

Aufgaben & Ziele

Der **Arbeitskreis nicht-maligne Hämatologie** initiiert und koordiniert seit 2003 ein breites Spektrum von Aktivitäten zu nicht-malignen Erkrankungen der Hämatopoese, u.a.

- Registerstudien
- Klinische Prüfungen von Medikamenten oder Therapiekonzepten
- Initiierung und Mitarbeit an Onkopedia-Leitlinien
- Forschungsprojekte zu Diagnostik und Pathophysiologie
- Entwicklung von QoL Instrumenten für nicht-maligne Erkrankungen
- Fort- und Weiterbildungsveranstaltungen zu seltenen Erkrankungen der Hämatopoese, einschließlich Patiententage
- Informationsaustausch / Unterstützung von Patientenorganisationen (Aplastische Anämie und PNH e.V.; Stiftung Lichterzellen)

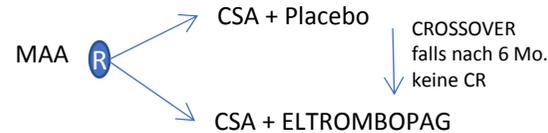
Projekte

Klinische Prüfungen:

Aplastische Anämie: EMAA-Studie: Sicherheit und Wirksamkeit von Eltrombopag bei Patienten mit erworbener moderater Aplastischer Anämie, welche auch mit Ciclosporin A behandelt werden. Investigator-initiierte klinische Studie, multinational, multizentrisch; prospektives randomisiertes doppelblindes Studiendesign. Rekrutierung ist aktiv Studienpopulation: erworbene, moderate AA mit Therapiebedürftigkeit (transfusionsbedürftig und / oder Gefährdung durch Zytopenie). Nicht spezifisch vorbehandelt.

Projekte

EMAA-Studie (Fortsetzung):



Rekrutierungsziel: 116 Patienten

Weitere Informationen: LKP Dr.med.B.Höchstmann,

• Komplementinhibitor-Studien

Verschiedene Firmen-gesponserte Studienprojekte, bei welchen der AK nicht-maligne Hämatologie eine Plattform für die Diskussion von Konzepten, die Information und die Rekrutierung darstellt.

u.a. aktuell laufende Studien zu Komplementinhibitoren bei Kälteagglutinin-Krankheit und PNH (weitere Information von Dr.B.Höchstmann und PD Dr.A.Röth)

- Unterstützung von **Registeraktivitäten** und **retrospektiven Auswertungen**:
 - Koordination **Internationales PNH-Register** für Deutschland (weitere Informationen durch Prof.Dr.H. Schrezenmeier)
 - Analysen der Patienten deutscher Zentren im PNH-Register
 - Therapie der SAA mit Kaninchen-ATG
 - Aachener Register für „**Telomeropathien und aplastische Syndrome**“ (weitere Informationen durch Prof.Dr.T.Brümmendorf und Dr.F.Beier)
 - Register zu akuten Prophyrien (weitere Informationen durch Prof.Dr.P.Petrides)
 - Register zu kongenitaler dyserythropoetischer Anämie (CDA) (weitere Informationen durch Prof.Dr.M.Bommer)
- **Neuerstellung / Bearbeitung von Onkopedia Leitlinien.**
- **Entwicklung neuer Quality of Life Fragebögen**, spezifisch für seltene, nicht-maligne hämatologische Erkrankungen (PD Dr.J.Panse)

Perspektiven

Einige dieser Erkrankungen sind (sehr) selten. Eine wesentliche Herausforderung ist daher die Information über den neuesten Stand zu Diagnostik und Therapie. Aktuell befinden sich verschiedene neue Therapiekonzepte in Prüfung (Komplementinhibitoren bei PNH, CAD; Eltrombopag bei AA). Andere Fragestellungen lassen sich nur durch Register-basierte Auswertungen beantworten. Aufgrund der Seltenheit der Erkrankungen ist eine multizentrische Kooperation essentiell. Patienten sollten frühzeitig in Expertenzentren vorgestellt werden.

Mitglieder/Kontakte

Hubert Schrezenmeier, Ulm
h.schrezenmeier@blutspende.de

Tim Brümmendorf, Aachen
tbruemendorf@ukaachen.de

Alexander Röth, Essen
alexander.roeth@uk-essen.de

Britta Höchsmann, Ulm
b.hoechsmann@blutspende.de

Fabian Beier, Aachen
fbeier@ukaachen.de

Jörg Schubert, Riesa
Joerg.schubert@elblandkliniken.de

Petro Petrides
petro.petrides@t-online.de

Martin Bommer, Göppingen
martin.bommer@af-k.de

Jens Panse, Aachen
jpanse@ukaachen.de

Internetseiten der Patientenorganisationen:
www.aplastische-anaemie.de

www.lichterzellen.de