

Startschuss für das Register „Therapie Schwerer Kombiniertes Immundefekte“

AUTOR: MANFRED HÖNIG, ULM

Für die Leitungsgruppe des Registers „Therapie Schwerer Kombiniertes Immundefekte“:
Michael Albert, München; Kaan Boztug, Wien; Stephan Ehl, Freiburg; Tayfun Güngör, Zürich;
Jörn-Sven Köhl, Berlin; Karl-Walter Sykora, Hannover

– wie Beratung, Daten und eine Biobank helfen sollen, die Versorgung von Kindern mit SCID in Deutschland, Österreich und der Schweiz zu verbessern

Schwere Kombinierte Immundefekte (SCIDs) sind seltene angeborene Immunmangelerkrankungen, bei denen zwei sehr wichtige Säulen der Infektabwehr betroffen sind. Es fehlt sowohl die zytotoxische Antwort der T-Zellen zur spezifischen Abtötung virusinfizierter Körperzellen als auch die Fähigkeit zur Bildung spezifischer Immunglobuline.

Auch wenn wir alle auf einen baldigen Beginn für das Neugeborenen-Screening für Patienten mit SCID hoffen, werden in Deutschland, Österreich und der Schweiz der weit überwiegende Teil der Diagnosen für diese Erkrankung klinisch gestellt. Das heißt, die Kinder kommen in den ersten Lebensmonaten mit schweren und manchmal akut lebensbedrohlichen Infektionen in unsere Kliniken. Wir sprechen hier von einem „immunologischen Notfall“ und rasches Handeln ist für die betroffenen Kinder lebenswichtig. Die Patienten, ihre Familien wie auch die versorgenden Kliniken werden vor erhebliche Herausforderungen gestellt. SCID ist eine seltene Erkrankung. Wir rechnen mit nicht mehr als 10–20 Neudiagnosen im Jahr. In den meisten behandelnden Kliniken kann es somit keine „Routine“ für die Situation der Erstaufnahme eines Säuglings mit SCID geben. Mit wenigen Ausnahmen ist momentan die rasche Durchführung einer Stammzelltransplantation die einzige etablierte Möglichkeit, Kinder mit SCID dauerhaft zu heilen. Die Ergebnisse dieser eingreifenden und oft auch gefährlichen Therapie sind in den vergangenen Jahrzehnten stetig besser geworden. Diese Verbesserungen im Behandlungserfolg beruhen aber nicht zuletzt auf einem immer breiter und komplexer werdenden Spektrum an therapeutischen Möglichkeiten (Spenderauswahl, Transplantataufarbeitung, Chemotherapie/Konditionierung, Therapie von Infektionserkrankungen ...). Ein regelmäßiger wissenschaftlicher Austausch zwischen Experten aus erfahrenen Kliniken ist unerlässlich, um den Überblick über etablierte und neue

Therapieoptionen zu behalten und die bestmögliche individuelle Therapieoption zu wählen.

Beratung ist daher eines der zentralen Anliegen und Angebote des Registers „Therapie Schwerer Kombiniertes Immundefekte“. In diesen ersten Tagen nach Diagnosestellung eines SCID gilt es möglichst ohne Zeitverlust alle diagnostischen und therapeutischen Entscheidungen auf eine fundierte Basis zu stellen. Das Konzept für das Therapieregister entstand aus einer gemeinsamen Initiative der GPOH (Gesellschaft für Pädiatrische Onkologie und Hämatologie) und der API (Arbeitsgemeinschaft Pädiatrische Immunologie) mit dem Auftrag, die Versorgungsqualität für Kinder mit SCID weiter zu verbessern.

Diesen Auftrag hat eine Gruppe aus sieben erfahrenen Behandlungszentren in Deutschland (Berlin, Freiburg, Hannover, München, Ulm), Österreich (Wien) und der Schweiz (Zürich) angenommen. Jedoch ist das Register ausdrücklich offen für weitere Zentren, die sich mit ihren Erfahrungen konzeptionell einbringen möchten.

Neben der Beratung gibt es zwei weitere Säulen, mit denen das Register dem Ziel der möglichst optimalen Patientenversorgung gerecht werden will: eine Daten- und eine Biobank. In der Datenbank werden Informationen zur Symptomatik vor der Transplantation, die Transplantationsdaten sowie Daten zur Erholung der Blutbildung und des Immunsystems nach Transplantation gesammelt.

