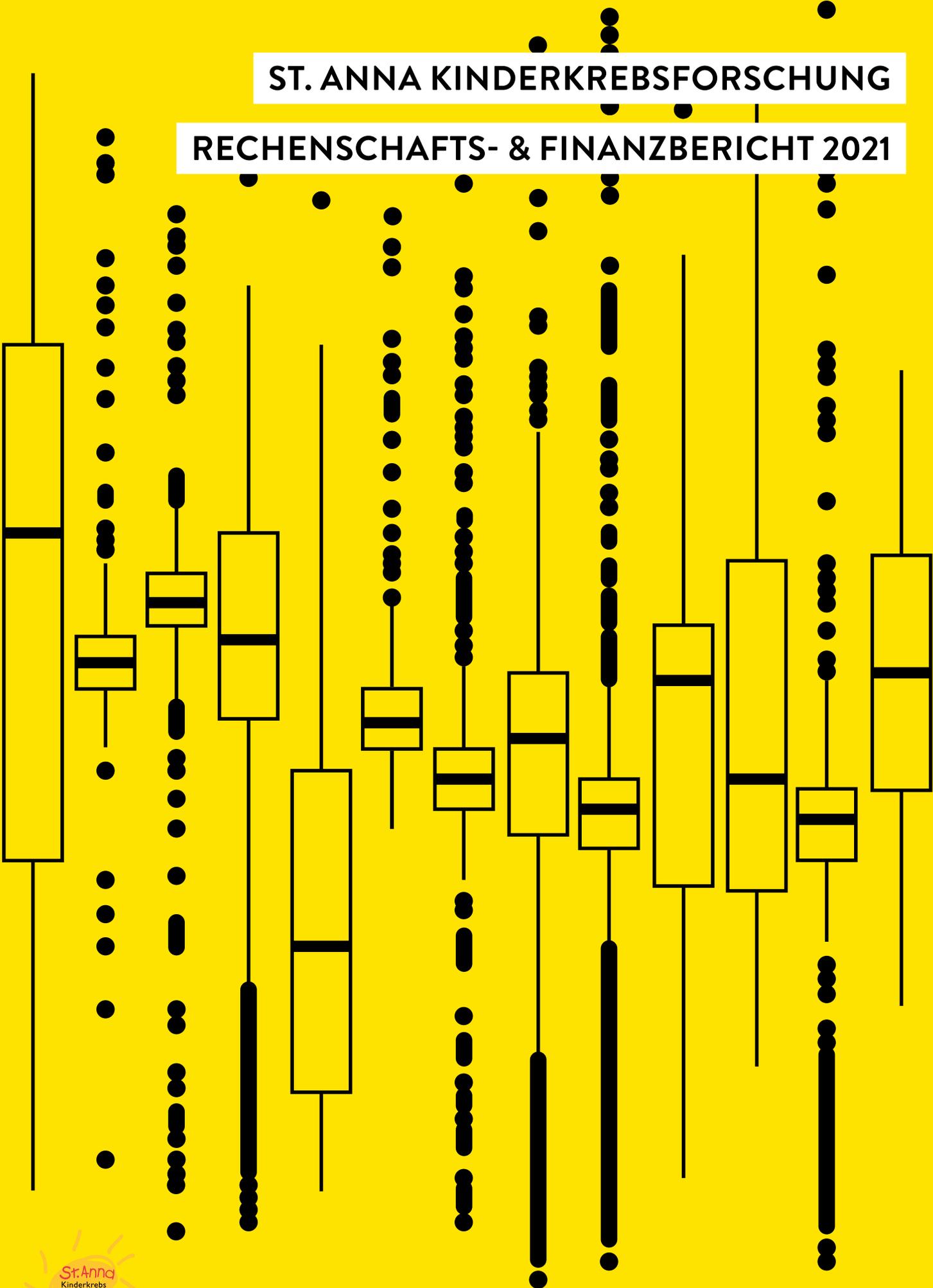


# ST. ANNA KINDERKREBSFORSCHUNG

## RECHENSCHAFTS- & FINANZBERICHT 2021



**EINLEITUNG / INTRODUCTION**

Vorwort Wissenschaftlicher Direktor	6
Vorwort Managing Direktor	8
Vorwort Institutsleiter	10

**DATEN & FAKTEN / FACTS & FIGURES**

Personelle Zusammensetzung	14
Nationen	15
Forschungsnetzwerk <i>Research Network</i>	16
Kinderkrebsinzidenz in Österreich <i>Childhood Cancer in Austria</i>	18
Kinderkrebsüberlebensrate in Österreich <i>Survival after Childhood Cancer in Austria</i>	19
Kinderkrebsüberleben Früher & Heute <i>Childhood cancer survival in the past and today</i>	20
Jährliches Patient:innenaufkommen gesamt im S <sup>2</sup> IRP als Koordinierungszentrum für Klinische Studien <i>Annual total patient accrual within S<sup>2</sup>IRP</i>	22
Jährliches Österreichisches Patient:innen- aufkommen / Todes- und Überlebensfälle <i>Annual Austrian patient accrual / deaths and survivors</i>	23

**TÄTIGKEITSBERICHT / ANNUAL ACTIVITY REPORT**

Tätigkeitsbericht	26
-------------------	----

**FINANZBERICHT / FINANCIAL REPORT**

Richtlinien zur Spendenverwendung <i>Guidelines for the Use of Donations</i>	34
Mittelherkunft <i>Source of Funds</i>	36
Mittelverwendung <i>Use of Funds</i>	36
Kompetitive Drittmittel im Jahr 2021 <i>Competitive Research Grants in 2021</i>	37
Zuweisung der Geldmittel im Jahr 2021 <i>Allocation of Funds in 2021</i>	37

**ANHANG / ANNEX**

International und national fremdgeförderte Projekte	40
Bachelor- und Diplom(Master)arbeiten, Dissertationen	44
Wissenschaftlicher Beirat	45
Publikationen	46
Unterstützung & Spenden	52
Impressum	54





## KAMPF DEM KINDERKREBS! VOLLER EINSATZ FÜR DAS LEBEN

Unser Wissenschafts- und Tätigkeitsbericht ist für mich eine gute Gelegenheit, darauf aufmerksam zu machen, dass wir an der St. Anna Kinderkrebsforschung auch im vergangenen Jahr sehr erfolgreich auf unser Ziel hingearbeitet haben, Kinderkrebs zu einer heilbaren Krankheit zu machen.

Alles begann vor 35 Jahren mit einem Vater, dessen kleine Tochter an Leukämie erkrankt war und der etwas dafür tun wollte, um die damals sehr schlechten Überlebenschancen zu verbessern. Dieser Vater, Erwin Senoner, sowie Helmut Gadner, der damalige Ärztliche Direktor des St. Anna Kinderspitals, setzten sich das Ziel, ein eigenes Kinderkrebs-Forschungsinstitut zu gründen. Natürlich hofften er und alle anderen Eltern, die diese Pionierarbeit unterstützten, dass ihre Kinder von diesen Bemühungen profitieren würden. Diese Hoffnungen und Erwartungen zu erfüllen ist bis heute ein schwieriges Unterfangen, auch wenn seither viele Erfolge und Meilensteine in der Kinderkrebsforschung erreicht wurden.

Kinderkrebs zu besiegen ist eine große Herausforderung. Aber wir sind entschlossen, wir haben ein klares Ziel und wir halten daran fest, ganz nach dem Vorbild unserer Gründer:innen. Trotz all unserer Anstrengungen stellt Krebs im Kindesalter für einen Teil der betroffenen Patient:innen immer noch eine tödliche Bedrohung dar und es besteht ein dringender Bedarf an neuen und besseren Therapien.

Um diese Herausforderung anzugehen, fördern wir in unserem Institut systematisch Ansätze der Präzisionsonkologie, indem wir die Kompetenzen verschiedener Forschungsgruppen zusammenführen. Unsere Vision ist es, dass ein molekulares Verständnis von Krebs im Kindesalter die Behandlungsentscheidungen unterstützt, sodass wir denjenigen Kindern, die mit bisherigen Standardbehandlungen nicht geheilt werden, maßgeschneiderte Therapien anbieten können. Durch die Kombination von molekularer Tumorprofilierung, funktionellen Chemosensitivitätstests und molekularem Krankheitsmonitoring wird dieses Programm eine Brücke zwischen den langjährigen translationalen und klinischen Forschungsaktivitäten der St. Anna Kinderkrebsforschung und unserem diagnostischen Fachwissen schlagen. Es gibt nur wenige Institute, die einen

angemessenen Rahmen bieten, um ein solches Projekt voranzubringen – und wir betrachten unser Institut als eines davon, weil wir fortlaufend bestrebt sind, uns weiterzuentwickeln und mit Partneereinrichtungen nicht nur in ganz Europa, sondern weltweit zusammenarbeiten. Wir sind entschlossen, die brilliantesten Köpfe auf dem Gebiet der Kinderkrebsforschung und darüber hinaus zusammenzubringen, um unserem Ziel näher zu kommen. Auf dieser transformativen Reise müssen wir noch visionärer werden als bisher und wir brauchen Ihre Unterstützung, um auch jenen Kindern zu helfen, die bislang keine langfristigen Überlebenschancen haben.

Auf den folgenden Seiten dieses Tätigkeitsberichts haben wir einige Highlights für Sie zusammengefasst, die das vergangene Jahr für unser Institut so besonders gemacht haben. Neben Publikationen in renommierten Wissenschaftsjournalen, können wir auch auf eine Liste an hoch dotierten Forschungsförderungen und Wissenschaftspreisen verweisen. Diese Auszeichnungen sind eine große Freude und machen mich persönlich sehr stolz, in erster Linie zeigen sie aber, dass wir unserem Ziel Schritt für Schritt näher kommen.

**Univ.-Prof. Dr. Kaan Boztug**  
Wissenschaftlicher Direktor & Geschäftsführer

## BESONDERES LEISTEN FÜR EINE BESONDERE MISSION: GEMEINSAM KINDERKREBS BESIEGEN

Excellence is never an accident.

-Aristotle

Es freut mich sehr, Ihnen an dieser Stelle mitteilen zu können, dass der wissenschaftliche Output unserer Forscher:innen im Jahr 2021 herausragend war. Wir konnten in allen relevanten Leistungsfaktoren einen deutlichen Entwicklungsschritt verzeichnen.

Mit dieser Entwicklung geht unvermeidlich auch Wachstum einher. Wir haben nicht nur eine neue Forschungsgruppe etabliert, sondern auch beachtliche kompetitive Drittmittelförderungen generieren können. Gleichzeitig haben diese Wachstumsfaktoren auch die Grenzen unserer aktuellen räumlichen Ressourcen aufgezeigt. Vorhandene Optimierungsmöglichkeiten wurden im Jahr 2021 durch die Schaffung neuer Forschungs- und Arbeitsflächen ausgereizt.

Darüber hinaus darf ich Ihnen an dieser Stelle von einer Strukturänderung berichten, die wir im letzten Jahr finalisieren konnten. Die Einbringung des Forschungsinstitutes in die St. Anna Kinderkrebsforschung GmbH wurde mit entsprechender Sorgfalt und Genauigkeit geprüft, testiert und finanztechnisch im Rahmen der Erstellung des Jahresabschlusses finalisiert.

Auch im Bereich der IT wurden wichtige Strukturprojekte umgesetzt, um nach einer Konsolidierungsphase auch die Ressourcen für weitere Entwicklungsschritte zu schaffen.

Die diversen Aktivitäten im HR-Bereich der letzten Jahre wurden 2021 durch eine besondere Auszeichnung belohnt. So wurden unsere mit viel Leidenschaft, aber geringen Budgetmitteln entwickelten „Employee Spotlights – Mitarbeiterkurzvideos“ mit der Silbernen Feder des Public Relations Verbandes Austria prämiert, wobei der erste Platz in der Kategorie „Bild-Video-Ton“ erzielt wurde. Es macht mich besonders stolz, dass wir uns hier durch den engagierten Einsatz unserer Mitarbeiter:innen gegen internationale Großkonzernkonkurrenz durchsetzen konnten.

Mit großer Freude begrüße auch ich an dieser Stelle unseren neuen Institutsleiter Leo Kager, der als langjähriger, international geschätzter „Physician Scientist“ seine ersten Forschungserfolge in der Gründungsphase unseres Institutes erlebte. In die beginnende und bisher exzellente Zusammenarbeit in der neu formierten Institutsleitung fließen durch Leo Kager neue Impulse, Ideen und Visionen, um der verbindenden „Brücke“ zwischen Forschungsinstitut und Spital den für die Zukunft notwendigen Stellenwert und strategischen Platz einzuräumen. Gedankt sei hier Wolfgang Holter, der neben seiner fordernden Position als Ärztlicher Direktor im St. Anna Kinderspital auch viele Jahre die Funktion des Institutsleiters langjährig bekleidet hat.

Unserem Vorstand sei für sein Engagement vor allem im vergangenen Jahr recht herzlich gedankt. Ich möchte mich für viele Stunden der engagierten, leidenschaftlichen Zusammenarbeit, der Unterstützung in den diversen Projekten und für den Mut, neue Wege zu gehen, ausdrücklich bedanken. Vielen herzlichen Dank auch Ihnen, unseren Unterstützer:innen, für Ihre Treue, Ihr Vertrauen in unsere Arbeit und Ihre Bereitschaft, uns durch Ihre Spenden zu ermöglichen, gemeinsam unsere Mission zu leben.

Die ersten Monate des Jahres 2022 zeigen uns, dass wir in einer volatilen, unsicheren, mehrdeutigen und komplexen Welt leben (VUCA), die uns auch in der Erfüllung unserer wichtigen Aufgabe weiter fordern wird. Umso mehr gilt es in dieser Zeit, an unsere Mission zu glauben und in dieser auch den notwendigen Halt zu finden, um weiterhin Besonderes im Großen und im Kleinen leisten zu wollen und damit auch individuelle Zufriedenheit zu erhöhen.



**Jörg Bürger**  
Finanzdirektor & Geschäftsführer





## GEMEINSAM DIE GRENZEN DER KINDERKREBSFORSCHUNG ERWEITERN

Vor sechzig Jahren endete der Krankheitsverlauf bei den meisten Kindern mit Krebs oder schweren hämatologischen und immunologischen Erkrankungen rasch tödlich. Das sollte sich ändern, als 1962 Danny Thomas, ein berühmter US-amerikanischer Schauspieler und Komiker, das St. Jude Children's Research Hospital (SJCRH) in Memphis, Tennessee, gründete. Ärzt:innen und Forscher:innen arbeiteten dort gemeinsam daran,

Behandlungen für junge Patient:innen zu entwickeln, bereitzustellen und weiter zu erforschen, und zwar mit dem Versprechen, dass „kein Kind bereits am Beginn seines Lebens sterben sollte“. Diese Pioniere waren davon überzeugt, dass Kinder mit solch bedrohlichen Krankheiten die Hoffnung auf eine Zukunft verdienen, und ihre Forschung führte schließlich zu kontinuierlichen Verbesserungen.

So können heute in Industrieländern bis zu 80 Prozent der jungen Krebspatient:innen von ihrer Krankheit geheilt werden. Zu Pionier:innen der Kinderkrebsforschung gehörten auch einige Ärzt:innen und Wissenschaftler:innen, die gemeinsam mit Eltern junger Krebspatient:innen vor fast 35 Jahren in Wien die St. Anna Kinderkrebsforschung gründeten.

Ähnlich wie das SJCRH in Memphis bietet die St. Anna Kinderkrebsforschung gemeinsam mit dem St. Anna Kinderspital eine einzigartige Infrastruktur, um Spitzenforschung und medizinische Versorgung für Kinder mit lebensbedrohlichen Erkrankungen voranzutreiben.

Dennoch sterben in Österreich noch immer jedes Jahr etwa 45 Kinder und Jugendliche an Krebs. Darüber hinaus leidet eine beträchtliche Anzahl der erwachsenen Kinderkrebs-Überlebenden an erheblichen Folgeerkrankungen, die auf die Krebserkrankung selbst und/oder die durchgeführten Therapien zurückzuführen sind. Es gibt also noch viel Raum für weitere Verbesserungen, um die Überlebensrate zu erhöhen und die Toxizität der Therapien zu verringern. Solange nur ein einziges Kind an Krebs und seinen Folgen sterben muss, gilt es, all unsere Anstrengungen darauf zu konzentrieren, die Diagnostik und die Behandlungsmöglichkeiten bei Kinderkrebs zu verbessern.

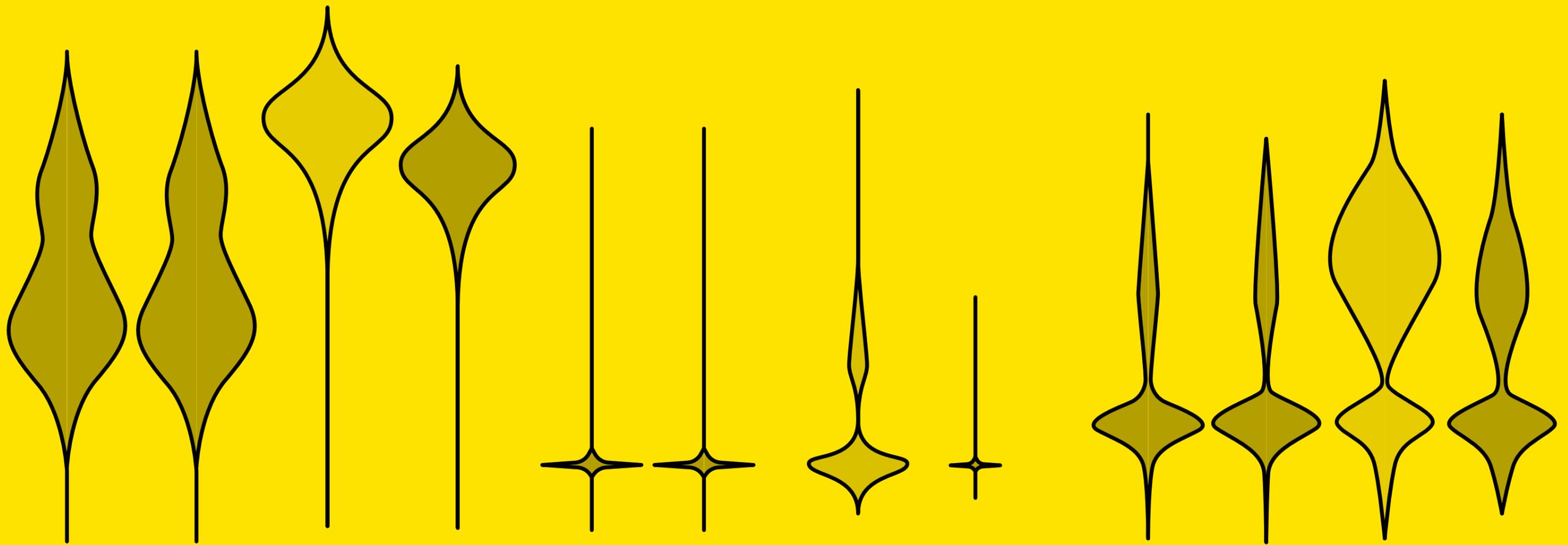
In der Forschung im Allgemeinen und in der Kinderkrebsforschung im Besonderen ist es unerlässlich, offen für neue Ideen zu sein und über den Tellerrand hinauszublicken. Jede Krankheit ist ein Zusammenspiel von mehreren Faktoren. Daher ist ein ganzheitlicher Ansatz erforderlich, um die Mechanismen zu verstehen, die zu einem bestimmten Krankheitsphänotyp beitragen. Es ist wichtig, zu wissen, wie sich der Krebs entwickelt, wie er fortschreitet und gegebenenfalls gegen Therapien resistent wird. In diesem Zusammenhang ist es beispielsweise notwendig, die Erkenntnisse über genetische Defekte zu erweitern, die ein Individuum für die Entwicklung von Krebs anfälliger machen. Das Wissen über solche Krebsprädispositionssyndrome (z. B. Li-Fraumeni-Syndrom, vererbte Syndrome der Knochenmarkinsuffizienz usw.) ist für Ärzt:innen unerlässlich, um Patient:innen und Eltern zu beraten, Screening-Untersuchungen zu planen und durchzuführen, Therapien anzupassen (z. B. starke genotoxische Medikamente und Strahlentherapie nach Möglichkeit zu vermeiden) und die langfristige Nachsorge anzuleiten.

Darüber hinaus können bestimmte angeborene Immunschwächekrankheiten ein höheres Krebsrisiko verursachen. Krebsprädisposition und -immunologie sind daher wichtige Themen in der St. Anna Kinderkrebsforschung und im St. Anna Kinderspital. Um offene Fragen in diesen Themenbereichen zu erforschen, wird die wissenschaftliche Bandbreite unseres Instituts ständig erweitert. Beispielsweise arbeiten unsere Forscher:innen auf Hochtouren daran, Krebszellen besser zu identifizieren, um sie einerseits zu überwachen und andererseits ganz gezielt Therapien gegen bestimmte Typen von Krebszellen einzusetzen.

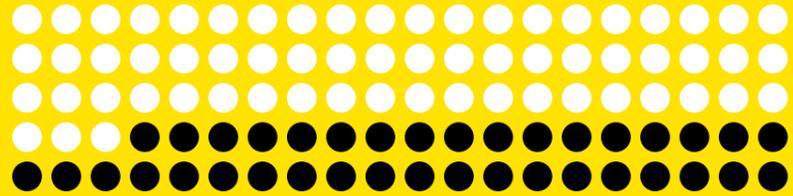
In meiner neuen Position als Institutsleiter der St. Anna Kinderkrebsforschung und Onkologe am St. Anna Kinderspital sehe ich es als eine wichtige Aufgabe an, beide Institutionen noch stärker miteinander zu verknüpfen. Durch die enge Zusammenarbeit von Kliniker:innen und Wissenschaftler:innen – manche nehmen sogar eine Doppelrolle ein – kann noch gezielter auf die individuellen Bedürfnisse unserer jungen Patient:innen eingegangen werden.

Seit ich 1993 an der St. Anna Kinderkrebsforschung (damals noch unter dem Dach des Krankenhauses) und am St. Anna Kinderspital zu arbeiten begonnen habe, habe ich miterlebt, wie viele Kinder an Krebs und anderen katastrophalen Kinderkrankheiten gestorben sind. Daher sehe ich es als Privileg, dazu beitragen zu können, dass für alle jungen Patient:innen mit Krebs und seltenen Erkrankungen eine Heilung möglich wird. Durch eine seit vielen Jahren beispielhafte Kombination aus Forschung und medizinischer Versorgung unter Verwendung von State-of-the-Art-Infrastruktur, die uns von zahlreichen langjährigen Unterstützer:innen zur Verfügung gestellt wird, kommen wir diesem Ziel Schritt für Schritt näher.

