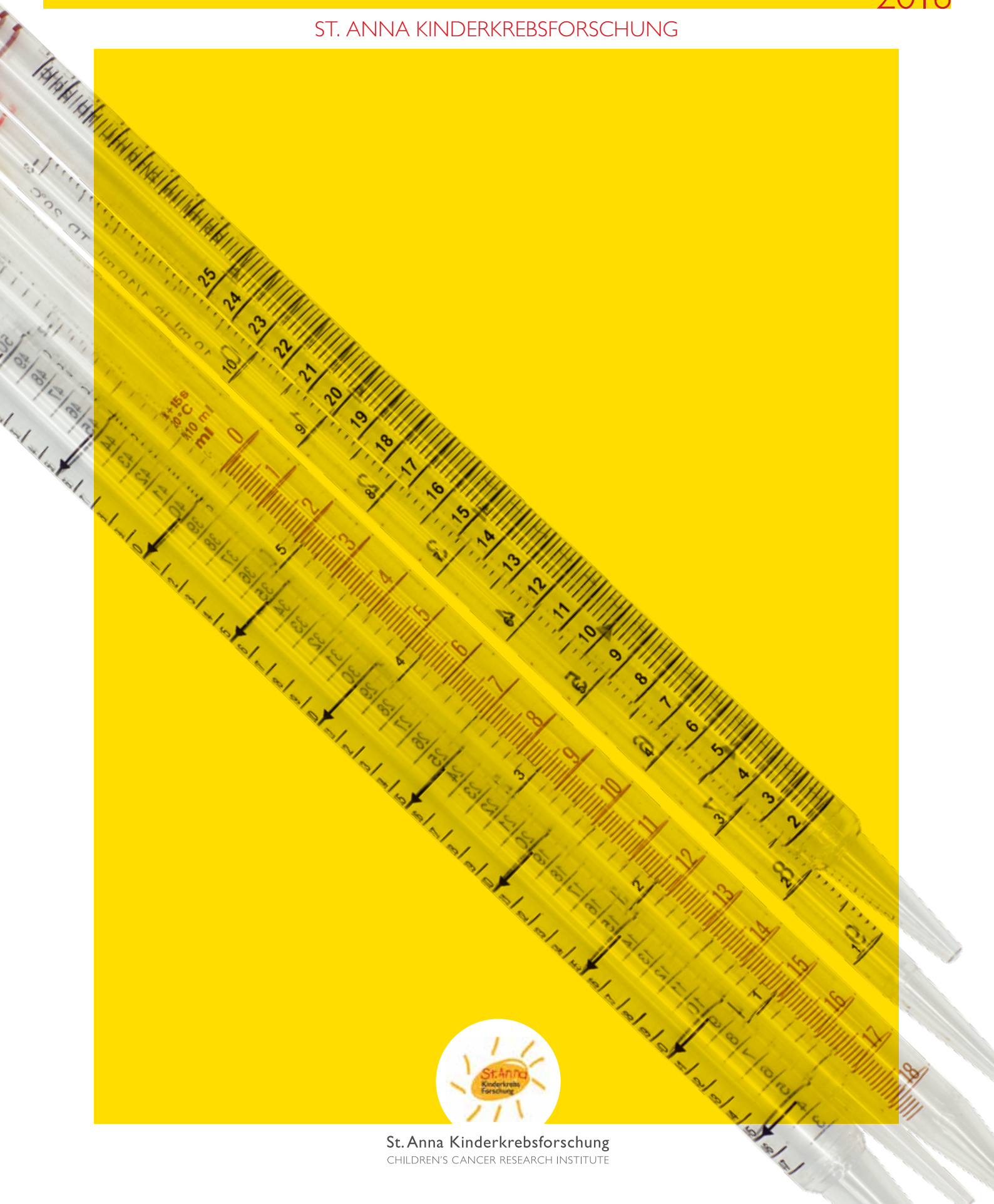
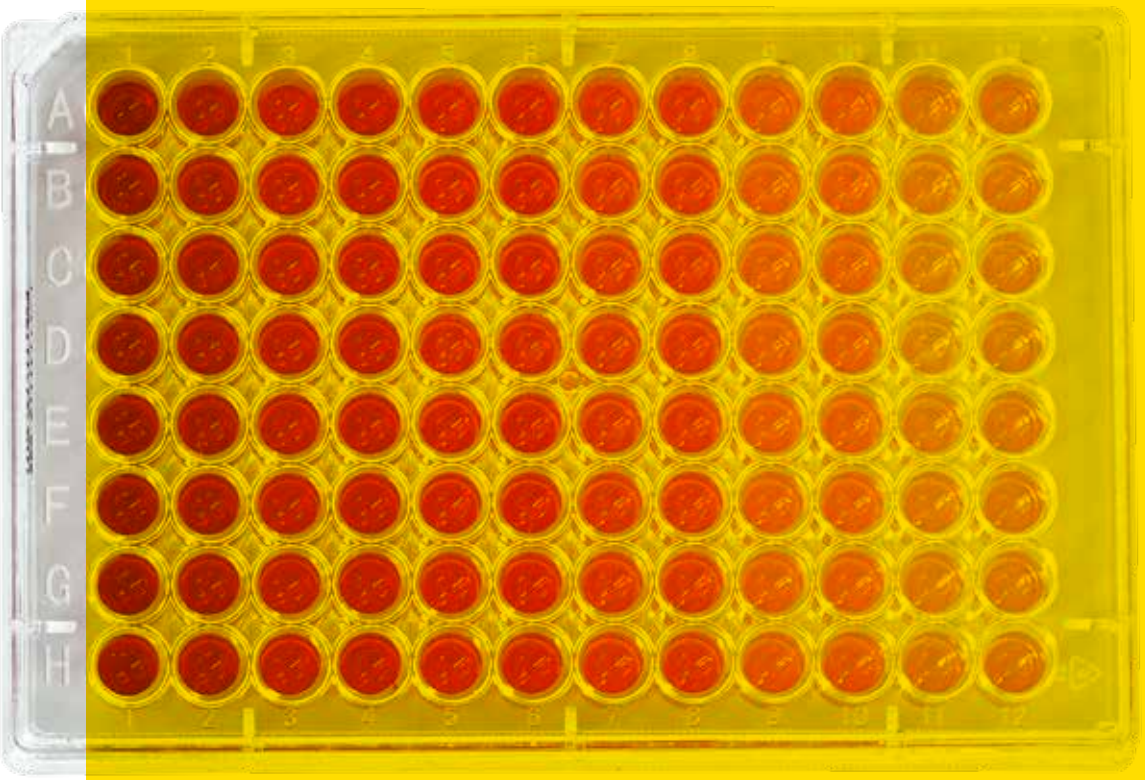
RECHENSCHAFTS- UND FINANZBERICHT 2018

ST. ANNA KINDERKREBSFORSCHUNG



St. Anna Kinderkrebsforschung
CHILDREN'S CANCER RESEARCH INSTITUTE


A
B
C
D
E
F
G
H

Vorwort des Institutsleiters

Kann man auf wissenschaftliche Erfolge stolz sein? Ja, umso mehr, wenn sie dazu beitragen, junges Leben zu retten.
Fortschritte in der Grundlagenwissenschaft, der klinischen Wissenschaft und der Diagnostik bringen uns dabei voran, das sehen wir als unsere Aufgabe und Pflicht und als unser Ziel.

Ich glaube, in unserem Fall sind sowohl Stolz als auch Freude und Dankbarkeit zulässig. Denn im Jahr nach dem 30. Jubiläum der St. Anna Kinderkrebsforschung dürfen wir mit diesem Jahresbericht auch auf die Erfolge zurückblicken, die in den letzten beiden Jahren von unserem Institut erbracht wurden.

2017 veröffentlichte eine unserer jungen Forscherinnen gemeinsam mit ihren wissenschaftlichen Partnern eine wichtige und weithin beachtete Publikation in der renommierten Fachzeitschrift „Nature Medicine“, und zwar zum Thema Epigenetik beim Ewing-Sarkom. Im gleichen Jahr erfolgte die Zulassung einer Immuntherapie beim Hochrisiko-Neuroblastom, die von der St. Anna Kinderkrebsforschung über viele Jahre maßgeblich mitentwickelt wurde. Darüber hinaus sind uns viele weitere wichtige Publikationen und wissenschaftliche Meilensteine gelungen, wie Sie im vorliegenden Zweijahresbericht im Detail sehen.

Als weiteres Highlight ist zu erwähnen, dass der St. Anna Kinderkrebsforschung 2017 gemeinsam mit dem St. Anna Kinderspital von der Europäischen Union als einer von nur zwei österreichischen Institutionen die Auszeichnung Expertisezentrum verliehen und sie zur Koordinatorin eines europäischen Referenznetzwerks gegen Kinderkrebs (ERN PaedCan) ernannt wurde. Die Auszeichnung ist auch die Basis für viele assoziierte Folgeprojekte, die im Jahr 2018 anliefen und alle zum Ziel haben, die Kräfte gegen Kinderkrebs zu bündeln und zu optimieren.

Entsprechend konnten wir uns auch wieder über Fördergelder freuen. Die Zuwendungen der Europäischen Union und nationale Forschungsförderungen machten 2018 in puncto Förderungen zum erfolgreichsten Jahr in der Geschichte der St. Anna Kinderkrebsforschung und stärken unseren Ehrgeiz, auch in Zukunft ganz vorne in der Liga der internationalen Spitzenforschung zum Wohle krebskranker Kinder mitzumischen.

Unser Institut wurde vor über 30 Jahren begründet, da liegt ein Generationenwechsel in der Natur der Sache. Gründungsmitglieder gingen in den wohlverdienten Ruhestand, junge, aufstrebende Forscherinnen und Forscher bereicherten unser Institut. So danken wir besonders Herrn Doz. Dr. Gerhard Fritsch (Gruppe „Klinische Zellbiologie“) und Herrn Univ.-Doz. Dr. Peter Ambros und Frau Dr. Inge Ambros (Gruppe „Tumorbiologie“) für ihren langjährigen Einsatz rund um das Forschungsinstitut. Vor allem danken wir ihnen dafür, dass Sie weiterhin den jüngeren Mitarbeiterinnen und Mitarbeitern mit Rat und Tat zur Seite stehen.

Eine wichtige Entwicklung für die weitere Verstärkung unseres Instituts war die Ernennung eines neuen wissenschaftlichen Direktors. Mit Assoc.-Prof. Dr. Kaan Boztug gewinnt die St. Anna Kinderkrebsforschung nicht nur einen führenden Experten für angeborene seltene Erkrankungen der Blutbildung und des Immunsystems, sondern auch einen Kollegen, dem als Oberarzt in der pädiatrischen Onkologie und als Leiter der Immunologie der Klinikalltag im St. Anna Kinderspital sowie die Praxis in der Behandlung krebskranker Kinder vertraut sind. Es ist eine große Freude, einen so wertvollen Zugewinn zu unserem wissenschaftlichen Team verzeichnen zu können.

