



kinderblutkrankheiten.de

Informationsportal zu Blut- und Gerinnungserkrankungen bei Kindern und Jugendlichen

[www.kinderblutkrankheiten.de](http://www.kinderblutkrankheiten.de)

# Aplastische Anämie

Copyright © 2017 [www.kinderkrebsinfo.de](http://www.kinderkrebsinfo.de)

Autoren: PD Dr. med. Ayami Yoshimi, PD Dr. med. Brigitte Strahm, Redaktion: Ingrid Grüneberg,  
Freigabe: Dr. med. habil. G. Tallen, Prof. Dr. med. U. Creutzig, zuletzt bearbeitet: 28.02.2017

Mit Unterstützung von



An der





# Inhaltsverzeichnis

1. Krankheitsbild: Was ist die aplastische Anämie? .....	5
2. Häufigkeit: Wie oft kommt eine aplastische Anämie vor? .....	6
3. Ursachen: Wie entsteht die erworbene aplastische Anämie? .....	7
4. Krankheitszeichen: Welche Beschwerden haben Patienten mit aplastischer Anämie? .....	8
4.1. Blutarmut (Anämie; Mangel an roten Blutzellen) .....	8
4.2. Abwehrschwäche (Mangel an weißen Blutzellen) .....	8
4.3. Blutungsneigung (Mangel an Blutplättchen) .....	8
5. Diagnose: Wie wird eine aplastische Anämie festgestellt? .....	9
5.1. Untersuchung des Blutes (Blutbild) .....	9
5.2. Untersuchung des Knochenmarks .....	10
5.2.1. Mikroskopische Untersuchung des Knochenmarks .....	10
5.3. Untersuchung des Erbmaterials (zytogenetische und molekulargenetische Analysen) .....	10
6. Behandlung: Wie werden Patienten mit aplastischer Anämie behandelt? .....	11
6.1. Nicht schwere aplastische Anämie (NSAA) .....	11
6.2. Schwere aplastische Anämie (SAA) .....	11
6.2.1. Allogene hämatopoetische Stammzelltransplantation (HSZT) .....	11
6.2.2. Immunsuppressive Therapie (IST) .....	12
6.2.3. Unterstützende (supportive) Therapie während der Behandlung einer aplastischen Anämie .....	13
6.2.3.1. Ersatz von Blutbestandteilen (Bluttransfusionen) .....	13
6.2.3.1.1. Transfusion von Erythrozytenkonzentraten (Ek) .....	13
6.2.3.1.2. Normwerte für Erythrozytenanzahl, Hämoglobin und Hämatokrit .....	13
6.2.3.1.3. Transfusion von Thrombozytenkonzentraten (Tk) .....	14
6.2.3.2. Vorbeugung und Behandlung von Infektionen .....	14
7. Prognose: Wie sind die Zukunftsaussichten für Patienten mit aplastischer Anämie? .....	15
Literaturverzeichnis .....	16
Glossar .....	17



# Aplastische Anämie

Die aplastische Anämie ist eine seltene Krankheit des blutbildenden Systems, die durch eine Verminderung aller Blutzellen (Panzytopenie) und einen geringen Gehalt blutbildender Zellen im Knochenmark charakterisiert ist. Die Krankheit kann angeboren oder erworben sein.

Der folgende Text bietet Informationen zur **erworbenen aplastischen Anämie**. Prinzipiell ist es ist bei Kindern mit Diagnose einer aplastischen Anämie sehr wichtig, angeborene Erkrankungen mit einem Knochenmarkversagen (beispielsweise eine *Fanconi-Anämie*, ein *Shwachman-Diamond-Syndrom* oder eine Dyskeratosis Congenita) auszuschließen.

Die erworbene aplastische Anämie kann in allen Altersgruppen auftreten. Für die Behandlung der Erkrankung stehen prinzipiell zwei Behandlungsverfahren zur Verfügung: die Transplantation von blutbildenden Stammzellen aus dem Knochenmark (hämatopoetische Stammzelltransplantation, HSZT) oder eine *immunsuppressive* Therapie (IST). Durch die Behandlung kann ein großer Teil der Betroffenen geheilt werden. Die Behandlung sollte in einem auf die Behandlung von Kindern und Jugendlichen mit Bluterkrankungen spezialisierten Zentrum erfolgen.

## Anmerkungen zum Text

Der folgende Informationstext richtet sich an Patienten, die von der aplastischen Anämie betroffen sind, und an deren Angehörige, Freunde, Lehrer und andere Bezugspersonen sowie an die interessierte Öffentlichkeit. Er soll dazu beitragen, diese Erkrankung, die Möglichkeiten ihrer Behandlung und die Probleme und besonderen Bedürfnisse der betroffenen Patienten besser zu verstehen.

Unsere Informationen ersetzen nicht die erforderlichen klärenden Gespräche mit den behandelnden Ärzten und weiteren Mitarbeitern des Behandlungsteams; sie können aber dabei behilflich sein, diese Gespräche vorzubereiten und besser zu verstehen.

Die in diesem Patiententext enthaltenen Informationen sind vor allem auf der Grundlage der unten angegebenen Literatur sowie unter Berücksichtigung der aktuellen Leitlinie zur Behandlung von Kindern und Jugendlichen mit aplastischer Anämie erstellt worden. Der Text wurde durch die oben angegebenen Editoren im November 2016 überprüft und zur Einstellung ins Internet für die Dauer von fünf Jahren freigegeben. Er soll spätestens nach Ablauf dieser Frist erneut überprüft und aktualisiert werden.

Bitte beachten Sie, dass es sich im Folgenden um allgemeine Informationen und Empfehlungen handelt, die – aus der komplexen Situation heraus – nicht notwendigerweise in ihrer Gesamtheit bei jedem Patienten zutreffen. Viele Therapieempfehlungen müssen im Einzelfall und interdisziplinär entschieden werden. Ihr Behandlungsteam wird Sie über die für Sie zutreffenden Maßnahmen informieren.