**Leo Kager**  
Institutsleiter



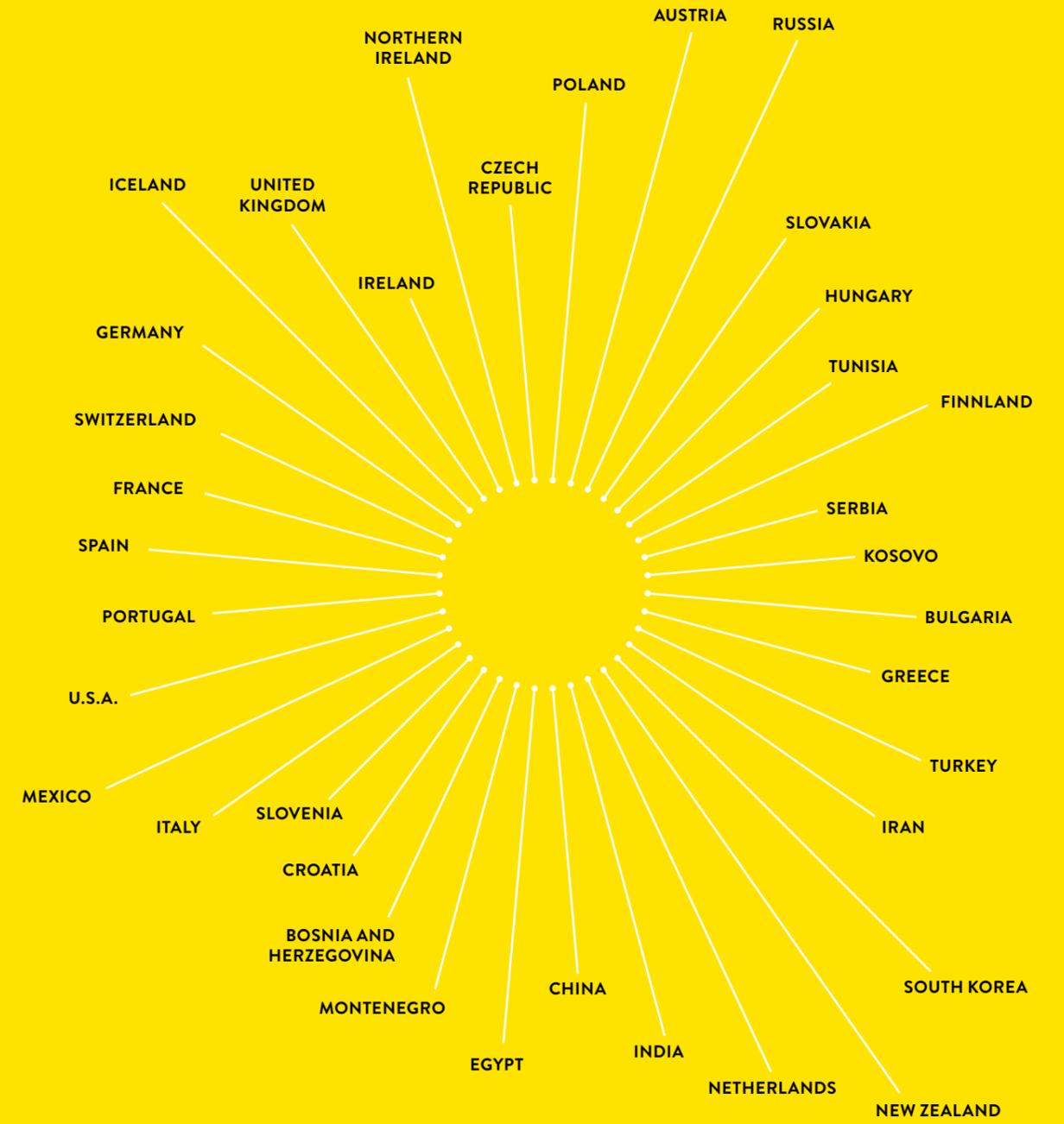
**PERSONELLE  
ZUSAMMENSETZUNG**



63% Weiblich / *Female*

37% Männlich / *Male*

**NATIONEN**



**FORSCHUNGSNETZWERK**

**RESEARCH NETWORK**



- ALBANIA
- ARGENTINA
- AUSTRALIA
- AUSTRIA
- BELARUS
- BELGIUM
- BOLIVIA
- BOSNIA AND HERZEGOVINA
- BRAZIL
- BULGARIA
- CANADA
- CHILE
- CHINA
- CROATIA
- CZECH REPUBLIC
- DENMARK
- FINLAND
- FRANCE
- GERMANY
- GREECE
- HONG KONG
- HUNGARY
- ICELAND
- INDIA
- IRELAND
- ISRAEL
- ITALY
- JAPAN
- LITHUANIA
- NETHERLANDS
- NEW ZEALAND
- NORWAY
- POLAND
- PORTUGAL
- ROMANIA
- RUSSIA
- SERBIA
- SINGAPORE
- SLOVAKIA
- SLOVENIA
- SOUTH KOREA
- SPAIN
- SWEDEN
- SWITZERLAND
- TANZANIA
- TURKEY
- UKRAINE
- URUGUAY
- UNITED KINGDOM
- U.S.A.

## KINDERKREBSINZIDENZ IN ÖSTERREICH

- Selten (<1 % aller Krebskranken)
- Neuerkrankungen pro Jahr:  
Kinder bis 14 Jahre: ~200  
Jugendliche 15–19 Jahre: ~100
- Häufigste Krebsarten: Leukämien, Lymphome und Hirntumore

Die St. Anna Kinderkrebsforschung setzt alles daran, die Diagnose und Behandlung durch innovative Forschung und internationale Zusammenarbeit zu verbessern.

## CHILDHOOD CANCER IN AUSTRIA

- Rare (<1% of all cancer cases)
- New occurrences per year:  
Children up to 14: ~200  
Adolescents: ~100
- Most common cancers: leukemia, lymphoma, brain tumors

St. Anna CCRI strives to improve diagnosis and treatment through innovative research and international cooperation

## ÜBERLEBEN NACH KINDERKREBS IN ÖSTERREICH

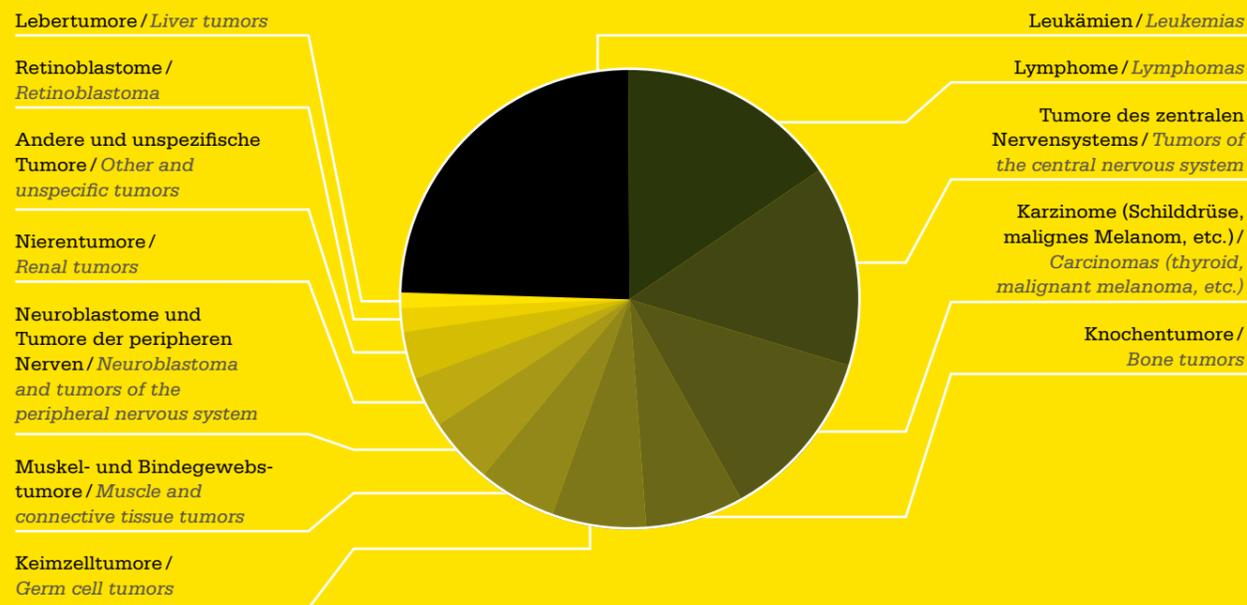
- 5-Jahres-Überleben insgesamt: 85 %
- ~30 Kinder und 15 Jugendliche sterben jährlich in Österreich an Krebs.

Durch die Weiterentwicklung seines pädiatrischen Präzisions-Onkologie-Programms will die St. Anna Kinderkrebsforschung die Heilungsrate und Lebensqualität von krebskranken Kindern und Jugendlichen erhöhen.

## SURVIVAL AFTER CHILDHOOD CANCER IN AUSTRIA

- Total 5-year-survival: 85%
- ~30 children and 15 adolescents in Austria die annually from cancer.

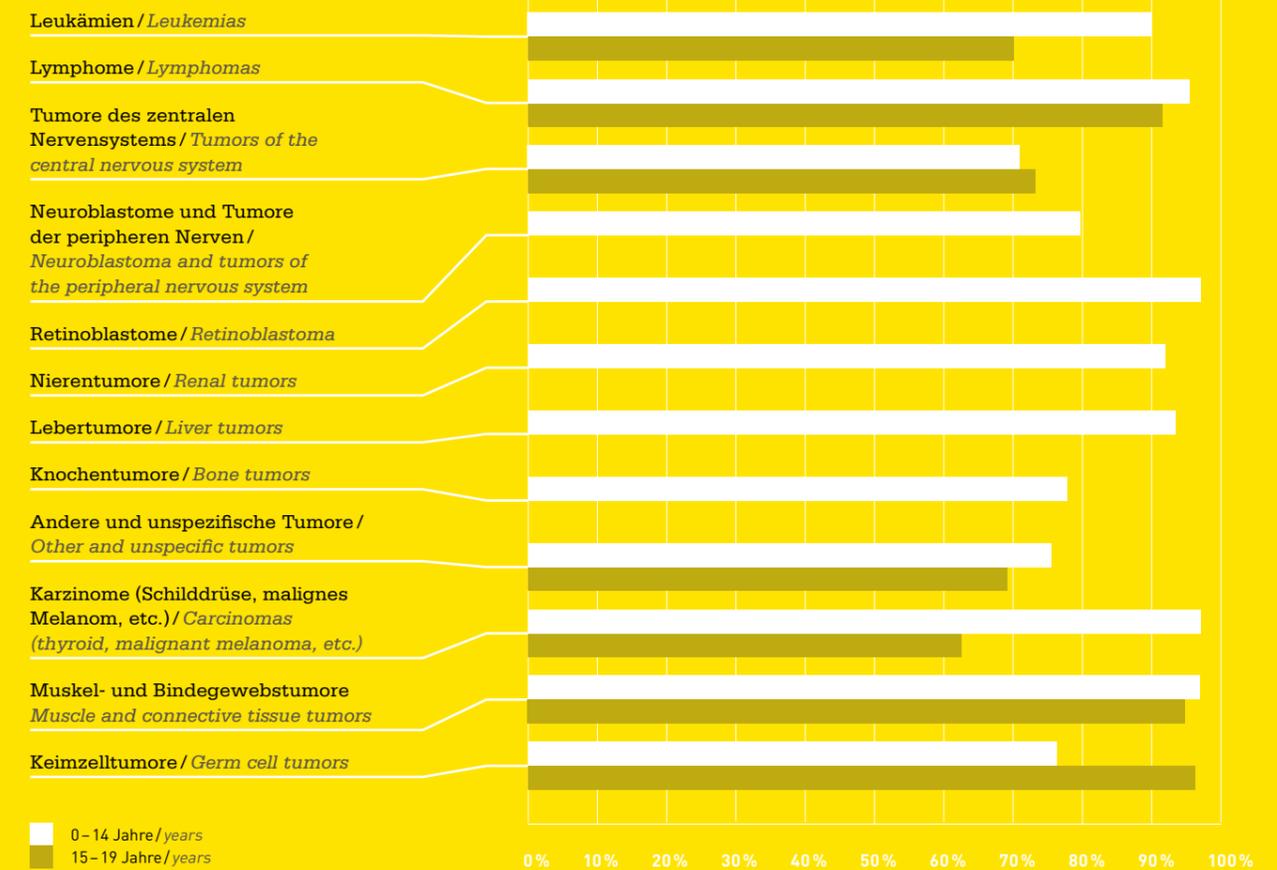
By advancing its pediatric precision oncology program ever further, St. Anna CCRI aims to increase the cure rate and the quality of survivorship for children and adolescents suffering from cancer.



Krebsinzidenz (Neuerkrankungen) im Kindes und Jugendalter, Österreich 2009–2018

Cancer incidence (new occurrences) in children and adolescents, Austria 2009–2018

Statistik Austria, 2021



## KINDERKREBSÜBERLEBEN FRÜHER & HEUTE

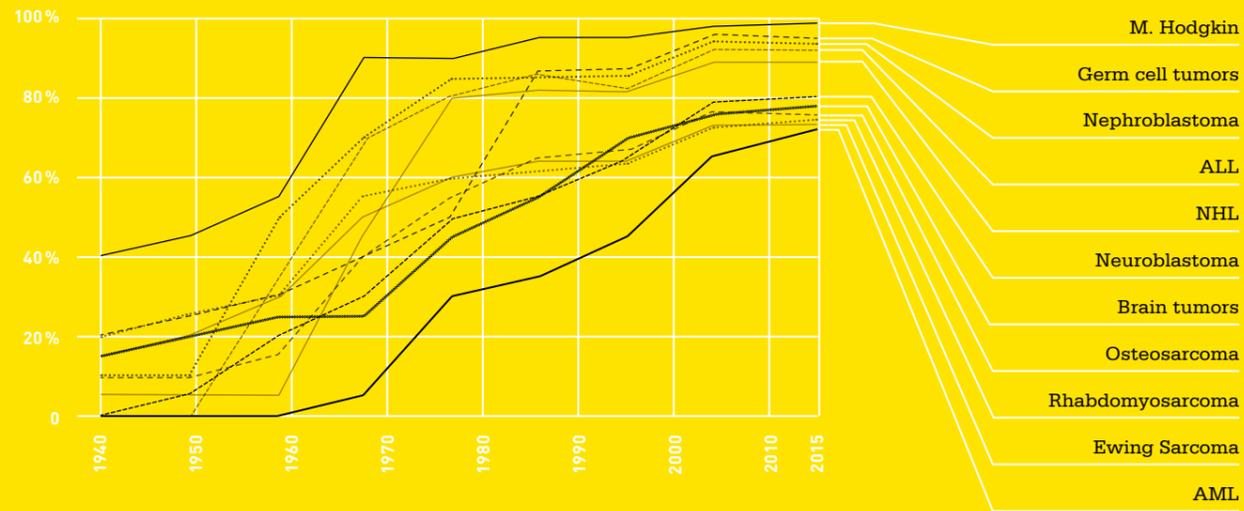
### CHILDHOOD CANCER SURVIVAL IN THE PAST AND TODAY

#### KINDERKREBS-ÜBERLEBENS RATEN IN DEUTSCHLAND, 1940 BIS 2015.

2-Jahres-Überleben bis 1980,  
ab 1980 5-Jahres-Überleben.

#### CHILDHOOD CANCER SURVIVAL RATES IN GERMANY, 1940 TO 2015.

2-year survival until 1980,  
5-year survival from 1980.



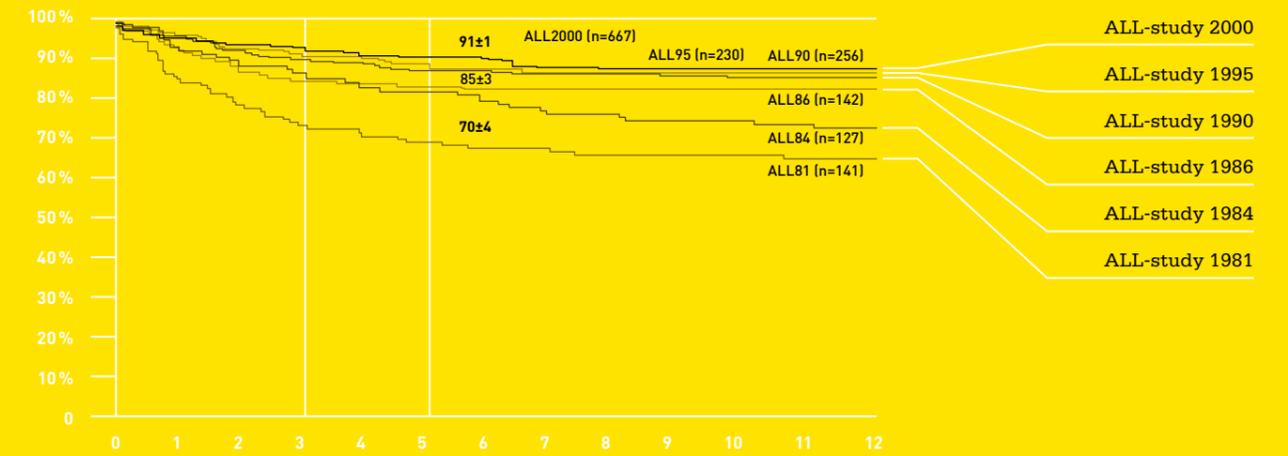
Burdach et al., Mol Cell Pediatr 2018

#### ALL: ANSTIEG DES LANGZEIT-ÜBERLEBENS IN ÖSTERREICH VON 70 AUF 91%

1.563 Kinder mit akuter lymphoblastischer  
Leukämie (ALL), eingeschlossen in Studien seit  
1981 bis heute (AUSTRIAN ALL-BMF 1981-2009).

#### ALL: INCREASE IN LONG-TERM SURVIVAL IN AUSTRIA FROM 70 TO 91%

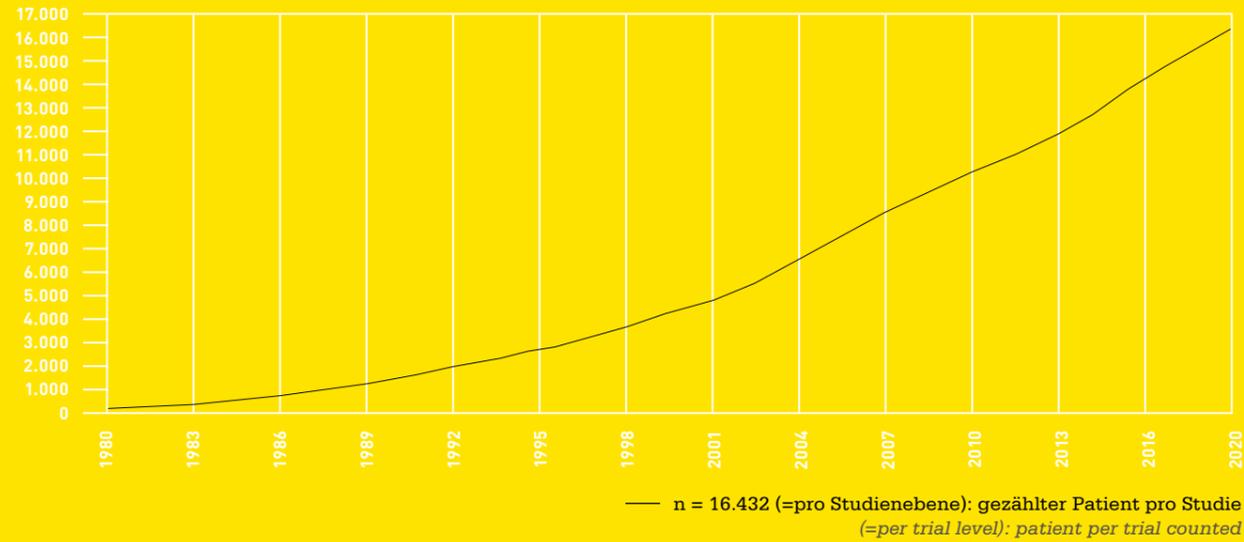
1,563 children with acute lymphoblastic leukemia  
(ALL) treated in studies from 1981 until today  
(AUSTRIAN ALL-BMF 1981-2009).



