



Forschungsinstitut für angeborene Stoffwechselerkrankungen

Kontakt: PD Dr. med. Florian B. Lagler, FOI für angeborene Stoffwechselerkrankungen, Paracelsus Medizinische Privatuniversität,
Strubergasse 21, Tel. +43 (0)662 / 2420 – 80760, florian.lagler@pmu.ac.at

Leitung Privatdozent Dr. med. Florian B. Lagler

- Facharzt für Kinder- und Jugendmedizin (UK für Kinder- und Jugendmedizin Salzburg)
- Vorstandsvorsitzender Zentrum für Seltene Krankheiten Salzburg
- Präsident der Europäischen Gesellschaft für Pädiatrische Pharmakologie (ESDPPP)
- Arzneimittelbeauftragter in der Deutschen Gesellschaft für Kinder- und Jugendmedizin
- Mitglied des Wissenschaftlichen Ausschusses des Arzneimittelbeirates des Bundesministeriums für Gesundheit
- Führungsebene OKIDS Kinderforschungsnetzwerk
- Klinischer Prüfarzt
- WP-Leader im FP7-HEALTH-Projekt 602295 LENA (Labeling of Enalapril from Neonates up to Adolescents)

Weitere PrüfarztInnen (Pädiatrische Stoffwechselmedizin, UK für Kinder- und Jugendheilkunde)

- Prim. Univ. Prof. Dr. Wolfgang Sperl, Vorstand der UK f. Kinder- und Jugendheilkunde, Präsident der Österreichischen Gesellschaft für Kinder- und Jugendheilkunde (ÖGKJ)
- OA Dr. Johannes Koch, Hauptprüfer in mehreren Arzneimittelprüfungen
- Dr. med. Elisa Floride, Nebenprüferin in mehreren Arzneimittelprüfungen

Weitere Studiengruppenmitglieder

- Dr. rer. nat. Angelika Moder, Master of Advanced Clinical Research, Datenmanagement und Statistik (FOI Stoffwechselerkrankungen)
- PD Dr. rer. nat. Johannes Mayr, Leitung Mito-Center (UK für Kinder- und Jugendheilkunde)

Schwerpunkte

- Spezialsprechstunde für lysosomale Speicherkrankheiten an der UK Kinder- und Jugendheilkunde
- Entwicklung innovativer Diagnosestrategien und –methoden
z.B. NPC1-Case Finding Projekt, PoDiaC (Pompe Diagnostic Criteria)
- Optimierung der Wirksamkeit und Sicherheit etablierter Arzneimittel
z.B. Hunter Outcome Survey, KAMPER ((Kuvan Adult Maternal Pediatric European Registry), Heimtherapiestudien (Shire/CS02 und Shire/CS03), Ö-PKU1-Studie (Phenylketonurie)
- Entwicklung innovativer Therapieansätze
z.B. Mito-Fibrat CT1-Studie (Klinische Prüfung der Phase II zur Wirksamkeit und Sicherheit von Bezafibrat bei PatientInnen mit mitochondrialen Myopathien)
- Studiendesign und Datenmanagement
z.B. LENA (Labeling of Enalapril from Neonates up to Adolescents) Pharmakokinetik-Studie, klinische Prüfungen mit pädiatrischen Patienten mit angeborenen Herzfehlern und Kardiomyopathie

Kooperationspartner

- Zentrum für seltene Krankheiten Salzburg
- OKIIDS Kinderforschungsnetzwerk der ÖGKJ
- Arbeitsgemeinschaft Pädiatrischer Stoffwechsel in der ÖGKJ
- Arbeitsgemeinschaft Pädiatrischer Stoffwechsel in der DGKJ (APS)
- Patientenorganisationen (M. Gaucher, M. Pompe, Mucopolysaccharidosen, Phenylketonurie/Galaktosämie)
- Dachverband Selbsthilfe Salzburg, Pro Rare Austria
- European Society for Developmental Perinatal and Pediatric Pharmacology
- Global Research in Paediatrics (GRIP, FP7 261060)
- Society for the Study of Inborn Errors of Metabolism SSIEM
- LENA-Partners (FP7-HEALTH 602295) (Med.) Universitäten in Wien (A), Düsseldorf (D), London (GB), Rotterdam (NL), Leuven (B), Belgrad (SRB), Budapest (H),
- Mito-Net (Deutsches Netzwerk für mitochondriale Erkrankungen, DFG)

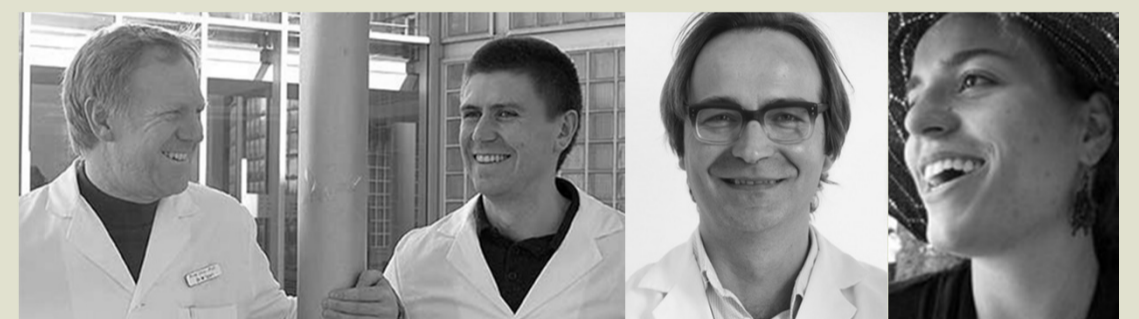
Forschungsinstitut für angeborene Stoffwechselerkrankungen



PD Dr. F. B. Lagler
Institutsvorstand

Dr. A. Moder
Laborleitung & Datenmanagement

Mito-Fibrat CT1-Studententeam der UK für Kinder- und Jugendheilkunde



Prim. Univ. Prof. Dr. W. Sperl
Klinikvorstand / PI

PD Dr. rer. nat. J. Mayr
Laborleitung Mito-Center

OA Dr. J. Koch
PI

Dr. E. Floride
Wiss. Mitarbeiterin

FIG.1 Arbeitsgruppe

Indikationen

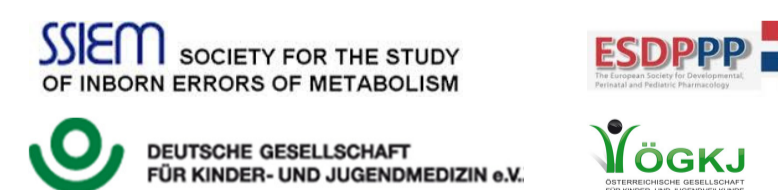
- Morbus Pompe
- Morbus Fabry
- Morbus Gaucher
- Mukopolysaccharidose Typ 1
- Mukopolysaccharidose Typ 2
- M. Niemann Pick Typ C
- BH₄-responsive Phenylketonurie

FIG.2 Indikationsgruppen in derzeit laufenden Projekten und Studien

Konsortien



Fachgesellschaften



Sonstige Netzwerke



Förderer



FIG.3 Logos von Kooperationspartnern