



kinderblutkrankheiten.de

Informationsportal zu Blut- und Gerinnungserkrankungen bei Kindern und Jugendlichen

www.kinderblutkrankheiten.de

Thrombotische Mikroangiopathien (TMA)

Copyright © 2025 www.kinderblutkrankheiten.de

Autor: Dr. med. Wolfgang Eberl, erstellt am 17.11.2025, Redaktion: Ingrid Grüneberg, Freigabe: Prof.
Dr. med. U. Creutzig, Zuletzt bearbeitet: 10.12.2025

Mit Unterstützung von



An der





Inhaltsverzeichnis

1. Krankheitsbild: Was ist eine Thrombotische Mikroangiopathie (TMA)?	3
2. Häufigkeit: Wie oft kommt eine Thrombotische Mikroangiopathie (TMA) vor?	4
3. Krankheitsformen: Was für Formen einer Thrombotischen Mikroangiopathie (TMA) gibt es?	4
3.1. Angeborene Formen	4
3.2. Erworbene Formen	5
4. Ursachen: Wodurch wird eine Thrombotische Mikroangiopathie (TMA) ausgelöst?	5
5. Krankheitszeichen: Was sind die Symptome einer Thrombotischen Mikroangiopathie (TMA)?	5
6. Diagnose: Wie wird eine Thrombotische Mikroangiopathie (TMA) festgestellt?	6
7. Behandlung: Wie wird eine Thrombotische Mikroangiopathie (TMA) behandelt?	6
7.1. Behandlung der angeborenen Form einer TMA	6
7.2. Behandlung der erworbenen Form einer TMA	7
8. Prognose: Wie ist die Prognose einer Thrombotischen Mikroangiopathie (TMA)?	7
Literatur	9
Glossar	10

Thrombotische Mikroangiopathien (TMA)

Die Thrombotische Mikroangiopathien (TMA) ist eine sehr seltene Gerinnungserkrankung bei Kindern und Jugendlichen, aber auch bei Erwachsenen. Bei Gefäßverletzungen reguliert das Enzym ADAMTS13 die benötigte Menge des von Willebrandfaktors, einem großen Gerinnungsfaktor. Durch einen Mangel dieses Enzyms entstehen thrombotische Mikroangiopathien in kleinsten (Kapillaren) oder größeren Blutgefäßen. Es gibt angeborene und erworbene Formen von TMA.

Der folgende Informationstext richtet sich an Kinder und Jugendliche mit einer Thrombotischen Mikroangiopathie sowie an deren Angehörige, Freunde, Lehrer, andere Bezugspersonen und die interessierte Öffentlichkeit. Der Text soll dazu beitragen, Thrombotische Mikroangiopathien (TMA) bei einem Kind oder Jugendlichen frühzeitig zu erkennen, deren Ursachen und Folgen, sowie die Behandlungsmöglichkeiten zu verstehen. Auch wird auf die speziellen Bedürfnisse von Patienten in der Pädiatrie eingegangen. Die 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.

Anmerkungen zum Text

Die in diesem Patiententext enthaltenen Informationen sind von dem oben genannten Autor erstellt worden. Er ist Experte für Blut- und Gerinnungskrankheiten bei Kindern und Jugendlichen. Der Informationstext basiert auf den Erfahrungen des Spezialisten und auf der unten angegebenen Literatur. Der Text wurde durch die oben angegebenen Redakteure zuletzt im Dezember 2025 für dieses Informationsportal bearbeitet und zur Einstellung ins Internet für die Dauer von fünf Jahren freigegeben.

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 im Team entschieden werden. Ihr Behandlungsteam wird Sie über die für Ihr Kind am ehesten in Frage kommenden Maßnahmen informieren.

1. Krankheitsbild: Was ist eine Thrombotische Mikroangiopathie (TMA)?

Der Blutfluss in den großen und kleinen Gefäßen wird zum einen durch die Pumpleistung des Herzens sichergestellt und zum anderen durch die Durchlässigkeit der kleinsten Gefäße (Kapillaren) für alle Blutzellen (rote und weiße Blutkörperchen sowie Blutplättchen). Kommt es

hingegen zu einer Verstopfung dieser Kapillaren, so ist die Versorgung der dahinter liegenden Organe und Gewebe mit Sauerstoff nicht mehr gewährleistet.