Mit dem vorliegenden wissenschaftlichen Jahresbericht möchte ich mich, auch im Namen aller Mitarbeiterinnen und Mitarbeiter, sehr herzlich bei den vielen Unterstützerinnen und Unterstützern, den Mitgliedern des Ehrenkomitees, den Vorstandsmitgliedern, dem wissenschaftlichen Beirat und unseren zahlreichen Spenderinnen und Spendern, die uns schon viele Jahre treu begleiten, bedanken. ▪

Univ.-Prof. Dr. Wolfgang Holter,
Institutsleiter

Tätigkeitsbericht

Das Jahr 2018 war von hochrelevanten Fortschritten und Erkenntnissen in der Kinderkrebsforschung gekennzeichnet, die unser kontinuierliches Streben nach verbesserten Therapieansätzen und Behandlungsmethoden für krebskranke Kinder unterstützen.

Im Bereich der soliden Tumore wie zum Beispiel des Neuroblastoms wurden wichtige Arbeiten veröffentlicht, die die Mechanismen der Tumorheterogenität und der Verbreitung dieser Krebsart aufdeckten (*Rifatbegovic et al., Int J Cancer 2018, Berbegall et al., Br J Cancer 2018*). Daraus entstanden gemeinsame Forschungsprojekte, um die Diagnose und Therapie dieser tödlichen Krankheit weiter zu optimieren. Darüber hinaus wurden Protokolle für die Etablierung von humanen Schwann-Zellen in Zellkultur veröffentlicht (*Weiss et al., Methods Mol Biol 2018*). Schwann-Zellen sind eng mit dem Neuroblastom assoziiert und erlauben einen neuen Blickwinkel auf die Krankheit.

Beim Ewing-Sarkom, einem bösartigen Knochentumor, wurden mehrere neue Hypothesen untersucht, sowohl in der Grundlagen- als auch in der translationalen Forschung. Um beispielsweise neue Therapieansätze zu finden, die über das Fusionsonkogen EWS-FL1 als direktes Ziel hinausgehen, wurden mehrere tausend Substanzen auf ihre Wirkung beim Ewing-Sarkom gescreent (*Tsafou et al., Oncotarget 2018*). So bieten Inhibitoren der Bcl-2-Familie einen vielversprechenden neuen Ansatzpunkt.

Die Langerhans-Zell-Histiozytose (LCH) ist eine maligne Erkrankung mit einem konstitutiv aktivierten MAP-Kinase-Signalweg. Es wurden damit verbundene Krankheitsmechanismen und damit einhergehende potenzielle Marker für Diagnose und Therapie weiter beforscht (*Schwentner et al., Pediatr Res 2018, Schwentner et al., J Leukoc Biol 2019, epub ahead of print 2018*).

Schließlich wurden noch zwei Forschungsarbeiten zu prognostischen Markern und zur Tumorvakzinierung des Glioblastoms eingereicht, eines besonders bösartigen Hirntumors, der in allen Altersgruppen auftritt (*Erhart et al., J Cell Mol Med 2018, Erhart et al., Acta Neuropathol Commun 2018*).

Auch in der Hämatoonkologie wurden neue Erkenntnisse gewonnen. Um eine Krankheit bis ins Detail verstehen zu können, wird in der Wissenschaft angestrebt, Modelle zu entwickeln, mit deren Hilfe eine Krankheit genau studiert werden kann. So gelang es in einem unserer Labors, funktionale hämatopoetische Stamm- und Vorläuferzellen (HSPCs) aus humaninduzierten pluripotenten Stammzellen (hiPSCs) zu generieren, mit denen die Entstehung und Weiterentwicklung von CD34+-Progenitorzellen auf Einzelzell-Level untersucht werden kann (*Husa et al., Stem Cells Dev 2018*). Das CD34-Antigen wird auf der Membran von unreifen Blutvorläuferzellen exprimiert und spielt eine wichtige Rolle bei der Leukämiediagnostik mittels Durchflusszytometrie. Es wurde auch überprüft, ob die minimalinvasive Entnahme von peripherem Blut für die durchflusszytometrische Leukämiediagnostik die viel aufwendigere Knochenmarkspunktion ersetzen kann. Die Ergebnisse aus den Blutproben korrelierten zwar mit den Ergebnis- und Risikoparametern, die prognostische Bedeutung war jedoch nicht stark genug, um bei der Multifacetten-Risikostratifizierung auf die Knochenmarkspunktion verzichten zu können (*Schumich et al., Pediatr Blood Cancer 2018*).

Im Allgemeinen ist eine genaue Diagnose hämatologischer Malignome unerlässlich, um eine angemessene Behandlungsentscheidung zu treffen und sekundäre Organschäden zu vermeiden. Dies gilt auch für die kongenitale hämatologische Zytopenie. Sowohl die Vielfalt als auch die phänotypische Überlappung verschiedener Krankheiten können es schwierig machen, die zugrunde liegenden genetischen Ätiologien zu identifizieren. In einem translationalen Projekt mit dem St. Anna Kinderspital konnten durch gezieltes Mutationsscreening bei betroffenen Kindern neue pathogene Mutationen identifiziert werden (*Kager et al., Br J Hematol 2018*).

Bei Philadelphia-Chromosom-positiver Leukämie wurden klinisch wichtige resistente Mutationen nachgewiesen, bei denen sogar hochwirksame Tyrosinkinaseinhibitoren (TKI) der dritten Generation keine Effekte mehr erzielen. Abhängig vom Vorliegen und von der Art der Mutationen sollten daher TKI-Dosisreduktionen sehr sorgfältig überwacht werden (Byrgazov et al., Haematologica 2018).

Um Kinderkrebs so effektiv wie möglich zu bekämpfen, konzentriert sich unsere Forschung auch auf Erkrankungen, die während der Krebsbehandlung auftreten und den kleinen Patientinnen und Patienten sehr gefährlich werden können. Ein großes Risiko stellen beispielsweise Infektionskrankheiten dar, die für einen durch die Krebstherapie geschwächten Organismus lebensgefährlich sein können.

Aus diesem Grund ist die Entwicklung von Strategien gegen gefährliche Virusinfektionen ein wichtiger Forschungszweig der St. Anna Kinderkrebsforschung. So konnte gezeigt werden, dass der Nachweis von menschlichen Adenoviren im Darm vor Stammzelltransplantation ein deutlich höheres Risiko für eine invasive, lebensbedrohliche Infektion nach der Behandlung darstellt (*Kosulin et al., EBioMedicine 2018*). Auch konnte gezeigt werden, dass sich das weit verbreitete, an sich völlig harmlose Torque-Teno-Virus nach Stammzelltransplantation vermehrt, und zwar ausschließlich in Granulozyten nach Engraftment (*Kosulin et al., Front Microbiol 2018*).

Ferner beschäftigen sich mehrere Forschungsgruppen an der St. Anna Kinderkrebsforschung mit dem Thema Immunologie. Die Immunologie ist eine eng mit dem Thema Krebs verzahnte Wissenschaftsdisziplin, denn unser Immunsystem kann transformierte körpereigene Zellen, also Krebszellen, erkennen und zerstören. Der Tumor kann sich jedoch anpassen und seine direkte Mikroumgebung so beeinflussen, dass ihn Immunzellen nicht mehr als entartet erkennen - damit kann er ungehindert weiterwachsen. Das Studium der Tumor-Mikroumgebung ist daher eine weitere Basis für die Entwicklung neuer Behandlungsansätze wie zum Beispiel der besonders vielversprechenden Immuntherapien. So wurden in der Tumor-Mikroumgebung immunsuppressive Mediatoren detektiert, die möglicherweise die Tumorprogression fördern (*Dillinger et al., Cell Immunol 2018*).

Bei der neuen Krebsimmuntherapie mittels „Chimeric Antigen Receptor"(CAR)-T-Zellen bringt man körpereigene Immunzellen künstlich dazu, den Krebs ganz gezielt anzugreifen. Leider ist diese Art der Therapie noch so unausgereift, dass sie in der klinischen Routine erst in ganz wenigen bestimmten Situationen verwendet werden kann. Unsere Experten entwickeln daher die erforderlichen molekularen Werkzeuge, mit denen CARs besser kontrolliert werden und damit endlich eine breite klinische Anwendung finden können (*Brey et al., Sci Rep 2018, Proff et al., J Transl Med 2018*).

Methodologische Weiterentwicklungen gab es auch in der Abteilung Innovative Krebsmodelle: Es wurde die Kinase-Translokations-Reporter (KTR)-Technologie implementiert, um „Dynamic Reporter of Erk Activity" (DREKA)-Zebrafischlarven zu entwickeln, mit denen man die Erk-Aktivität in vivo auf Einzelzellenebene mit hoher zeitlicher Auflösung beobachten kann (*Mayr et al., Front Cell Dev Biol 2018*). Dies verbessert experimentelle Anwendungen in der Entwicklungsbiologie, der Krankheitsmodellierung und der In-vivo-Pharmakologie bei Zebrafischlarven.

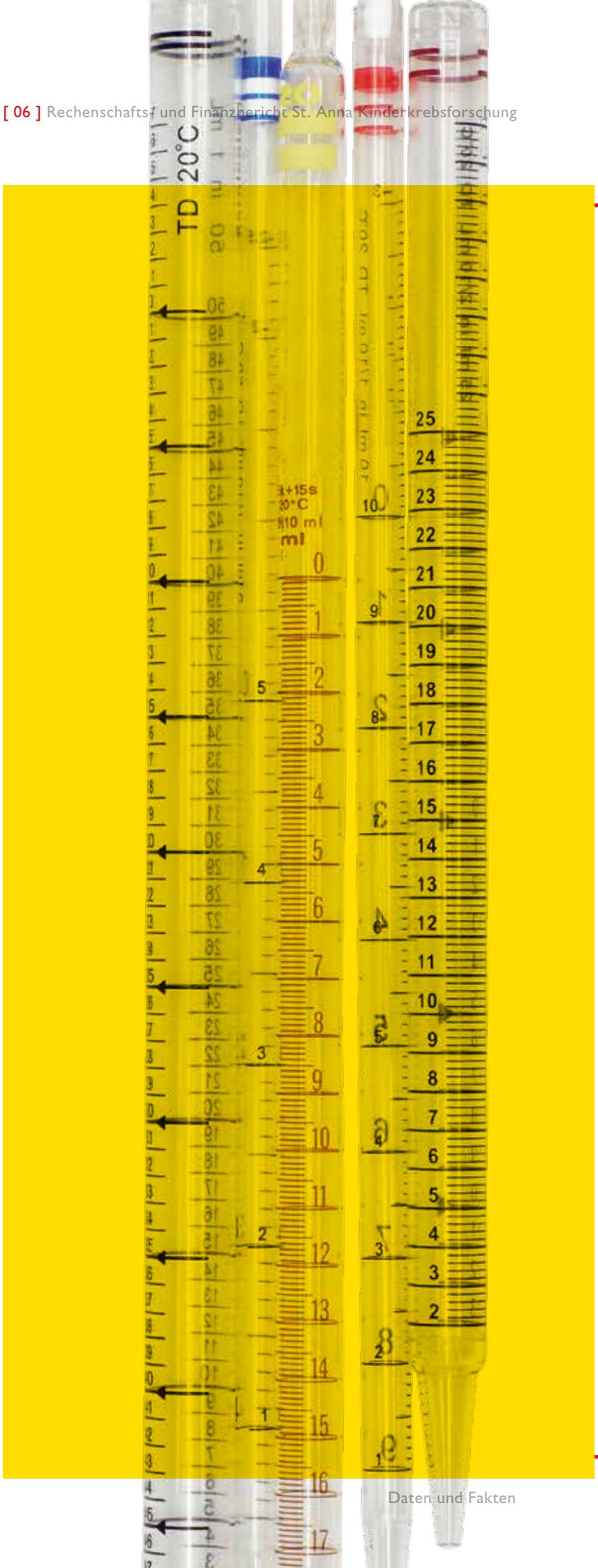
In der klinischen Forschung wurde in diesem Berichtszeitraum eine maßgebliche Arbeit zur Erstlinientherapie bei Hochrisikopatienten mit Neuroblastom (Ladenstein et al., Lancet Oncol 2018) sowie eine weitere relevante Publikation über die Rückfallrate nach allogener hämatopoetischer Stammzelltransplantation bei Kindern mit akuter lymphatischer Leukämie veröffentlicht (*Peters et al., Br J Hematol 2018*). Dazu wurden verbesserte statistische Methoden entwickelt (*Pötschger et al., BMC Med Res Methodol 2018*).