## Basisliteratur



*Yoshimi A, Strahm B, Baumann I, Furlan I, Schwarz S, Teigler-Schlegel A, Walther JU, Schlegelberger B, Göhring G, Nöllke P, Führer M, Niemeyer CM Hematopoietic stem cell transplantation in children and young adults with secondary myelodysplastic syndrome and acute myelogenous leukemia after aplastic anemia., Biology of blood and marrow transplantation 2014;20(3):425-9, 24316460 pubmed*

*Peffault de Latour R, Peters C, Gibson B, Strahm B, Lankester A, de Heredia CD, Longoni D, Fioredda F, Locatelli F, Yaniv I, Wachowiak J, Donadieu J, Lawitschka A, Bierings M, Wlodarski M, Corbacioglu S, Bonanomi S, Samarasinghe S, Leblanc T, Dufour C, Dalle JH, Pediatric Working Party of the European Group for Blood and Marrow Transplantation., Severe Aplastic Anemia Working Party of the European Group for Blood and Marrow Transplantation. Recommendations on hematopoietic stem cell transplantation for inherited bone marrow failure syndromes., Bone marrow transplantation 2015 Sep;50(9):1168-72, 26052913 pubmed*

*Niemeyer CM, Baumann I Classification of childhood aplastic anemia and myelodysplastic syndrome., Hematology / the Education Program of the American Society of Hematology. American Society of Hematology. Education Program 2011;2011:84-9, 22160017 pubmed*



## 1. Krankheitsbild: Was ist die aplastische Anämie?

Die aplastische Anämie ist eine schwerwiegende Störung der Blutbildung. Alle Blutzellen, die im Blut eines Menschen vorkommen, entstehen aus den blutbildenden Stammzellen des Knochenmarks. Es werden rote Blutzellen (Erythrozyten), Blutplättchen (Thrombozyten) und die Gruppe der weißen Blutzellen (Leukozyten) voneinander unterschieden.

Bei der aplastischen Anämie kommt es vermutlich durch eine Fehlfunktion des eigenen Abwehrsystems (*Immunsystems*) zu einem Angriff der körpereigenen Abwehrzellen auf die eigenen blutbildenden Stammzellen des Knochenmarks. In der Folge zeigt sich eine Verminderung und eine Fehlfunktion oder sogar ein komplettes Fehlen aller Blutzellen im Blut (Panzytopenie). Dadurch können schwerwiegende gesundheitliche Probleme entstehen.



## 2. Häufigkeit: Wie oft kommt eine aplastische Anämie vor?

Die aplastische *Anämie* ist eine seltene Krankheit. In Mitteleuropa betrifft sie pro Jahr ungefähr 2-3 Individuen pro 1 Million Einwohner, bezogen auf alle Altersgruppen. In Deutschland liegt die Anzahl der Kinder unter 16 Jahren, die pro Jahr neu an einer aplastischen Anämie erkranken, bei ca. **25**, bei Erwachsenen sind es ca. 160 bis 200 neuerkrankte Patienten pro Jahr.



### 3. Ursachen: Wie entsteht die erworbene aplastische Anämie?

Bei allen Patienten mit erworbener aplastischer *Anämie* besteht eine deutliche Verminderung der blutbildenden *Stammzellen* im Knochenmark. Bei der Mehrheit der Patienten (über 80%) erfolgt die Schädigung der Stammzellen durch eine fehlerhafte Reaktion des körpereigenen Abwehrsystems, eine so genannte *autoimmune* Reaktion.

Die Auslöser für diese Autoimmunreaktion können in der Regel nicht identifiziert werden. Man spricht daher auch von einer idiopathischen aplastischen Anämie.

Bei einem kleinen Teil der Patienten werden Medikamente (zum Beispiel *Zytostatika*, *Antibiotika*, Schilddrüsenmedikamente, Antirheumatika), Chemikalien (zum Beispiel Benzol, Pestizide, Lindan), Viren (z.B. *Epstein-Barr-Virus*, *Parvovirus B19*, *Zytomegalie-Virus*) oder eine intensive *radioaktive* Bestrahlung als Auslöser angesehen. Ungefähr 5 bis 10% der Patienten waren vor der Entwicklung einer aplastischen Anämie an einer Leberentzündung (*Hepatitis*) erkrankt.



## 4. Krankheitszeichen: Welche Beschwerden haben Patienten mit aplastischer Anämie?

Die Krankheitszeichen (Symptome) der aplastischen Anämie entstehen durch einen Mangel an allen Blutbestandteilen, den roten und weißen Blutzellen sowie den Blutplättchen.

### 4.1. Blutarmut (Anämie; Mangel an roten Blutzellen)

Die Aufgabe der roten Blutzellen (*Erythrozyten*) ist es, den lebensnotwendigen Sauerstoff, der beim Einatmen über die Lunge aufgenommen wird, zu den Organen und Geweben des Körpers zu transportieren. Die typischen Zeichen einer Anämie sind zunehmende Blässe, Müdigkeit, Kopfschmerzen, Luftnot (vor allem bei Anstrengung) und Schwäche.

### 4.2. Abwehrschwäche (Mangel an weißen Blutzellen)

Durch den Mangel an weißen Blutkörperchen (*Leukozyten*) ist der Körper infektionsgefährdet. Da häufig vor allem die *Granulozyten* - die Untergruppe der weißen Blutzellen, die *Bakterien* und Pilze abwehren - vermindert sind, kommen besonders Infektionen mit Bakterien und Pilzen vor. Jedoch sind auch die *Lymphozyten*, die hauptsächlich Viren abwehren, vermindert oder sie funktionieren schlechter, so dass auch *Virusinfektionen* vorkommen.

Typischerweise treten bei Patienten mit aplastischer Anämie *Infektionen* insgesamt häufiger auf als in der gesunden Bevölkerung. Sie verlaufen bei diesen Patienten auch schwerwiegender und werden durch seltene Erreger ausgelöst. Besteht ein schwerer Mangel an weißen Blutzellen, insbesondere der Granulozyten, können die Infektionen lebensbedrohliche Verläufe annehmen.