Eine solche Verstopfung entsteht, wenn sich in den Kapillaren oder in größeren Gefäßen Blutplättchen und Gerinnungsfaktoren zusammenlagern und ein Gerinnsel (Thrombus) bilden.

Neben dem Sauerstoffmangel in den dahinterliegenden Organen kommt es zu einer Zerstörung der roten Blutkörperchen (Hämolyse). Diese Kombination ist charakteristisch für verschiedene Formen einer thrombotischen Mikroangiopathie.

Dabei handelt es sich um eine gefährliche Erkrankung mit zum Teil sehr schweren Symptomen und hoher Sterblichkeit, denn eine thrombotische Mikroangiopathie führt unbehandelt zum Tod. Bei verzögerter Therapie können zudem Schäden an verschiedenen Organen auftreten.

Daher sind eine rasche Diagnose und umgehende Einleitung einer Therapie von besonders großer Bedeutung. Die Behandlung angeborener und erworbener Formen unterscheidet sich (siehe „*Kapitel Behandlung*“). In jedem Fall ist eine thrombotische Mikroangiopathie eine Erkrankung, die in der Regel auf einer Intensivstation behandelt wird. Der Krankheitsverlauf unter Behandlung ist durchaus unterschiedlich. Bei rechtzeitigem Behandlungsbeginn kommt es in der Regel zu einer vollständigen Heilung.

2. Häufigkeit: Wie oft kommt eine Thrombotische Mikroangiopathie (TMA) vor?

Es handelt sich um eine insgesamt seltene Erkrankung, die überwiegend bei Erwachsenen auftritt. Bei Erwachsenen geht man von 2 - 5 Fällen pro 1 Million Einwohner im Jahr aus, wobei offenbar Unterschiede je nach ethnischer Zugehörigkeit bestehen. In Deutschland wird mit 1 - 2 Fällen pro 1 Million Einwohner pro Jahr gerechnet. Etwa 10 % der Fälle treten bei Kindern und bei Jugendlichen auf.

3. Krankheitsformen: Was für Formen einer Thrombotischen Mikroangiopathie (TMA) gibt es?

Man unterscheidet zwischen angeborenen (selten) und erworbenen Formen des ADAMTS13-Mangels (siehe „*Kapitel Ursachen*“).

3.1. Angeborene Formen

Angeborene Formen beruhen auf einem *genetisch* bedingten Mangel an ADAMTS13. Hierzu werden zahlreiche *Genmutationen* detailliert beschrieben. Zunächst ist entscheidend, welche Form der Mutation im Einzelfall vorliegt, da diese auf beiden für ADAMTS13 kodierenden Genen vorhanden sein muss.

Man geht davon aus, dass etwa 3 % aller Fälle von TMA auf angeborene Genveränderungen zurückzuführen sind. Entsprechend ist der Großteil dieser Patienten bereits im Kindesalter

symptomatisch, gelegentlich sogar schon in der Neugeborenenphase. Allerdings werden auch angeborene Formen gelegentlich erst im Erwachsenenalter diagnostiziert.

3.2. Erworbene Formen

Erworbene Formen werden durch *Antikörper* gegen ADAMTS13 ausgelöst. Die Entstehung dieser Antikörper ist häufig eine Begleiterscheinung anderer schwerer Erkrankungen wie *Leukämie* oder Tumorerkrankungen sowie *Infektions-* oder anderen Autoimmunerkrankungen.

Auch als unerwünschte Wirkung von therapeutischen Maßnahmen, beispielsweise einer hämatopoetischen *Stammzelltransplantation*, können diese Antikörper entstehen und eine erworbene thrombotische Mikroangiopathie auslösen. Bestimmte, individuelle immunologische Veranlagungen (Merkmale der weißen Blutkörperchen, HLA-Merkmale) wurden hierfür identifiziert

4. Ursachen: Wodurch wird eine Thrombotische Mikroangiopathie (TMA) ausgelöst?

Die Blutgerinnung dient zum Verschluss von Gefäßverletzungen. Kleine Wunden benötigen ein kleines Gerinnsel, große Wunden ein großes Gerinnsel. Die wesentlichen Beteiligten bei der Gerinnung sind die Blutplättchen (*Thrombozyten*), die Gefäßwand und die *Gerinnungsfaktoren*. Die Gerinnung wird durch eine große Zahl von *Enzymen* und Botenstoffen reguliert. In der ersten Phase der Gerinnung spielen die Blutplättchen und ein besonders großer Gerinnungsfaktor, der Willebrandfaktor, die Hauptrolle.