Schon längst ist die Digitalisierung aus der medizinischen Forschung nicht mehr wegzudenken. Ohne den stark aufstrebenden Forschungszweig der Bioinformatik wäre zum Beispiel die riesige Menge anfallender Daten heute nicht mehr zu entschlüsseln. Entsprechend beschäftigt auch die St. Anna Kinderkrebsforschung eine Reihe von Bioinformatikern, die nicht nur die Daten der Forschungsgruppen analysieren, sondern außerdem Programme entwickeln, die den Zugang zu Daten und deren Austausch erleichtern (*Popitsch, Bioinformatics 2018*).

Generell sind bei seltenen Erkrankungen wie Kinderkrebs die internationale Kommunikation und der Datenaustausch, zum Beispiel über virtuelle Fallkonferenzen, ein Schlüsselfaktor zur Verbesserung der Heilungschancen. Zur Erhebung des aktuellen Status quo in Europa wurde daher eine Umfrage über bereits vorhandene virtuelle „Tumour Boards" durchgeführt (*Ribelles et al., Clin Transl Oncol 2018*), die die Grundlage für ein lückenloses europaweites Netzwerk zur bestmöglichen Behandlung von Kinderkrebs werden sollen.

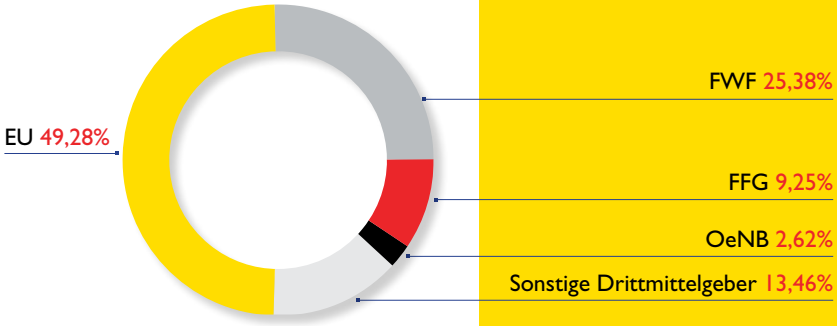
Univ.-Prof. Dr. Wolfgang Holter,
Institutsleiter

Assoc. Prof. Dr. Kaan Boztug,
Wissenschaftlicher Direktor

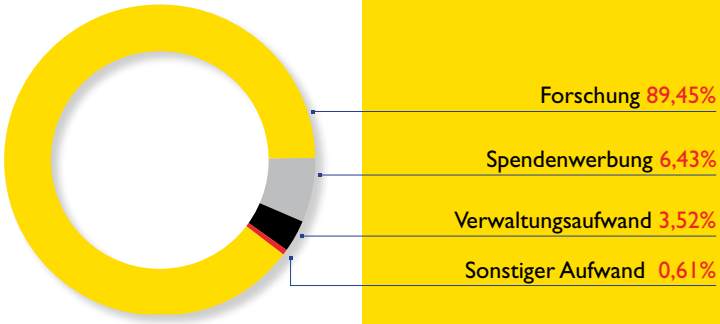


Daten und Fakten

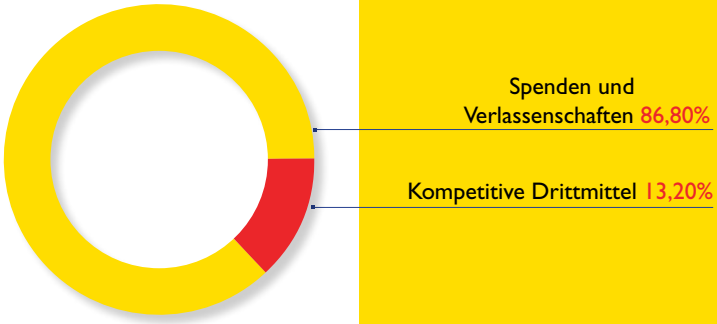
Quelle der kompetitiven Drittmittel im Jahr 2018



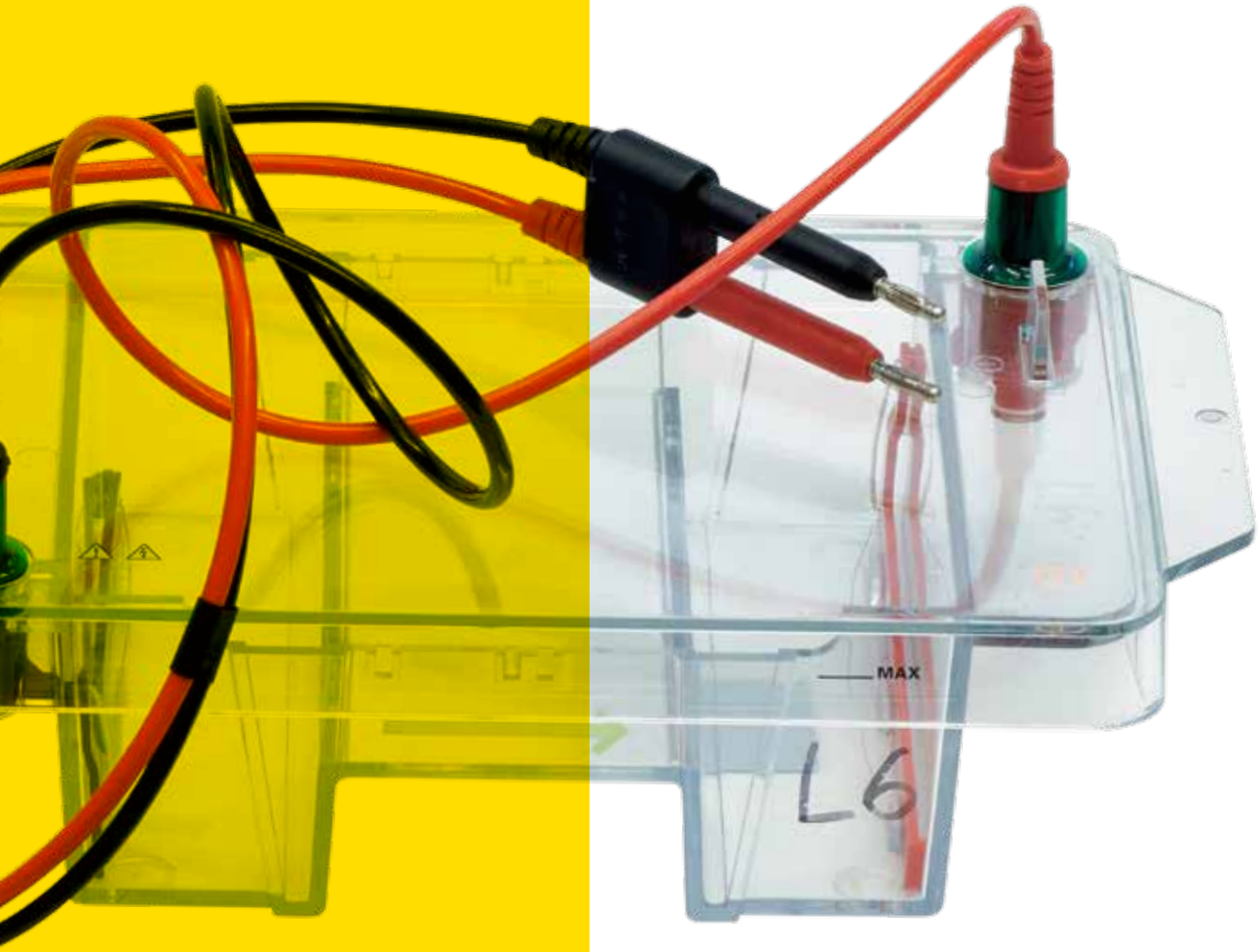
Zuweisung der Geldmittel im Jahr 2018



Finanzierung im Jahr 2018



Finanzbericht



Richtlinien zur Spendenverwendung

Die St. Anna Kinderkrebsforschung wird zum überwiegenden Teil durch private Spenden finanziert. Für den Betrieb des Forschungsinstituts werden jährlich mehr als sieben Millionen Euro benötigt, der Verein verfügt jedoch über keine Basisfinanzierung durch die öffentliche Hand. Zusätzliche Mittel werden im Rahmen von kompetitiv ausgeschriebenen Projektförderungen von anerkannten nationalen und internationalen Stellen akquiriert.

Wir fühlen uns unseren Spenderinnen und Spendern gegenüber zu einer sparsamen und effizienten Verwendung der uns anvertrauten Gelder verpflichtet. Aus diesem Grund verwenden wir weniger als 10 % für die Verwaltung und das Fundraising, das bedeutet: Mehr als 90 % der Spenden fließen direkt in die Forschung.

Der Jahresabschluss wird gemäß den Bestimmungen des Vereinsgesetzes für große Vereine erstellt, wobei die gleichen Richtlinien wie für Kapitalgesellschaften gelten. Die Finanzgebarung und der Jahresabschluss des Vereins werden jährlich von einem beeideten Wirtschaftsprüfer kontrolliert und mit einem uneingeschränkten Bestätigungsvermerk versehen. Damit wird der sach- und zweckgemäße Umgang mit den erhaltenen Spenden sichergestellt und bestätigt.

Spendengütesiegel und steuerliche Absetzbarkeit

Seit dem Jahr 2002 trägt die St. Anna Kinderkrebsforschung als eine der ersten Organisationen Österreichs das Spendengütesiegel der Kammer der Wirtschaftstreuhänder. Für die jährliche Neuverleihung führt ein Wirtschaftsprüfer zusätzlich eine Prüfung der transparenten und ordnungsgemäßen Verwendung der Mittel gemäß den strengen Richtlinien des Spendengütesiegels durch.

Auf Grundlage eines von der Finanzlandesdirektion für Wien erlassenen Bescheides zählt die St. Anna Kinderkrebsforschung zum begünstigten Empfängerkreis, sodass Spenden sowohl von der Lohnsteuer als Sonderausgabe als auch von der Einkommensteuer als Betriebsausgabe steuerlich absetzbar sind.