### 4.3. Blutungsneigung (Mangel an Blutplättchen)

Blutplättchen (*Thrombozyten*) spielen eine wichtige Rolle bei der Blutgerinnung. Sind sie vermindert, kommt es sowohl nach Verletzungen als auch spontan schneller zu Blutungen.

Hierzu gehören die sichtbaren Blutungen der Haut und Schleimhäute (kleine, punktförmige Hautblutungen (*Petechien*), blaue Flecken (*Hämatome*), Nasen- und Zahnfleischbluten, aber auch schwerwiegende Blutungen der inneren Organe oder des Gehirns. Das Risiko für solche schweren Blutungen ist umso höher, je größer der Mangel an Blutplättchen ist.



## 5. Diagnose: Wie wird eine aplastische Anämie festgestellt?

Vermutet der Arzt aufgrund der Krankheitsgeschichte (*Anamnese*) und nach körperlicher Untersuchung des Patienten eine aplastische *Anämie*, so sind folgende weiterführende Untersuchungen angezeigt:

- Untersuchung von Blut aus einer Körpervene (Zählung der Blutzellen aus dem *peripheren* Blut - *Blutbild*)
- Untersuchung von Blut aus dem *Knochenmark* (erneute Zählung plus Beurteilung von Aussehen, Reifegrad und anderen Eigenschaften der Blutzellen)
- Untersuchung des Erbmaterials (Chromosomen)

### 5.1. Untersuchung des Blutes (Blutbild)

Zunächst erfolgt eine Blutentnahme, um ein Blutbild zu erstellen.

Abhängig von der Ausprägung des Mangels an Blutzellen gibt es unterschiedliche Schweregrade der aplastischen Anämie, die entsprechend behandelt werden (siehe *Behandlung*).

#### Einteilung der Schweregrade bei der Aplastischen Anämie

Schweregrad	Blutbild
Nicht schwere aplastische Anämie (Non severe aplastic anemia, NSAA)	Granulozyten kleiner $1,5 \times 10^9/l$ Thrombozyten kleiner $50 \times 10^9/l$ Retikulozyten kleiner $60 \times 10^9/l$ oder Hb kleiner 10 g/dl
Schwere aplastische Anämie (Severe aplastic anemia, SAA)	Granulozyten kleiner $0,5 \times 10^9/l$ Thrombozyten kleiner $20 \times 10^9/l$ Retikulozyten kleiner $20 \times 10^9/l$
Sehr schwere aplastische Anämie (Very severe aplastic anemia, VSAA)	Granulozyten kleiner $0,2 \times 10^9/l$ Thrombozyten kleiner $20 \times 10^9/l$ Retikulozyten kleiner $20 \times 10^9/l$

#### Erläuterungen

Granulozyten - Untergruppe der weißen Blutzellen (Leukozyten)

Thrombozyten - Blutplättchen

Retikulozyten - Vorstufe der roten Blutzellen

Hb - Hämoglobin (roter Blutfarbstoff)

Wichtig zu wissen: Bei einer aplastischen Anämie findet der Arzt im Blutbild des Patienten typischerweise einen Mangel an weißen Blutzellen (Leukozytopenie), insbesondere den Granulozyten (Granulozytopenie), an Blutplättchen (Thrombozytopenie) und an roten Blutzellen (Anämie) und deren Vorstufen (Retikulozyten).



## 5.2. Untersuchung des Knochenmarks

Bei der Verminderung mehrerer Blutzellarten im Blut muss eine Knochenmarkuntersuchung durchgeführt werden. Das Knochenmark wird hierfür aus dem Beckenknochen entnommen.

Neben dem flüssigen Knochenmarkblut, welches in eine Spritze angesaugt (aspiriert) wird, muss hier auch ein kleines Stück des Beckenknochens (circa 1 mm durchmessender Zylinder), eine sogenannte Knochenmarkbiopsie, entnommen werden. Diese Untersuchungen sollten in einem auf die Diagnose und Behandlung von Blut- und Krebserkrankungen im Kindes- und Jugendalter spezialisierten Krankenhaus erfolgen.

An dem entnommenen Knochenmark werden in der Regel die folgenden Untersuchungen durchgeführt:

### 5.2.1. Mikroskopische Untersuchung des Knochenmarks

Bei Untersuchung des Knochenmarks durch ein *Mikroskop* zeigt sich ein so genanntes „leeres“ Knochenmark. Das bedeutet, dass die blutbildenden Zellen, die bei Gesunden im Knochenmark zu finden sind, fehlen und zum Teil durch Fettzellen ersetzt sind.

Eine deutliche Verminderung der blutbildenden Zellen findet sich jedoch auch bei anderen Erkrankungen. Hierzu gehören beispielsweise das angeborene Knochenmarkversagen oder das myelodysplastische Syndrom [siehe *myelodysplastisches Syndrom*]. Deshalb sind noch weitere Untersuchungen notwendig, um die Diagnose einer aplastischen Anämie zu bestätigen beziehungsweise von anderen Erkrankungen abzugrenzen.

Experten können andere Erkrankungen, insbesondere die *akuten Leukämien*, bereits bei der Ansicht von Blutzellen unter dem Mikroskop erkennen.

## 5.3. Untersuchung des Erbmaterials (zytogenetische und molekulargenetische Analysen)

Um eine Leukämie oder ein myelodysplastisches Syndrom sowie andere Ursachen für den Mangel an Blutzellen sicher auszuschließen, bedarf es zusätzlicher, insbesondere *zytogenetischer* und *molekulargenetischer* Untersuchungen.