Eigene Daten / Own data

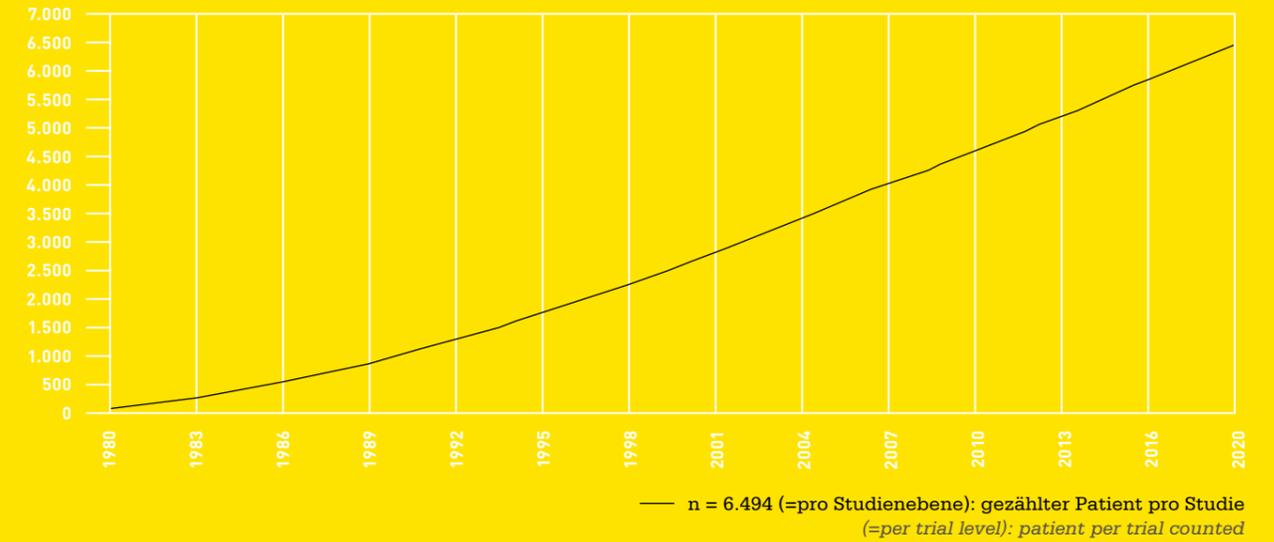
## JÄHRLICHES PATIENT:INNENAUFKOMMEN GESAMT IM S<sup>2</sup>IRP ALS KOORDINIERUNGS- ZENTRUM FÜR KLINISCHE STUDIEN

### ANNUAL TOTAL PATIENT ACCRUAL WITHIN S<sup>2</sup>IRP



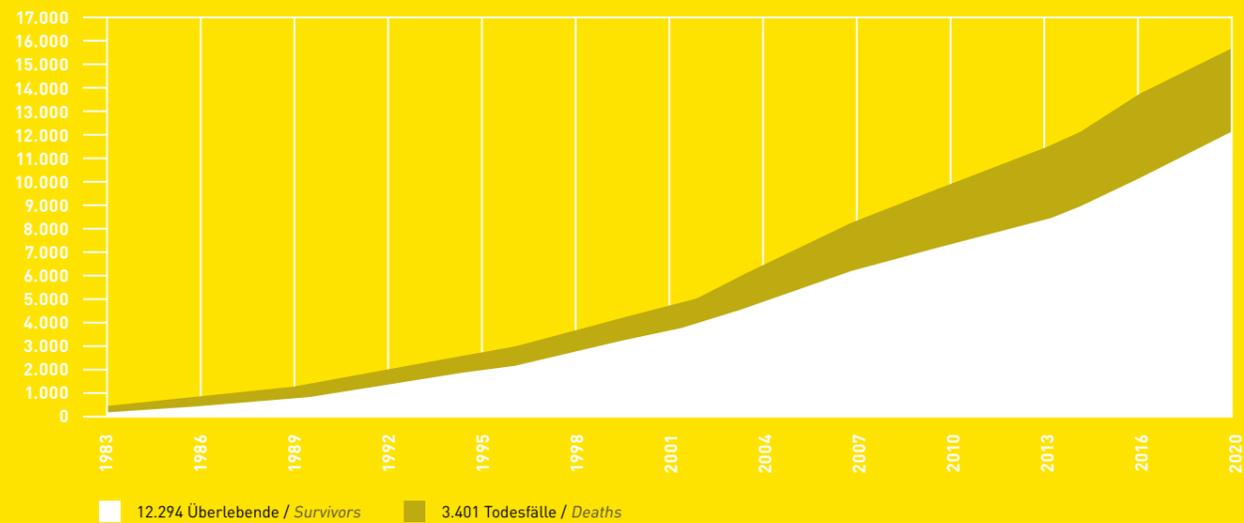
## JÄHRLICHES PATIENT:INNENAUFKOMMEN IN ÖSTERREICH

### ANNUAL AUSTRIAN PATIENT ACCRUAL



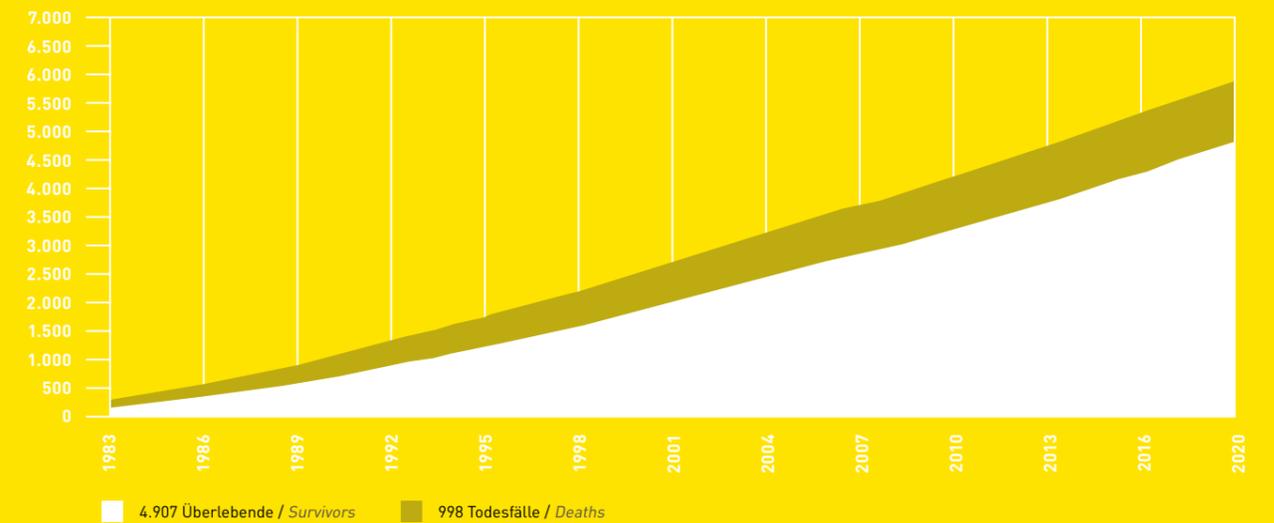
## TODES- UND ÜBERLEBENSFÄLLE

### DEATHS AND SURVIVORS

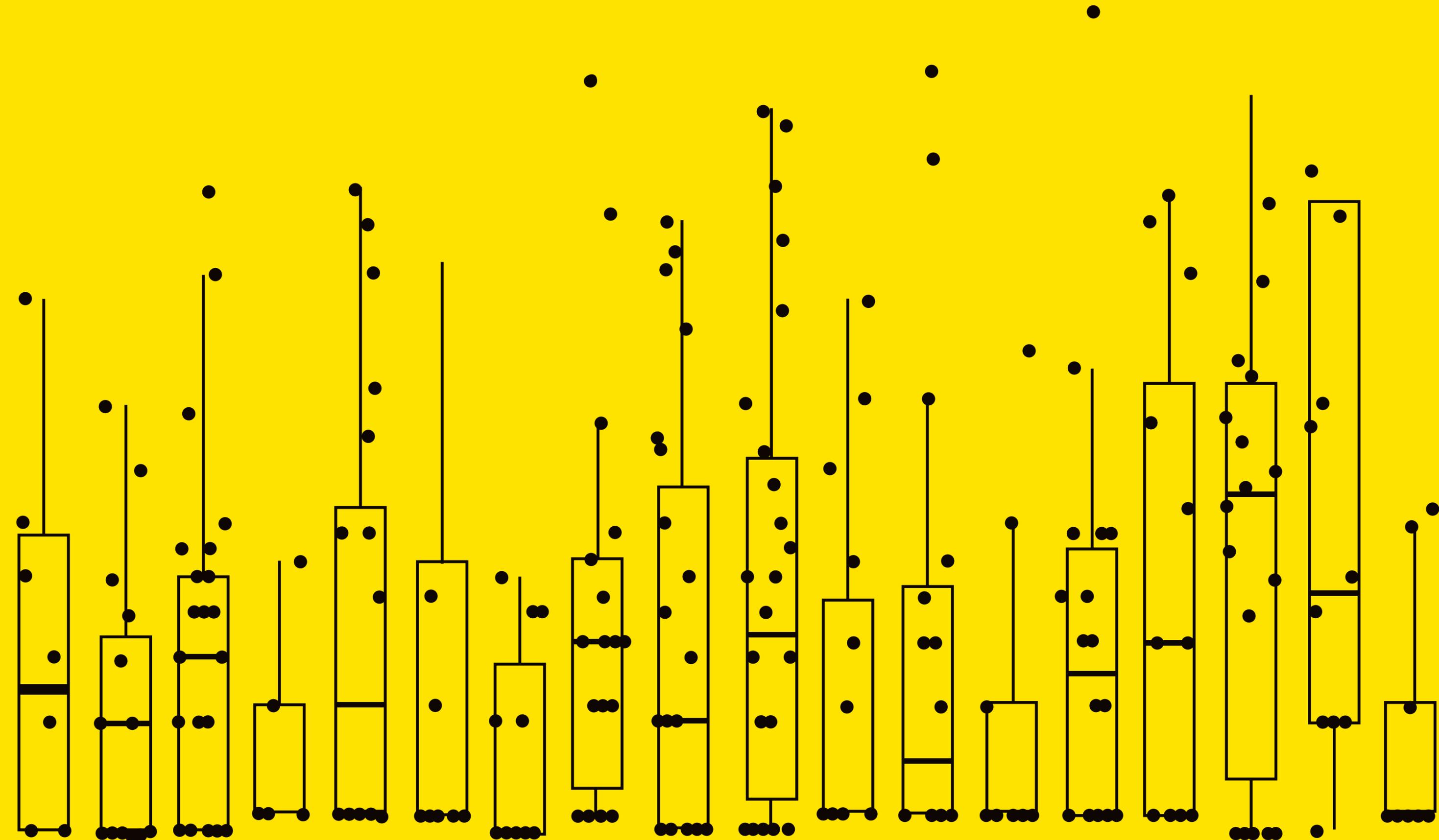


## TODES- UND ÜBERLEBENSFÄLLE

### DEATHS AND SURVIVORS



# TÄTIGKEITSBERICHT



Gleich zu Beginn des Jahres 2021 hat mit Davide Seruggia ein herausragender junger Wissenschaftler als Principal Investigator eine neue Forschungsgruppe zum Thema Pädiatrische Leukämie-Biologie an unserem Institut gegründet. Zuvor war er an der Harvard Medical School und am Boston Children's Hospital im Labor von Stuart Orkin tätig, der eine beeindruckende Erfolgsbilanz bei der Erforschung von Mechanismen der Blutbildung und hämatologischer Erkrankungen vorweisen kann. Für die Erforschung nicht-kodierender Bereiche in der DNA bei Hämatopoese und Leukämie erhielt Davide Seruggia einen der prestigeträchtigen Starting Grants des Europäischen Forschungsrats (ERC), den er an der St. Anna Kinderkrebsforschung für die Umsetzung seiner Forschungsprojekte nutzt.

Ebenfalls noch im ersten Quartal 2021 erhielt ein Forschungsteam um Heinrich Kovar den hoch dotierten Crazy 8 Initiative Award der Alex's Lemonade Stand Foundation (ALSF), einer führenden amerikanischen Fördereinrichtung speziell für Kinderkrebsforschung. Bei dieser Ausschreibung der ALSF war die St. Anna Kinderkrebsforschung die einzige Einrichtung, die für eine Förderung außerhalb der USA ausgewählt wurde. Dieser Grant bietet uns eine hervorragende Gelegenheit, die Knochensarkomforschung in einem wettbewerbsfähigen Team auf globaler Ebene voranzutreiben.

Eleni Tomazou und ihre internationalen Kolleg:innen erhielten einen prestigeträchtigen Life Science Grant für Präzisionsmedizin des Wiener Wissenschafts- und Technologiefonds (WWTF). Ihr innovativer diagnostischer Ansatz stellt eine minimalinvasive Alternative zu herkömmlichen Tumorbiopsien dar und ermöglicht eine rasche Erkennung und engmaschige Überwachung von Krebserkrankungen im Kindesalter. Damit sollen maßgeschneiderte Behandlungsentscheidungen für alle Patient:innen gewährleistet werden, ganz nach dem Motto: So viel Therapie wie nötig, aber so wenig wie möglich.

Zahlreiche weitere Förderzusagen beispielsweise vom österreichischen Wissenschaftsfonds FWF oder der europäischen Kommission (Programm Horizon 2020 und andere) unterstreichen die beeindruckende Performance unserer Forschungsgruppen. So waren im Jahr 2021 insgesamt 18 internationale und 28 nationale geförderte Projekte an der St. Anna Kinderkrebsforschung aktiv. Im Zuge dessen hat Ruth Ladenstein als Koordinatorin des Europäischen Referenznetzwerks für Pädiatrische Onkologie (ERN-PaedCan) den Grundstein dafür gelegt, dass das Netzwerk auf 81 Vollmitglieder aus 21 Ländern und elf angeschlossene Partner:innen aus sieben Ländern anwachsen konnte. Dies ist ein bemerkenswerter Erfolg, um die Behandlungsergebnisse bei Krebs im Kindesalter weiter zu verbessern und die derzeitigen Ungleichheiten in den verschiedenen Mitgliedsstaaten zu verringern.

Darüber hinaus ist Ruth Ladensteins Gruppe an zahlreichen anderen EU-Projekten beteiligt, unter anderem an einem neuen Förderprojekt (PanCareSurPass), das – ausgehend von zwei Vorprojekten – den sogenannten „Survivorship Passport“ weiter etabliert. Dabei handelt es sich um einen elektronischen Gesundheitspass, in dem alle Informationen gespeichert sind, die Ärzt:innen und andere Berufsgruppen für die qualitätsvolle Nachsorge von Personen benötigen, die in der Kindheit an Krebs erkrankt waren. Ziel ist es, dass diese Informationen bei einem Wechsel der Ärztin bzw. des Arztes oder des Wohnortes nicht mehr verloren gehen, weswegen der Survivorship Passport europaweit einheitlich eingesetzt werden soll.

Beim Round Table mit EU-Gesundheitskommissarin Stella Kyriakides, gemeinsam mit dem damaligen österreichischen Gesundheitsminister Wolfgang Mückstein sowie klinisch-wissenschaftlichen Expert:innen und Politiker:innen in der St. Anna Kinderkrebsforschung, wurde das Thema Kinderkrebs in den Fokus gerückt. Da sich pädiatrische Krebserkrankungen deutlich von jenen bei Erwachsenen unterscheiden, bedarf es auch einer speziell auf pädiatrische Tumoren zugeschnittenen Forschung, für die eigene Mittel und entsprechende Forschungsförderungen bereitgestellt werden müssen. Auch der dringende Bedarf an entsprechenden Medikamenten für die pädiatrische Onkologie sowie seit Langem notwendige Verbesserungen in der Langzeitnachsorge für Krebsüberlebende kamen bei diesem Meeting zur Sprache.

Ein wichtiges Zeichen für die Wichtigkeit von Interdisziplinarität bei Kinderkrebs konnte Sabine Taschner-Mandl setzen. Sie wurde als erste Molekularbiologin in das Executive Board der „International Society of Pediatric Oncology Europe – Neuroblastoma Group (SIOPEN)“ gewählt. Das erklärte Ziel dieser Studien-gruppe ist die Verbesserung des Überlebens von an Neuroblastom erkrankten Kindern. Als Spezialistin auf dem Gebiet der soliden Tumoren, insbesondere des Neuroblastoms möchte Sabine Taschner-Mandl die translationale Forschung und multidisziplinäre Teamarbeit fördern, sodass neue Therapien und bessere diagnostische Marker für diese Erkrankung identifiziert werden können.

Mehrere Wissenschaftler:innen der St. Anna Kinderkrebsforschung wurde im vergangenen Jahr mit Preisen und Ehrungen für ihre herausragende Arbeit ausgezeichnet. So wurde Michael Dworzak von der internationalen unabhängigen Bewertungs-Plattform „Expertscape“ zum „Worldwide Top-Leukemia-Expert“ ernannt, Benjamin Salzer und Charlotte Zajc vom Christian Doppler Labor für CAR-T-Zellen der nächsten Generation erhielten beide einen Life Science Research Award Austria, der Young Investigator Award der International Society for Transgenic Technologies ging an Davide Seruggia, Ruth Ladenstein wurde mit dem Clemens von Pirquet-Preis ausgezeichnet und ich selbst erhielt den ersten internationalen Işil Berat Barlan Award for Primary Immunodeficiency Diseases.

Darüber hinaus übernahm ich als Spezialist für angeborene seltene Erkrankungen der Blutbildung und des Immunsystems an der Medizinischen Universität Wien eine Professur im Fachbereich Kinderheilkunde und Entzündungsforschung. Diese Position ermöglicht mir eine intensiviertere Fortführung meiner Arbeit im Bereich der seltenen Erkrankungen. Auf diesem Gebiet sind vor allem ein tiefes molekulares Verständnis der Ursachen von immunologischen und hämatologischen Erkrankungen sowie die engmaschige Zusammenarbeit zwischen Kliniker:innen und Forscher:innen entscheidend für Weiterentwicklung und Erfolg.

Schließlich heißen wir mit großer Freude unseren neuen Institutsleiter, Leo Kager, willkommen. Er tritt die Nachfolge von Wolfgang Holter an, dem ich an dieser Stelle für sein langjähriges Engagement für das Institut danken möchte. Als leitender Onkologe am St. Anna Kinderspital bringt Leo Kager seine langjährige klinische Erfahrung und Perspektive ein und wird sich für eine weitere Stärkung der Partnerschaft zwischen der St. Anna Kinderkrebsforschung und dem St. Anna Kinderspital einsetzen.

## WISSENSCHAFTLICHE PUBLIKATIONEN

Im Jahr 2021 war der wissenschaftliche Output der St. Anna Kinderkrebsforschung, also die Veröffentlichung von über Jahre hinweg generierten Forschungsdaten in internationalen Fachzeitschriften, erfreulicherweise besonders hoch. Fast 100 Publikationen zum Thema Kinderkrebs und seltene Erkrankungen, davon mehrere mit Erst- und Senior-Autorschaft in renommierten Journalen wie *Blood*, *Nature Genetics*, *Science Immunology*, dem *Journal of Clinical Oncology* und *Nature Communications* ist für ein kleines Forschungsinstitut mehr als beachtlich. Eine Auswahl der besten Arbeiten zu den jeweiligen Themenbereichen ist im Folgenden zusammengefasst.

### Solide Tumoren

In der Grundlagenforschung zum Thema Neuroblastom identifizierte die Gruppe um Sabine Taschner-Mandl gemeinsam mit Forschungspartner:innen eine natürliche „Bremse“ gegen bösartige Neuroblastome. Das Team hat aufgedeckt, dass Neuroblastomzellen durch ein Signalmolekül in ihrem ungebremsten Wachstum gestoppt werden, das von, im Tumor vorhandenen sog. Schwannzellen, gebildet wird. Darüber hinaus haben diese Schwannzellen auch regenerative Auswirkungen auf verletzte Nervenfasern (*Weiss et al., Nat Commun 2021*).

In einer weiteren Arbeit haben Sabine Taschner-Mandl und Kolleg:innen Knochenmarkmetastasen erstmals Zelle für Zelle analysiert, um als Grundlage für Therapie-konzepte die genaue Zellzusammensetzung metastasierender Tumorzellen zu erforschen (*Lazic et al., Cancers [Basel] 2021*).

Die Bildanalyse von soliden Krebszellen spielt sowohl in der Diagnostik als auch in der Forschung eine wichtige Rolle. Komplexe Algorithmen, wie Deep-Learning-Architekturen, ermöglichen die Erkennung selbst subtiler biologischer Veränderungen und profitieren gleichzeitig von der statistischen Aussagekraft der Analyse Tausender von Zellen. Aus diesem Grund hat das Team um Sabine Taschner-Mandl erstmals systematisch mehrere Deep-Learning-Architekturen mit klassischen Ansätzen verglichen, um Tumorzellkerne in komplexen Fluoreszenzmikroskopiebildern mittels künstlicher Intelligenz genau zu erkennen und zu trennen. Die automatisierte Bildgebung kann langfristig dazu beitragen, Patient:innen für eine personalisierte Krebsbehandlung zu stratifizieren (*Kromp et al., IEEE Trans Med Imaging 2021*).

Das Ewing-Sarkom ist ein pädiatrischer Knochenkrebs mit hohem Potenzial, bereits sehr früh Metastasen zu bilden. Die Gesamtüberlebensrate bei metastasierter Erkrankung liegt unter 30 Prozent. Eine Publikation der Gruppe von Heinrich Kovar zeigte, dass die Hemmung des YAP/TAZ-Signalwegs die Ausbreitung und Metastasierung von Ewing-Sarkomzellen verhindern kann und damit ein vielversprechendes neues therapeutisches Ziel für eine Krankheit darstellt, bei der seit Jahrzehnten gleichbleibend schlechte klinische Ergebnisse erzielt werden (*Bierbaumer et al., Oncogenesis 2021*).

Die Gruppe von Eleni Tomazou wiederum untersucht, wie Fusions-Onkoproteine gesunde Zellen auf Bösartigkeit umprogrammieren, um dieses Wissen für die Präzisionsmedizin bei pädiatrischen Sarkomen zu nutzen. In einer rezenten Studie nutzten die Forscher:innen die charakteristischen epigenetischen Merkmale von kindlichen Knochtumoren, die sich aus kleinen Fragmenten der Tumor-DNA im Blut („Flüssigbiopsien“) erschließen, um Tumoren zu erkennen, zu klassifizieren und zu überwachen. Dieser Ansatz verspricht, die personalisierte Diagnostik und möglicherweise zukünftige Therapien von kindlichen Tumoren wie dem Ewing-Sarkom zu verbessern (*Peneder et al., Nat Commun 2021*).

Bei der Langerhanszell-Histiozytose (LCH), einer seltenen vererbten Erkrankung unbekannter Ursache, die in ihrer aggressivsten Ausprägung einen bösartigen Verlauf nehmen kann, konnte die Gruppe um Caroline Hutter herausfinden, dass lebensbedrohliches Organversagen nicht durch die typischen LCH-Zellen verursacht wird. Vielmehr dürften dafür andere Blut- und Knochenmarkzellen mit einer bestimmten Mutation verantwortlich sein, die eine Entzündungsreaktion im ganzen Körper auslösen (*Eder et al., Blood Adv 2021*).

#### Klinische Studien

Darüber hinaus fanden klinische Studien aus der Gruppe um Ruth Ladenstein Eingang in die Leitlinien für Behandlungsentscheidungen bei Patient:innen mit Neuroblastom, dem häufigsten Tumor bei Kleinkindern. So gibt es für besonders aggressive Hochrisiko-Neuroblastome verschiedene Kombinations-Chemotherapien, die den Tumor vor einer Operation verkleinern und maßgeblich die Überlebenschancen beeinflussen. Die europäische Neuroblastom-Studiengruppe der International Society of Pediatric Oncology (SIOPEN) hat unter federführender Beteiligung der St. Anna Kinderkrebsforschung zwei der effektivsten Kombinationstherapien in einer internationalen Studie verglichen. Das Ergebnis: gleiche Wirksamkeit, aber deutlich weniger Nebenwirkungen bei jenem Therapieschema, das als Standard der europäischen Neuroblastom-Studiengruppe gilt (*Garaventa et al., J Clin Oncol 2021*).

Eine andere von Ruth Ladensteins Gruppe koordinierte klinische Studie zeigte, dass Kinder mit Hochrisiko-Neuroblastom eine schlechtere Überlebenschance haben, wenn sie genetische Veränderungen im *ALK*-Gen aufweisen. Betroffene Kinder und Jugendliche sollten daher im Rahmen zukünftiger Studien eine gezielte Behandlung mit einem *ALK*-Inhibitor erhalten (*Bellini et al., J Clin Oncol 2021*).

Auf nationaler Ebene wurden Langzeitergebnisse und genomische Profile in der österreichischen Neuroblastom-Studie A-NB94 untersucht. Die Studie wandte eine risikoadaptierte Behandlungsstrategie an, bei der das Stadium, das Alter und der *MYCN*-Amplifikationsstatus zur Stratifizierung herangezogen wurden. Der risikangepasste Ansatz führte bei der Mehrheit der Patient:innen zu einem ausgezeichneten Langzeitüberleben bei akzeptabler Langzeitmorbidität (*Fiedler et al., Cancers [Basel] 2021*).