Qualitätssicherung der wissenschaftlichen Arbeit

Das Forschungsinstitut verfügt über ein Scientific Advisory Board – ein Gremium aus externen Experten – mit der Aufgabe der laufenden Evaluierung der wissenschaftlichen Arbeiten und der Beratung der Institutsleitung. Darüber hinaus werden regelmäßig neue wissenschaftliche Projekte bei renommierten forschungsfördernden nationalen und internationalen Stellen eingereicht und Forschungsergebnisse in international anerkannten wissenschaftlichen Journalen publiziert. In regelmäßigen Abständen findet zusätzlich eine objektive Beurteilung der wissenschaftlichen Leistung durch ausgewiesene externe Fachleute auf dem Gebiet statt. ▪

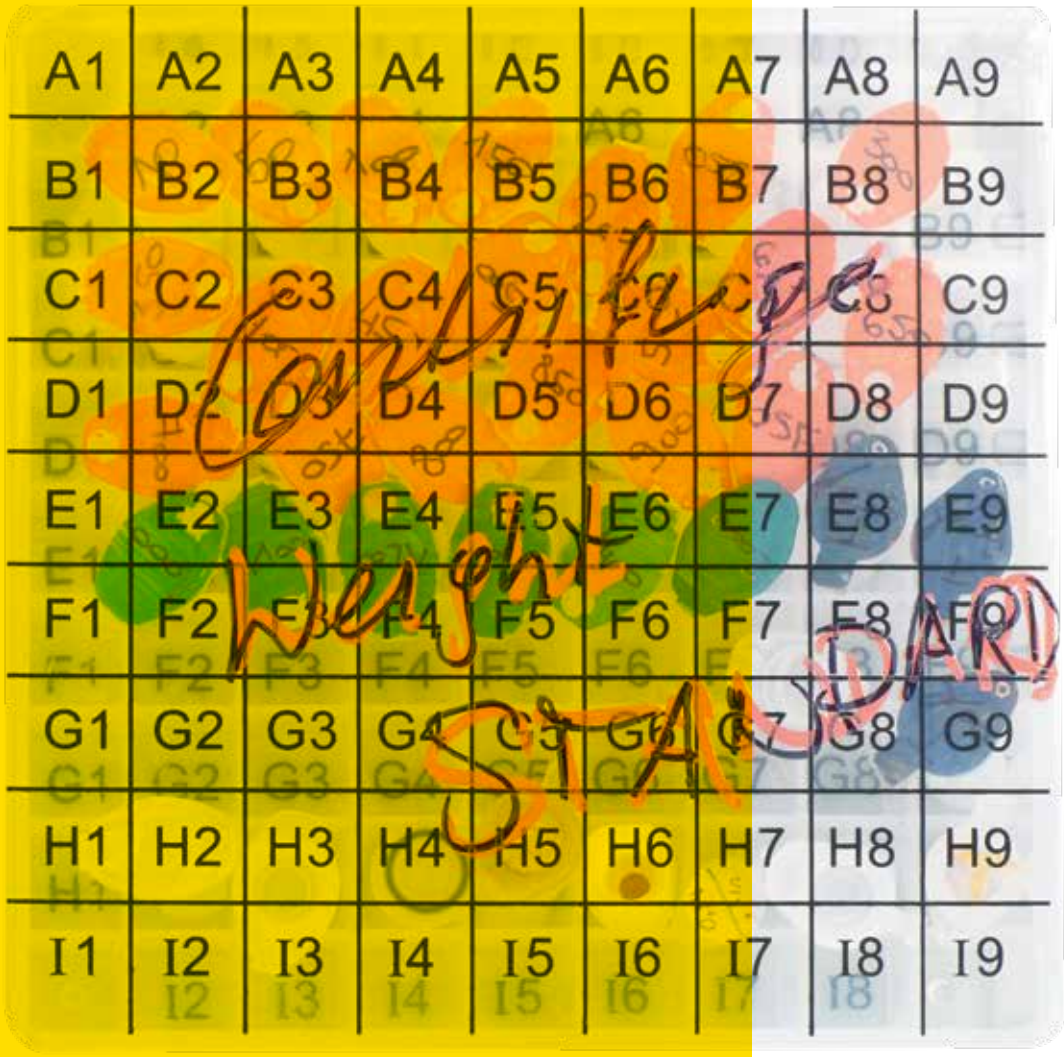
Mittelherkunft

Beträge in Euro		2017	2018
I.	Spenden		
	a) ungewidmete Spenden	0,00	0,00
	b) gewidmete Spenden	11.483.207,03	10.719.938,68
II.	Mitgliedsbeiträge	0,00	480,00
III.	Betriebliche Einnahmen		
	a) betriebliche Einnahmen aus öffentlichen Mitteln	1.244.860,60	1.004.722,41
	b) sonstige betriebliche Einnahmen	2.397.857,54	3.598.832,13
IV.	Subventionen und Zuschüsse der öffentlichen Hand	0,00	0,00
V.	Sonstige Einnahmen		
	a) Vermögensverwaltung	0,00	0,00
	b) sonstige andere Einnahmen, sofern nicht in Punkt I bis IV festgehalten	423.360,01	0,00
VI.	Auflösung von Passivposten für noch nicht widmungsgemäß verwendete Spenden bzw. Subventionen	0,00	0,00
VII.	Auflösung von Rücklagen	0,00	0,00
VIII.	Jahresverlust	0,00	0,00
TOTAL		15.549.285,18	15.323.973,22

Mittelverwendung

Beträge in Euro		2017	2018
I.	Leistungen für die statutarisch festgelegten Zwecke	11.034.511,89	12.365.591,88
II.	Spendenwerbung	762.861,41	888.389,69
III.	Verwaltungsaufwand	445.379,46	485.978,56
IV.	Sonstiger Aufwand, sofern nicht unter Punkt I bis III festgehalten	54.514,06	83.758,40
V.	Zuführung zu Passivposten für noch nicht widmungsgemäß verwendete Spenden bzw. Subventionen	3.252.018,36	1.500.254,69
VI.	Zuführung von Rücklagen	0,00	0,00
VII.	Jahresüberschuss	0,00	0,00
TOTAL		15.549.285,18	15.323.973,22

Anhang


A1 A2 A3 A4 A5 A6 A7 A8 A9
B1 B2 B3 B4 B5 B6 B7 B8 B9
C1 C2 C3 C4 C5 C6 C7 C8 C9
D1 D2 D3 D4 D5 D6 D7 D8 D9
E1 E2 E3 E4 E5 E6 E7 E8 E9
F1 F2 F3 F4 F5 F6 F7 F8 F9
G1 G2 G3 G4 G5 G6 G7 G8 G9
H1 H2 H3 H4 H5 H6 H7 H8 H9
I1 I2 I3 I4 I5 I6 I7 I8 I9

International fremdgeförderte Projekte 2018

PRedictive In-silico Multiscale Analytics (PRIMAGE)
- CCRI responsible principal investigator: Ruth Ladenstein
- European Commission Grant – Call H2020-SC1-DTH-2018-2020
- Duration: 01/12/2018 to 30/11/2022

Integrated European Network on cGvHD
- CCRI responsible principal investigator: Anita Lawitschka
- European Commission Grant – COST Action
- Duration: 31/08/2018 to 30/08/2022

ERN-PAEDCAN-CEF-Telecom
- CCRI Coordinator: Ruth Ladenstein
- European Commission Grant – Call CEF-TC-2017-2
- Duration: 01/05/2018 to 31/08/2019

ERN-PAEDCAN Partner: Paediatric Rare Tumours Network - European Registry (PARTNER)
- CCRI responsible principal investigator: Ruth Ladenstein
- European Commission Grant – Call CEF-TC-2017-2
- Duration: 01/01/2018 to 31/12/2020

Paediatric Cancer European Reference Network (ERN PaedCan)
- CCRI Coordinator: Ruth Ladenstein
- Grant from the European Consumers, Health, Agriculture and Food Executive Agency (CHAFEA)
- Duration: 01/03/2017 to 28/02/2022

ITCC Pediatric Preclinical POC Platform (ITCCP4)
- CCRI partner: Heinrich Kovar
- Coordinator: Stefan Pfister (Deutsches Krebsforschungszentrum DKFZ, Germany)
- European Commission Grant – H2020 Innovative Medicines Initiative
- Duration: 01/01/2017 to 31/12/2021

Overcoming Neuroblastoma Tumour HETerogeneity, Resistance and RecurrAnCe (ONTHETRRAC)
- CCRI responsible principal investigator: Peter Ambros
- Grant from the Austrian Science Fund (FWF), ERA-Net Transcan
- Duration: 01/01/2016 to 30/09/2018

Optimized diagnostics for improved treatment stratification in invasive fungal diseases (FUNGITECT)
- CCRI/Labdia Coordinator: Thomas Lion
- European Commission Grant – FP7 Cooperation Project
- Duration: 01/02/2014 to 31/01/2019

Automation of flow cytometric analysis for quality-assured follow-up assessment to guide curative therapy for acute lymphoblastic leukaemia in children (AutoFLOW)

- CCRI/Labdia partner: Michael Dworzak
- Coordinator: Martin Kampel (Technical University of Vienna, Austria)
- European Commission Grant – FP7 Industry-Academia Partnerships and Pathways (Marie Curie Actions)
- Duration: 01/02/2014 to 31/01/2018

EURO EWING Consortium – International clinical trials to improve survival from Ewing sarcoma (EEC)

- CCRI partner: Heinrich Kovar
- Coordinator: Jeremy Whelan (University College London, UK)
- European Commission Grant – FP7 Cooperation Project
- Duration: 01/10/2013 to 30/09/2019

National fremdgeförderte Projekte 2018

ZF GGAA landscape
- CCRI responsible principal investigator: Niko Popitsch
- Grant from the Austrian Research Promotion Agency (FFG), Call Talente FEMTech Praktika Studentinnen 2018
- Duration: 01/08/2018 to 30/09/2018

Phylogenetic analysis of primary and disseminated tumor cells to reconstruct the metastatic route of relapsed neuroblastomas
- CCRI responsible principal investigator: Reza Abbasi
- Grant from the Ingrid Shaker Nessmann Krebsforschungsvereinigung (ISNK) – Forschungsförderung 2018
- Duration: 01/02/2018 to 31/01/2019

Analysis of temporal and spatial Ewing sarcoma tumor evolution during chemotherapy and validation of its clinical implication
- CCRI coordinator: Eleni Tomazou
- Grant from the Austrian National Bank (OeNB), Jubiläumsfonds
- Duration: 01/09/2018 to 31/08/2021

Platform supporting an integrated analysis of image and multiOMICs data based on liquid biopsies for tumor diagnostics (VISIOMICS)
- Labdia Coordinator: Sabine Taschner-Mandl, Peter Ambros
- Grant from the Austrian Research Promotion Agency (FFG), COIN Programme
- Duration: 01/11/2017 to 31/10/2019

Establishing a zebrafish disease model drug screening platform, (Danio4Can)
- CCRI responsible principal investigator: Martin Distel
- Grant from the Austrian Research Promotion Agency (FFG), R&D Infrastrukturförderung, 1st Call
- Duration: 01/05/2017 to 31/05/2019

Role of stress granules in Ewing sarcoma susceptibility
- CCRI responsible principal investigator: Heinrich Kovar
- Grant from the Austrian Science Fund (FWF), Stand Alone Project
- Duration: 01/06/2017 to 31/05/2020

Ewing sarcoma – an enhancer disease?
- CCRI responsible principal investigator: Eleni Tomazou
- Grant from the Austrian Science Fund (FWF), Elise Richter Programme
- Duration: 01/01/2016 to 31/12/2019