Bei zytogenetischen Untersuchungen werden *Chromosomen* aus Knochenmarkzellen unter dem Mikroskop betrachtet und beurteilt. Es können mögliche Auffälligkeiten in der Anzahl wie auch in der Struktur der Chromosomen nachgewiesen werden. Die Befunde werden im sogenannten Karyotyp beschrieben. Bei einer erworbenen aplastischen Anämie findet man generell keine Abweichungen vom normalen Chromosomenbefund. Der Nachweis von Veränderungen der Chromosomen oder von anderen molekulargenetischen Veränderungen hingegen spricht am ehesten für das Vorliegen eines myelodysplastischen Syndroms oder einer anderen Erkrankung.

Hierzu zählen die *Fanconi-Anämie*, das *Shwachman-Diamond-Syndrom*, die paroxysmale nächtliche Hämoglobinurie oder das Zinsser-Cole-Engman-Syndrom (Dyskeratosis congenita).



## 6. Behandlung: Wie werden Patienten mit aplastischer Anämie behandelt?

Die Behandlung der aplastischen Anämie richtet sich nach dem Schweregrad der Erkrankung. Es gibt insgesamt drei Schweregrade, deren Einteilung durch das Ausmaß des Mangels an Blutzellen bestimmt ist. (s. *Diagnose - Untersuchung des Blutbildes*)

### 6.1. Nicht schwere aplastische Anämie (NSAA)

Bei dieser Form kann man je nach Zustand des Patienten durchaus abwarten. Die Lebenserwartung dieser Patienten ist auch ohne Therapie kaum beeinträchtigt.

### 6.2. Schwere aplastische Anämie (SAA)

Eine spontane Rückbildung kommt bei schwerer aplastischen Anämie nicht vor. Zur Behandlung stehen grundsätzlich folgende Therapiemaßnahmen zur Verfügung:

- Transplantation von blutbildenden *Stammzellen* (hämatopoietische Stammzelltransplantation eines Verwandten (allogene HSZT), dazu mehr hier ...
- *immunsuppressive* Therapie (IST), das heißt, eine Behandlung mit Medikamenten, welche die Funktion des Abwehrsystems (*Immunsystems*) beeinflussen
- unterstützende Therapie (Supportivtherapie).

Die Entscheidung zwischen HSZT und IST richtet sich vor allem nach dem Vorhandensein eines geeigneten, so genannten *HLA-identischen* Spenders. Kann ein solcher Spender in der Familie (zum Beispiel Geschwister) gefunden werden, sollte so bald wie möglich eine HSZT durchgeführt werden. Langes Zuwarten vor der Transplantation und eine große Anzahl von Bluttransfusionen vor der HSZT können die Ausgangslage des Patienten verschlechtern. Findet sich kein passender Spender, ist die immunsuppressive Therapie (IST) die Therapie der Wahl. Eine frühzeitige Therapieplanung durch Experten in einem spezialisierten Zentrum ist unbedingt notwendig, damit diese Entscheidungsfindung nach bestem Wissen erfolgt.

#### 6.2.1. Allogene hämatopoetische Stammzelltransplantation (HSZT)

Bei der allogenen Blutstammzelltransplantation (allogene HSZT) erhält der Patient *Blutstammzellen* von einem anderen Menschen ("allo-" ist eine griechische Silbe und bedeutet "anders" oder "fremd"). Es kann sich dabei um einen Verwandten oder um einen Fremden handeln (je nach Art des Spenders wird zum Teil auch von Familienspender- beziehungsweise Fremdspender-Transplantation gesprochen).

Für Kinder mit einem passenden (HLA-identischen) verwandten (Geschwister-) Spender ist die HSZT die Therapie der Wahl. Es handelt sich dabei um eine intensive, jedoch erfolgsversprechende Therapie: Bis zu 90% aller Kinder mit aplastischer Anämie können durch die HSZT geheilt werden.



Eine allogene HSZT mit Stammzellen von einem nicht verwandten Spender (Fremdspender) ist aufgrund der geringeren Gewebeerträglichkeit zwischen Spender und Empfänger mit vergleichsweise höheren Risiken verbunden und wird daher noch nicht als Therapie der Wahl empfohlen. Allerdings wurden die Ergebnisse nach HSZT vom gut passenden Fremdspender in den letzten Jahren kontinuierlich verbessert. Somit kann diese Behandlung für manche Kinder zukünftig, das heißt nach weiterer Prüfung ihrer Sicherheit und Verträglichkeit im Rahmen klinischer Studien, eine erfolgsversprechende Therapieform sein.

Ausführliche Informationen zur allogenen HSZT finden Sie auf unseren Webseiten:

[Ausführliche Informationen](#)

### 6.2.2. Immunsuppressive Therapie (IST)

Falls kein passender Spender für eine HSZT gefunden werden kann, oder eine HSZT für den Patienten, beispielsweise aufgrund von Begleiterkrankungen, nicht in Frage kommt, bietet die *Immunsuppression* eine weitere Behandlungsmöglichkeit. Dabei wird durch eine Kombination mehrerer Medikamente die fehlerhafte Immunreaktion, die zur Verminderung der blutbildenden Stammzellen im Knochenmark geführt hat, unterdrückt.

In den letzten Jahren hat sich hier die Kombination aus Antithymozytenglobulin (ATG) und Cyclosporin (CSA) bewährt. Bei einer schweren aplastischen Anämie ist manchmal zusätzlich die Gabe eines Wachstumsfaktors, der die körpereigene Produktion von *Granulozyten* stimuliert (Granulocyte Colony stimulating Factor = G-CSF), angezeigt, um das Risiko einer *Infektion* zu verringern.

Während der ersten vier Tage der Behandlung im Krankenhaus wird ATG über die Vene zugeführt. Zusätzlich erhalten die Patienten über vier Wochen *Glukokortikoide*. CSA wird über mindestens sechs Monate gegeben. Sobald sich der Patient gut fühlt und sich seine Blutwerte stabilisiert haben, kann er nach Hause entlassen werden und die Medikamente auch als Tablette oder Saft einnehmen.