Der Willebrandfaktor ist an der Gefäßwand, auf den Thrombozyten und im *Blutplasma* vorhanden. Er besteht aus mehreren *Moleküleinheiten*, die sich zu sogenannten Multimeren zusammenlagern. Große Multimere sind besonders wichtig für die *initiale* Gerinnselbildung. Ein Überschuss an großen Multimeren führt zu Thrombosen, ein Mangel hingegen zu Blutungen.

Die Menge großer Multimere wird durch ein Enzym namens ADAMTS13 reguliert. Ein Überschuss an ADAMTS13 führt zu Blutungen, ein Mangel zu Thrombosen. Thrombotische Mikroangiopathien entstehen durch einen Mangel an ADAMTS13.

Ein Überschuss an großen Multimeren hingegen führt zu einer Aggregation (Verklumpung) der Blutplättchen, was wiederum eine Verstopfung der Kapillaren zur Folge hat. Gleichzeitig kommt es zu einer Zerstörung der *Erythrozyten*.

5. Krankheitszeichen: Was sind die Symptome einer Thrombotischen Mikroangiopathie (TMA)?

Das Vollbild einer Thrombotischen Mikroangiopathie wird durch 5 Symptome definiert:

- Fieber
- *Hämolyse*



- *Thrombozytopenie*
- Niereninsuffizienz und
- neurologische Symptome.

Im klinischen Alltag sollte jedoch bereits bei jeder Kombination aus Hämolyse und Thrombozytopenie eine TMA vermutet und entsprechende Diagnostik eingeleitet werden. Eine frühe Diagnose hat einen wesentlichen Einfluss auf die Prognose. Bei Kindern mit Hämolyse und Thrombozytopenie ist es wichtig, an eine Sonderform, das hämolytisch urämisches Syndrom (HUS) zu denken, bei dem die Nierenfunktionsstörung im Vordergrund steht. Der *pathologische* Mechanismus ist hier jedoch ein anderer.

6. Diagnose: Wie wird eine Thrombotische Mikroangiopathie (TMA) festgestellt?

Leitsymptome sind eine *Thrombozytopenie* (verminderte Anzahl von *Thrombozyten*) sowie eine durch *Hämolyse* verursachte *Anämie*. Eine Hämolyse kann durch einfache Laboruntersuchungen nachgewiesen werden. Typisch für eine thrombotische Mikroangiopathie ist, dass die roten Blutkörperchen in den kleinsten Kapillaren zerstört werden. Dadurch werden im mikroskopischen Blutausschlag sogenannte Fragmentozyten (zerstörte rote Blutkörperchen) sichtbar. Diese Methode ist sehr einfach und überall verfügbar.

Letztendlich wird die Diagnose durch eine Bestimmung des *Enzyms* ADAMTS13 gesichert; in der Regel finden sich dann Aktivitäten unter 10 %. Neben der Aktivitätsbestimmung erfolgt dann auch eine Bestimmung der *Antigenkonzentration* im Blut.

Sind diese niedrig, liegt vermutlich eine angeborene Form vor.

Ist hingegen die Antigenkonzentration normal, wird von einem Antikörper auszugehen sein. Dieser wird in der Regel direkt im Speziallabor, das die Diagnostik zu ADAMTS13 durchführt, mitbestimmt. Bei Nachweis von Fragmentozyten und einem Mangel an ADAMTS13 ist die Diagnose gesichert.

7. Behandlung: Wie wird eine Thrombotische Mikroangiopathie (TMA) behandelt?

Die Behandlungen von angeborenen und erworbenen Formen einer thrombotischen Mikroangiopathie sind unterschiedlich.

7.1. Behandlung der angeborenen Form einer TMA

Eine genetisch bedingte angeborene Form kann durch die Gabe des *rekombinant* hergestellten ADAMTS13-Präparats Adzima behandelt werden. In Notfallsituationen ist dieses Präparat jedoch in der Regel nicht umgehend verfügbar, sodass zunächst Frischplasma gegeben werden kann.

Frischplasma ist eine gefrorene *Blutplasmaspende*, die ADAMTS 13 enthält. In der Regel reicht eine geringfügige Erhöhung der ADAMTS13-Aktivität zur Rückbildung der Symptome aus.