Durch die wissenschaftliche Auswertung dieser Daten hoffen wir, die Behandlung zukünftiger Patienten weiter verbessern zu können. Die in der Biobank asservierten Blutbestandteile der Patienten (Blutzellen, Serum) können in wissenschaftlichen Begleitprojekten genutzt werden, um die Grundkrankheiten und die Abläufe in den gewählten Therapieformen besser zu verstehen und tragen somit ebenfalls zum Ziel der Therapieoptimierung bei.

Unser Register wird von der Kinderkrebsstiftung für die kommenden drei Jahre finanziell unterstützt und wir freuen uns, Anfang 2018 mit dem Einschluss der ersten Patienten zu beginnen.



Das Leben im „Zelt“, günstig gerade für die ganz Kleinen!

BARBARA KRAUS, STATIONSLEITUNG STAMMZELLTRANSPLANTATION
DANIELA PENZ, KINDERKRANKENSCHWESTER

„Zelt“, so nennen wir unsere Laminar Air Flow Einheiten hier an der Universitätskinderklinik in Ulm auf der Knochenmarkstransplantationsstation.

Wir verfügen über insgesamt sieben Transplantationsbetten, fünf davon sind besagte Zelte. Ziel dieser Einrichtung ist es, durch einen stetigen Fluss gefilterter Luft, möglichst alle Partikel mit Krankheitserregern von den Patienten fernzuhalten. Oft könnten wir mehr dieser Zelte gebrauchen, da die Patienten nach unserem Empfinden sehr davon profitieren. Auch viele Eltern geben uns diese Rückmeldung und fühlen sich und ihre Kinder –oft nach anfänglicher Skepsis- hier sehr gut aufgehoben. Was für ältere Kinder und erwachsene Patienten als schwer vorstellbarer Verlust an jeglicher Intimsphäre empfunden würde, ist bei Säuglingen und Kleinkindern oft ein relevanter Vorteil: wir Pflegenden können die Kinder von unserem Stützpunkt aus zu jeder Zeit sehen und die Kinder sehen uns. Auch wenn die Eltern mal nicht da sein können, wirkt das auf alle Beteiligten sehr beruhigend – auch nachts.

Die Aufnahme eines Kindes mit einem angeborenen Immundefekt ist auch für uns immer eine „größere Sache“. Oft kommen die kleinen Patienten mit ihren Eltern aus einer anderen Klinik und haben schon sehr anstrengende Tage hinter sich. Sorgen um ein krankes Kind, die Konfrontation mit einer Diagnose, von der die meisten Eltern bis dahin nichts gehört hatten, die Reise nach Ulm, die fremde Umgebung, wieder ein neues Team in der Pflege, wieder neue Ärzte und eine Fülle an Informationen, Hygienevorschriften. Durch die Umstellungen kann die Belastungsgrenze der Eltern sehr schnell erreicht werden. Gerade in diesen Situationen steht das Pflegeteam den Patienten und deren Eltern stets zur Seite.

Nach einigen Tagen der Eingewöhnung finden wir jedoch in eine Routine und wir sind dankbar für die aktive Beteiligung der Eltern in der täglichen Pflege.

Für die optimale Betreuung der Kinder ergänzen wir uns gegenseitig: Die Eltern als Spezialisten für ihre Kinder und wir Pflegenden als Spezialisten für die besonderen Anforderungen und Bedürfnisse im Rahmen der Stammzelltransplantation.

Seit 1982 wurden in der Kinderklinik Ulm über 600 Stammzelltransplantationen bei Kindern mit angeborenen Immundefekten durchgeführt.

Diese Erfahrung hilft uns sehr, die Eltern in der Zeit bei uns nach Kräften zu unterstützen. Für uns alle eine der schönsten „Belohnungen“ ist es, die Kinder nach einigen Jahren bei einem ambulanten Nachsorgetermin auf unserer Station begrüßen zu können und beim Passieren der Zelte zu zeigen: „... da warst Du auch mal drin!“



Universitätsklinikum für Kinder- und Jugendmedizin
Bereich Stammzelltransplantation
Eythstrasse 24, 89075 Ulm
Telefon Sekretariat: 0731 500 57154