Die internationale randomisierte FORUM-Studie unter federführender Beteiligung von Christina Peters, afflierte Klinikerin der St. Anna Kinderkrebsforschung, wiederum beschäftigte sich mit der Frage, ob bei Kindern mit akuter lymphatischer Leukämie (ALL) und hohem Risiko, im Vorfeld einer allogenen hämatopoetischen Stammzelltransplantation (HSZT) auf eine Ganzkörperbestrahlung verzichtet werden kann, um Langzeitnebenwirkungen zu vermeiden. Die Ganzkörperbestrahlung vor HSZT erwies sich allerdings als die bessere Strategie zur Vermeidung von Rückfällen und wird daher für alle Kinder mit Hochrisiko-ALL im Alter von über vier Jahren empfohlen (*Peters et al., J Clin Oncol 2021*).

#### Leukämien & Lymphome, molekulare Mikrobiologie

Die Gruppe von Sabine Strehl stellte zum Thema Leukämieentwicklung ein Modellsystem vor, das zwei neuartige biologische Werkzeuge zur Untersuchung der Leukämogenese leistungsstark verbindet, nämlich sogenannte humane induzierte pluripotente Stammzellen und die molekulare Gen-Schere CRISPR-Cas9. Das Team kombinierte diese Instrumente in einem innovativen Ansatz, der die Erstellung von *In-vitro*-Krankheitsmodellen und die Untersuchung menschlicher Zellen erleichtert, die die schrittweisen Prozesse der normalen Zellentwicklung und der Krebsentwicklung rekapitulieren (*Fortschegger et al., Int J Mol Sci 2021*).

Eine Publikation der Gruppe um Michael Dworzak beschäftigte sich mit der Qualitätskontrolle der Durchflusszytometrie zur Beurteilung des Therapieansprechens bei kindlicher ALL. So konnte gezeigt werden, dass das Training von Laborteams durch erfahrene Schulungspartner:innen und durch kontinuierliches Feedback die Leistung bei der Erkennung und Quantifizierung der minimalen Resterkrankung von pädiatrischen ALL-Patient:innen deutlich verbessert (*Maurer-Granofszky et al., Cancers [Basel] 2021*).

Eine Publikation aus der ehemaligen Gruppe von Oskar Haas beschäftigte sich mit dem Chromosom 21 –, dem bei ALL am häufigsten betroffenen Chromosom. Viele seiner numerischen und strukturellen Anomalien definieren diagnostisch und klinisch wichtige Untergruppen. Die Arbeit gibt einen umfassenden Überblick über alle diese Typen sowie ihre jeweilige subtypspezifische Häufigkeit und Verteilung (*Abbasi et al., Cancers [Basel] 2021*).

Ein Beitrag der Gruppe um Thomas Lion zum Thema invasive Virusinfektion während intensiver Chemotherapie zeigte, dass eine Virusinfektion oder -reaktivierung wahrscheinlich für einen Teil der fiebrigen Episoden solcher Patient:innen verantwortlich ist. Das würde ein Screening auf Virusinfektionen rechtfertigen. Der Nachweis einer hochgradigen Virämie bei Fehlen von Hinweisen auf andere mikrobielle Infektionen könnte als Grundlage für eine selektivere Verabreichung von Antibiotika dienen (*Obrova et al., Am J Hematol 2021*).

Die gleiche Gruppe war außerdem an der Entwicklung neuer bioinformatischer Algorithmen für eine optimierte Detektion von Mutationen in Krebsgenen beteiligt. Mutationen in kritischen Genen können als Krebsstreiber wirken und den Effekt von Krebsmedikamenten, die auf diese Gene abzielen, verändern. Daher ist es wichtig, solche Mutationen zu identifizieren und die Anzahl der Zellen, die diese genetischen Veränderungen aufweisen, zu überwachen. Mit diesem Wissen können gegebenenfalls rechtzeitig alternative Behandlungsstrategien eingesetzt werden (*Popitsch et al., Bioinformatics 2021*).

Auf dem Gebiet der akuten myeloischen Leukämie (AML) wurde unter Mitarbeit von Eleni Tomazous Gruppe ein neuer Ansatz entdeckt, der erklärt, wie Proteinkomplexe Krebsgene regulieren. Ein möglicher Treiber für die Aktivierung von Leukämie-Genen ist demnach die sehr dynamische Komplexbildung von NUP89-Fusionsproteinen mit anderen Proteinen, eine sogenannte biomolekulare Kondensation. Diese Erkenntnis könnte dazu beitragen, effektivere und zielgerichtete Krebstherapien zu entwickeln, von denen insbesondere an AML erkrankte Kinder profitieren könnten (*Terlecki-Zaniewicz et al., Nat Struct Mol Biol 2021*).

#### Computational Biology, Modelle & Core Facilities

Die Gruppe um Florian Halbritter hatte einen wesentlichen Anteil bei einer Publikation zum Thema Histon-Modifikationen bei genomischer Prägung: Die Wissenschaftler:innen entdeckten 71 bisher unbekannte geprägte Gene in Präimplantationsblastozysten. Die Studie ergab, dass die Prägung durch unterschiedliche Histonmarkierungen in der Präimplantationsblastozyste eine bedeutendere Rolle spielt als kanonische DNA-Methylierungsmechanismen (*Santini et al., Nat Commun 2021*).

#### Immunologie, Hämatologie & Immuntherapie

Meine eigene Forschungsgruppe entdeckte beispielsweise einen neuen Subtyp einer genetischen Erkrankung, die als hämophagozytische Lymphohistiozytose (HLH) bezeichnet wird. Diese neuen Erkenntnisse ermöglichen HLH-Patient:innen eine raschere genetische Diagnose und bilden die Grundlage sowohl für ein tieferes Verständnis der Biologie der HLH als auch für die Erforschung neuer therapeutischer Ansätze (*Kalinichenko et al., Blood 2021*).

In einem weiteren Projekt untersuchten wir klinische, immunologische und immunphänotypische Merkmale eines angeborenen Interleukin-21-Mangels, einer seltenen Erkrankung, die wir seinerzeit als Erste in der Welt beschrieben hatten. Interleukin-21 ist an der Proliferation, dem Überleben, der Differenzierung und der Funktion von lymphoiden, myeloischen und epithelialen Zellen beteiligt (*Cagdas et al., J Clin Immunol 2021*). Die Analyse unterstreicht, wie wichtig es ist, eine hämatopoetische Stammzelltransplantation (HSC-T) so früh wie möglich nach der molekularen Diagnose in Betracht zu ziehen, da das Ergebnis nach einer HSC-T von früheren chronischen Infektionen und Organschäden abhängt.

Gemeinsam mit internationalen Partner:innen ist es uns außerdem gelungen, die sogenannte *Human Phenotype Ontology* (HPO) weiterzuentwickeln. Die HPO stellt ein standardisiertes Vokabular für phänotypische Anomalien zur Verfügung, die bei menschlichen Krankheiten auftreten. In der Arbeit wurden Symptome für seltene angeborene Immunstörungen genauer und detaillierter beschrieben, um weltweit eine einheitliche Sprache zur Verfügung zu haben und damit die Diagnose sehr seltener Krankheiten überhaupt erst zu ermöglichen (*Haimel et al., J Allergy Clin Immunol*).

Eine andere Studie unserer Gruppe kam zu dem Ergebnis, dass der Transkriptionsfaktor Helios aus der Ikaros-Familie der Zinkfinger-Transkriptionsfaktoren für einen neu entdeckten angeborenen Immundefekt verantwortlich ist. Ein in dieser Forschungsarbeit beobachteter Helios-abhängiger epigenetischer Regulationsdefekt stellt einen neuartigen molekularen Mechanismus dar, der zu einem drastischen Verlust des Immungleichgewichts führt. Diese Studie markiert einen bedeutsamen Fortschritt in unserem Verständnis der genauen Rolle von Helios in der Blutbildung und Immunität. Sie wird zukünftige Bemühungen unterstützen, diese Regulatoren möglicherweise sowohl bei Immunschwäche als auch bei bösartigen Tumoren für die gezielte Behandlung zu nutzen (*Shahin et al., Science Immunol 2021*).

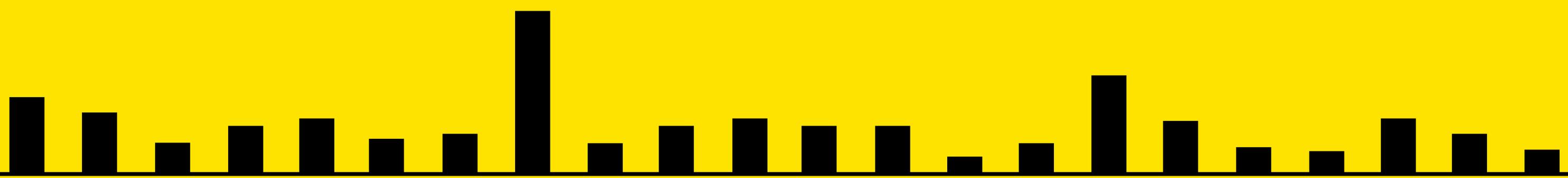
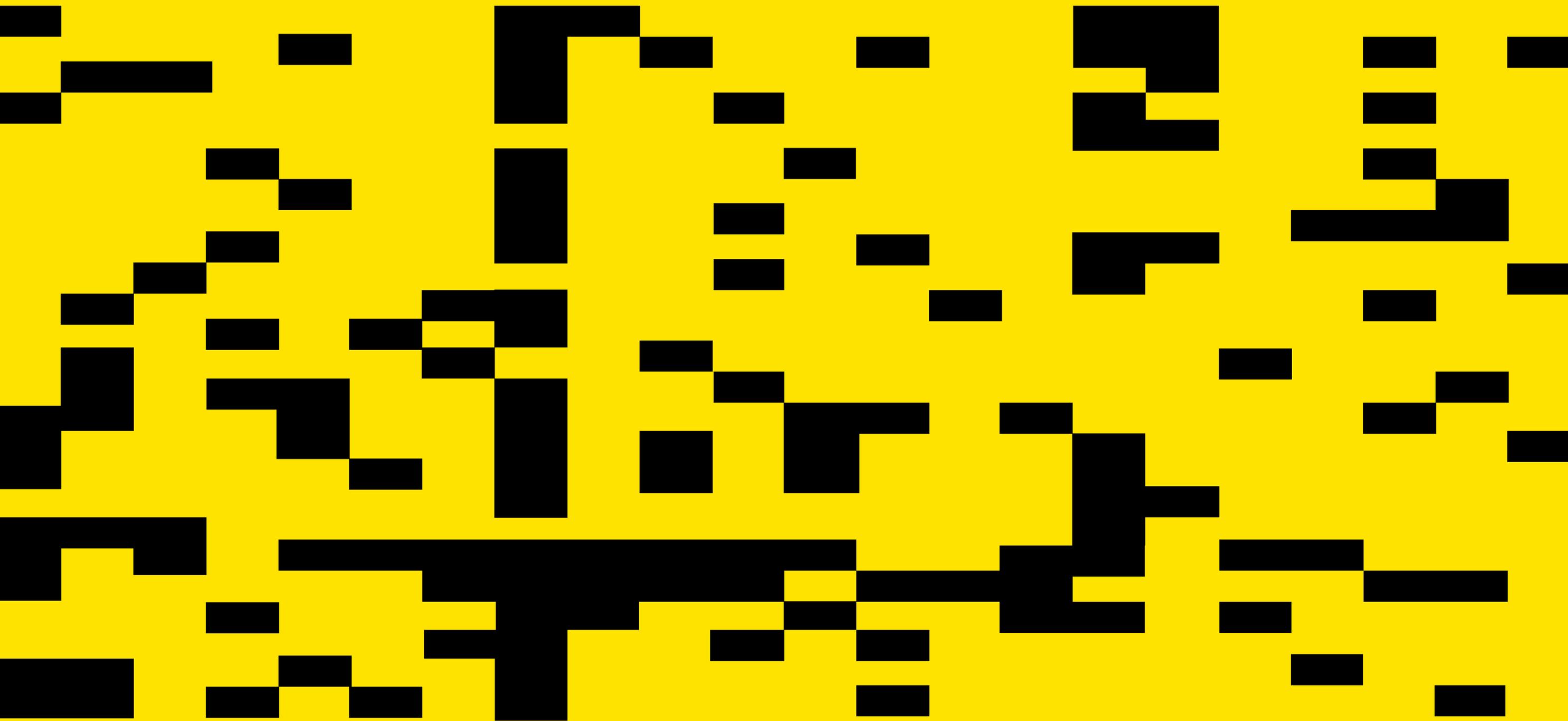
Schließlich konnten wir in einem weiteren Forschungsprojekt und in Zusammenarbeit mit mehreren Zentren auf der ganzen Welt den zugrunde liegenden Mechanismus einer bisher unbekannt Immunstörung entschlüsseln, die zu schweren Immundefekten führt. Es hat sich gezeigt, dass diese Störung durch Mutationen verursacht wird, die das Signalmolekül Milz-Tyrosinkinase (SYK) betreffen (*Wang et al., Nat Genet. 2021*). Personen mit einer solchen molekularen Störung im SYK-Gen steht bereits eine mögliche zielgerichtete Behandlung mit einem SYK-Inhibitor zur Verfügung, da dieses Medikament bereits für andere Erkrankungen zugelassen ist. Innerhalb unserer Studie wurde noch keine Person mit einem SYK-Inhibitor behandelt. Zukünftige Studien werden aber untersuchen, ob ein solcher Ansatz

als personalisierte Therapieoption infrage kommt, insbesondere bei schweren Formen der Erkrankung, die mit anderen Therapieoptionen nicht gut kontrolliert werden können.

Dank unserer engagierten Mitarbeiter:innen, unserer großzügigen Spender:innen, unserer zuverlässigen Partner:innen und aller, die an unseren wissenschaftlichen Bemühungen beteiligt waren, ist das Jahr 2021 ein schönes Beispiel für das, was wir leisten können. Letztendlich haben wir sogar mehr erreicht, als wir uns erhofft hatten. Aus meiner Sicht haben wir daher allen Grund, mit Zuversicht und Hoffnung in eine Zukunft zu blicken, in der sich die Chancen für krebskranke Kinder und Jugendliche stetig verbessern.



**Univ.-Prof. Dr. Kaan Boztug**  
Wissenschaftlicher Direktor & Geschäftsführer



Die St. Anna Kinderkrebsforschung wird zum überwiegenden Teil durch private Spenden finanziert. Für den Betrieb des Forschungsinstitutes werden jährlich mehr als zehn 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 haben uns gegenüber unseren Spender:innen zu einer sparsamen und effizienten Verwendung der uns anvertrauten Gelder verpflichtet. Die St. Anna Kinderkrebsforschung ist gemäß § 22 Vereinsgesetz als großer Verein zu einer qualifizierten Rechnungslegung und Aufstellung eines Jahresabschlusses verpflichtet. Die Finanzgebarung und der Jahresabschluss werden zudem jährlich durch einen Wirtschaftsprüfer geprüft 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 Steuerberater und Wirtschaftsprüfer. Für die jährliche Neuverleihung auditiert ein Wirtschaftsprüfer zusätzlich zur Abschlussprüfung die transparente und ordnungsgemäße Verwendung der Mittel gemäß den strengen Richtlinien des Spendengütesiegels.

Auf Grundlage eines vom Bundesministerium für Finanzen 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 Expert:innen – mit der Aufgabe der laufenden Evaluierung der wissenschaftlichen Arbeiten und 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

### SOURCE OF FUNDS

		2020	2021
I.	Spenden		
	a) ungewidmete	€ 0,00	€ 0,00
	b) gewidmete	€ 24.898.666,38	€ 14.264.254,32
II.	Mitgliedsbeiträge	€ 940,00	€ 860,00
III.	Betriebliche Einnahmen		
	a) betriebliche Einnahmen aus öffentlichen Mitteln	€ 0,00	€ 0,00
	b) sonstige betriebliche Einnahmen	€ 1.009.922,50	€ 2.120.478,91
IV.	Subventionen und Zuschüsse der öffentlichen Hand	€ 0,00	€ 0,00
V.	Sonstige Einnahmen		
	a) Vermögensverwaltung	€ 36.610,69	€ 42.326,90
	b) sonstige andere Einnahmen sofern nicht in Punkt I bis IV festgehalten	€ 0,00	€ 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
<b>TOTAL</b>		<b>€ 25.946.139,57</b>	<b>€ 16.427.920,13</b>

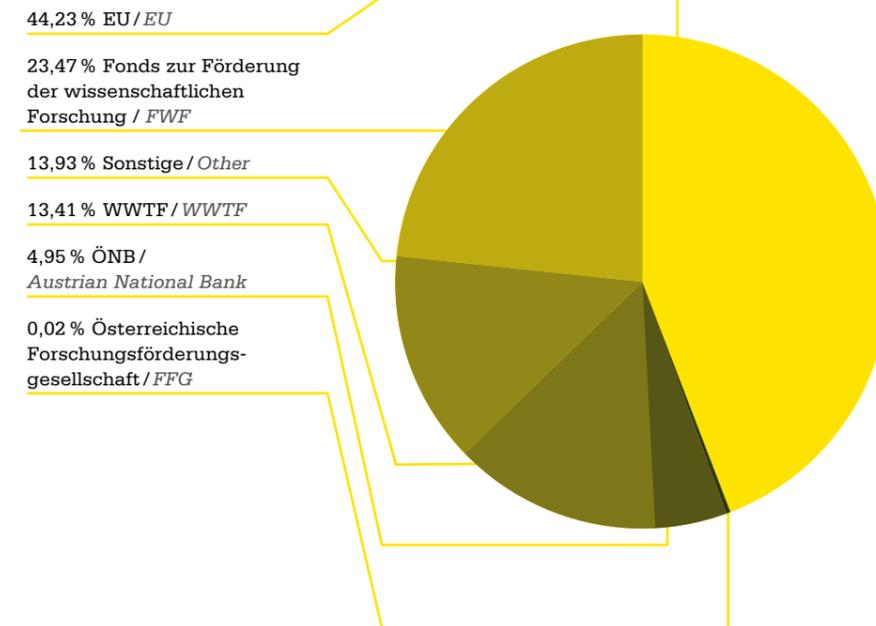
## MITTELVERWENDUNG

### USE OF FUNDS

		2020	2021
I.	Leistungen für die statutarisch festgelegten Zwecke	€ 10.481.817,55	€ 10.573.462,96
II.	Spendenwerbung	€ 892.554,21	€ 1.135.445,65
III.	Verwaltungsaufwand	€ 384.097,91	€ 533.195,24
IV.	Sonstiger Aufwand sofern nicht unter Punkt I bis III festgehalten	€ 58.253,00	€ 107.366,00
V.	Zuführung zu Passivposten für noch nicht widmungsgemäß verwendete Spenden bzw. Subventionen	€ 14.129.416,90	€ 4.078.450,28
VI.	Zuführung von Rücklagen	€ 0,00	€ 0,00
VII.	Jahresüberschuss	€ 0,00	€ 0,00
<b>TOTAL</b>		<b>€ 25.946.139,57</b>	<b>€ 16.427.920,13</b>

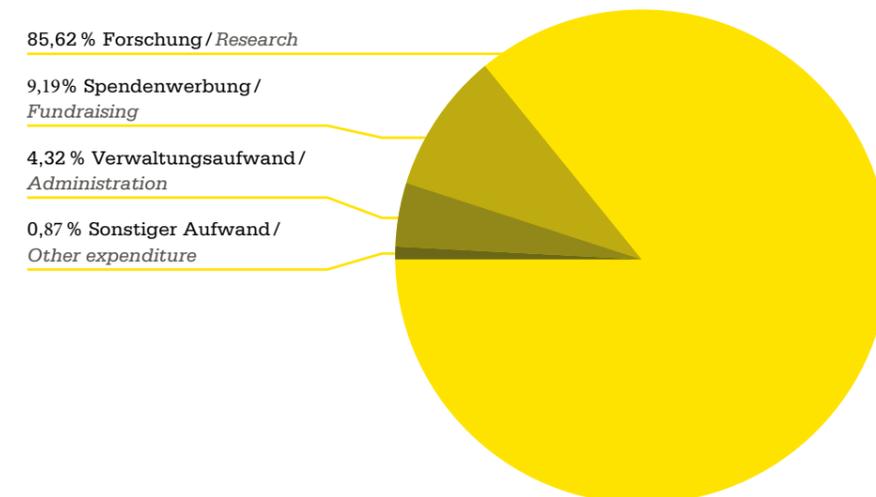
## KOMPETITIVE DRITTMITTEL IM JAHR 2021

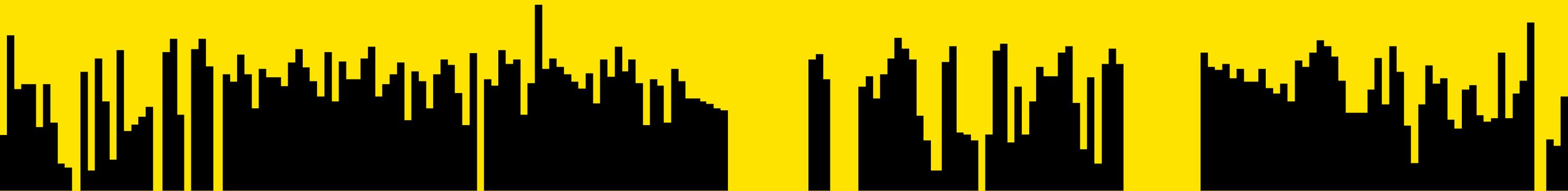
### COMPETITIVE THIRD-PARTY FUNDS IN 2021



## ZUWEISUNG DER GELDMITTEL IM JAHR 2021

### ALLOCATION OF FUNDS 2021





**INTERNATIONAL FREMDGEFÖRDERTE PROJEKTE**

**European rare disease research coordination and support action (ERICA)**

CCRI responsible Principal Investigator: Ruth Ladenstein  
Coordinator: Alberto Pereira, Leiden University Medical Center, the Netherlands  
H2020 Grant Agreement ID – 964908  
Duration: 01/03/2021 to 28/02/2025

**Tracking Ewing sarcoma origin by developmental and trans-species genomics (ORIGIN)**

CCRI responsible Principal Investigator and Coordinator: Heinrich Kovar  
Additional CCRI Principal Investigators: Martin Distel, Florian Halbritter  
Alex 's Lemonade Stand Foundation (ALSF), Crazy 8 Initiative Award Program  
Duration: 01/03/2021 to 28/02/2025

**Functional Interrogation of Non-coding DNA Sequences in leukemia development and drug resistance (FIND-seq)**

CCRI responsible Principal Investigator and Awardee: Davide Seruggia  
H2020 ERC Starting Grant, Grant Agreement ID - 947803  
Duration: 01/03/2021 to 28/02/2026