Durch die IST kann innerhalb von durchschnittlich etwa zwei bis vier Monaten bei etwa 60% der Patienten ein ausreichender Anstieg der Blutzellen erreicht werden, so dass in der Regel keine *Bluttransfusionen* mehr angezeigt sind. Auch das Infektionsrisiko sinkt nach einer IST. Eine vollständige Normalisierung der Blutwerte wird allerdings nur bei ca. 50% der Patienten erreicht.

Nach einer IST besteht bei etwa 30 % der Patienten langfristig allerdings das Risiko, dass die Erkrankung wiederkehrt. Etwa 20 % können eine so genannte klonale Erkrankung (*akute myeloische Leukämie/ myelodysplastisches Syndrom*) oder eine paroxysmale nächtliche Hämoglobinurie entwickeln. Bei diesen Patienten ist in der Regel eine allogene HSZT mit Stammzellen von einem passenden unverwandten Stammzellspender oder Spender aus der erweiterten Familie angezeigt (*siehe oben*).

Kommt es jedoch in den ersten 3 - 6 Monaten nach der IST nicht zu einer deutlichen Besserung der Blutbildung, oder nach erfolgreicher Therapie zu einem Rückfall der aplastischen Anämie, sollte



eine HSZT von einem gut passendem Fremdspender durchgeführt werden. Eine Wiederholung der IST wird im Allgemeinen nicht empfohlen.

### **6.2.3. Unterstützende (supportive) Therapie während der Behandlung einer aplastischen Anämie**

Die Therapie der aplastischen Anämie erfordert, je nach Art der angewandten Behandlungsform (HSZT oder IST), verschiedene unterstützende Maßnahmen (Supportivtherapie). Diese tragen dazu bei, krankheitsbedingte *Symptome* sowie behandlungsbedingte Nebenwirkungen zu behandeln oder diesen vorzubeugen.

Weitere Erläuterungen zur Supportivtherapie finden Sie unserem Partnerportal [www.kinderkrebsinfo.de](http://www.kinderkrebsinfo.de).

[Ausführliche Informationen](#)

#### **6.2.3.1. Ersatz von Blutbestandteilen (Bluttransfusionen)**

Eine Blutarmut (Anämie) und / oder ein Mangel an Blutplättchen (Thrombozytopenie), die mit gesundheitlichen Problemen (siehe „*Krankheitszeichen*“) einhergehen, können durch die *Bluttransfusionen* (Gabe von roten Blutzellen beziehungsweise Blutplättchen) behandelt werden.

##### **6.2.3.1.1. Transfusion von Erythrozytenkonzentraten (Ek)**

Die Feststellung einer *Anämie* erfolgt in der Regel über die Bestimmung des roten Blutfarbstoffs *Hämoglobin* (abgekürzt: Hb), der in den roten Blutzellen enthalten ist. Kinder und Jugendliche mit aplastischer Anämie haben verminderte "Hb-Werte", das heißt, ein im Vergleich zu den altersentsprechenden Normwerten vermindertes Hämoglobin.

Treten bei den Patienten gleichzeitig Zeichen einer Anämie auf, wie Hautblässe, Müdigkeit, Schwäche, Luftnot, Leistungsminderung, Rücken- oder Kopfschmerzen (siehe "Krankheitszeichen"), kann ein Ersatz fehlender roter Blutzellen (Erythrozyten) erforderlich sein. Durch die *Transfusion* von *Erythrozytenkonzentraten* (abgekürzt: Ek) werden gezielt rote Blutzellen zugeführt.

Bei der regelmäßigen Transfusion von Erythrozyten wird dem Körper eine große Menge von Eisen zugeführt, welches sich im Lauf der Zeit in Organen (vor allem der Leber und dem Herzen) ablagert und diese schädigt. Bei Patienten mit anderen Erkrankungen, die langfristig auf Transfusionen von Erythrozyten angewiesen sind, muss daher eine Eisenentzugstherapie durchgeführt werden.

##### **6.2.3.1.2. Normwerte für Erythrozytenanzahl, Hämoglobin und Hämatokrit**

Die altersentsprechenden Normwerte für *Hämoglobin* (Hb-Wert) und für *Hämatokrit* (HK-Wert) sind in einer Tabelle aufgeführt. Zur Tabelle hier

Bei Kindern jenseits des Säuglingsalters liegen der Hämoglobin-Wert normalerweise zwischen 10 und 16g/dl und der Hämatokrit-Wert zwischen 30 und 49%.



Genauere altersentsprechende Werte zu den Erythrozytenanzahlen, Hämoglobin und Hämatokrit finden Sie hier.. Auf diesen Seiten werden zulässige Abweichungen, sogenannte Referenzintervalle der Normwerte, grafisch dargestellt.

#### **6.2.3.1.3. Transfusion von Thrombozytenkonzentraten (Tk)**

Blutplättchen (*Thrombozyten*) sind für die Blutstillung verantwortlich. Ein starker Abfall der Thrombozytenzahl (so genannte Thrombozytopenie) bedeutet eine Blutungsgefährdung. Eine *Thrombozytopenie* liegt vor, wenn die Zahl der Blutplättchen unter 150.000 pro Mikroliter liegt.

Hinweise auf eine erhöhte Blutungsgefährdung durch mangelnde Blutplättchenzahl sind kleine punktförmige Haut- oder Schleimhautblutungen, die allerdings erst bei Thrombozytenwerten unter 30.000 pro Mikroliter Blut sichtbar werden.

Blutplättchen (Thrombozyten) können ebenfalls effektiv übertragen (transfundiert) werden und so schwere Blutungen verhindern. Mittelfristig besteht jedoch das Risiko, dass das Abwehrsystem des Patienten gegen Thrombozyten von Spendern sensibilisiert wird und diese bekämpft. In diesen Situationen ist das Risiko für das Auftreten von schweren Blutungen sehr hoch.