Virus-specific immunotherapy (VISIT)

- CCRI/Labdia: coordinator René Geyeregger (Labdia), partner: Matthes-Leodolter (CCRI)
- Grant from the Wirtschaftsagentur Wien, Call Life Sciences 2014
- Duration: 01/04/2015 to 31/03/2018

Automated MRD-assessment in AML (flowCLUSTER)

- Labdia coordinator: Michael Dworzak
- Grant from the Wirtschaftsagentur Wien, Call Life Sciences 2014
- Duration: 01/03/2015 to 28/02/2018

Liquid biopsy in neuroblastoma: chance for diagnosis, prognosis and disease monitoring

- CCRI responsible principal investigator: Peter Ambros
- Grant from the Austrian National Bank (OeNB), Jubiläumsfonds
- Duration: 01/01/2016 to 30/09/2018

Permanent consequences in childhood Langerhans cell histiocytosis

- CCRI responsible principal investigator: Milen Minkov
- Grant from the Austrian National Bank (OeNB), Jubiläumsfonds
- Duration: 01/09/2015 to 31/05/2019

Publikationen/Publications 2018

Avery, D.T., Kane, A., Nguyen, T., Lau, A., Nguyen, A., Lenthall, H., Payne, K., Shi, W., Brigden, H., French, E., Bier, J., Hermes, J.R., Zahra, D., Sewell, W.A., Butt, D., Elliott, M., Boztug, K., Meyts, I., Choo, S., Hsu, P., Wong, M., Berglund, L.J., Gray, P., O'Sullivan, M., Cole, T., Holland, S.M., Ma, C.S., Burkhart, C., Corcoran, L.M., Phan, T.G., Brink, R., Uzel, G., Deenick, E.K., and Tangye, S.G. (2018).
Germline-activating mutations in PIK3CD compromise B cell development and function. J Exp Med 215, 2073-2095.

Berbegall, A.P., Bogen, D., Potschger, U., Beiske, K., Bown, N., Combaret, V., Defferrari, R., Jeison, M., Mazzocco, K., Varesio, L., Vicha, A., Ash, S., Castel, V., Coze, C., Ladenstein, R., Owens, C., Papadakis, V., Ruud, E., Amann, G., Sementa, A.R., Navarro, S., Ambros, P.F., Noguera, R., and Ambros, I.M. (2018).
Heterogeneous MYCN amplification in neuroblastoma: a SIOP Europe Neuroblastoma Study. Br J Cancer 118, 1502-1512.

Bigenzahn, S., Juergens, B., Mahr, B., Pratschke, J., Koenigsrainer, A., Becker, T., Fuchs, D., Brandacher, G., Kainz, A., Muehlbacher, F., and Wekerle, T. (2018).
No augmentation of indoleamine 2,3-dioxygenase (IDO) activity through belatacept treatment in liver transplant recipients. Clin Exp Immunol 192, 233-241.

Brey, C.U., Proff, J., Teufert, N., Salzer, B., Brozy, J., Munz, M., Pendzialek, J., Ensser, A., Holter, W., and Lehner, M. (2018).
A gB/CD3 bispecific BiTE antibody construct for targeting Human Cytomegalovirus-infected cells. Sci Rep 8, 17453.

Byrne, J., Alessi, D., Allodji, R.S., Bagnasco, F., Bardi, E., Bautz, A., Bright, C.J., Brown, M., Diallo, I., Feijen, E., Fidler, M.M., Frey, E., Garwicz, S., Grabow, D., Gudmundsdottir, T., Hagberg, O., Harila-Saari, A., Hau, E.M., Haupt, R., Hawkins, M.M., Jakab, Z., Jankovic, M., Kaatsch, P., Kaiser, M., Kremer, L.C.M., Kuehni, C.E., Kuonen, R., Ladenstein, R., Lahteenmaki, P.M., Levitt, G., Linge, H., D, L.L., Michel, G., Morsellino, V., Mulder, R.L., Reulen, R.C., Ronckers, C.M., Sacerdote, C., Skinner, R., Steliarova-Foucher, E., van der Pal, H.J., de Vathaire, F., Vu Bezin, G., Wesenberg, F., Wiebe, T., Winter, D.L., Falck Winther, J., Witthoff, E., Zadravec Zaletel, L., and Hjorth, L. (2018).
The PanCareSurFup consortium: research and guidelines to improve lives for survivors of childhood cancer. Eur J Cancer 103, 238-248.

Casali, P.G., Bielack, S., Abecassis, N., Aro, H.T., Bauer, S., Biagini, R., Bonvalot, S., Boukovinas, I., Bovee, J., Brennan, B., Brodowicz, T., Broto, J.M., Brugieres, L., Buonadonna, A., De Alava, E., Dei Tos, A.P., Del Muro, X.G., Dileo, P., Dhooge, C., Eriksson, M., Fagioli, F., Fedenko, A., Ferraresi, V., Ferrari, A., Ferrari, S., Frezza, A.M., Gaspar, N., Gasperoni, S., Gelderblom, H., Gil, T., Grignani, G., Gronchi, A., Haas, R.L., Hassan, B., Hecker-Nolting, S., Hohenberger, P., Issels, R., Joensuu, H., Jones, R.L., Judson, I., Jutte, P., Kaal, S., Kager, L., Kasper, B., Kopeckova, K., Krakorova, D.A., Ladenstein, R., Le Cesne, A., Lugowska, I., Merimsky, O., Montemurro, M., Morland, B., Pantaleo, M.A., Piana, R., Picci, P., Piperno-Neumann, S., Pousa, A.L., Reichardt, P., Robinson, M.H., Rutkowski, P., Safwat, A.A., Schoffski, P., Sleijfer, S., Stacchiotti, S., Strauss, S.J., Sundby Hall, K., Unk, M., Van Coevorden, F., van der Graaf, W.T.A., Whelan, J., Wardelmann, E., Zaikova, O., Blay, J.Y., Esmo Guidelines Committee, P., and Ern, E. (2018).
Bone sarcomas: ESMO-PaedCan-EURACAN Clinical Practice Guidelines for diagnosis, treatment and follow-up. Ann Oncol 29, iv79-iv95.

Corrias, M.V., Parodi, S., Tchirkov, A., Lammens, T., Vicha, A., Pasqualini, C., Trager, C., Yanez, Y., Dallorso, S., Varesio, L., Luksch, R., Laureys, G., Valteau-Couanet, D., Canete, A., Poetschger, U., Ladenstein, R., and Burchill, S.A. (2018).
Event-free survival of infants and toddlers enrolled in the HR-NBL-1/SIOPEN trial is associated with the level of neuroblastoma mRNAs at diagnosis. Pediatr Blood Cancer 65, e27052.

Creutzig, U., Dworzak, M., von Neuhoff, N., Rasche, M., and Reinhardt, D. (2018). [
Acute Promyelocytic Leukemia: New treatment strategies with ATRA and ATO - AML-BFM-Recommendations. Klin Padiatr 230, 299-304.

Csillag, B., Ilencikova, D., Meissl, M., Webersinke, G., Laccone, F., Narumi, S., Haas, O., and Duba, H.C. (2018).
Somatic mosaic monosomy 7 and UPD7q in a child with MIRAGE syndrome caused by a novel SAMD9 mutation. Pediatr Blood Cancer, e27589.

Dauber, E.M., Mayr, W.R., Hustinx, H., Schonbacher, M., Budde, H., Legler, T.J., Konig, M., Haas, O.A., Fritsch, G., and Kormoczi, G.F. (2018).
Somatic mosaicisms of chromosome 1 at two different stages of ontogenetic development detected by Rh blood group discrepancies. Haematologica.

Depuydt, P., Boeva, V., Hocking, T.D., Cannoodt, R., Ambros, I.M., Ambros, P.F., Asgharzadeh, S., Attiyeh, E.F., Combaret, V., Defferrari, R., Fischer, M., Hero, B., Hogarty, M.D., Irwin, M.S., Koster, J., Kreissman, S., Ladenstein, R., Lapouble, E., Laureys, G., London, W.B., Mazzocco, K., Nakagawara, A., Noguera, R., Ohira, M., Park, J.R., Potschger, U., Theissen, J., Tonini, G.P., Valteau-Couanet, D., Varesio, L., Versteeg, R., Speleman, F., Maris, J.M., Schleiermacher, G., and De Preter, K. (2018).
Genomic Amplifications and Distal 6q Loss: Novel Markers for Poor Survival in High-risk Neuroblastoma Patients. J Natl Cancer Inst 110, 1084-1093.

Dillinger, B., Ahmadi-Erber, S., Lau, M., Hoelzl, M.A., Erhart, F., Juergens, B., Fuchs, D., Heitger, A., Ladisch, S., and Dohnal, A.M. (2018).
IFN-gamma and tumor gangliosides: Implications for the tumor microenvironment. Cell Immunol 325, 33-40.

Duong, J.K., Veal, G.J., Nath, C.E., Shaw, P.J., Errington, J., Ladenstein, R., and Boddy, A.V. (2019).
Population pharmacokinetics of carboplatin, etoposide and melphalan in children: a re-evaluation of paediatric dosing formulas for carboplatin in patients with normal or mild impairment of renal function. Br J Clin Pharmacol 85, 136-146.

Edwards, E.S.J., Bier, J., Cole, T.S., Wong, M., Hsu, P., Berglund, L.J., Boztug, K., Lau, A., Gostick, E., Price, D.A., O'Sullivan, M., Meyts, I., Choo, S., Gray, P., Holland, S.M., Deenick, E.K., Uzel, G., and Tangye, S.G. (2019).
Activating PIK3CD mutations impair human cytotoxic lymphocyte differentiation and function and EBV immunity. J Allergy Clin Immunol 143, 276-291 e276.

Eghbal-Zadeh, H., Fischer, L., Popitsch, N., Kromp, F., Taschner-Mandl, S., Gerber, T., Bozsaky, E., Ambros, P.F., Ambros, I.M., Widmer, G., and Moser, B.A. (2018).
DeepSNP: An End-to-End Deep Neural Network with Attention-Based Localization for Breakpoint Detection in Single-Nucleotide Polymorphism Array Genomic Data. J Comput Biol.

Erhart, F., Blauensteiner, B., Zirkovits, G., Printz, D., Soukup, K., Klingenbrunner, S., Fischhuber, K., Reitermaier, R., Halfmann, A., Lotsch, D., Spiegl-Kreinecker, S., Berger, W., Visus, C., and Dohnal, A. (2019).
Gliomasphere marker combinatorics: multidimensional flow cytometry detects CD44+/CD133+/ITGA6+/CD36+ signature. J Cell Mol Med 23, 281-292.

Erhart, F., Buchroithner, J., Reitermaier, R., Fischhuber, K., Klingenbrunner, S., Sloma, I., Hibsh, D., Kozol, R., Efroni, S., Ricken, G., Wohrer, A., Haberler, C., Hainfellner, J., Krumpl, G., Felzmann, T., Dohnal, A.M., Marosi, C., and Visus, C. (2018).
Immunological analysis of phase II glioblastoma dendritic cell vaccine (Audencel) trial: immune system characteristics influence outcome and Audencel up-regulates Th1-related immunovariables. Acta Neuropathol Commun 6, 135.