**Implementing the digital survivorship passport to improve person-centered survivorship care (PanCareSurPass)**

CCRI responsible Principal Investigator: Ruth Ladenstein  
Coordinator: Desiree Grabow, Universitätsmedizin Mainz  
H2020 Grant Agreement ID – 899999  
Duration: 01/03/2021 to 28/02/2025

**Twinning research and education to improve survival in childhood solid tumors in Lithuania (TREL)**

CCRI responsible Principal Investigator: Ruth Ladenstein  
Coordinator: Jelena Rascon, Vilnius University Hospital Santaros Klinikos, Lithuania  
H2020 Grant Agreement ID – 952438  
Duration: 01/01/2021 to 31/12/2023

**Validation of Actionable Genomic Aberrations in a Paediatric Oncology Network for Doctorate students (VAGABOND)**

CCRI responsible Principal Investigator: Heinrich Kovar  
Coordinator: Jan Molenaar, Prinses Máxima Centrum, the Netherlands  
H2020 Grant Agreement ID - 956285  
Duration: 01/12/2020 to 30/11/2024

**Integrated and standardized NGS workflows for Personalised therapy (INSTAND-NGS4P)**

CCRI responsible Principal Investigators: Ruth Ladenstein, Kaan Boztug  
Coordinator: Kurt Zatloukal, Medical University, Graz  
H2020 Grant Agreement ID – 874719  
Duration: 01/01/2020 to 31/05/2025

**Charting key molecules and mechanisms of human immune Dysregulation (iDysChart)**

CCRI responsible Principal Investigator and Awardee: Kaan Boztug  
H2020 - ERC Consolidator Grant, Grant Agreement ID - 820074  
Duration 01/06/2019 to 31/05/2024

**Childhood Leukemia: Overcoming distance between South America and Europe Regions (CLOSER)**

CCRI responsible Principal Investigator: Sabine Strehl  
Coordinator: Mireia Camos, Hospital Sant Joan de Déu de Barcelona, Spain  
H2020 Grant Agreement ID - 825749  
Duration: 01/01/2019 to 31/12/2023

**European Joint Programme on Rare Diseases (EJP RD)**

CCRI responsible Principal Investigator: Ruth Ladenstein  
Coordinator: Daria Julkowska, Inserm, France  
H2020 Grant Agreement ID - 825575  
Duration: 01/01/2019 – 31/12/2023

**Comprehensive heatmap for TKI-resistance of mutations in BCR-ABL1 kinase domain**

CCRI responsible Principal Investigator: Thomas Lion  
Incyte Corporation - Incyte open calls  
Duration: 01/01/2019 to 31/07/2021

**Predictive In-silico Multiscale Analytics (PRIMAGE)**

CCRI responsible Principal Investigator: Ruth Ladenstein  
Coordinator: Luis Martí-Bonmatí, La Fe, Spain  
H2020 Grant Agreement ID – 826494  
Duration: 01/12/2018 to 30/11/2022

**European Reference Network on Paediatric Cancer Connecting Facility-3**

CCRI responsible Principal Investigator and Coordinator: Ruth Ladenstein  
EU-CEF Grant Agreement ID – INEA/CEF/ICT/A2020/2393583  
Duration: 01/09/2021 to 31/08/2023

**ERN-PAEDCAN Partner: Paediatric Rare Tumours Network – European Registry (PARTNER)**

CCRI responsible Principal Investigator: Ruth Ladenstein  
H2020 Grant Agreement ID – 777336  
Duration: 01/01/2018 to 31/12/2021

**Paediatric Cancer European Reference Network (ERN PaedCan)**

CCRI responsible Principal Investigator and Coordinator: Ruth Ladenstein  
EU-3HP Grant Agreement ID – 739538  
Duration: 01/03/2017 to 28/02/2022

**ITCC Pediatric Preclinical POC Platform (ITCCP4)**

CCRI responsible Principal Investigator: Heinrich Kovar  
Coordinator: Stefan Pfister, Deutsches Krebsforschungszentrum DKFZ, Germany  
EU-IMI Grant Agreement ID – 116064  
Duration: 01/01/2017 to 31/12/2022

**Children's Liver Tumour European Research Network (ChiLTERN)**

CCRI partner and Principal Investigator: Heidrun Boztug  
Coordinator: Keith Wheatley, University of Birmingham, UK  
H2020 Grant Agreement ID - 668596  
Duration: 01/01/2016 to 31/12/2021

**Modeling Langerhans Cell Histiocytosis with patient derived iPSCs**

CCRI responsible researcher: Giulio Abagnale (supervisor: Caroline Hutter)  
Histiocytosis Association  
Duration: 01/03/2021 to 28/02/2025

## NATIONAL FREMDGEFÖRDERTE PROJEKTE 2021

### Decoding the epigenome and its regulation in neuroblastoma

CCRI responsible researcher: Irfete Fetahu  
(supervisor: Sabine Taschner-Mandl)  
Grant from the Austrian Science Fund (FWF), Stand-Alone Project, ID - P 35072  
Duration: 01/12/2021 to 30/11/2024

### FemTECH for HR-NBL

CCRI responsible researcher: Sylvia Ramirez  
(supervisor Sabine Taschner-Mandl)  
Grant from the Austrian Research Promotion Agency (FFG), FemTech Praktika – Fellowship, ID - 891784  
Duration: 17/12/2021 to 14/06/2022

### Interplay of fusion genes and cellular context in sarcoma

CCRI responsible Principal Investigator: Eleni Tomazou  
Grant from the Austrian Science Fund (FWF), Stand-Alone Project, ID - P 34958  
Duration: 01/10/2021 to 30/09/2025

### Comprehensive cell contact tracing (C3T)

CCRI responsible Principal Investigator: Florian Halbritter  
Additional CCRI Principal Investigators: Martin Distel  
Grant from the Austrian Science Fund (FWF), TAI-1000 Ideas Program, ID – TAI 454  
Duration: 01/09/2021 to 31/12/2022

### Validation of a liquid biopsy based molecular diagnostic toolkit for pediatric sarcomas

CCRI responsible Principal Investigator and Coordinator: Eleni Tomazou  
Grant from the Vienna Science and Technology Fund (WWTF), Life Sciences 2020, ID – LS20-045  
Duration: 01/09/2021 to 31/08/2025

### Uncovering immune evasion mechanisms of leukemic cells from natural killer cells

CCRI responsible Principal Investigator: Eva König  
Grant from the Fellingner Krebsforschung  
Duration: 01/08/2021 to 30/06/2022

### How do leukemic cells escape natural killer cell-mediated surveillance?

CCRI responsible researcher: Michelle Buri (supervisor: Eva König)  
Grant from the Austria Academy of Sciences (ÖAW), DOC fellowship, ID – 25905  
Duration: 01/08/2021 to 31/08/2024

### Establishing light-mediated clonal cancer models to investigate tumor initiation

CCRI responsible researcher: Adam Varady  
(supervisor: Martin Distel)  
Grant from the Austria Academy of Sciences (ÖAW), DOC fellowship, ID – 25931  
Duration: 01/08/2021 to 31/01/2024

### Characterization of bacterial-fungal interactions: a basis for discovery of microbial biomarkers (BacFun)

CCRI responsible Principal Investigator: Thomas Lion  
Grant from the Austrian Science Fund (FWF), Stand-Alone Project, ID - P 34152  
Duration: 01/08/2021 to 31/07/2024

### Molecular mechanisms of exocytosis coordination

CCRI responsible Principal Investigator: Kaan Boztug  
Grant from the Austrian Science Fund (FWF), Stand-Alone Project, ID - P 34834  
Duration: 01/07/2021 to 30/06/2024

### EWS-FLI1 fluctuations in Ewing Sarcoma

CCRI responsible Principal Investigator: Heinrich Kovar  
Grant from the Austrian Science Fund (FWF), Stand Alone Project, ID - P 34341  
Duration: 01/04/2021 to 31/03/2024

### Cold atmospheric plasma for viral decontamination

CCRI responsible Principal Investigator: Thomas Lion  
Grant from the Austrian Science Fund (FWF), CEUS Bilateral Joint Projects, ID - I 5293  
Duration: 01/04/2021 to 31/03/2024

### Crossroads of immunometabolism and human deficiency

CCRI responsible researcher: Michael Kraakman  
(supervisor: Kaan Boztug)  
Grant from the Austrian Science Fund (FWF), Lise Meitner Program, ID - M 3013  
Duration: 01/01/2021 to 28/02/2023

### SARS-CoV-2 infections and virus shedding in pediatric patients displaying different risk constellations

CCRI responsible Principal Investigator: Thomas Lion  
Grant from the City of Vienna, Bürgermeisterfonds, ID – COVID016  
Duration: 01/09/2020 to 31/07/2021

### Detailed characterization of the cellular immune response to SARS-CoV-2 infection

CCRI responsible Principal Investigator: René Geyeregger  
Grant from the Vienna Science and Technology Fund (WWTF), WWTF-Covid 19 Rapid Response, ID – COV20-009  
Duration: 01/06/2020 to 30/06/2021

### Implementation of the first validated diagnostic peptide-MHC multimer test for measuring Sars-CoV-2 T cell memory (Covid-2-tag)

CCRI responsible Principal Investigator: René Geyeregger  
Grant from the Austrian Research Promotion Agency (FFG), KLIPHA-COVID 19, ID - 880938  
Duration: 01/05/2020 to 31/07/2021

### Art4Science

CCRI responsible Principal Investigator: Eva König  
Grant from the Austrian Science Fund (FWF), Science Communication Program, ID - WKP 132  
Duration: 01/05/2020 to 30/04/2022

### A novel gene defect affecting actin dynamics reveals unexplored links between immunodeficiency and autoinflammation

CCRI responsible researcher: Jana Block  
(supervisor: Kaan Boztug)  
Grant from the Austria Academy of Sciences (ÖAW), DOC fellowship, ID - 25590  
Duration: 01/03/2020 to 01/03/2022

### Automated minimal residual disease assessment in childhood acute myeloid leukemia (MYEFLOW)

CCRI responsible researcher: Margarita Maurer-Granofszky  
(Principal Investigator: Michael Dworzak)  
Grant from the Vienna Business Agency, From Science to Products 2019, ID - 2841342  
Duration: 15/03/2020 to 14/03/2023

### Identifying the Ewing Sarcoma cell-of-origin by cross-species enhancer activity analysis

CCRI responsible researcher: Sarah Grissenberger  
(supervisor: Martin Distel)  
Grant from the Austria Academy of Sciences (ÖAW), DOC fellowship, ID - 25607  
Duration: 01/03/2020 to 01/09/2022

### CD Laboratory for “Next generation CAR-T cells”

Head of CD Laboratory and Coordinator: Manfred Lehner  
Christian Doppler Association, Christian Doppler Lab  
Duration: 01/11/2019 to 31/10/2026

### Detection and prognostic relevance of DUX4 rearrangements in childhood leukemia

CCRI responsible Principal Investigator: Sabine Strehl  
Grant from the Austrian National Bank (OeNB), Jubiläumsfonds, ID - 18281  
Duration: 01/08/2019 to 31/01/2022

### Advancing Liquid Biopsies for Monitoring and Personalized Treatment of Children with Neuroblastomas (LIQUIDHOPE)

CCRI responsible Principal Investigator: Sabine Taschner-Mandl  
Coordinator: Angelika Eggert, Charité, Germany  
Grant from the Austrian Science Fund (FWF), TRANSCAN-2 JTC 2020, ID – I 4162  
Duration: 01/04/2019 to 31/03/2022

### Find tumor immune evasion strategies by cellular barcoding

CCRI responsible Principal Investigator: Eva König  
Grant from the Austrian Science Fund (FWF), Stand Alone Project, ID - P 32001  
Duration: 15/03/2019 to 14/09/2023

### Ultra-high-risk pediatric cancer - combinatorial drivers and therapeutic targets for precision medicine

CCRI responsible Principal Investigator and Coordinator: Sabine Taschner-Mandl  
Grant from the Vienna Science and Technology Fund (WWTF), Life Sciences 2018, ID – S18-11  
Duration: 01/03/2019 to 28/02/2022

### Characterizing and targeting the Ewing sarcoma microenvironment to overcome resistance to therapy

CCRI responsible Principal Investigator and Coordinator: Eleni Tomazou  
Grant from the Vienna Science and Technology Fund (WWTF), Life Sciences 2018, ID – LS18-049  
Duration: 01/03/2019 to 28/02/2023

### Analysis of temporal and spatial Ewing sarcoma tumor evolution during chemotherapy and validation of its clinical implication

CCRI responsible Principal Investigator: Eleni Tomazou  
Grant from the Austrian National Bank (OeNB), Jubiläumsfonds, ID - 17876  
Duration: 01/09/2018 to 31/08/2021

### Role of stress granules in Ewing sarcoma susceptibility

CCRI Responsible Principal Investigator: Heinrich Kovar  
Grant from the Austrian Science Fund (FWF), Stand Alone Project, ID - P 29773  
Duration: 01/06/2017 to 30/11/2021

## BACHELOR-, DIPLOM (MASTER)ARBEITEN, DISSERTATIONEN

### ABGESCHLOSSEN 2021

#### **ABDELRAHMAN ABDELGAWAD**

Dissecting Sensitivity to Trabectedin in Fusion-Oncogene Driven Sarcomas

> Supervised by Eleni Tomazou  
MSc thesis

#### **LISA BIERBAUMER**

Exploring the potential of YAP/TAZ inhibition as anti-metastatic strategy in Ewing sarcoma

> Supervised by Heinrich Kovar  
PhD thesis

#### **MATHIAS ILG**

Towards 3D modeling of the metastatic niche: Establishing and characterizing osteosarcoma tumor spheroids and lung organoids

> Supervised by Heinrich Kovar  
MSc thesis

#### **CHRISTIANE PAUKNER**

Etablierung der quantitativen Fluoreszenz-in situ-Hybridisierung als diagnostisches Verfahren [Establishment of quantitative fluorescence in situ hybridization as a diagnostic method]

> Supervised by Marie Bernkopf  
BSc thesis

#### **MANFRED VISAGIE**

Functional testing of pharmacological signal intervention in long-term in vitro and in-vivo models of paediatric AML

> Supervised by Michael N Dworzak  
MSc thesis

## WISSENSCHAFTLICHER BEIRAT

St. Anna CCRI is supported by a board of international childhood oncology and immunology experts who advise us on scientific and strategic questions.

Prof. Dr. **Arndt Borkhardt**, Department of Paediatric Oncology, Haematology and Clinical Immunology, University Hospital Düsseldorf, Germany

Prof. Dr. **Klaus-Michael Debatin**, Director of the Department of Pediatrics and Adolescent Medicine, Ulm University Medical Center, Germany

Prof. Dr. **Shai Izraeli**, Director of the Department of Pediatric Hematology/Oncology, Schneider Hospital, Israel

Prof. Dr. **Mirjam v.d. Burg**, Laboratory for Immunology, Department of Pediatrics, Leiden University Medical Centre, Netherlands

2021

1. Abbasi, M. R. \*, Nebral, K. \*, Haslinger, S., Inthal, A., Zeithofer, P., Konig, M., Schinnerl, D., Kohrer, S., Strehl, S., Panzer-Grumayer, R., Mann, G., Attarbaschi, A., & Haas, O. A. (2021). Copy Number Changes and Allele Distribution Patterns of Chromosome 21 in B Cell Precursor Acute Lymphoblastic Leukemia. *Cancers (Basel)*, 13(18). <https://doi.org/10.3390/cancers13184597>  
\* Shared first authorship

2. Agerer, B., Koblishke, M., Gudipati, V., Montano-Gutierrez, L. F., Smyth, M., Popa, A., Genger, J. W., Endler, L., Florian, D. M., Muhlgraber, V., Graninger, M., Aberle, S. W., Husa, A. M., Shaw, L. E., Lercher, A., Gattinger, P., Torralba-Gombau, R., Trapin, D., Penz, T., Barreca, D., Fae, I., Wenda, S., Traungott, M., Walder, G., Pickl, W. F., Thiet, V., Allerberger, F., Stockinger, H., Puchhammer-Stöckl, E., Weninger, W., Fischer, G., Hoepfler, W., Pawelka, E., Zoufaly, A., Valenta, R., Bock, C., Paster, W., Geyerregger, R., Fartik, M., Halbritter, F., Huppa, J. B., Aberle, J. H., Bergthaler, A. (2021). SARS-CoV-2 mutations in MHC-I-restricted epitopes evade CD8+ T cell responses. *Sci Immunol*, 6(57).

3. Al-Kersh, S., Golnik, R., Flaszinski, M., Waack, K., Rasche, M., Creutzig, U., Dworzak, M., Reinhardt, D., & Klusmann, J. H. (2021). Recommendations for Diagnosis and Treatment of Children with Transient Abnormal Myelopoiesis (TAM) and Myeloid Leukemia in Down Syndrome (ML-DS). *Klin Padiatr*. <https://doi.org/10.1055/a-1532-2016> (Empfehlungen für die Diagnose und Behandlung von Kindern mit transients abnormer Myelopoese (TAM) und myeloischer Leukämie bei Down Syndrom (ML-DS).) <https://doi.org/10.1055/a-1532-2016>

4. Andreana, M. S., C., Yang, M., Latham, R., Leitgeb, R., Member, IEEE, Drexler, W., Zimmer, M., Le, T., Distel, M., & Unterhuber, A. (2021). Molecular Multicolor Multiphoton in Vivo Bioimaging Based on a Direct Diode Pumped Ti:sapphire Oscillator. *IEEE Journal of Selected Topics in Quantum Electronics*, 27. <https://doi.org/10.1109/JSTQE.2021.3060289>.

5. Andreana, M., Sturtzel, C., Spielvogel, C. P., Papp, L., Leitgeb, R., Drexler, W., Distel, M., & Unterhuber, A. (2021). Toward Quantitative in vivo Label-Free Tracking of Lipid Distribution in a Zebrafish Cancer Model. *Front Cell Dev Biol*, 9, 675636. <https://doi.org/10.3389/fcell.2021.675636>

6. Ban, J. \*, Fock, V. \*, Aryee, D. N. T., & Kovar, H. (2021). Mechanisms, Diagnosis and Treatment of Bone Metastases. *Cells*, 10(11). <https://doi.org/10.3390/cells10112944>  
\* Shared first authorship

7. Baumgartner, A., Stepien, N., Mayr, L., Madlener, S., Dorfer, C., Schmook, M. T., Traub-Weidinger, T., Lotsch-Gojo, D., Kirchhofer, D., Reisinger, D., Hedrich, C., Arshad, S., Irschik, S., Boztug, H., Engstler, G., Bernkopf, M., Rifatbegovic, F., Holler, C., Slavic, I., Berger, W., Müllauer, L., Haberler, C., Azizi, A. A., Peyrl, A., Gojo, J. (2021). Novel Insights into Diagnosis, Biology and Treatment of Primary Diffuse Leptomeningeal Melanomatosis. *J Pers Med*, 11(4). <https://doi.org/10.3390/jpm11040292>

8. Bayram, O., Haskologlu, S., Bayrakoglu, D., Bal, S. K., Islamoglu, C., Cipe, F. E., Kendirli, T., Kursun, N., Guner, S. N., Yildiran, A., Bozdogan, G., Yuksek, M., Reistli, I., Dalva, K., Aytekin, C., Boztug, K., Dogu, F., & Ikinogullari, A. (2021). Single-Center Study of 72 Patients with Severe Combined Immunodeficiency: Clinical and Laboratory Features and Outcomes. *J Clin Immunol*. <https://doi.org/10.1007/s10875-021-01062-y>

9. Bellini, A. \*, Potschger, U. \*, Bernard, V., Lapouble, E., Baulande, S., Ambros, P. F., Auger, N., Beiske, K., Bernkopf, M., Betts, D. R., Bhalshankar, J., Bown, N., de Preter, K., Clement, N., Combaret, V., Font de Mora, J., George, S. L., Jimenez, I., Jeison, M., Marques, B., Martinsson, T., Mazzocco, K., Morini, M., Mühlthaler-Mottet, A., Noguera, R., Pierron, G., Rossing, M., Taschner-Mandl, S., Van Roy, N., Vicha, A., Chesler, L., Balwierz, W., Castel, V., Elliott, M., Kogner, P., Laureys, G., Luksch, R., Malis, J., Popovic-Beck, M., Ash, S., Delattre, O., Valteau-Couanet, D., Tweddle, D. A. #, Ladenstein, R. #, Schleiermacher, G. # (2021). Frequency and Prognostic Impact of ALK Amplifications and Mutations in the European Neuroblastoma Study Group (SIOPEN) High-Risk Neuroblastoma Trial (HR-NBL1). *J Clin Oncol*, JCO2100086. <https://doi.org/10.1200/JCO.21.00086>  
\* Shared first authorship  
# Shared senior authorship

10. Bertrums, E. J. M., Zwaan, C. M., Hasegawa, D., De Haas, V., Reinhardt, D. N., Locatelli, F., De Moerloose, B., Dworzak, M., Buijs, A., Smisek, P., Kolenova, A., Pronk, C. J., Klusmann, J. H., Carbone, A., Ferster, A., Antoniou, E., Meshinchi, S., Raimondi, S. C., Niemeyer, C. M., Hasle, H., van den Heuvel-Eibrink, M. M., Goemans, B. F. (2021). Guideline for management of non-Down syndrome neonates with a myeloproliferative disease on behalf of the I-BFM AML Study Group and EWOG-MDS. *Haematologica*. <https://doi.org/10.3324/haematol.2021.279507>

11. Bierbaumer, L., Katschnig, A. M., Radic-Sarikas, B., Kauer, M. O., Petro, J. A., Hogler, S., Gurnhofer, E., Pedot, G., Schafer, B. W., Schwentner, R., Muhlbacher, K., Kromp, F., Aryee, D. N. T., Kenner, L., Uren, A., & Kovar, H. (2021). YAP/TAZ inhibition reduces metastatic potential of Ewing sarcoma cells. *Oncogenesis*, 10(1), 2. <https://doi.org/10.1038/s41389-020-00294-8>

12. Boer, J. M., Valsecchi, M. G., Hormann, F. M., Antic, Z., Zaliava, M., Schwab, C., Cazzaniga, G., Arfeuille, C., Cave, H., Attarbaschi, A., Strehl, S., Escherich, G., Imamura, T., Ohki, K., Gruber, T. A., Sutton, R., Pastorczak, A., Lammens, T., Lambert, F., Kong Li, C., Carrillo de Santa Pau, E., Hoffmann, S., Mörick, A., Harrison, C. J., Den Boer, M. L., De Lorenzo, P., Stam, R. W., Bergmann, A. K., Pieters, R. (2021). Favorable outcome of NUTM1-rearranged infant and pediatric B cell precursor acute lymphoblastic leukemia in a collaborative international study. *Leukemia*. <https://doi.org/10.1038/s41375-021-01333-y>