#### **6.2.3.2. Vorbeugung und Behandlung von Infektionen**

Durch die aplastische Anämie, aber auch durch deren Behandlung, sind die Patienten abwehrgeschwächt. Sie müssen daher so gut wie möglich vor Infektionen geschützt und im Falle des Auftretens von Infektionen schnellst möglich behandelt werden. Neben der Vermeidung von Kontakten zu Menschen mit Infektionen gehören zu den notwendigen Maßnahmen die vorbeugende Verabreichung von Medikamenten gegen spezielle Bakterien und Pilz sowie die schnelle Gabe von Antibiotika bei Auftreten von Fieber.

Wichtig zu wissen: Grundsätzlich sind Infektionen bei immungeschwächten Kindern als lebensbedrohlich anzusehen. Die Vorbeugung und Behandlung von Infektionen ist daher äußerst wichtig.

Ausführliche Informationen zu Infektionen bei abwehrgeschwächten Kindern und Jugendlichen finden Sie in unserem Partnerportal [www.kinderkrebsinfo.de](http://www.kinderkrebsinfo.de) unter [Infektionen](#) mit Seiten zu:

- Krankheitszeichen, die auf eine Infektion hinweisen
- Vorbeugung von Infektionen
- Behandlungen von Infektionen



## 7. Prognose: Wie sind die Zukunftsaussichten für Patienten mit aplastischer Anämie?

Die Aussichten, dass ein Patient mit aplastischer Anämie erfolgreich behandelt werden kann, sind gut, obwohl es sich um eine lebensbedrohliche Erkrankung handelt.

Die allogene hämatopoietische Stammzelltransplantation (HSZT) von einem passenden (*HLA*-identischen) Geschwisterspender (siehe „*Behandlung*“) führt bei 80 - 90% der Patienten ohne schwere Komplikationen zur Heilung. Auch eine HSZT von einem geeigneten Fremdspender kann Patienten mit aplastischer Anämie heilen. Allerdings kommt es hierbei noch immer bei vielen Kindern und Jugendlichen (ca. 20 - 30 %) zu schweren, manchmal auch tödlichen Komplikationen.

Eine HSZT ist eine intensive Therapie. Die Patienten sollten sich nach Abschluss der akuten Behandlung lebenslang mindestens einmal jährlich bei einem Experten zu Nachsorgeuntersuchungen vorstellen, um Langzeitnebenwirkungen rechtzeitig zu erkennen und behandeln zu können.

Patienten, die erfolgreich mit einer immunsuppressiven Therapie (IST) (siehe „*Behandlung*“) behandelt wurden, können langfristig wieder ein normales Leben führen. Andererseits spricht etwa die Hälfte der Patienten nicht auf die Therapie an oder erleidet einen Rückfall oder eine Folgeerkrankung. Diese Patienten müssen dann transplantiert werden.

Diejenigen Patienten, die gut auf die Therapie ansprechen, sollten unbedingt aufgrund des Risikos eines Rückfalls oder einer Folgeerkrankung regelmäßig Nachsorgeuntersuchungen wahrnehmen. Diese vereinbaren Sie bitte mit Ihrem Behandlungsteam.



# Literaturverzeichnis



# Glossar

akut	plötzlich auftretend, schnell verlaufend
akute myeloische Leukämie	Myeloblastenleukämie, zweithäufigste Leukämieform des Kindes- und Jugendalters
Anämie	Blutarmut; Verminderung des roten Blutfarbstoffs (Hämoglobin) und/oder des Anteils der roten Blutkörperchen (Hämatokrit) im Blut unter den für ein bestimmtes Alter typischen Normwert. Zeichen einer Anämie sind z.B. Blässe, Kopfschmerzen, Schwindel, Schlappeitsgefühl.
Anamnese	Krankengeschichte, Entwicklung von Krankheitszeichen; im ärztlichen Anamnesegespräch mit dem Kranken werden Art, Beginn und Verlauf der (aktuellen) Beschwerden sowie eventuelle Risikofaktoren (z.B. Erbkrankheiten) erfragt.
Antibiotika	Mehrzahl von Antibiotikum
autoimmun	Reaktion des Abwehrsystems (Immunsystem) gegen körpereigenes Gewebe (mehr siehe Autoimmunkrankheit)
Bakterien	kleinste Lebewesen, die aus einer einzigen Zelle ohne Zellkern bestehen und zahlreiche Krankheiten (bakterielle Infektionen) auslösen können; diese kann man allerdings größtenteils erfolgreich mit Antibiotika behandeln.
Blutbild	Blutanalyse zur Bestimmung der qualitativen und quantitativen Zusammensetzung des Blutes in einer Blutprobe: Untersucht werden u.a. die Zahl der roten und weißen Blutkörperchen sowie der Blutplättchen, der Hämoglobingehalt (Hb-Wert) des Blutes und der Volumenanteil der roten Blutkörperchen am Gesamtblut (Hämatokrit). Das "große Blutbild" beinhaltet zusätzlich ein so genanntes Differentialblutbild, bei dem speziell die weißen Blutzellen genauer auf ihre Zusammensetzung (prozentuale Anteile der verschiedenen Unterformen) und ihr Aussehen überprüft werden.
Blutstammzellen	Vorläuferzellen aller Blutzellen; aus ihnen entstehen die roten Blutkörperchen (Erythrozyten), die weißen Blutkörperchen (Leukozyten) sowie die Blutplättchen (Thrombozyten) und einige andere Zellen. Dieser Prozess wird als Blutbildung bezeichnet. Die verschiedenen Blutzellen werden im Knochenmark gebildet und von dort teilweise ins Blut ausgeschwemmt.