Fauster, A., Rebsamen, M., Willmann, K.L., Cesar-Razquin, A., Girardi, E., Bigenzahn, J.W., Schischlik, F., Scorzoni, S., Bruckner, M., Konecka, J., Hormann, K., Heinz, L.X., Boztug, K., and Superti-Furga, G. (2018).
Systematic genetic mapping of necroptosis identifies SLC39A7 as modulator of death receptor trafficking. Cell Death Differ.

Filbin, M.G., Tirosh, I., Hovestadt, V., Shaw, M.L., Escalante, L.E., Mathewson, N.D., Neftel, C., Frank, N., Pelton, K., Hebert, C.M., Haberler, C., Yizhak, K., Gojo, J., Egervari, K., Mount, C., van Galen, P., Bonal, D.M., Nguyen, Q.D., Beck, A., Sinai, C., Czech, T., Dorfer, C., Goumnerova, L., Lavarino, C., Carcaboso, A.M., Mora, J., Mylvaganam, R., Luo, C.C., Peyrl, A., Popovic, M., Azizi, A., Batchelor, T.T., Frosch, M.P., Martinez-Lage, M., Kieran, M.W., Bandopadhayay, P., Beroukhim, R., Fritsch, G., Getz, G., Rozenblatt-Rosen, O., Wucherpfennig, K.W., Louis, D.N., Monje, M., Slavc, I., Ligon, K.L., Golub, T.R., Regev, A., Bernstein, B.E., and Suva, M.L. (2018).
Developmental and oncogenic programs in H3K27M gliomas dissected by single-cell RNA-seq. Science 360, 331-335.

Friesenbichler, W., Krizmanich, W., Lakatos, K., Attarbaschi, A., Dworzak, M., Amann, G., Furtwangler, R., Graf, N., and Kager, L. (2018).
Outcome of two patients with bilateral nephroblastomatosis/Wilms tumour treated with an add-on 13-cis retinoic acid therapy - Case report. Pediatr Hematol Oncol, 1-7.

Friesenbichler, W., Schumich, A., Simonitsch-Klupp, I., Panzer-Grumayer, R., Haas, O., Mann, G., and Dworzak, M. (2018).
Concurrent Acute Myelofibrosis and Acute Lymphoblastic Leukemia in Childhood: Case Report and Review of the Literature. J Pediatr Hematol Oncol 40, 235-237.

Garcia-Ramirez, I., Bhatia, S., Rodriguez-Hernandez, G., Gonzalez-Herrero, I., Walter, C., Gonzalez de Tena-Davila, S., Parvin, S., Haas, O., Woessmann, W., Stanulla, M., Schrappe, M., Dugas, M., Natkunam, Y., Orfao, A., Dominguez, V., Pintado, B., Blanco, O., Alonso-Lopez, D., De Las Rivas, J., Martin-Lorenzo, A., Jimenez, R., Garcia Criado, F.J., Garcia Cenador, M.B., Lossos, I.S., Vicente-Duenas, C., Borkhardt, A., Hauer, J., and Sanchez-Garcia, I. (2018).
Lmo2 expression defines tumor cell identity during T-cell leukemogenesis. EMBO J 37.

Grunewald, T.G.P., Cidre-Aranaz, F., Surdez, D., Tomazou, E.M., de Alava, E., Kovar, H., Sorensen, P.H., Delattre, O., and Dirksen, U. (2018).
Ewing sarcoma. Nat Rev Dis Primers 4, 5.

Haupt, R., Essiaf, S., Dellacasa, C., Ronckers, C.M., Caruso, S., Sugden, E., Zadravec Zaletel, L., Muraca, M., Morsellino, V., Kienesberger, A., Blondeel, A., Saraceno, D., Ortali, M., Kremer, L.C.M., Skinner, R., Roganovic, J., Bagnasco, F., Levitt, G.A., De Rosa, M., Schrappe, M., Hjorth, L., Ladenstein, R., PanCareSurFup, E.W.G., and ExPo-r-Net Working, G. (2018).
The ‚Survivorship Passport' for childhood cancer survivors. Eur J Cancer 102, 69-81.

Hiwarkar, P., Kosulin, K., Cesaro, S., Mikulska, M., Styczynski, J., Wynn, R., and Lion, T. (2018).
Management of adenovirus infection in patients after haematopoietic stem cell transplantation: State-of-the-art and real-life current approach: A position statement on behalf of the Infectious Diseases Working Party of the European Society of Blood and Marrow Transplantation. Rev Med Virol 28, e1980.

Hrusak, O., de Haas, V., Stancikova, J., Vakrmanova, B., Janotova, I., Mejstrikova, E., Capek, V., Trka, J., Zaliova, M., Luks, A., Bleckmann, K., Moricke, A., Irving, J., Konatkowska, B., Alexander, T.B., Inaba, H., Schmiegelow, K., Stokley, S., Zemanova, Z., Moorman, A.V., Rossi, J.G., Felice, M.S., Dalla-Pozza, L., Morales, J., Dworzak, M., Buldini, B., Basso, G., Campbell, M., Cabrera, M.E., Marinov, N., Elitzur, S., Izraeli, S., Luria, D., Feuerstein, T., Kolenova, A., Svec, P., Kreminska, O., Rabin, K.R., Polychronopoulou, S., da Costa, E., Marquart, H.V., Kattamis, A., Ratei, R., Reinhardt, D., Choi, J.K., Schrappe, M., and Stary, J. (2018).
International cooperative study identifies treatment strategy in childhood ambiguous lineage leukemia. Blood 132, 264-276.

Husa, A.M., Strobl, M.R., Strajeriu, A., Wieser, M., Strehl, S., and Fortschegger, K. (2018).
Generation of CD34 Fluorescent Reporter Human Induced Pluripotent Stem Cells for Monitoring Hematopoietic Differentiation. Stem Cells Dev 27, 1376-1384.

Juan Ribelles, A., Berlanga, P., Schreier, G., Nitzlnader, M., Brunmair, B., Castel, V., Essiaf, S., Canete, A., and Ladenstein, R. (2018).
Survey on paediatric tumour boards in Europe: current situation and results from the ExPo-r-Net project. Clin Transl Oncol 20, 1046-1052.

Kager, L., Jimenez Heredia, R., Hirschmugl, T., Dmytrus, J., Krolo, A., Muller, H., Bock, C., Zeitlhofer, P., Dworzak, M., Mann, G., Holter, W., Haas, O., and Boztug, K. (2018).
Targeted mutation screening of 292 candidate genes in 38 children with inborn haematological cytopenias efficiently identifies novel disease-causing mutations. Br J Haematol 182, 251-258.

Kosulin, K., Berkowitsch, B., Matthes, S., Pichler, H., Lawitschka, A., Potschger, U., Fritsch, G., and Lion, T. (2018).
Intestinal Adenovirus Shedding Before Allogeneic Stem Cell Transplantation Is a Risk Factor for Invasive Infection Post-transplant. EBioMedicine 28, 114-119.

Kosulin, K., Kernbichler, S., Pichler, H., Lawitschka, A., Geyeregger, R., Witt, V., and Lion, T. (2018).
Post-transplant Replication of Torque Teno Virus in Granulocytes. Front Microbiol 9, 2956.

Kosulin, K., Lam, E., Heim, A., Dobner, T., and Rodriguez, E. (2018).
Retreatment with sofosbuvir/velpatasvir in cirrhotic patients with genotype-4 who failed a previous interferon-free regimen: a case series. Antivir Ther 23, 475-483.

Kovar, H. (2018).
Selective enhancer changes in osteosarcoma lung metastasis. Nat Med 24, 126-127.

Kuhlen, M., Bader, P., Sauer, M., Albert, M.H., Gruhn, B., Gungor, T., Kropshofer, G., Lang, P., Lawitschka, A., Metzler, M., Pentek, F., Rossig, C., Schlegel, P.G., Schrappe, M., Schrum, J., Schulz, A., Schwinger, W., von Stackelberg, A., Strahm, B., Suttorp, M., Luettichau, I.T., Wossmann, W., Borkhardt, A., Meisel, R., Poetschger, U., Glogova, E., and Peters, C. (2018).
Low incidence of symptomatic osteonecrosis after allogeneic HSCT in children with high-risk or relapsed ALL - results of the ALL-SCT 2003 trial. Br J Haematol 183, 104-109.

Ladenstein, R., Potschger, U., Valteau-Couanet, D., Luksch, R., Castel, V., Yaniv, I., Laureys, G., Brock, P., Michon, J.M., Owens, C., Trahair, T., Chan, G.C.F., Ruud, E., Schroeder, H., Beck Popovic, M., Schreier, G., Loibner, H., Ambros, P., Holmes, K., Castellani, M.R., Gaze, M.N., Garaventa, A., Pearson, A.D.J., and Lode, H.N. (2018).
Interleukin 2 with anti-GD2 antibody ch14.18/CHO (dinutuximab beta) in patients with high-risk neuroblastoma (HR-NBL1/SIOPEN): a multicentre, randomised, phase 3 trial. Lancet Oncol 19, 1617-1629.

Lawson, J.T., Tomazou, E.M., Bock, C., and Sheffield, N.C. (2018).
MIRA: an R package for DNA methylation-based inference of regulatory activity. Bioinformatics 34, 2649-2650.

Maas, C., Luftinger, R., Krois, W., Matthes-Martin, S., Bayer, G., Boztug, K., and Metzelder, M. (2018).
EBV-positive B-cell lymphoma manifestation of the liver in an infant with RAG1 severe combined immuno-deficiency disease. Pediatr Blood Cancer 65, e27258.

Machiela, M.J., Grunewald, T.G.P., Surdez, D., Reynaud, S., Mirabeau, O., Karlins, E., Rubio, R.A., Zaidi, S., Grossetete-Lalami, S., Ballet, S., Lapouble, E., Laurence, V., Michon, J., Pierron, G., Kovar, H., Gaspar, N., Kontny, U., Gonzalez-Neira, A., Picci, P., Alonso, J., Patino-Garcia, A., Corradini, N., Berard, P.M., Freedman, N.D., Rothman, N., Dagnall, C.L., Burdett, L., Jones, K., Manning, M., Wyatt, K., Zhou, W., Yeager, M., Cox, D.G., Hoover, R.N., Khan, J., Armstrong, G.T., Leisenring, W.M., Bhatia, S., Robison, L.L., Kulozik, A.E., Kriebel, J., Meitinger, T., Metzler, M., Hartmann, W., Strauch, K., Kirchner, T., Dirksen, U., Morton, L.M., Mirabello, L., Tucker, M.A., Tirode, F., Chanock, S.J., and Delattre, O. (2018).
Genome-wide association study identifies multiple new loci associated with Ewing sarcoma susceptibility. Nat Commun 9, 3184.

Mayr, V., Sturtzel, C., Stadler, M., Grissenberger, S., and Distel, M. (2018).
Fast Dynamic in vivo Monitoring of Erk Activity at Single Cell Resolution in DREKA Zebrafish. Front Cell Dev Biol 6, 111.