13. Burghart, L., Halilbasic, E., Schwabl, P., Simbrunner, B., Stattemayer, A. F., Petrenko, O., Scheiner, B., Bauer, D., Pinter, M., Boztug, K., Mandorfer, M., Trauner, M., & Reiberger, T. (2021). Distinct prognostic value of different portal hypertension-associated features in patients with primary biliary cholangitis. *J Gastroenterol*. <https://doi.org/10.1007/s00535-021-01839-3>

14. Cagdas, D. \*, Mayr, D. \*, Baris, S. \*, Worley, L., Langley, D. B., Metin, A., Aytekin, E. S., Atan, R., Kasap, N., Bal, S. K., Dmytrus, J., Heredia, R. J., Karasu, G., Torun, S. H., Toyran, M., Karakoc-Aydiner, E., Christ, D., Kuskonmaz, B., Uckan-Cetinkaya, D., Uner, A., Oberndorfer, F., Schiefer, A.-I., Uzel, G., Deenick, E. K., Keller, B., Warnatz, K., Neven, B., Durandy, A., Sanal, O., Ma, C. S., Özen, A., Stepensky, P., Tezcan, I., Boztug, K. #, Tangye, S. G. # (2021). Genomic Spectrum and Phenotypic Heterogeneity of Human IL-21 Receptor Deficiency. *J Clin Immunol*. <https://doi.org/10.1007/s10875-021-01031-5>  
\* Shared first authorship  
# Shared senior authorship

15. Casteels, T., Zhang, Y., Frogne, T., Sturtzel, C., Lardeau, C. H., Sen, I., Liu, X., Hong, S., Pauler, F. M., Penz, T., Brandstetter, M., Barbieux, C., Berishvili, E., Heuser, T., Bock, C., Riedel, C. G., Meyer, D., Distel, M., Hecksher-Sorensen, J., Li, J., Kubicek, S. (2021). An inhibitor-mediated beta cell dedifferentiation model reveals distinct roles for FoxO1 in glucagon repression and insulin maturation. *Mol Metab*, 101329. <https://doi.org/10.1016/j.molmet.2021.101329>

16. Cicconi, L., Testi, A. M., Montesinos, P., Rego, E., Zhu, H. H., Takahashi, H., Dworzak, M., Estey, E., Schwarer, A., Esteve, J., Annibaldi, O., Castelli, R., Mirabile, M., Angelini, M., Lazarevic, V., Kumar, J., Avvisati, G., Gurnari, C., Locatelli, F., Voso, M. T., Sanz, M. A., Lo-Coco, F., Abla, O. (2021). Characteristics and outcome of acute myeloid leukemia with uncommon retinoic acid receptor-alpha (RARα) fusion variants. *Blood Cancer J*, 11(10), 167. <https://doi.org/10.1038/s41408-021-00561-w>

17. Coronado, E., Yanez, Y., Vidal, E., Rubio, L., Vera-Sempere, F., Canada-Martinez, A. J., Panadero, J., Canete, A., Ladenstein, R., Castel, V., & Font de Mora, J. (2021). Intratumoral immunosuppression profiles in 11q-deleted neuroblastomas provide new potential therapeutic targets. *Mol Oncol*, 15(2), 364-380. <https://doi.org/10.1002/1878-0261.12868>

18. Creasey, T., Enshaei, A., Nebral, K., Schwab, C., Watts, K., Cuthbert, G., Vora, A., Moppett, J., Harrison, C. J., Fielding, A. K., Haas, O. A., & Moorman, A. V. (2021). Single nucleotide polymorphism (SNP) array-based signature of low hypodiploidy in acute lymphoblastic leukemia. *Genes Chromosomes Cancer*. <https://doi.org/10.1002/gcc.22956>

19. de Winter, D. T. C., Langerak, A. W., Te Marvelde, J., Dworzak, M. N., De Moerloose, B., Stary, J., Locatelli, F., Hasle, H., de Vries, A. C. H., Schmutz, M., Niemeyer, C. M., van den Heuvel-Eibrink, M. M., & van der Velden, V. H. J. (2021). The variable biological signature of refractory cytopenia of childhood (RCC), a retrospective EWOG-MDS study. *Leuk Res*, 106652. <https://doi.org/10.1016/j.leukres.2021.106652>

20. Deng, S. H., R.; Zhang, E.; Beard, P.; Scheuringer, E.; Sturtzel, C.; Li, Q.; Deloria, A.; Sattmann, H.; Leitgeb, R.; Yuan, Y.; Schmetterer, L.; Pramanik, M.; Distel, M.; Drexler, W and Liu, M. (2021). An optical coherence photoacoustic microscopy system using a fiber optic senso. *APL Photonics*, 6(9). <https://doi.org/https://doi.org/10.1063/5.0059351>

21. Dupre, L., Boztug, K., & Pfajfer, L. (2021). Actin Dynamics at the T Cell Synapse as Revealed by Immune-Related Actinopathies. *Front Cell Dev Biol*, 9, 665519. <https://doi.org/10.3389/fcell.2021.665519>

22. Eder, S. K. \*, Schwentner, R. \*, Ben Soussia, P., Abagnale, G., Attarbaschi, A., Minkov, M., Halbritter, F., & Hutter, C. (2021). Vemurafenib acts as molecular on-off switch governing systemic inflammation in Langerhans cell histiocytosis. *Blood Adv*. <https://doi.org/10.1182/bloodadvances.2021005442>  
\* Shared first authorship

23. Fernandez, A., Straw, A., Distel, M., Leitgeb, R., Baltuska, A., & Verhoef, A. J. (2021). Dynamic real-time subtraction of stray-light and background for multiphoton imaging. *Biomed Opt Express*, 12(1), 288-302. <https://doi.org/10.1364/BOE.403255>

24. Fetahu, I. S., & Taschner-Mandl, S. (2021). Neuroblastoma and the epigenome. *Cancer Metastasis Rev*. <https://doi.org/10.1007/s10555-020-09946-y>

25. Fiedler, S., Ambros, I. M., Glogova, E., Benesch, M., Urban, C., Mayer, M., Ebetsberger-Dachs, G., Bardi, E., Jones, N., Gamper, A., Meister, B., Crazzolara, R., Amann, G., Dieckmann, K., Horcher, E., Kerbl, R., Brunner-Herglotz, B., Ziegler, A., Ambros, P. F., & Ladenstein, R. L. (2021). Long-Term Outcome and Role of Biology within Risk-Adapted Treatment Strategies: The Austrian Neuroblastoma Trial A-NB94. *Cancers (Basel)*, 13(3). <https://doi.org/10.3390/cancers13030572>

26. Fishman, H., Madiwale, S., Geron, I., Bari, V., Van Looche, W., Kirschenbaum, Y., Ganmore, I., Kugler, E., Rein-Gil, A., Friedlander, G., Schiby, G., Birger, Y., Strehl, S., Soulier, J., Knoechel, B., Ferrando, A., Noy Lotan, S., Nagler, A., Mulloy, J. C., Van Vlierbergh, P., Izraeli, S. (2021). ETV6-NCOA2 fusion induces T/Myeloid mixed-phenotype leukemia by transformation of non-thymic hematopoietic progenitors. *Blood*. <https://doi.org/10.1182/blood.2020010405>

27. Fortschegger, K., Husa, A. M., Schinnerl, D., Nebral, K., & Strehl, S. (2021). Expression of RUNX1-JAK2 in Human Induced Pluripotent Stem Cell-Derived Hematopoietic Cells Activates the JAK-STAT and MYC Pathways. *Int J Mol Sci*, 22(14). <https://doi.org/10.3390/ijms22147576>

28. Friesenbichler, W., Luftinger, R., Kropshofer, G., Henkel, M., Amann, G., Furtwangler, R., Graf, N., & Kager, L. (2021). Clear cell sarcoma of the kidney in Austrian children: Long-term survival after relapse. *Pediatr Blood Cancer*, e28860. <https://doi.org/10.1002/psc.28860>

29. Fruhwald, M. C., Nemes, K., Boztug, H., Cornips, M. C. A., Evans, D. G., Farah, R., Glentis, S., Jorgensen, M., Katsibardi, K., Hirsch, S., Jahnuksainen, K., Kventzel, I., Kerl, K., Kratz, C. P., Pajtler, K. W., Kordes, U., Ridola, V., Stutz, E., & Bourdeaut, F. (2021). Current recommendations for clinical surveillance and genetic testing in rhabdoid tumor predisposition: a report from the SIOPE Host Genome Working Group. *Fam Cancer*. <https://doi.org/10.1007/s10689-021-00229-1>

30. Fuereder, T., Minichsdorfer, C., Mittlboeck, M., Wagner, C., Heller, G., Putz, E. M., Oberndorfer, F., Müllauer, L., Aretin, M. B., Czerny, C., & Schwarz-Nemec, U. (2021). Pembrolizumab plus docetaxel for the treatment of recurrent/metastatic head and neck cancer: A prospective phase I/II study. *Oral Oncol*, 124, 105634. <https://doi.org/10.1016/j.oraloncology.2021.105634>

31. Garaventa, A., Poetschger, U., Valteau-Couanet, D., Luksch, R., Castel, V., Elliott, M., Ash, S., Chan, G. C. F., Laureys, G., Beck-Popovic, M., Vetterranta, K., Balwierz, W., Schroeder, H., Owens, C., Cesen, M., Papadakis, V., Trahair, T., Schleiermacher, G., Ambros, P., Sorrentino, S., Pearson, A. D. J., Ladenstein, R. L. (2021). Randomized Trial of Two Induction Therapy Regimens for High-Risk Neuroblastoma: HR-NBL1.5 International Society of Pediatric Oncology European Neuroblastoma Group Study. *J Clin Oncol*, JCO2003144. <https://doi.org/10.1200/JCO.20.03144>

32. German, Y., Vulliard, L., Kamnev, A., Pfajfer, L., Huemer, J., Mautner, A. K., Rubio, A., Kalinichenko, A., Boztug, K., Ferrand, A., Menche, J., & Dupre, L. (2021). Morphological profiling of human T and NK lymphocytes by high-content cell imaging. *Cell Rep*, 36(1), 109318. <https://doi.org/10.1016/j.celrep.2021.109318>

33. Gleixner, K. V., Filik, Y., Berger, D., Schewzik, C., Stefanzl, G., Sadovnik, I., Degenfeld-Schonburg, L., Eisenwort, G., Schneeweiss-Gleixner, M., Byrgazov, K., Sperr, W. R., Mayer, J., Lion, T., & Valent, P. (2021). Asciminib and ponatinib exert synergistic anti-neoplastic effects on CML cells expressing BCR-ABL1 [T315I]-compound mutations. *Am J Cancer Res*, 11(9), 4470-4484. <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pubmed/34659899>

34. Gronchi, A., Miah, A. B., Dei Tos, A. P., Abecassis, N., Bajpai, J., Bauer, S., Biagini, R., Bielack, S., Blay, J. Y., Bolle, S., Bonvalot, S., Boukovinas, I., Bovee, J., Boye, K., Brennan, B., Brodowicz, T., Buonadonna, A., De Alava, E., Del Muro, X. G., Dufresne, A., Eriksson, M., Fagioli, F., Fedenko, A., Ferraresi, V., Ferrari, A., Frezza, A. M., Gasperoni, S., Gelderblom, H., Gouin, F., Grignani, G., Haas, R., Hassan, A. B., Hecker-Nolting, S., Hindi, N., Hohenberger, P., Joensuu, H., Jones, R. L., Jungels, C., Jutte, P., Kager, L., Kasper, B., Kawai, A., Kopeckova, K., Krákorová, D. A., Le Cesne, A., Le Grange, F., Legius, E., Leithner, A., Lopez-Pousa, A., Martin-Broto, J., Merimsky, O., Messiou, C., Mir, O., Montemurro, M., Morland, B., Morosi, C., Palmerini, E., Pantaleo, M. A., Piana, R., Piperno-Neumann, S., Reichardt, P., Rutkowski, P., Safwat, A. A., Sangalli, C., Sbaraglia, M., Scheipl, S., Schöffski, P., Sleijfer, S., Strauss, D., Strauss, S., Sundby Hall, K., Trama, A., Unk, M., van de Sande, M. A. J., van der Graaf, W. T. A., van Houdt, W. J., Frebourg, T., Casali, P. G., Stacchiotti, S. *clinicalguidelines@esmo.org*, G. E. a. (2021). Soft tissue and visceral sarcomas: ESMO-EURACAN-GENTURIS Clinical Practice Guidelines for diagnosis, treatment and follow-up. *Ann Oncol*, 32(11), 1348-1365. <https://doi.org/10.1016/j.annonc.2021.07.006>

35. Haas, O. A. (2021). Somatic Sex: On the Origin of Neoplasms With Chromosome Counts in Uneven Ploidy Ranges. *Front Cell Dev Biol*, 9, 631946. <https://doi.org/10.3389/fcell.2021.631946>

36. Haimel, M. \*, Pazmandi, J. \*, Heredia, R. J., Dmytrus, J., Bal, S. K., Zoghi, S., van Daele, P., Briggs, T. A., Wouters, C., Bader-Meunier, B., Aeschlimann, F. A., Caorsi, R., Eleftheriou, D., Hoppenreijns, E., Salzer, E., Bakhtiar, S., Derfalvi, B., Saettini, F., Kusters, M. A. A., Elfeky, R., Trüch, J., Rivière, J.G., van der Burg, M., Gattorno, M., Seidel, M. G., Burns, S., Warnatz, K., Hauck, F., Brogan, P., Gilmour, K. C., Schuetz, C., Simon, A., Bock, C., Hambleton, S., de Vries, E., Robinson, P. N., van Gijn, M. #, Boztug, K. # [2021]. Curation and Expansion of Human Phenotype Ontology for Defined Groups of Inborn Errors of Immunity. *J Allergy Clin Immunol.* <https://doi.org/10.1016/j.jaci.2021.04.033>  
\* Shared first authorship  
# Shared senior authorship

37. Hartlieb, S. A., Sieverling, L., Nadler-Holly, M., Ziehm, M., Toprak, U. H., Herrmann, C., Ishaque, N., Okonechnikov, K., Gartlgruber, M., Park, Y. G., Wecht, E. M., Savelyeva, L., Henrich, K. O., Rosswog, C., Fischer, M., Hero, B., Jones, D. T. W., Pfaff, E., Witt, O., Pfister, S. M., Volckmann, R., Koster, J., Kiesel, K., Rippe, K., Taschner-Mandl, S., Ambros, P., Brors, B., Selbach, M., Feuerbach, L., & Westermann, F. [2021]. Alternative lengthening of telomeres in childhood neuroblastoma from genome to proteome. *Nat Commun*, 12(1), 1269. <https://doi.org/10.1038/s41467-021-21247-8>

38. Heitzeneder, S., Bosse, K. R., Zhu, Z., Zhelev, D., Majzner, R. G., Radosevich, M. T., Dhingra, S., Sotillo, E., Buongervino, S., Pascual-Pasto, G., Garrigan, E., Xu, P., Huang, J., Salzer, B., Delaidelli, A., Raman, S., Cui, H., Martinez, B., Bornheimer, S. J., Sahaf, B., Alag, A., Fetahu, I. S., Hasselblatt, M., Parker, K. R., Anbunatha, H., Hwang, J., Huang, M., Sakamoto, K., Lacayo, N. J., Klysz, D. D., Theruvath, J., Vilches-Moure, J. G., Satpathy, A. T., Chang, H. Y., Lehner, M., Taschner-Mandl, S., Julien, J.-P., Sorensen, P. H., Dimitrov, D. S., Maris, J. M., Mackall, C. L. [2022]. GPC2-CAR T cells tuned for low antigen density mediate potent activity against neuroblastoma without toxicity. *Cancer Cell*, 40(1), 53-69 e59. <https://doi.org/10.1016/j.ccell.2021.12.005>

39. Hirabayashi, S., Butler, E. R., Ohki, K., Kiyokawa, N., Bergmann, A. K., Moricke, A., Boer, J. M., Cave, H., Cazzaniga, G., Yeoh, A. E. J., Sanada, M., Imamura, T., Inaba, H., Mullighan, C., Loh, M. L., Noren-Nystrom, U., Pastorczak, A., Shih, L. Y., Zaliava, M., Pui, C.-H., Haas, O. A., Harrison, C. J., Moorman, A. V., Manabe, A. [2021]. Clinical characteristics and outcomes of B-ALL with ZNF384 rearrangements: a retrospective analysis by the Ponte di Legno Childhood ALL Working Group. *Leukemia*. <https://doi.org/10.1038/s41375-021-01199-0>

40. Kalinichenko, A., Perinetti Casoni, G., Dupre, L., Trotta, L. C., Huemer, J., Galgano, D., German, Y., Haladik, B., Pazmandi, J., Thian, M., Yuce Petronczki, O., Chiang, S. C. C., Taskinen, M. H., Hekkala, A., Kauppila, S., Lindgren, O., Tapiainen, T., Kraakman, M. J., Vettenranta, K., Lomakin, A. J., Saarela, J. #, Seppänen, M. R. J. #, Bryceson, J. T. #, Boztug, K. # [2021]. RhoG deficiency abrogates cytotoxicity of human lymphocytes and causes hemophagocytic lymphohistiocytosis. *Blood*. <https://doi.org/10.1182/blood.2020008738>  
# Shared senior authorship

41. Klein, K., Beverloo, H. B., Zimmermann, M., Raimondi, S. C., von Neuhoff, C., de Haas, V., van Weelderen, R., Cloos, J., Abrahamsson, J., Bertrand, Y., Dworzak, M., Fynn, A., Gibson, B., Ha, S. Y., Harrison, C. J., Hasle, H., Elitzur, S., Leverger, G., Maschan, A., Razzouk, B., Reinhardt, D., Rizzari, C., Smisek, P., Creutzig, U., Kaspers, G. J. L. [2021]. Prognostic significance of chromosomal abnormalities at relapse in children with relapsed acute myeloid leukemia: A retrospective cohort study of the Relapsed AML 2001/01 Study. *Pediatr Blood Cancer*, e29341. <https://doi.org/10.1002/psc.29341>

42. Kogler, H., Novak, W., Vecsei, A., Zachbauer, C., Huber, W. D., Lakatos, K., Woeran, K., Stift, J., Boztug, K., & Kager, L. [2021]. Occurrence of autoimmune pancreatitis after chronic immune thrombocytopenia in a Caucasian adolescent. *Clin J Gastroenterol.* <https://doi.org/10.1007/s12328-021-01383-w>

43. Kollmann, S., Grausenburger, R., Klampfl, T., Prchal-Murphy, M., Bastl, K., Pisa, H., Knab, V. M., Brandstoecker, T., Doma, E., Sperr, W. R., Lagger, S., Farlik, M., Moriggl, R. H., Valent, P., Halbritter, F., Kollmann, K., Heller, G., Maurer, B., & Sexl, V. [2021]. A STAT5B-CD9 axis determines self-renewal in hematopoietic and leukemic stem cells. *Blood*. <https://doi.org/10.1182/blood.2021010980>

44. Kolukisa, B., Baser, D., Akcam, B., Danielson, J., Bilgic Eltan, S., Haliloglu, Y., Sefer, A. P., Babayeva, R., Akgun, G., Charbonnier, L. M., Schmitz-Abe, K., Kendir Demirkol, Y., Zhang, Y., Gonzaga-Jauregui, C., Jimenez Heredia, R., Kasap, N., Kiykim, A., Ozek Yucel, E., Gok, V., Unal, E., Pac Kisaarslan, A., Nepesov, S., Baysoy, G., Onal, Z., Yesil, G., Celkan, T. T., Cokugras, H., Camcioglu, Y., Eken, A., Boztug, K., Lo, B., Karakoc-Aydiner, E., Su, H. C., Ozen, A., Chatila, T. A., Baris, S. [2021]. Evolution and long-term outcomes of combined immunodeficiency due to CARMIL2 deficiency. *Allergy*. <https://doi.org/10.1111/all.15010>

45. Koscielniak, E., Sparber-Sauer, M., Scheer, M., Vokuhl, C., Kazanowska, B., Ladenstein, R., Niggli, F., Ljungman, G., Paulussen, M., Bielać, S. S., Seitz, G., Fuchs, J., Hallmen, E., Klingebiel, T., & On Behalf Of The Cws Study, G. [2021]. Extraskelletal Ewing sarcoma in children, adolescents, and young adults. An analysis of three prospective studies of the Cooperative Weichteilsarkomstudiengruppe (CWS). *Pediatr Blood Cancer*, 68(10), e29145. <https://doi.org/10.1002/psc.29145>

46. Kozyra, E. J., Gohring, G., Hickstein, D. D., Calvo, K. R., DiNardo, C. D., Dworzak, M., de Haas, V., Stary, J., Hasle, H., Shimamura, A., Fleming, M. D., Inaba, H., Lewis, S., Hsu, A. P., Holland, S. M., Arnold, D. E., Mecucci, C., Keel, S. B., Bertuch, A. A., Tawana, K., Barzilai, S., Hirabayashi, S., Onozawa, M., Lei, S., Alaiz, H., Andrikovics, H., Betts, D., Beverloo, B. H., Buechner, J., Čermák, M., Cervera, J., Haus, O., Jahnukainen, K., Manola, K.N., Nebral, K., Pasquali, F., Tchinda, J., Turkiewicz, D., Van Roy, N., Zemanova, Z., Pastor, V. B., Strahm, B., Noellke, P., Niemeyer, C. M., Schlegelberger, B., Yoshimi, A., Wlodarski, M. W. [2021]. Association of Unbalanced Translocation der(1;7) with Germline GATA2 Mutations. *Blood*. <https://doi.org/10.1182/blood.2021012781>

47. Kromp, F., Fischer, L., Bozsaky, E., Ambros, I. M., Dorr, W., Beiske, K., Ambros, P. F., Hanbury, A.#, & Taschner-Mandl, S. # [2021]. Evaluation of Deep Learning architectures for complex immunofluorescence nuclear image segmentation. *IEEE Trans Med Imaging*, PP. <https://doi.org/10.1109/TMI.2021.3069558>  
# Shared senior authorship

48. Krumbholz, M., Eiblwiesser, J., Ranft, A., Zierk, J., Schmidkonz, C., Stutz, A. M., Peneder, P., Tomazou, E. M., Agaimy, A., Bauerle, T., Hartmann, W., Dirksen, U., & Metzler, M. [2021]. Quantification of translocation-specific ctDNA provides an integrating parameter for early assessment of treatment response and risk stratification in Ewing sarcoma. *Clin Cancer Res*. <https://doi.org/10.1158/1078-0432.CCR-21-1324>