Bluttransfusion	Übertragung von Blut (Vollblut) oder Blutbestandteilen (z.B. Erythrozytenkonzentrat, Thrombozytenkonzentrat) von einem Spender auf einen Empfänger;
Chromosom	Chromosomen sind die Träger des Erbgutes, also der genetischen Information einer Zelle; sie bestehen vor allem aus DNA und Eiweißen und sind Bestandteile des Zellkerns. Gestalt und Zahl sind artspezifisch. Der Mensch besitzt pro Körperzelle 46 Chromosomen (23 Chromosomenpaare).
Epstein-Barr-Virus	Erreger des Pfeifferschen-Drüsenfiebers
Erythrozyten	rote Blutkörperchen, die häufigsten Zellen im Blut, sie dienen vor allem dem Sauerstoff-Transport im Organismus; Erythrozyten werden im Knochenmark gebildet (Erythropoese). Für die Bindung und den Transport des in der Lunge aufgenommenen Sauerstoffs ist der rote Blutfarbstoff (Hämoglobin) im Inneren der Erythrozyten verantwortlich. Sind rote Blutkörperchen nicht in ausreichender Menge vorhanden oder, aus Mangel an Hämoglobin, nicht funktionstüchtig, spricht man von einer Anämie, einer Blutarmut.
Fanconi-Anämie	erbliche Blutbildungsstörung; sie ist u.a. gekennzeichnet durch eine fortschreitende Funktionsstörung des Knochenmarks, die zu einer verminderten Bildung von Blutzellen führt (Knochenmarkinsuffizienz), sowie durch chronische Anämie und ein hohes Krebsrisiko (v.a. für akute myeloische Leukämien). Zu den weiteren Begleiterscheinungen gehören Skelettfehlbildungen (z.B. Kleinwuchs, Fehlbildungen der Daumen und Arme). Die Fanconi-Anämie zählt zu den erblichen Krebsyndromen. Auf zellulärer Ebene zeigt sich eine erhöhte Chromosomenbrüchigkeit; diese führt zu Chromosomenveränderungen und, damit einhergehend, zu Störungen der Zellzykluskontrolle.
G-CSF	Abk. für Granulozyten-stimulierender Faktor: gentechnologisch herstellbarer Wachstumsfaktor, der die Bildung von Granulozyten im Knochenmark fördert und schließlich zu einer Ausschwemmung von Blutstammzellen aus dem Knochenmark in das Blut führt.
Glukokortikoid	Steroidhormon (Kortikosteroid) mit entzündungshemmender Wirkung. Glukokortikoide werden in der Nebennierenrinde gebildet und nach Anregung durch das Hormon Corticotropin (ACTH) aus der Hirnanhangsdrüse in den Blutkreislauf



abgegeben. Sie haben ihre Hauptwirkungen im Zucker- und Fettstoffwechsel sowie beim Abbau von Körpereiwießen.

Granulozyten	Untergruppe der weißen Blutkörperchen (Leukozyten); sie sind vor allem für die Abwehr von Bakterien und anderen Krankheitserregern (wie Viren, Parasiten und Pilze) zuständig; Granulozyten sind auch an allergischen und entzündlichen Reaktionen sowie an der Eiterbildung beteiligt. Die Granulozyten machen ca. 60-70% der Leukozyten im Blut aus. Aufgrund ihrer unterschiedlich anfärbbaren Körnchen (Granula) und ihrer unterschiedlichen Aufgaben werden sie in drei Unterformen eingeteilt: neutrophile (90%), eosinophile (2-4%) und basophile Granulozyten (bis 1%). Die neutrophilen Granulozyten (kurz: Neutrophile) spielen die wichtigste Rolle bei der Infektabwehr.
Hämatokrit	Anteil aller zellulären Bestandteile am Volumen des Blutes; der Hämatokrit hängt vor allem von der Konzentration der roten Blutzellen (Erythrozyten) ab. Da diese etwa 99 % der Zellbestandteile des Blutes ausmachen, erlaubt die Bestimmung des Hämatokrit-Wertes vor allem Rückschlüsse auf den Anteil der Erythrozyten im Blut.
Hämatom	Blutaustritt aus verletzten Blutgefäßen ins Körpergewebe oder eine bestehende Körperhöhle; ein Hämatom kann z.B. durch eine Verletzung von außen oder auch durch einen Tumor verursacht werden.
Hämoglobin	roter Blutfarbstoff in den roten Blutkörperchen (Erythrozyten); er besteht aus einem eisenhaltigen Protein und ist für den Sauerstofftransport im Organismus verantwortlich.
Hepatitis	Entzündung der Leber Leberentzündungen können auf unterschiedliche Weise entstehen, beispielsweise im Rahmen einer Infektion mit bestimmten Viren, den so genannten Hepatitis-Viren, nach einer Bestrahlung oder Verletzung und auch bei einer Blutabflussstörung.
HLA	HLA: Abkürzung für (englisch) human leukocyte antigen (menschliches Leukozytenantigen) HLA sind Eiweißstrukturen (Antigene) auf der Oberfläche der meisten Körperzellen, die von T-Lymphozyten, einer Unterart der weißen Blutzellen, erkannt werden. Sie dienen dem Immunsystem u.a. zur Unterscheidung zwischen „körpereigenen“ und „körperfremden“ Strukturen/Substanzen.
Immunsuppression	Unterdrückung der körpereigenen Abwehr