Meyer, C., Burmeister, T., Groger, D., Tsaur, G., Fechina, L., Renneville, A., Sutton, R., Venn, N.C., Emerenciano, M., Pombo-de-Oliveira, M.S., Barbieri Blunck, C., Almeida Lopes, B., Zuna, J., Trka, J., Ballerini, P., Lapillonne, H., De Braekeleer, M., Cazzaniga, G., Corral Abascal, L., van der Velden, V.H.J., Delabesse, E., Park, T.S., Oh, S.H., Silva, M.L.M., Lund-Aho, T., Juvonen, V., Moore, A.S., Heidenreich, O., Vormoor, J., Zerkalenkova, E., Olshanskaya, Y., Bueno, C., Menendez, P., Teigler-Schlegel, A., Zur Stadt, U., Lentes, J., Gohring, G., Kustanovich, A., Aleinikova, O., Schafer, B.W., Kubetzko, S., Madsen, H.O., Gruhn, B., Duarte, X., Gameiro, P., Lippert, E., Bidet, A., Cayuela, J.M., Clappier, E., Alonso, C.N., Zwaan, C.M., van den Heuvel-Eibrink, M.M., Izraeli, S., Trakhtenbrot, L., Archer, P., Hancock, J., Moricke, A., Alten, J., Schrappe, M., Stanulla, M., Strehl, S., Attarbaschi, A., Dworzak, M., Haas, O.A., Panzer-Grumayer, R., Sedek, L., Szczepanski, T., Caye, A., Suarez, L., Cave, H., and Marschalek, R. (2018).
The MLL recombinome of acute leukemias in 2017. Leukemia 32, 273-284.

Minkov, M. (2018).
An update on the treatment of pediatric-onset Langerhans cell histiocytosis through pharmaco-therapy. Expert Opin Pharmacother 19, 233-242.

Morgenstern, D.A., Potschger, U., Moreno, L., Papadakis, V., Owens, C., Ash, S., Pasqualini, C., Luksch, R., Garaventa, A., Canete, A., Elliot, M., Wieczorek, A., Laureys, G., Kogner, P., Malis, J., Ruud, E., Beck-Popovic, M., Schleiermacher, G., Valteau-Couanet, D., and Ladenstein, R. (2018).
Risk stratification of high-risk metastatic neuroblastoma: A report from the HR-NBL-1/SIOPEN study. Pediatr Blood Cancer 65, e27363.

Mughal, T.I., Lion, T., Abdel-Wahab, O., Mesa, R., Scherber, R.M., Perrotti, D., Mauro, M., Verstovsek, S., Saglio, G., Van Etten, R.A., and Kralovics, R. (2018).
Precision immunotherapy, mutational landscape, and emerging tools to optimize clinical outcomes in patients with classical myeloproliferative neoplasms. Hematol Oncol 36, 740-748.

Niktoreh, N., Lerius, B., Zimmermann, M., Gruhn, B., Escherich, G., Bourquin, J.P., Dworzak, M., Sramkova, L., Rossig, C., Creutzig, U., Reinhardt, D., and Rasche, M. (2019).
Gemtuzumab ozogamicin in children with relapsed or refractory acute myeloid leukemia: a report by Berlin-Frankfurt-Munster study group. Haematologica 104, 120-127.

Noort, S., Zimmermann, M., Reinhardt, D., Cuccuini, W., Pigazzi, M., Smith, J., Ries, R.E., Alonzo, T.A., Hirsch, B., Tomizawa, D., Locatelli, F., Gruber, T.A., Raimondi, S., Sonneveld, E., Cheuk, D.K., Dworzak, M., Stary, J., Abrahamsson, J., Arad-Cohen, N., Czogala, M., De Moerloose, B., Hasle, H., Meshinchi, S., van den Heuvel-Eibrink, M., and Zwaan, C.M. (2018).
Prognostic impact of t(16;21)(p11;q22) and t(16;21)(q24;q22) in pediatric AML: a retrospective study by the I-BFM Study Group. Blood 132, 1584-1592.

Olesnicky, E.C., Antonacci, S., Popitsch, N., Lybecker, M.C., Titus, M.B., Valadez, R., Derkach, P.G., Marean, A., Miller, K., Mathai, S.K., and Killian, D.J. (2018).
Shep interacts with posttranscriptional regulators to control dendrite morphogenesis in sensory neurons. Dev Biol 444, 116-128.

Pastorczak, A., Sedek, L., Braun, M., Madzio, J., Sonsala, A., Twardoch, M., Fendler, W., Nebral, K., Taha, J., Bielska, M., Gorniak, P., Romiszewska, M., Matysiak, M., Derwich, K., Lejman, M., Kowalczyk, J., Badowska, W., Niedzwiecki, M., Kazanowska, B., Muszynska-Roslan, K., Sobol-Milejska, G., Karolczyk, G., Koltan, A., Ociepa, T., Szczepanski, T., and Mlynarski, W. (2018).
Surface expression of Cytokine Receptor-Like Factor 2 increases risk of relapse in pediatric acute lymphoblastic leukemia patients harboring IKZF1 deletions. Oncotarget 9, 25971-25982.

Pazmandi, J., Kalinichenko, A., Ardy, R.C., and Boztug, K. (2019).
Early-onset inflammatory bowel disease as a model disease to identify key regulators of immune homeostasis mechanisms. Immunol Rev 287, 162-185.

Pfajfer, L., Mair, N.K., Jimenez-Heredia, R., Genel, F., Gulez, N., Ardeniz, O., Hoeger, B., Bal, S.K., Madritsch, C., Kalinichenko, A., Chandra Ardy, R., Gerceker, B., Rey-Barroso, J., Ijspeert, H., Tangye, S.G., Simonitsch-Klupp, I., Huppa, J.B., van der Burg, M., Dupre, L., and Boztug, K. (2018).
Mutations affecting the actin regulator WD repeat-containing protein 1 lead to aberrant lymphoid immunity.
J Allergy Clin Immunol 142, 1589-1604 e1511.

Popitsch, N. (2018).
VARAN-GIE: Curation of Genomic Interval Sets.
Bioinformatics.

Potschger, U., Heinzl, H., Valsecchi, M.G., and Mittlbock, M. (2018).
Assessing the effect of a partly unobserved, exogenous, binary time-dependent covariate on survival probabilities using generalised pseudo-values.
BMC Med Res Methodol 18, 14.

Proff, J., Brey, C.U., Ensser, A., Holter, W., and Lehner, M. (2018).
Turning the tables on cytomegalovirus: targeting viral Fc receptors by CARs containing mutated CH2-CH3 IgG spacer domains. J Transl Med 16, 26.

Rasche, M., Zimmermann, M., Borschel, L., Bourquin, J.P., Dworzak, M., Klingebiel, T., Lehrnbecher, T., Creutzig, U., Klusmann, J.H., and Reinhardt, D. (2018).
Successes and challenges in the treatment of pediatric acute myeloid leukemia: a retrospective analysis of the AML-BFM trials from 1987 to 2012.
Leukemia 32, 2167-2177.

Schuh, A., Dreau, H., Knight, S.J.L., Ridout, K., Mizani, T., Vavoulis, D., Colling, R., Antoniou, P., Kvikstad, E.M., Pentony, M.M., Hamblin, A., Protheroe, A., Parton, M., Shah, K.A., Orosz, Z., Athanasou, N., Hassan, B., Flanagan, A.M., Ahmed, A., Winter, S., Harris, A., Tomlinson, I., Popitsch, N., Church, D., and Taylor, J.C. (2018).
Clinically actionable mutation profiles in patients with cancer identified by whole-genome sequencing.
Cold Spring Harb Mol Case Stud 4.

Schumich, A., Maurer-Granofszky, M., Attarbaschi, A., Potschger, U., Buldini, B., Gaipa, G., Karawajew, L., Printz, D., Ratei, R., Conter, V., Schrappe, M., Mann, G., Basso, G., Dworzak, M.N., and Group, A.I.-B.-A.-F.-S. (2018).
Flow-cytometric minimal residual disease monitoring in blood predicts relapse risk in pediatric B-cell precursor acute lymphoblastic leukemia in trial AIEOP-BFM-ALL 2000. Pediatr Blood Cancer, e27590.

Schuster, A.J., Kager, L., Reichardt, P., Baumhoer, D., Csoka, M., Hecker-Nolting, S., Lang, S., Lorenzen, S., Mayer-Steinacker, R., von Kalle, T., Kevric, M., Werner, M., Windhager, R., Wirth, T., and Bielack, S.S. (2018).
High-Grade Osteosarcoma of the Foot: Presentation, Treatment, Prognostic Factors, and Outcome of 23 Cooperative Osteosarcoma Study Group COSS Patients. Sarcoma 2018, 1632978.

Schwentner, R., Jug, G., Kauer, M.O., Schnoller, T., Waidhofer-Sollner, P., Holter, W., and Hutter, C. (2019).
JAG2 signaling induces differentiation of CD14(+) monocytes into Langerhans cell histiocytosis-like cells.
J Leukoc Biol 105, 101-111.

Schwentner, R., Kolenova, A., Jug, G., Schnoller, T., Ahlmann, M., Meister, B., Lehrnbecher, T., Minkov, M., and Hutter, C. (2018).
Longitudinal assessment of peripheral blood BRAFV600E levels in patients with Langerhans cell histiocytosis. Pediatr Res.

Schwinger, W., Urban, C., Ulreich, R., Sperl, D., Karastaneva, A., Strenger, V., Lackner, H., Boztug, K., Albert, M.H., Benesch, M., and Seidel, M.G. (2018).
The Phenotype and Treatment of WIP Deficiency: Literature Synopsis and Review of a Patient With Pre-transplant Serial Donor Lymphocyte Infusions to Eliminate CMV. Front Immunol 9, 2554.

Serwas, N.K., Huemer, J., Dieckmann, R., Mejstrikova, E., Garncarz, W., Litzman, J., Hoeger, B., Zapletal, O., Janda, A., Bennett, K.L., Kain, R., Kerjaschky, D., and Boztug, K. (2018).
CEBPE-Mutant Specific Granule Deficiency Correlates With Aberrant Granule Organization and Substantial Proteome Alterations in Neutrophils.
Front Immunol 9, 588.

Shen, J., Najafi, S., Stable, S., Fabian, J., Koeneke, E., Kolbinger, F.R., Wrobel, J.K., Meder, B., Distel, M., Heimburg, T., Sippl, W., Jung, M., Peterziel, H., Kranz, D., Boutros, M., Westermann, F., Witt, O., and Oehme, I. (2018).
A kinome-wide RNAi screen identifies ALK as a target to sensitize neuroblastoma cells for HDAC8-inhibitor treatment. Cell Death Differ 25, 2053-2070.

Siebert, N., Troschke-Meurer, S., Marx, M., Zumpe, M., Ehlert, K., Gray, J., Garaventa, A., Manzitti, C., Ash, S., Klingebiel, T., Beck, J., Castel, V., Valteau-Couanet, D., Loibner, H., Ladenstein, R., and Lode, H.N. (2018).
Impact of HACA on Immunomodulation and Treatment Toxicity Following ch14.18/CHO Long-Term Infusion with Interleukin-2: Results from a SIOPEN Phase 2 Trial. Cancers (Basel) 10.