49. Kuehn, H. S., Niemela, J. E., Stoddard, J., Mannurita, S. C., Shahin, T., Goel, S., Hintermeyer, M., Heredia, R. J., Garofalo, M., Lucas, L., Singh, S., Tondo, A., Jacobs, Z., Gahl, W. A., Latour, S., Verbsky, J., Routes, J., Cunningham-Rundles, C., Boztug, K., Gambineri, E., Fleisher, T. A., Chandrakasan, S., Rosenzweig, S. D. [2021]. Germline IKAROS dimerization haploinsufficiency causes hematologic cytopenias and malignancies. *Blood*, 137(3), 349-363. <https://doi.org/10.1182/blood.2020007292>

50. Laurent, E., Sieber, A., Salzer, B., Wachernig, A., Seigner, J., Lehner, M., Geyerregger, R., Kratzer, B., Jager, U., Kunert, R., Pickl, W. F., & Traxtmayr, M. W. [2021]. Directed Evolution of Stabilized Monomeric CD19 for Monovalent CAR Interaction Studies and Monitoring of CAR-T Cell Patients. *ACS Synth Biol*. <https://doi.org/10.1021/acssynbio.1c00010>

51. Lawitschka, A., Ronceray, L., Bauer, D., Rittenschöber, M., Zubarovskaya, N., Geyerregger, R., Pickl, W. F., & Kuzmina, Z. [2021]. Value of Autoantibody Expression During Long-Term Follow-Up in Paediatric ALL Patients After Allogeneic Haematopoietic Stem Cell Transplantation. *Front Pediatr*, 9, 788360. <https://doi.org/10.3389/fped.2021.788360>

52. Lazic, D., Kromp, F., Rifatbegovic, F., Repiscak, P., Kirr, M., Mivalt, F., Halbritter, F., Bernkopf, M., Bileck, A., Ussowicz, M., Ambros, I. M., Ambros, P. F., Gerner, C., Ladenstein, R., Ostalecki, C., & Taschner-Mandl, S. [2021]. Landscape of Bone Marrow Metastasis in Human Neuroblastoma Unraveled by Transcriptomics and Deep Multiplex Imaging. *Cancers* (Basel), 13(17). <https://doi.org/10.3390/cancers13174311>

53. Maurer-Granofszky, M., Schumich, A., Buldini, B., Gaipa, G., Kappelmayer, J., Mejstrikova, E., Karawajew, L., Rossi, J., Suzan, A. C., Agriello, E., Anastasiou-Grenzelia, T., Barcala, V., Barna, G., Batinic, D., Bourquin, J. P., Bruggemann, M., Bukowska-Strakova, K., Burnusuzov, H., Carelli, D., Deniz, G., Dubravčić, K., Feuerstein, T., Gaillard, M. I., Galeano, G., Giordano, H., Gonzalez, A., Groeneveld-Krentz, S., Hevessy, Z., Hrusak, O., Belen Iarossi, M., Jáksó, P., Kloboves Prevodnik, V., Kohlscheen, S., Kreminska, E., Maglia, O., Malusardi, C., Marinov, N., Martin, B. M., Möller, C., Nikulshin, S., Palazzi, J., Paterakis, G., Popov, A., Ratei, R., Rodríguez, C., Sajaroff, E. O., Sala, S., Samardzija, G., Sartor, M., Scarpato, P., Sedek, Ł., Slavkovic, B., Solari, L., Svec, P., Szczepanski, T., Taparkou, A., Torrebadell, M., Tzanoudaki, M., Varotto, E., Vernitsky, H., Attarbaschi, A., Schrappe, M., Conter, V., Biondi, A., Felice, M., Campbell, M., Kiss, C., Basso, G., Dworzak, M.N., On Behalf Of, I. B.-F.-N. [2021]. An Extensive Quality Control and Quality Assurance (QC/QA) Program Significantly Improves Inter-Laboratory Concordance Rates of Flow-Cytometric Minimal Residual Disease Assessment in Acute Lymphoblastic Leukemia: An I-BFM-FLOW-Network Report. *Cancers* (Basel), 13(23). <https://doi.org/10.3390/cancers13236148>

54. Melika, S., Hossein, E., Mona, S., Elham, R., Samaneh, Z., Sepideh, S., Raul Jimenez, H., Ana, K., Kaan, B., & Nima, R. [2021]. A novel homozygous RAG1 mutation is associated with severe combined immunodeficiency and neurological presentations. *Allergol Immunopathol (Madr)*, 49(4), 91-97. <https://doi.org/10.15586/aei.v49i4.194>

55. Minkov, M.\*, Potschger, U.\*, Thacker, N., Astigarraga, I., Braier, J., Donadieu, J., Henter, J. I., Lehrnbecher, T., Rodriguez-Galindo, C., Sieni, E., Nanduri, V., van den Bos, C., Abla, O., & Society, L. C. H. S. G. o. t. H. [2021]. Additive Prognostic Impact of Gastrointestinal Involvement in Severe Multisystem Langerhans Cell Histiocytosis. *J Pediatr*. <https://doi.org/10.1016/j.jpeds.2021.06.016>  
\* Shared first authorship

56. Mittlbock, M.\*, Potschger, U.\*, & Heinzl, H. [2022]. Weighted pseudo-values for partly unobserved group membership in paediatric stem cell transplantation studies. *Stat Methods Med Res*, 31(1), 76-86. <https://doi.org/10.1177/096422802211041756>  
\* Shared first authorship

57. Neehus, A. L., Moriya, K., Nieto-Patlan, A., Le Voyer, T., Levy, R., Ozen, A., Karakoc-Aydiner, E., Baris, S., Yildiran, A., Altundag, E., Roynard, M., Haake, K., Migaud, M., Dorgham, K., Gorochov, G., Abel, L., Lachmann, N., Dogu, F., Haskologlu, S., Boztug, K., Roderick, M. R., Shahrooel, M., Brogan, P. A., Abolhassani, H., Hancioglu, G., Parvaneh, N., Belot, A., Ikinociogullari, A., Casanova, J.-L., Puel, A., Bustamante, J. [2021]. Impaired respiratory burst contributes to infections in PKCdelta-deficient patients. *J Exp Med*, 218(9). <https://doi.org/10.1084/jem.20210501>

58. Oberbauer R, E. M., Berlakovich G, Kalhs P, Worel N, Heinze G, Wolzt M, Lion T, Wekerle T. . [2021]. Ponatinib and palbociclib combination in TKI-resistant CML—A case report. memo - Magazine of European Medical Oncology. <https://doi.org/https://doi.org/10.1007/s12254-021-00742-0>

59. Oberbauer, R., Edinger, M., Berlakovich, G., Kalhs, P., Worel, N., Heinze, G., Wolzt, M., Lion, T., & Wekerle, T. [2021]. A Prospective Controlled Trial to Evaluate Safety and Efficacy of in vitro Expanded Recipient Regulatory T Cell Therapy and Tocilizumab Together With Donor Bone Marrow Infusion in HLA-Mismatched Living Donor Kidney Transplant Recipients (Trex001). *Front Med (Lausanne)*, 7, 634260. <https://doi.org/10.3389/fmed.2020.634260>

60. Obrova, K., Grumaz, S., Remely, M., Czurda, S., Krickl, I., Herndlhofer, S., Gleixner, K. V., Sperr, W. R., Grosslinger, L., Frank, T., Andrade, N., Egger-Matiji, T., Peters, C., Engstler, G., Dworzak, M., Attarbaschi, A., van Grotel, M., van den Heuvel-Eibrink, M. M., Moiseev, I. S., Rogacheva, Y., Zubarovskaya, L., Zubarovskaya, N., Pichler, H., Lawitschka, A., Koller, E., Keil, F., Valent, P., Sohn, K., Lion, T. [2021]. Presence of viremia during febrile neutropenic episodes in patients undergoing chemotherapy for malignant neoplasms. *Am J Hematol*. <https://doi.org/10.1002/ajh.26177>

61. Okuda, K. S., Keyser, M. S., Gurevich, D. B., Sturtzel, C., Mason, E. A., Paterson, S., Chen, H., Scott, M., Condon, N. D., Martin, P., Distel, M., & Hogan, B. M. [2021]. Live-imaging of endothelial Erk activity reveals dynamic and sequential signalling events during regenerative angiogenesis. *Elife*, 10. <https://doi.org/10.7554/eLife.62196>

62. Orbach, D., Ferrari, A., Schneider, D. T., Reguerre, Y., Godzinski, J., Bien, E., Stachowicz-Stencel, T., Surun, A., Almaraz, R. L., Dragomir, M., Jani, D., Ami, T. B., Roganovic, J., Brecht, I. B., Ladenstein, R., & Bisogno, G. [2021]. The European Paediatric Rare Tumours Network - European Registry (PARTNER) project for very rare tumors in children. *Pediatr Blood Cancer*, e29072. <https://doi.org/10.1002/psc.29072>

63. Palmisani, F., Kovar, H., Kager, L., Amann, G., Metzelder, M., & Bergmann, M. [2021]. Systematic review of the immunological landscape of Wilms tumors. *Mol Ther Oncolytics*, 22, 454-467. <https://doi.org/10.1016/j.omto.2021.06.016>

64. Pascoal, S., Grissenberger, S., Scheuringer, E., Fior, R., Ferreira, M. G., & Distel, M. [2021]. Using Zebrafish Larvae as a Xenotransplantation Model to Study Ewing Sarcoma. *Methods Mol Biol*, 2226, 243-255. [https://doi.org/10.1007/978-1-0716-1020-6\\_19](https://doi.org/10.1007/978-1-0716-1020-6_19)

65. Peneder, P.\*, Stutz, A. M.\*, Surdez, D., Krumbholz, M., Semper, S., Chicard, M., Sheffield, N. C., Pierron, G., Lapouble, E., Totzl, M., Erguner, B., Barreca, D., Rendeiro, A. F., Agaimy, A., Boztug, H., Engstler, G., Dworzak, M., Bernkopf, M., Taschner-Mandl, S., Ambros, I. M., Myklebost, O., Marec-Bérard, P., Burchill, S. A., Brennan, B., Strauss, S. J., Whelan, J., Schleiermacher, G., Schaefer, C., Dirksen, U., Hutter, C., Boye, K., Ambros, P. F., Delattre, O., Metzler, M., Bock, C.#, Tomazou, E. M.# [2021]. Multimodal analysis of cell-free DNA whole-genome sequencing for pediatric cancers with low mutational burden. *Nat Commun*, 12(1), 3230. <https://doi.org/10.1038/s41467-021-23445-w>  
\* Shared first authorship  
# Shared senior authorship

66. Peters, C., Dalle, J. H., Locatelli, F., Poetschger, U., Sedlacek, P., Buechner, J., Shaw, P. J., Staciuk, R., Iversen, M., Pichler, H., Vettenranta, K., Svec, P., Aleinikova, O., Stein, J., Gungor, T., Toporski, J., Truong, T. H., Diaz-de-Heredia, C., Bierings, M., Ariffin, H., Essa, M., Burkhardt, B., Schultz, K., Meisel, R., Lankester, A., Ansari, M., Schrappe, M., IBFM Study Group; von Stackelberg, A., IntReALL Study Group; Balduzzi, A., I-BFM SCT Study Group; Corbacioglu, S., EBMT Paediatric Diseases Working Party; Bader, P. [2021]. Total Body Irradiation or Chemotherapy Conditioning in Childhood ALL: A Multinational, Randomized, Noninferiority Phase III Study. *J Clin Oncol*, 39(4), 295-307. <https://doi.org/10.1200/JCO.20.02529>

67. Pidala, J., Kitko, C., Lee, S. J., Carpenter, P., Cuvelier, G. D. E., Holtan, S., Flowers, M. E., Cutler, C., Jagasia, M., Gooley, T., Palmer, J., Randolph, T., Levine, J. E., Ayuk, F., Dignan, F., Schoemans, H., Tkaczyk, E., Farhadfar, N., Lawitschka, A., Schultz, K. R., Martin, P. J., Sarantopoulos, S., Inamoto, Y., Socie, G., Wolff, D., Blazar, B., Greinix, H., Paczesny, S., Pavletic, S., Hill, G. [2021]. National Institutes of Health Consensus Development Project on Criteria for Clinical Trials in Chronic Graft-versus-Host Disease: IIb. The 2020 Preemptive Therapy Working Group Report. *Transplant Cell Ther*, 27(8), 632-641. <https://doi.org/10.1016/j.jctct.2021.03.029>

68. Pirch, S., Muller, F., Iofinova, E., Pazmandi, J., Hutter, C. V. R., Chiettni, M., Sin, C., Boztug, K., Podkosova, I., Kaufmann, H., & Menche, J. [2021]. The VRNetzer platform enables interactive network analysis in Virtual Reality. *Nat Commun*, 12(1), 2432. <https://doi.org/10.1038/s41467-021-22570-w>

69. Popitsch, N., Preuner, S., & Lion, T. [2021]. Nanopanel2 calls phased low-frequency variants in Nanopore panel sequencing data. *Bioinformatics*. <https://doi.org/10.1093/bioinformatics/btab526>

70. Rasche, M., Steidel, E., Zimmermann, M., Bourquin, J. P., Boztug, H., Janotova, I., Kolb, E. A., Lehrnbecher, T., von Neuhoff, N., Niktoreh, N., Muhlegger, N., Sramkova, L., Stary, J., Walter, C., Creutzig, U., Dworzak, M., & Reinhardt, D. [2021]. Second Relapse of Pediatric Patients with Acute Myeloid Leukemia: A Report on Current Treatment Strategies and Outcome of the AML-BFM Study Group. *Cancers (Basel)*, 13(4). <https://doi.org/10.3390/cancers13040789>

71. Rasche, M., Zimmermann, M., Steidel, E., Alonzo, T., Aplenc, R., Bourquin, J. P., Boztug, H., Cooper, T., Gamis, A. S., Gerbing, R. B., Janotova, I., Klusmann, J. H., Lehrnbecher, T., Muhlegger, N., Neuhoff, N. V., Niktoreh, N., Sramkova, L., Stary, J., Waack, K., Walter, C., Creutzig, U., Dworzak, M., Kaspers, G., Anders Kolb, E., Reinhardt, D. [2021]. Survival Following Relapse in Children with Acute Myeloid Leukemia: A Report from AML-BFM and COG. *Cancers (Basel)*, 13(10). <https://doi.org/10.3390/cancers13102336> Günes AM, Millot F, Kalwak K, Lausen B, Sedlacek P, Versluys AB, Dworzak M, De Moerloose B, Suttorp M. Features and outcome of chronic myeloid leukemia at very young age: Data from the International Pediatric Chronic Myeloid Leukemia Registry. *Pediatr Blood Cancer*. 2021 Jan;68(1):e28706. doi: 10.1002/pcb.28706. Epub 2020 Oct 8.

72. Rieder, D., Fotakis, G., Ausserhofer, M., Geyeregger, R., Paster, W., Trajanoski, Z., & Finotello, F. [2021]. nextNEOp: a comprehensive pipeline for computational neoantigen prediction. *Bioinformatics*. <https://doi.org/10.1093/bioinformatics/btab759>

73. Rindler, K., Jonak, C., Alkon, N., Thaler, F. M., Kurz, H., Shaw, L. E., Stingl, G., Weninger, W., Halbritter, F., Bauer, W. M., Farlik, M., & Brunner, P. M. [2021]. Single-cell RNA sequencing reveals markers of disease progression in primary cutaneous T-cell lymphoma. *Mol Cancer*, 20(1), 124. <https://doi.org/10.1186/s12943-021-01419-2>

74. Sagi, J. C., Gezzi, A., Egyed, B., Jakab, Z., Benedek, N., Attarbaschi, A., Kohrer, S., Sipek, J., Winkowska, L., Zaliwo, M., Anastasopoulou, S., Wolthers, B. O., Ranta, S., Szalai, C., Kovacs, G. T., Semsei, A. F., & Erdelyi, D. J. [2021]. Pharmacogenetics of the Central Nervous System-Toxicity and Relapse Affecting the CNS in Pediatric Acute Lymphoblastic Leukemia. *Cancers (Basel)*, 13(10). <https://doi.org/10.3390/cancers13102333>

75. Sahoo, S. S., Pastor, V. B., Goodings, C., Voss, R. K., Kozyra, E. J., Szvetnik, A., Noellke, P., Dworzak, M., Stary, J., Locatelli, F., Masetti, R., Schmutz, M., De Moerloose, B., Catala, A., Kallay, K., Turkiewicz, D., Hasle, H., Buechner, J., Jahnukainen, K., Ussowicz, M., Polychronopoulou, S., Smith, O. P., Fabri, O., Barzilai, S., de Haas, V., Baumann, I., Schwarz-Furlan, S., European Working Group of MDS in Children (EWOG-MDS); Niewisch, M. R., Sauer, M. G., Burkhardt, B., Lang, P., Bader, P., Beier, R., Müller, I., Albert, M. H., Meisel, R., Schulz, A., Cario, G., Panda, P. K., Wehrle, J., Hirabayashi, S., Derecka, M., Durruthy-Durruthy, R., Göhring, G., Yoshimi-Noellke, A., Ku, M., Lebrecht, D., Ertlacher, M., Flotho, C., Strahm, B., Niemeyer, C. M., Wlodarski, M. W. [2021]. Clinical evolution, genetic landscape and trajectories of clonal hematopoiesis in SAMD9/SAMD9L syndromes. *Nat Med*, 27(10), 1806-1817. <https://doi.org/10.1038/s41591-021-01511-6>

76. Santini, L.\*, Halbritter, F.\*, Titz-Teixeira, F., Suzuki, T., Asami, M., Ma, X., Ramesmayer, J., Lackner, A., Warr, N., Pauler, F., Hippenmeyer, S., Laue, E., Farlik, M., Bock, C., Beyer, A., Perry, A. C. F., & Leeb, M. [2021]. Genomic imprinting in mouse blastocysts is predominantly associated with H3K27me3. *Nat Commun*, 12(1), 3804. <https://doi.org/10.1038/s41467-021-23510-4>  
\* Shared first authorship

77. Scheer, M., Vokuhl, C., Bauer, S., Fuchs, J., Loff, S., Timmermann, B., Munter, M., Henssen, A. G., Kazanowska, B., Niggli, F., Ladenstein, R., Ljungman, G., Koscielniak, E., Klingebiel, T., & European Cooperative Weichteilsarkom, S. [2021]. The effect of adjuvant therapies on long-term outcome for primary resected synovial sarcoma in a series of mainly children and adolescents. *J Cancer Res Clin Oncol*. <https://doi.org/10.1007/s00432-021-03614-6>

78. Schriegel, F., Taschner-Mandl, S., Bernkopf, M., Grunwald, U., Siebert, N., Ambros, P. F., Ambros, I., Lode, H. N., Henze, G., & Ehlert, K. [2021]. Comparison of three different methods to detect bone marrow involvement in patients with neuroblastoma. *J Cancer Res Clin Oncol*. <https://doi.org/10.1007/s00432-021-03780-7>

79. Shahin, T., Kuehn, H. S., Shoeb, M. R., Gawryski, L., Giuliani, S., Repiscak, P., Hoeger, B., Yuce Petronczki, O., Bal, S. K., Zoghi, S., Dmytrus, J., Seruggia, D., Castanon, I., Rezaei, N., Varjosalo, M., Halbritter, F., Rosenzweig, S. D., & Boztug, K. [2021]. Germline biallelic mutation affecting the transcription factor Helios causes pleiotropic defects of immunity. *Sci Immunol*, 6(65), eabe3981. <https://doi.org/10.1126/sciimmunol.abe3981>

80. Shahin, T. \*, Mayr, D. \*, Shoeb, M. R., Kuehn, H. S., Hoeger, B., Giuliani, S., Gawryski, L., Yuce Petronczki, O., Hadjadj, J., Kostel Bal, S., Zoghi, S., Hajmel, M., Jimenez-Heredia, R., Boutboul, D., Triebwasser, M. P., Rialland-Battisti, F., Costedoat-Chalumeau, N., Quartier, P., Tangye, S. G., Fleisher, T. A., Rezaei, N., Romberg, N., Latour, S., Varjosalo, M., Halbritter, F., Rieux-Laucat, F., Castanon, I., Rosenzweig, S. D. #, Boztug, K. # [2021]. Identification of Germline Monoallelic Mutations in IKZF2 in Patients with Immune Dysregulation. *Blood Adv*. <https://doi.org/10.1182/bloodadvances.2021006367>  
\* Shared first authorship  
# Shared senior authorship

81. Shaka, Z., Mojtavavi, H., Rayzan, E., Zoghi, S., Shahkarami, S., Raul, J. H., Sedighi, I., Boztug, K., & Rezaei, N. [2021]. Novel BTK mutation in X-linked agammaglobulinemia: Report of a 17-year-old male. *Allergol Immunopathol (Madr)*, 49(2), 80-83. <https://doi.org/10.15586/aei.v49i2.62>

82. Sparber-Sauer, M., Vokuhl, C., Seitz, G., Sorg, B., Tobias, M., von Kalle, T., Munter, M., Bielack, S. S., Ladenstein, R., Ljungman, G., Niggli, F., Fruhwald, M., Loff, S., Klingebiel, T., & Koscielniak, E. [2021]. Infantile myofibromatosis: Excellent prognosis but also rare fatal progressive disease. Treatment results of five Cooperative Weichteilsarkom Studiengruppe (CWS) trials and one registry. *Pediatr Blood Cancer*, 69(3), e29403. <https://doi.org/10.1002/pcb.29403>

83. Strauss, S. J., Frezza, A. M., Abecassis, N., Bajpai, J., Bauer, S., Biagini, R., Bielack, S., Blay, J. Y., Bolle, S., Bonvalot, S., Boukovinas, I., Bovee, J., Boye, K., Brennan, B., Brodowicz, T., Buonadonna, A., de Alava, E., Dei Tos, A. P., Garcia Del Muro, X., Dufresne, A., Eriksson, M., Fagioli, F., Fedenko, A., Ferraresi, V., Ferrari, A., Gaspar, N., Gasperoni, S., Gelderblom, H., Gouin, F., Grignani, G., Gronchi, A., Haas, R., Hassan, A. B., Hecker-Nolting, S., Hindi, N., Hohenberger, P., Joensuu, H., Jones, R. L., Jungels, C., Jutte, P., Kager, L., Kasper, B., Kawai, A., Kopeckova, K., Krákorová, D. A., Le Cesne, A., Le Grange, F., Legius, E., Leithner, A., López Pousa, A., Martin-Broto, J., Merimsky, O., Messiou, C., Miah, A. B., Mir O., Montemurro, M., Morland, B., Morosi, C., Palmerini, E., Pantaleo, M. A., Piana, R., Piperno-Neumann, S., Reichardt, P., Rutkowski, P., Safwat, A. A., Sangalli, C., Sbaraglia, M., Scheipl, S., Schöffski, P., Sleijfer, S., Strauss, D., Sundby Hall, K., Trama, A., Unk, M., van de Sande, M. A. J., van der Graaf, W. T. A., van Houdt W. J., Frebourg, T., Ladenstein, R.#, Casali, P. G.#, Stacchiotti, S.# [clinicalguidelines@esmo.org](https://doi.org/10.1016/j.annonc.2021.08.1995), E. R. N. P. E. a. [2021]. Bone sarcomas: ESMO-EURACAN-GENTURIS-ERN PaedCan Clinical Practice Guideline for diagnosis, treatment and follow-up. *Ann Oncol*. <https://doi.org/10.1016/j.annonc.2021.08.1995>  
# Shared senior authorship