immunsuppressiv	die körpereigene Immunabwehr unterdrückend
Immunsystem	körpereigenes System zur Erhaltung des gesunden Organismus durch Abwehr körperfremder Substanzen und Vernichtung anomaler Körperzellen (z.B. Krebszellen); das Immunsystem hat die Fähigkeit, zwischen selbst und fremd bzw. gefährlich und harmlos zu unterscheiden; beteiligt sind hauptsächlich die Organe des lymphatischen Systems sowie im ganzen Körper verteilte Zellen (z.B. Leukozyten) und Moleküle (z.B. Immunglobuline).
Infektion	Eindringen kleinster Organismen (z.B. Bakterien, Viren, Pilze) in den Körper und anschließende Vermehrung in diesem. Je nach Eigenschaften der Mikroorganismen und der Abwehrlage des Infizierten kann es nach Infektionen zu verschiedenen Infektionskrankheiten kommen.
Knochenmark	Ort der Blutbildung. Schwammartiges, stark durchblutetes Gewebe, das die Hohlräume im Innern vieler Knochen (z.B. Wirbelkörper, Becken- und Oberschenkelknochen, Rippen, Brustbein, Schulterblatt und Schlüsselbein) ausfüllt. Im Knochenmark entwickeln sich aus Blutvorläuferzellen (Blutstammzellen) alle Formen von Blutzellen.
Leukämie	bösartige Erkrankung des blutbildenden Systems und häufigste Krebserkrankung bei Kindern und Jugendlichen (mit ca. 33%); je nach Herkunft der bösartigen Zellen unterscheidet man lymphoblastische und myeloische Leukämien. Abhängig vom Krankheitsverlauf (schnell oder langsam) werden akute und chronische Leukämien unterschieden.
Leukozyten	weiße Blutkörperchen; sie dienen, als Zellen des Immunsystems, der Abwehr von Krankheitserregern und der Bekämpfung von Infektionen. Außerdem beseitigen sie die durch den Zerfall von Körperzellen anfallenden Zelltrümmer. Zu den Leukozyten gehören die Granulozyten (mit 60-70%), die Lymphozyten (20-30%) und die Monozyten (2-6%). Leukozyten werden hauptsächlich im Knochenmark gebildet. Dieser Vorgang wird Leukopoese genannt.
Lymphozyten	Untergruppe der weißen Blutkörperchen, die für die körpereigene Abwehr, insbesondere die Abwehr von Viren, zuständig sind. Es gibt B- und T-Lymphozyten. Sie werden im Knochenmark gebildet, reifen aber z. T. erst im lymphatischen Gewebe (z. B. Lymphknoten, Milz, Thymusdrüse) zu voller Funktionsfähigkeit heran. Über die Lymphbahnen gelangen sie schließlich ins Blut, wo sie ihre jeweiligen Aufgaben übernehmen.



Mikroskop	Instrument, das ermöglicht, Objekte oder bestimmte Strukturen von Objekten, die für das menschliche Auge nicht sichtbar sind, vergrößert anzusehen
molekulargenetisch	Struktur, Bildung, Entwicklung, Funktion und Wechselwirkungen von Zellen und Zellbausteinen (z.B. Nukleinsäuren, Proteine) auf molekularer Ebene betreffend; im Mittelpunkt stehen die Analyse der in den Nukleinsäuren (DNA und RNA) gespeicherten Erbinformation und deren Verarbeitung im Rahmen der Proteinsynthese sowie die Genregulation.
myelodysplastisches Syndrom	bei Kindern sehr seltene Erkrankung des Blut bildenden Systems im Knochenmark; führt ähnlich einer Leukämie zu einer Störung der Blutbildung und infolgedessen zu Anämie, erhöhter Blutungsneigung und/oder Infektanfälligkeit. Die Erkrankung geht fast immer in eine akute myeloische Leukämie (AML) über.
peripher	außen, am Rande, fern vom Zentrum
Petechien	kleinste, punktförmige Haut- und/oder Schleimhautblutungen.
radioaktiv	als radioaktiv werden Substanzen mit instabilen Atomkernen bezeichnet, die sich spontan unter Abgabe von Energie umwandeln. Die frei werdende Energie wird als ionisierende Strahlung (energiereiche Teilchen und/oder Gammastrahlung) abgegeben.
Shwachman-Diamond-Syndrom	sehr seltene erbliche Erkrankung, gekennzeichnet u.a. durch eine Störung der Knochenmarks- und Bauchspeicheldrüsenfunktion und durch Wachstumsstörungen; es besteht ein erhöhtes Risiko zur Entwicklung einer Leukämie oder eines myelodysplastischen Syndroms (MDS). Patienten mit einem Shwachman-Diamond-Syndrom (SDS) haben Defekte auf einem Gen, dessen genaue Funktion noch erforscht wird. Man weiß allerdings, dass diese Mutationen autosomal-rezessiv vererbt werden und sich gleichzeitig auf mehrere Organsysteme und Körperfunktionen auswirken können.
Stammzellen	hier: unreife (undifferenzierte) und unbegrenzt teilungsfähige Körperzellen, die entweder weitere Stammzellen hervorbringen oder zu verschiedenen Zell- / Gewebetypen ausreifen können (Differenzierung). Stammzellen sind das Ausgangsmaterial der embryonalen Organentwicklung und aller regenerationsfähigen Gewebe des Erwachsenen (z.B. Haut, Schleimhäute, blutbildende Zellen des Knochenmarks).
Symptom	Krankheitszeichen



Thrombozyten	Blutzellen, die für die Blutstillung verantwortlich sind; sie sorgen dafür, dass bei einer Verletzung die Wände der Blutgefäße innerhalb kürzester Zeit abgedichtet werden und somit die Blutung zum Stillstand kommt.
Thrombozytopenie	Verminderung der Blutplättchen (Thrombozyten) im Blut auf Werte unterhalb der altersentsprechenden Norm (unter 150.000 Thrombozyten pro Mikroliter Blut)
Transfusion	Übertragung von Vollblut oder Blutbestandteilen (z.B. Erythrozytenkonzentrat, Thrombozytenkonzentrat) von einem Spender auf einen Empfänger.
Virus	infektiöser Partikel ohne eigenen Stoffwechsel, der für seine Vermehrung auf Wirtszellen angewiesen ist, auf die er meist krankheitserregend wirkt (lateinisch virus bedeutet Schleim, Gift)
zytogenetisch	Zahl und Aufbau der im Zellkern enthaltenen Chromosomen betreffend
Zytomegalie-Virus	DNS-Virus aus der Familie der Herpesviren; wird meist über Tröpfcheninfektion übertragen
Zytostatika	zellwachstumshemmende Medikamente; sie können verschiedenartige Zellen, insbesondere solche, die sich häufig teilen, vernichten und/oder deren Vermehrung verhindern oder erheblich verzögern, indem sie den Zellstoffwechsel beeinflussen.