Stanulla, M., Dagdan, E., Zaliova, M., Moricke, A., Palmi, C., Cazzaniga, G., Eckert, C., Te Kronnie, G., Bourquin, J.P., Bornhauser, B., Koehler, R., Bartram, C.R., Ludwig, W.D., Bleckmann, K., Groeneveld-Krentz, S., Schewe, D., Junk, S.V., Hinze, L., Klein, N., Kratz, C.P., Biondi, A., Borkhardt, A., Kulozik, A., Muckenthaler, M.U., Basso, G., Valsecchi, M.G., Izraeli, S., Petersen, B.S., Franke, A., Dorge, P., Steinemann, D., Haas, O.A., Panzer-Grumayer, R., Cave, H., Houlston, R.S., Cario, G., Schrappe, M., Zimmermann, M., Consortium, T., and International, B.F.M.S.G. (2018).
IKZF1(plus) Defines a New Minimal Residual Disease-Dependent Very-Poor Prognostic Profile in Pediatric B-Cell Precursor Acute Lymphoblastic Leukemia. J Clin Oncol 36, 1240-1249.

Troll, J.V., Hamilton, M.K., Abel, M.L., Ganz, J., Bates, J.M., Stephens, W.Z., Melancon, E., van der Vaart, M., Meijer, A.H., Distel, M., Eisen, J.S., and Guillemin, K. (2018).
Microbiota promote secretory cell determination in the intestinal epithelium by modulating host Notch signaling. Development 145.

Tsafou, K., Katschnig, A.M., Radic-Sarikas, B., Mutz, C.N., Iljin, K., Schwentner, R., Kauer, M.O., Muhlbacher, K., Aryee, D.N.T., Westergaard, D., Haapa-Paananen, S., Fey, V., Superti-Furga, G., Toretsky, J., Brunak, S., and Kovar, H. (2018).
Identifying the druggable interactome of EWS-FLI1 reveals MCL-1 dependent differential sensitivities of Ewing sarcoma cells to apoptosis inducers. Oncotarget 9, 31018-31031.

van Eijkelenburg, N.K.A., Rasche, M., Ghazaly, E., Dworzak, M.N., Klingebiel, T., Rossig, C., Leverger, G., Stary, J., De Bont, E., Chitu, D.A., Bertrand, Y., Brethon, B., Strahm, B., van der Sluis, I.M., Kaspers, G.J.L., Reinhardt, D., and Zwaan, C.M. (2018).
Clofarabine, high-dose cytarabine and liposomal daunorubicin in pediatric relapsed/refractory acute myeloid leukemia: a phase IB study. Haematologica 103, 1484-1492.

van Rijn, J.M., Ardy, R.C., Kuloglu, Z., Harter, B., van Haaften-Visser, D.Y., van der Doef, H.P.J., van Hoesel, M., Kansu, A., van Vugt, A.H.M., Thian, M., Kokke, F.T.M., Krolo, A., Basaran, M.K., Kaya, N.G., Aksu, A.U., Dalgic, B., Ozcay, F., Baris, Z., Kain, R., Stigter, E.C.A., Lichtenbelt, K.D., Massink, M.P.G., Duran, K.J., Verheij, J., Lugtenberg, D., Nikkels, P.G.J., Brouwer, H.G.F., Verkade, H.J., Scheenstra, R., Spee, B., Nieuwenhuis, E.E.S., Coffer, P.J., Janecke, A.R., van Haaften, G., Houwen, R.H.J., Muller, T., Middendorp, S., and Boztug, K. (2018).
Intestinal Failure and Aberrant Lipid Metabolism in Patients With DGAT1 Deficiency. Gastroenterology 155, 130-143 e115.

Velicky, P., Meinhardt, G., Plessl, K., Vondra, S., Weiss, T., Haslinger, P., Lendl, T., Aumayr, K., Mairhofer, M., Zhu, X., Schutz, B., Hannibal, R.L., Lindau, R., Weil, B., Ernerudh, J., Neesen, J., Egger, G., Mikula, M., Rohrl, C., Urban, A.E., Baker, J., Knofler, M., and Pollheimer, J. (2018).
Genome amplification and cellular senescence are hallmarks of human placenta development. PLoS Genet 14, e1007698.

Weinhofer, I., Zierfuss, B., Hametner, S., Wagner, M., Popitsch, N., Machacek, C., Bartolini, B., Zlabinger, G., Ohradanova-Repic, A., Stockinger, H., Kohler, W., Hoftberger, R., Regelsberger, G., Forss-Petter, S., Lassmann, H., and Berger, J. (2018).
Impaired plasticity of macrophages in X-linked adrenoleukodystrophy. Brain.

Weiss, T., Taschner-Mandl, S., Ambros, P.F., and Ambros, I.M. (2018).
Detailed Protocols for the Isolation, Culture, Enrichment and Immunostaining of Primary Human Schwann Cells. Methods Mol Biol 1739, 67-86.

Whelan, J., Le Deley, M.C., Dirksen, U., Le Teuff, G., Brennan, B., Gaspar, N., Hawkins, D.S., Amler, S., Bauer, S., Bielack, S., Blay, J.Y., Burdach, S., Castex, M.P., Dilloo, D., Eggert, A., Gelderblom, H., Gentet, J.C., Hartmann, W., Hassenpflug, W.A., Hjorth, L., Jimenez, M., Klingebiel, T., Kontny, U., Kruseova, J., Ladenstein, R., Laurence, V., Lervat, C., Marec-Berard, P., Marreaud, S., Michon, J., Morland, B., Paulussen, M., Ranft, A., Reichardt, P., van den Berg, H., Wheatley, K., Judson, I., Lewis, I., Craft, A., Juergens, H., Oberlin, O., Euro, E.W.I.N.G., and Investigators, E.-. (2018).
High-Dose Chemotherapy and Blood Autologous Stem-Cell Rescue Compared With Standard Chemotherapy in Localized High-Risk Ewing Sarcoma: Results of Euro-E.W.I.N.G.99 and Ewing-2008. J Clin Oncol, JCO2018782516.

Zoghi, S., Ziaee, V., Hirschmugl, T., Jimenez-Heredia, R., Krolo, A., Boztug, K., and Rezaei, N. (2018).
Exome sequencing revealed C1Q homozygous mutation in Pediatric Systemic Lupus Erythematosus. Allergol Immunopathol (Madr) 46, 594-598.

Impressum

Herausgeber und Medieninhaber
St. Anna Kinderkrebsforschung e.V.
Zimmermannplatz 10, 1090 Wien
www.ccri.at, www.kinderkrebsforschung.at

Kontakt
Mag. Marion Zavadil
CCRI Sekretariat
Marion.Zavadil@ccri.at

Verantwortlich für den wissenschaftlichen Inhalt
Assoc.-Prof. Dr. Kaan Boztug
Wissenschaftlicher Direktor
Kaan.Boztug@ccri.at

Verantwortlich für den kaufmännischen Inhalt
Mag. Jörg Bürger, MBA
Kaufmännischer Leiter
Joerg.Buerger@ccri.at

Wissenschaftskommunikation & Projektmanagement & Spendenwerbung
Lisa Huto
Leitung Spenden, PR & Kommunikation
Lisa.Huto@ccri.at

Verantwortlich für die Spendenverwendung
Vorstand

Verantwortlich für den Datenschutz
Navid Kamaleyan
Datenschutz@stanna.at

Konzeption, Gestaltung und Umsetzung
Gabriele Rosenzopf, MSc

Fotografie
Ian Ehm

Infografik
René Gatti

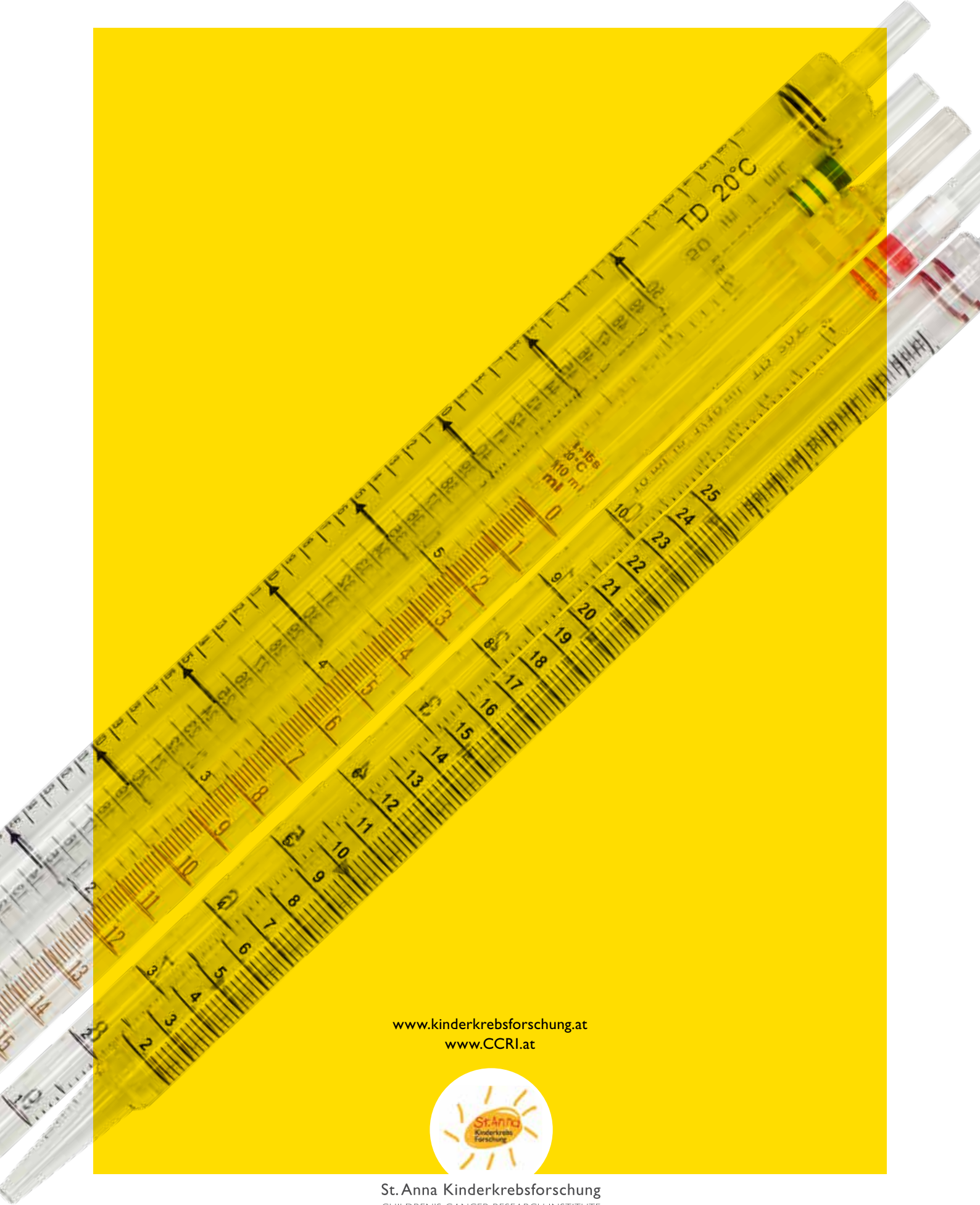
Download
des Forschungsberichts als
PDF-Datei: www.ccri.at und
www.kinderkrebsforschung.at/subsite/reports

Fundraising

Spendenkonto

St. Anna Kinderkrebsforschung e.V.

Bank Austria
IBAN: AT79 1200 0006 5616 6600
BIC: BKAUATWW



www.kinderkrebsforschung.at
www.CCRI.at

St. Anna Kinderkrebsforschung
CHILDREN'S CANCER RESEARCH INSTITUTE