84. Sturtzel, C., Hocking, J., Kirchberger, S., & Distel, M. [2021]. Studying the Tumor Microenvironment in Zebrafish. *Adv Exp Med Biol*, 1329, 69-92. [https://doi.org/10.1007/978-3-030-73119-9\\_4](https://doi.org/10.1007/978-3-030-73119-9_4)

85. Terlecki-Zaniewicz, S., Humer, T., Eder, T., Schmoellerl, J., Heyes, E., Manhart, G., Kuchynka, N., Parapatics, K., Liberante, F. G., Muller, A. C., Tomazou, E. M., & Grebien, F. [2021]. Biomolecular condensation of NUP98 fusion proteins drives leukemogenic gene expression. *Nat Struct Mol Biol*, 28(2), 190-201. <https://doi.org/10.1038/s41594-020-00550-w>

86. Thalhammer, J., Kindle, G., Nieters, A., Rusch, S., Seppanen, M. R. J., Fischer, A., Grimbacher, B., Edgar, D., Buckland, M., Mahlaoui, N., Ehl, S., & European Society for Immunodeficiencies Registry Working Party (Boztug, K. et al.). [2021]. Initial presenting manifestations in 16,486 patients with inborn errors of immunity include infections and noninfectious manifestations. *J Allergy Clin Immunol*, 148(5), 1332-1341 e1335. <https://doi.org/10.1016/j.jaci.2021.04.015>

87. Thomas, H. F., Kotova, E., Jayaram, S., Pilz, A., Romeike, M., Lackner, A., Penz, T., Bock, C., Leeb, M., Halbritter, F., Wysocka, J., & Buecker, C. [2021]. Temporal dissection of an enhancer cluster reveals distinct temporal and functional contributions of individual elements. *Mol Cell*. <https://doi.org/10.1016/j.molcel.2020.12.047>

88. Truong, T. H., Jinca, C., Mann, G., Arghirescu, S., Buechner, J., Merli, P., & Whitlock, J. A. [2021]. Allogeneic Hematopoietic Stem Cell Transplantation for Children With Acute Lymphoblastic Leukemia: Shifting Indications in the Era of Immunotherapy. *Front Pediatr*, 9, 782785. <https://doi.org/10.3389/fped.2021.782785>

89. Untermayr, E., Forster-Waldl, E., Bonelli, M., Boztug, K., Brunner, P. M., Eiwegger, T., Eller, K., Goschl, L., Grabmeier-Pfistershammer, K., Hotzenecker, W., Jordakieva, G., Moschen, A. R., Pfaller, B., Pickl, W., Reinisch, W., Wiedermann, U., Klimek, L., Bergmann, K. C., Brehler, R., Pfütznner, W., Novak, N., Merk, N., Rabe, U., Schlenker, W., Ring, J., Wehrmann, W., Mülleneisen, N., Wrede, H., Fuchs, T., Jensen-Jarolim, E. [2021]. Immunologically relevant aspects of the new COVID-19 vaccines-an OGA1 (Austrian Society for Allergology and Immunology) and AeDA (German Society for Applied Allergology) position paper. *Allergo J Int*, 1-14. <https://doi.org/10.1007/s40629-021-00178-2>

90. Valent, P., Orfao, A., Kubicek, S., Staber, P., Haferlach, T., Deininger, M., Kollmann, K., Lion, T., Virgolini, I., Winter, G., Hantschel, O., Kenner, L., Zuber, J., Grebien, F., Moriggl, R., Hoermann, G., Hermine, O., Andreeff, M., Bock, C., Mughal, T., Constantinescu, S. N., Kralovics, R., Sexl, V., Skoda, R., Superti-Furga, G., Jager, U. [2021]. Precision Medicine in Hematology 2021: Definitions, Tools, Perspectives, and Open Questions. *Hemasphere*, 5(3), e536. <https://doi.org/10.1097/HS9.0000000000000536>

91. van Tilburg, C. M., Pfaff, E., Pajtler, K. W., Langenberg, K. P. S., Fiesel, P., Jones, B. C., Balasubramanian, G. P., Stark, S., Johann, P. D., Blattner-Johnson, M., Schramm, K., Dikow, N., Hirsch, S., Sutter, C., Grund, K., von Stackelberg, A., Kulozik, A. E., Lissat, A., Borkhardt, A., Meisel, R., Reinhardt, D., Klusmann, J.-H., Fleischhack, G., Tippelt, S., von Schweinitz, D., Schmid, I., Kramm, C. M., von Bueren, A. O., Calaminus, G., Vorwerk, P., Graf, N., Westermann, F., Fischer, M., Eggert, A., Burkhardt, B., Wößmann, W., Nathrath, M., Hecker-Nolting, S., Frühwald, M. C., Schneider, D. T., Brecht, I. B., Ketteler, P., Fulda, S., Koscielniak, E., Meister, M. T., Scheer, M., Hettmer, S., Schwab, M., Tremmel, R., Øra, I., Hutter, C., Gerber, N. U., Lohi, O., Kazanowska, B., Kattamis, A., Filippidou, M., Goemans, B., Zwaan, C. M., Milde, T., Jäger, N., Wolf, S., Reuss, D., Sahn, F., von Deimling, A., Dirksen, U., Freitag, A., Witt, R., Lichter, P., Kopp-Schneider, A., Jones, D. T. W., Molenaar, J. J., Capper, D., Pfister, S. M., Witt O. [2021]. The pediatric precision oncology INFORM registry: clinical outcome and benefit for patients with very high-evidence targets. *Cancer Discov*. <https://doi.org/10.1158/2159-8290.CD-21-0094>

92. Varlet, P., Bouffet, E., Casanova, M., Giangaspero, F., Antonelli, M., Hargrave, D., Ladenstein, R., Pearson, A., Hawkins, C., König, F. B., Ruschoff, J., Schmauch, C., Buhnenmann, C., Garin-Chesa, P., Schweifer, N., Uttenreuther-Fischer, M., Gibson, N., Itrich, C., Kramer, N., Solca, F., Stolz, B., Georger, B. [2021]. Comprehensive analysis of the ErbB receptor family in pediatric nervous system tumors and rhabdomyosarcoma. *Pediatr Blood Cancer*, e29316. <https://doi.org/10.1002/pcb.29316>

93. Velez-Tirado, N., Yamazaki-Nakashimada, M. A., Lopez Valentin, E., Partida-Gaytan, A., Scheffler-Mendoza, S. C., Chaia Semerena, G. M., Alvarez-Cardona, A., Suarez Gutierrez, M. A., Medina Torres, E. A., Baeza Capetillo, P., Hirschmugl, T., Garncarz, W., Espinosa-Padilla, S. E., Aguirre Hernandez, J., Klein, C., Boztug, K., & Lugo Reyes, S. O. [2021]. Severe congenital neutropenia due to G6PC3 deficiency: Case series of five patients and literature review. *Scand J Immunol*, e13136. <https://doi.org/10.1111/sji.13136>

94. Wagner, A., Teufl, M., Gold, L., Lehner, M., Obinger, C., Sykacek, P., & Traxlmayr, M. W. [2021]. PhosphoFlowSeq - A High-throughput Kinase Activity Assay for Screening Drug Resistance Mutations in EGFR. *J Mol Biol*, 433(22), 167210. <https://doi.org/10.1016/j.jmb.2021.167210>

95. Wang, L. \*, Aschenbrenner, D. \*, Zeng, Z. \*, Cao, X., Mayr, D., Mehta, M., Capitani, M., Warner, N., Pan, J., Wang, L., Li, Q., Zuo, T., Cohen-Kedar, S., Lu, J., Ardy, R. C., Mulder, D. J., Dissanayake, D., Peng, K., Huang, Z., Li, X., Wang, Y., Wang, X., Li, S., Bullers, S., Gammage, A. N., Warnatz, K., Schiefer, A. I., Krivan, G., Goda, V., Kahr, W. H. A., Lemaire, M.; Genomics England Research Consortium, Lu, C. Y., Siddiqui, I., Surette, M.G., Kotlarz, D., Engelhardt, K.R., Griffin, H. R., Rottapel, R., Decaluwe, H., Laxer, R. M., Proietti, M., Hambleton, S., Elcombe, S., Guo, C. H., Grimbacher, B., Dotan, I., Ng, S. C., Freeman, S. A., Snapper, S. B., Klein, C., Boztug, K. #, Huang, Y. #, Li, D. #, Uhlig, H. H. #, Muise, A. M. # [2021]. Gain-of-function variants in SYK cause immune dysregulation and systemic inflammation in humans and mice. *Nat Genet*, 53(4), 500-510. <https://doi.org/10.1038/s41588-021-00803-4>  
\* Shared first authorship  
# Shared senior authorship

96. Weiss, T.\*, Taschner-Mandl, S.\*, Janker, L., Bileck, A., Rifatbegovic, F., Kromp, F., Sorger, H., Kauer, M. O., Frech, C., Windhager, R., Gerner, C., Ambros, P. F., & Ambros, I. M. [2021]. Schwann cell plasticity regulates neuroblastic tumor cell differentiation via epidermal growth factor-like protein 8. *Nat Commun*, 12(1), 1624. <https://doi.org/10.1038/s41467-021-21859-0>  
\* Shared first authorship

97. Yanir, A., Schulz, A., Lawitschka, A., Nierkens, S., & Eyrich, M. [2021]. Immune Reconstitution After Allogeneic Haematopoietic Cell Transplantation: From Observational Studies to Targeted Interventions. *Front Pediatr*, 9, 786017. <https://doi.org/10.3389/fped.2021.786017>

98. Zöllner, S. K., Amatruda, J. F., Bauer, S., Collaud, S., de Alava, E., DuBois, S. G., Harges, J., Hartmann, W., Kovar, H., Metzler, M., Shulman, D. S., Streitburger, A., Timmermann, B., Toretzky, J. A., Uhlenbruch, Y., Vieth, V., Grunewald, T. G. P., & Dirksen, U. [2021]. Ewing Sarcoma-Diagnosis, Treatment, Clinical Challenges and Future Perspectives. *J Clin Med*, 10(8). <https://doi.org/10.3390/jcm10081685>

99. Zubarovskaya, N., Hofer-Popow, I., Idzko, M., Haas, O. A., & Lawitschka, A. [2021]. SARS-CoV-2 Infection and Active, Multiorgan, Severe cGVHD After HSCT for Adolescent ALL: More Luck Than Understanding? A Case Report. *Front Pediatr*, 9, 775318. <https://doi.org/10.3389/fped.2021.775318>



## UNTERSTÜTZUNG & SPENDEN

### WIR SAGEN DANKE!

Unsere Spenderfamilie ist groß und großartig! Wir sind dankbar für die langjährige, treue Unterstützung unserer zahlreichen Förder:innen, die trotz herausfordernder Zeiten unserem Vorhaben, der Forschung zum Wohle krebskranker Kinder, seit nunmehr fast 35 Jahren treu zur Seite stehen. Die Hilfsbereitschaft der Menschen und Unternehmen mit ihren wunderbaren Ideen und ihrem großartigen Spendenengagement ist nicht enden wollend. Finanziert wird die St. Anna Kinderkrebsforschung, die seit 2002 das Österreichische Spendengütesiegel führt und zum steuerlich begünstigten Empfängerkreis gehört, von Anfang an hauptsächlich durch Spenden. Daher sagen wir Danke. Denn Sie alle schenken krebskranken Kindern eine Chance auf eine gesunde Zukunft.

### ENGAGIERTES UNTERSTÜTZUNGSKOMITEE DER ST. ANNA KINDERKREBSFORSCHUNG

Seit Langem begleitet die St. Anna Kinderkrebsforschung ein prominent besetztes Ehrenkomitee. Den Mentor:innen aus der österreichischen Politik, Wirtschaft und Kultur ist es ein besonderes Herzensanliegen, Benefiz-Projekte zugunsten der St. Anna Kinderkrebsforschung zu organisieren.

Wir bedanken uns sehr herzlich bei den engagierten Mitgliedern unseres Unterstützungskomitees: Mentorenkomitee-Präsidentin Eva Angyan, Dr. Charlotte Rothensteiner, Mag. Maria Polsterer-Kattus, Erste-Bank-AG-Vorstand Willibald Cernko, Gewista Chief Sales Officer Andrea Groh, Isabella Kapsch, Direktorin Dr. Elisabeth Gürtler, KR Brigitte Jank, Prof. Erwin Ortner, Bäckermeister Senator Kurt Mann, dem Wiener Bürger-

meister Dr. Michael Ludwig sowie seinem Amtsvorgänger und Präsident des Wiener Wissenschafts-, Forschungs- und Technologiefonds (WWFT) Dr. Michael Häupl, Meinungsforscher Prof. Rudolf Bretschneider, Interspot-Chefin Inge Klingohr, Concordia-Vorstand Mag. Ulla Konrad, der Direktorin der Wiener Urania Prof. Doris Zametzer, Galeristin Dr. Claudia Suppan, Dipl.-Ing. Stefan Graf und Maestro Franz Welser-Möst.

### UNSERE KUSCHELTIERE: KLEINE LEBENSRETTER, DIE FREUDE SCHENKEN

Bereits seit 30 Jahren sind die Kuschtiere der St. Anna Kinderkrebsforschung bei Jung und Alt sehr beliebt, als Sammelobjekte auch heiß begehrt! Jedes Jahr heißt die Maskottchenfamilie einen Neuzugang willkommen.

### JEDE SPENDE HILFT!

Mit Ihrer persönlichen Spende ermöglichen Sie die Fortsetzung unserer Forschungsarbeit im Kampf gegen Kinderkrebs. Firmen spenden immer häufiger den für Kunden-Weihnachtsgeschenke vorgesehenen Betrag. Engagieren Sie sich auf [actforstanna.at](http://actforstanna.at) und spenden Sie zu einem besonderen Anlass! Egal, ob ein runder Geburtstag, eine sportliche Herausforderung oder eine außergewöhnliche Idee. Gemeinsam sind wir stark gegen Krebs!

Auch der Verzicht auf Blumen und Kränze bei Begräbnissen, um stattdessen zu spenden, hilft krebskranken Kindern. Ein Testament oder ein Legat zugunsten der St. Anna Kinderkrebsforschung kann ebenfalls langfristig einem Kind eine gesunde Zukunft schenken.

### WIR INFORMIEREN:

Unser Wissenschaftskommunikationsteam arbeitet eng mit unseren Forscher:innen zusammen, um die wissenschaftliche Arbeit der St. Anna Kinderkrebsforschung in zahlreichen Projekten auf möglichst verständliche Weise der Öffentlichkeit zugänglich zu machen. Durch die internationale Verbreitung unserer Forschungsergebnisse möchten wir außerdem Wissenschaftler:innen weltweit ansprechen, um die besten Köpfe für eine Mitarbeit an der St. Anna Kinderkrebsforschung gewinnen.

Wir legen größten Wert darauf, klar und deutlich zu kommunizieren, dass jeder Cent, der in unsere Forschung fließt, zum Wohle der Kinder bestmöglich eingesetzt wird. Auf unseren Webseiten und Social-Media-Kanälen halten wir Sie am Laufenden über neue

Studienergebnisse, Auszeichnungen und Forschungsförderungen sowie über alle weiteren wichtigen Neuerungen in der St. Anna Kinderkrebsforschung. Somit können Sie sich jederzeit einen guten Überblick über unsere Arbeit in der Erforschung von Kinderkrebs und dessen Heilung verschaffen. Nicht immer sind neue Erkenntnisse große Durchbrüche. Aber jede neue Erkenntnis ist ein weiterer Mosaikstein, der zusammen mit vielen anderen Steinchen, echte Durchbrüche ermöglicht. Bleiben Sie am Ball und verfolgen Sie die Arbeit unserer Forschungsteams auf [www.ccri.at](http://www.ccri.at).

### WIR SIND FÜR SIE DA:

Das Team der St. Anna Kinderkrebsforschung ist Ihnen allen für die langjährige spendenfreudige Unterstützung sehr verbunden. Herzlichen Dank!

### WOLLEN SIE INFORMATIONEN, UNTERLAGEN ODER HABEN SIE FRAGEN?

Das Spendenteam, das Wissenschaftskommunikationsteam und ich freuen uns auf Ihre Kontaktaufnahme: +43 (0)1 40 470/ DW: 4000 [spende@kinderkrebsforschung.at](mailto:spende@kinderkrebsforschung.at) [www.kinderkrebsforschung.at](http://www.kinderkrebsforschung.at)

**Lisa Huto**  
Head of Marketing,  
Communication & Fundraising

## SPENDNKONTEN

**BANK AUSTRIA**  
IBAN: AT79 1200 0006 5616 6600  
BIC: BKAUATWW

**ERSTE BANK**  
IBAN: AT66 2011 1000 0318 3777  
BIC: GIBAAATWW

## IMPRESSUM

### HERAUSGEBER UND MEDIENINHABER

St. Anna Kinderkrebsforschung  
Zimmermannplatz 10, 1090 Wien  
[www.kinderkrebsforschung.at/www.ccri.at](http://www.kinderkrebsforschung.at/www.ccri.at)

### VERANTWORTLICH FÜR DEN WISSENSCHAFTLICHEN INHALT

Univ.-Prof. Dr. Kaan Boztug

### VERANTWORTLICH FÜR DEN KAUFMÄNNISCHEN INHALT

Mag. Jörg Bürger, MBA

### VERANTWORTLICH FÜR FUNDRAISING, SPENDENWERBUNG, MARKETING & WISSENSCHAFTSKOMMUNIKATION

Lisa Huto

### REDAKTION

Dr. Barbara Brunmair  
Mag. Anna Egger

### VERANTWORTLICHE SPENDENVERWENDUNG

Vorstand

### VERANTWORTLICH FÜR DATENSCHUTZ

Arnold Redhammer ([datenschutz@ccri.at](mailto:datenschutz@ccri.at))

### KONZEPTION & DESIGN

Büro X, [www.buerox.at](http://www.buerox.at)

### FOTO

Harald Eisenberger, [www.eisenberger.co.at](http://www.eisenberger.co.at)

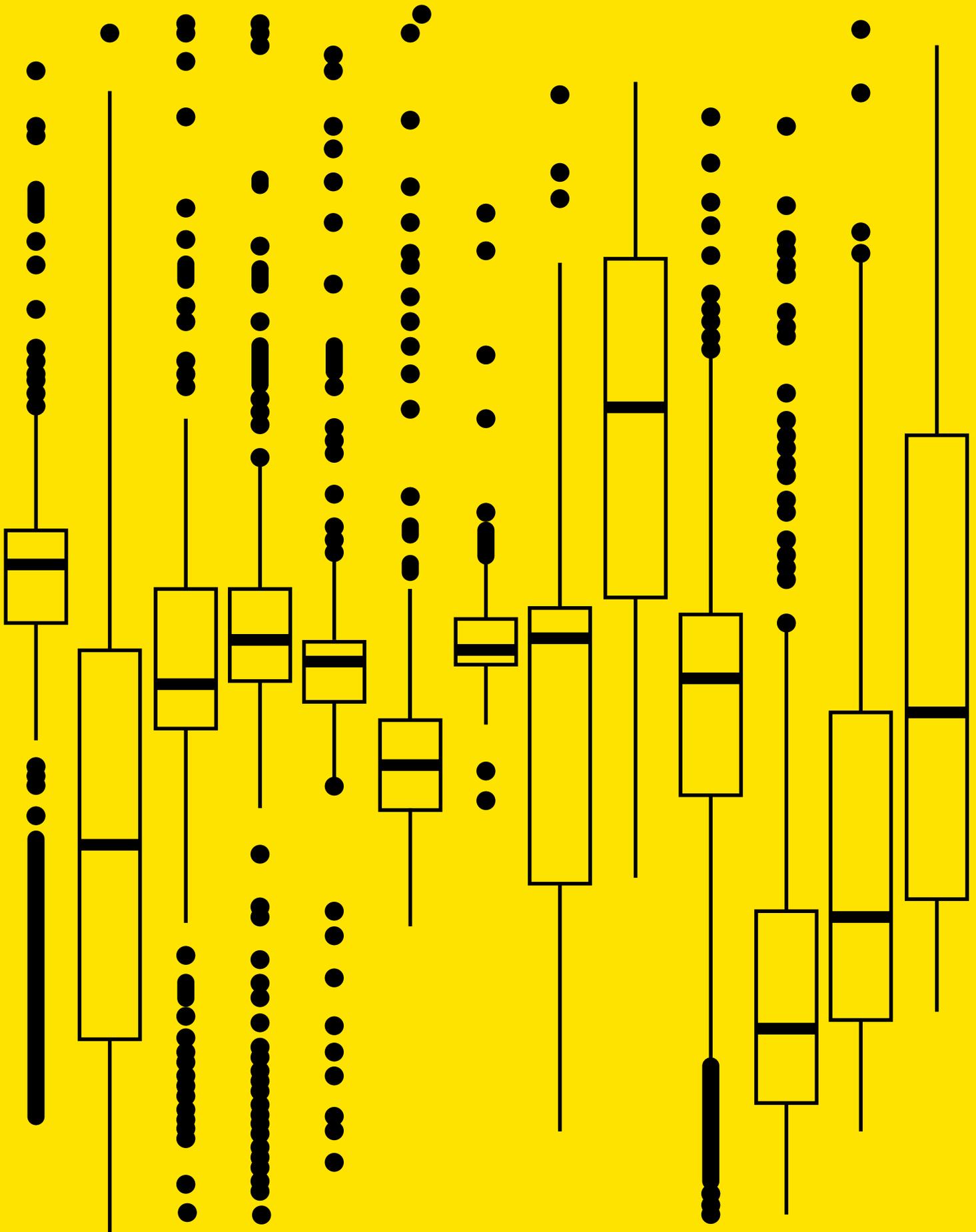
### DOWNLOAD SCIENCE REPORT

[www.kinderkrebsforschung.at/www.ccri.at](http://www.kinderkrebsforschung.at/www.ccri.at)

Wien, 2022

### UNTERSTÜTZUNG

St. Anna Kinderkrebsforschung  
Erste Bank AG  
IBAN: AT66 2011 1000 0318 3777  
BIC: GIBAAWW



[www.kinderkrebsforschung.at](http://www.kinderkrebsforschung.at)

[www.ccri.at](http://www.ccri.at)