7.2. Behandlung der erworbenen Form einer TMA

Bei einer erworbenen Form durch Antikörper wäre eine entsprechende *Substitutionstherapie* jedoch nicht wirksam. Hier besteht das therapeutische Prinzip zunächst darin, den *Antikörper* zu beseitigen. Dies wird durch eine Plasmapherese versucht, eine besondere Form der Blutwäsche. Hierbei wird der Antikörper gezielt eliminiert und das *Blutplasma* durch Frischplasma ersetzt. Diese Therapie ist effektiv, muss aber häufig über mehrere Tage hinweg durchgeführt werden, bis sich die Symptome vollständig zurückgebildet haben.

Daher wurde zusätzlich das Präparat Caplacizumab entwickelt. Dies ist ein Antikörperfragment, auch Nanobody genannt. Es bindet an den von Willebrandfaktor (vWF) und verhindert, dass sich der vWF an die Blutplättchen anlagert und diese zur Verklumpung anregt. Eine solche Therapie greift die zugrundeliegende Ursache der Erkrankung direkt an.

In der Regel führt die Kombination von Plasmapherese und medikamentöser Therapie zu einer raschen Rückbildung der Symptome. Da jedoch die Bildung der schädlichen Antikörper dadurch nicht grundsätzlich unterbunden wird, ist zusätzlich eine *immunsuppressive* Therapie erforderlich. Dabei kommen verschiedene Medikamente wie Kortison und andere das Immunsystem unterdrückende Medikamente zum Einsatz; unter anderem auch häufig der Antikörper Rituximab, der zunächst die für die Antikörperbildung verantwortlichen weißen Blutkörperchen reduziert.

8. Prognose: Wie ist die Prognose einer Thrombotischen Mikroangiopathie (TMA)?

Die Prognose ist unterschiedlich bei angeborenen oder erworbenen thrombotischen Mikroangiopathien.

Die **angeborene thrombotische Mikroangiopathie** ist eine lebenslange Erkrankung, die eine Betreuung in einer Spezialklinik erfordert. Viele Patienten müssen dauerhaft mit einem Ersatzpräparat behandelt werden. Erfolgt diese *Substitutionstherapie* konsequent mit dem künstlich hergestellten ADAMTS13-Präparat Adzuma (siehe Kapitel Behandlung), so ist die Prognose der Patient/innen gut.

Bei der **erworbenen Form** hängt die Prognose stark davon ab, ob die *Antikörperbildung* gegen ADAMTS-13 nur vorübergehend stattfindet oder ob eine dauerhafte *immunsuppressive* Behandlung zur Verhinderung der Symptome erforderlich ist. Die Nebenwirkungen einer immunsuppressiven Therapie beeinträchtigen die Lebensqualität und auch die langfristige Prognose.

Selbst wenn es zunächst zu einer *Remission* durch das Verschwinden der Antikörper kommt, besteht bei entsprechend veranlagten Patientinnen und Patienten immer die Möglichkeit, dass besondere Lebenssituationen (schwere *Infektionen*, Schwangerschaft, neue bösartige



Erkrankungen) dazu führen, dass die Antikörper erneut entstehen und es zu *Rezidiven* kommt. Insofern benötigen auch diese Patienten eine langfristige Anbindung an ein spezialisiertes Zentrum.



Literatur

- [1] Benz K, Amann K „, Thrombotic microangiopathy: new insights.“ *Current opinion in nephrology and hypertension* 2010 May;19(3):242-7, 20186056 [pubmed]
- [2] Ruggerenti P, Noris M, Remuzzi G „, Thrombotic microangiopathy, hemolytic uremic syndrome, and thrombotic thrombocytopenic purpura.“ *Kidney international* 2001 Sep;60(3):831-46, 11532079 [pubmed]



Glossar

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, Schlappeheitsgefühl.
Antigen	Substanz, die von außen kommt und dem Körper fremd erscheint; sie regt das Immunsystem zur Bildung von Antikörpern an und kann eine allergische Reaktion auslösen.
Antikörper	Eiweiße (Proteine) aus der Gruppe der Globuline, die das körpereigene Immunsystem als Abwehrreaktion auf eingedrungene Fremdstoffe bzw. fremdartige Strukturen (Antigene) bildet; die Antikörper binden gezielt an diese Antigene und führen (auf verschiedene Weise) zur Beseitigung des Fremdkörpers. Antikörper werden von einer Gruppe der weißen Blutzellen, den B-Lymphozyten, produziert, die im Stadium der Antikörperproduktion als "Plasmazellen" bezeichnet werden.
Blutplasma	Bestandteil (etwa 60 %) des Blutes; gelblich-weiße Flüssigkeit, die sich v. a. aus Wasser (etwa 90 %), Eiweißen, Salzen, Spurenelementen und Vitaminen zusammensetzt
Enzym	Stoffe, meist Proteine, die biochemische Reaktionen einleiten, beschleunigen und in eine gewünschte Richtung ablaufen lassen (katalysieren). Enzyme sind für den Stoffwechsel aller Organismen unentbehrlich. Fast alle biochemischen Vorgänge im Organismus werden von Enzymen gesteuert (z. B. Verdauung, Proteinbiosynthese, Zellteilung). Darüber hinaus spielen sie auch bei der Reizaufnahme und -weitergabe sowie der Signalweiterleitung innerhalb von Zellen eine wichtige Rolle.
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.
genetisch	die (Ebene der) Vererbung bzw. Gene betreffend; vererbt



Gerinnungsfaktoren	Gerinnungsfaktoren sind die Eiweißbestandteile des Blutes, die der Blutgerinnung dienen. Es gibt verschiedene Gerinnungsfaktoren, die unterschiedliche Funktionen haben. Benannt werden sie mit überwiegend römischen Ziffern (Faktor I bis Faktor XIII).. Bis auf den Faktor IV handelt es sich bei allen Gerinnungsfaktoren um Eiweiße (Proteine). Beispiele für das Fehlen von Gerinnungsfaktoren: Bei der so genannten Hämophilie A handelt es sich um eine Form der Erkrankung, bei der eine oder mehrere Mutationen in der Erbanlage für den Faktor VIII vorliegen. Bei der Hämophilie B ist das Gen für den Faktor IX betroffen. Dadurch wird die Gerinnungsaktivität des Faktors VIII beziehungsweise des Faktors IX vermindert oder fehlt ganz. In der Folge neigen die Betroffenen unbehandelt dazu, spontan, beispielsweise nach Verletzungen oder während operativer Eingriffe, mehr zu bluten als Gesunde.
Hämolyse	Zerfall der roten Blutkörperchen
immunsuppressiv	die körpereigene Immunabwehr unterdrückend
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.
initial	anfangs-, am Anfang stehend
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.
Molekül	chemische Verbindung aus zwei oder mehr miteinander verbundenen Atomen
pathologisch	bedeutet krankhaft oder die Pathologie betreffend
rekombinant	bedeutet etwas künstlich durch gentechnische Verfahren herzustellen. In der Medizin sind dies beispielsweise künstliche Proteine, die mit Hilfe von gentechnisch veränderten Mikroorganismen oder in Zellkulturen hergestellt werden. Diese rekombinanten Proteine sind Bestandteile von medizinischen Präparaten. Rekombinante Präparate



	beziehungsweise Medikamente werden beispielsweise in der Substitutionstherapie eingesetzt.
Remission	vorübergehende oder dauerhafte Abnahme oder Verschwinden der Krankheitszeichen der Krebserkrankung.
Rezidiv	Rückfall, Wiederauftreten einer Erkrankung nach Heilung
Stammzelltransplantation	Übertragung blutbildender (hämatopoetischer) Stammzellen nach vorbereitender Chemotherapie, Bestrahlung oder Immunsuppression des Empfängers; die Stammzellen können entweder aus dem Knochenmark oder aus der Blutbahn gewonnen werden. Im ersten Fall nennt man das Verfahren ihrer Übertragung Knochenmarktransplantation, im zweiten Fall periphere Stammzelltransplantation. Nach Art des Spenders unterscheidet man zwei Formen der SZT: die allogene SZT (Stammzellen von einem Fremdspender) und die autologe SZT (eigene Stammzellen).
Substitutionstherapie	bedeutet: Ersatztherapie. Es handelt sich um eine medizinische Behandlung, bei der beispielsweise Proteine oder Enzyme, die der Körper normalerweise selbst produziert, durch medizinische Präparate ersetzt werden.
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); eine Thrombozytopenie ist mit einer beeinträchtigten Blutstillung verbunden, die wiederum zu erhöhter Blutungsneigung (z. B. Nasen oder Zahnfleischbluten, Hautblutungen (Petechien), Blutergüssen) und/oder verlängerter Blutungszeit (z. B. nach einer Verletzung) führen kann. Unter Umständen ist eine Transfusion von Blutplättchen (Thrombozytenkonzentrat) erforderlich.