



Aplastische Anämie & PNH e.V.

D - 12593 Berlin  
[www.aa-pnh.de](http://www.aa-pnh.de)



## **Inhalt**

Vorwort.....	4
Erstes Treffen der Regionalgruppe Nord in Hamburg.....	5
Tag der seltenen Erkrankungen in Mainz.....	6
DLH-Mitglieder-Jahreshauptversammlung in Königswinter.....	8
21. bundesweiter DLH-Patienten-Kongress in Düsseldorf.....	10
Klausurwochenende des Vorstands in Egling.....	12
10. Patienten- und Angehörigenseminar zu PNH und AA in Essen.....	14
DGHO-Jahrestagung in Wien.....	17
Termine.....	20
Spenden.....	22
In stillem Gedenken.....	22
Impressum.....	23

## Vorwort

Liebe Mitglieder,

ein ereignisreiches Jahr liegt beinahe hinter uns, über das wir Ihnen mit diesem Heft berichten möchten. Auf der Mitgliederversammlung im Mai hat sich unser Verein umbenannt in „Aplastische Anämie & PNH e.V.“, und mit dem Umzug der Vorsitzenden im Sommer wurde der Vereinssitz von Bad Oldesloe nach Berlin verlegt. Die EU-Datenschutzgrundverordnung hielt uns auf Trab ebenso wie die Erstellung unserer neuen Website, die Sie unter unserer neuen Internetadresse <https://aa-pnh.de/> finden. Wir bedanken uns an dieser Stelle sehr herzlich bei Herrn Prof. Dr. Schrezenmeier für die Überlassung der Domain. Die Seite befindet sich noch im Aufbau, besuchen Sie sie gern und teilen uns Ihre Anregungen mit.

**Große Sorgen** bereitet uns, dass bisher keine Interessenten für die **Vorstandsarbeit** zu finden sind. Auf der nächsten Mitgliederversammlung werden Heidi und Karlheinz Reger sowie Anneruth Fiethen-Jacobi nicht erneut kandidieren, sodass sich die **Zahl der Vorstandsmitglieder halbiert** und die **wichtige Position des Schatzmeisters / der Schatzmeisterin nicht besetzt** ist. Es **droht** dem Verein - wie schon vor einigen Jahren - die **Auflösung!** Zu dritt könnten wir die Vorstandsarbeit nicht mehr wie bisher wahrnehmen und müssten die Erfüllung wichtiger Aufgaben wie Öffentlichkeitsarbeit und Interessenvertretung reduzieren. Das ist sehr kritisch, denn nur eine Patientenvertretung wie wir kann in politischen Gremien auf Bundesebene Einfluss nehmen zum Beispiel auf die Zulassung von Medikamenten. **Bitte helfen Sie Ihrem Verein!** Wir sind auf jede Form der Unterstützung angewiesen. Seien Sie unser Gast in einer Vorstandssitzung und schauen Sie sich unsere Arbeit an, die Reisekosten dafür trägt der Verein.

Wir wünschen Ihnen frohe, besinnliche Feiertage und für das neue Jahr alles Gute, vor allem Gesundheit.

Geben Sie niemals auf!

Ulrike Göbel

im Namen des Vorstands des Aplastische Anämie & PNH e.V.

## **Erstes Treffen der Regionalgruppe Nord in Hamburg**

Um auch im Norden Deutschlands AA- und PNH-Patienten, ihren Angehörigen sowie Interessierten persönliche Treffen zum ungezwungenen Austausch außerhalb von Patiententagen zu ermöglichen, hat sich am 26.01.2018 erstmals die Regionalgruppe Nord getroffen.

In den Räumen der Kontakt- und Informationsstellen für Selbsthilfegruppen in Hamburg (KISS), zentral nahe dem Hauptbahnhof gelegen, trafen wir uns zu acht und sprachen über verschiedene Themen rund um die Krankheitsbilder. Nebenwirkungsmanagement, das Leben nach einer Knochenmarktransplantation, Ernährung und Bewegung, aber auch die Kommunikation mit medizinischem Personal standen im Fokus der Diskussion.

Nach mehr als 3 ½ Stunden beendete die Regionalgruppe Nord das Treffen. Es hatte ihr so gut gefallen, dass sie beschloss, sich im Sommer erneut zu treffen. Neue Teilnehmer sind jederzeit gern willkommen.

Ulrike Göbel

## Tag der seltenen Erkrankungen in Mainz

Am 2.3.2018 fand zum 6. Mal der Tag der seltenen Erkrankungen in Mainz unter der Schirmherrschaft des Oberbürgermeisters Michael Ebling statt. Der [Tag der seltenen Erkrankungen](#) wird weltweit am 28.2. bereits seit 11 Jahren begangen, um auf **Betroffene mit seltenen Erkrankungen** aufmerksam zu machen, für die es oft keine Therapie oder keine ausreichende Erforschung der Krankheit gibt. Sie werden deshalb oft auch als die Waisen der Medizin genannt, da sich keine ausreichende Lobby für sie einsetzt. Als selten gilt, wenn nicht mehr als 5 Personen von 10.000 Menschen betroffen sind. Im Falle der Aplastischen Anämie erkranken pro Jahr 2-3 Menschen pro 1 Million. Dabei sind die Seltenen Erkrankungen in Summe gar nicht so selten: In Deutschland leben ungefähr 4 Millionen Menschen mit einer seltenen Erkrankung, die sich auf mehr als 6000 verschiedene Erkrankungen verteilen. Viele Erkrankungen sind oftmals auch Ärzten unbekannt und in vielen Fällen müssen Betroffene gar ihrem Haus- oder Facharzt ihre Erkrankung erklären. Dieses Problem kennen auch die Betroffenen, die an einer Aplastischen Anämie oder PNH leiden. So soll auch mit der Veranstaltung in Mainz die Öffentlichkeit für das Thema sensibilisiert und aufgeklärt werden, um Betroffenen mit einer seltenen Erkrankung eine Stimme in der Öffentlichkeit zu geben.



Michael Schwendler präsentiert unseren Verein inmitten weiterer Initiativen

Foto: Marek Parowicz

Auch der Aplastische Anämie & PNH e.V. beteiligte sich neben weiteren Selbsthilfegruppen an der Veranstaltung. An **Informationsständen** im Foyer des Mainzer Rathauses konnten sich die Besucher über die verschiedenen Erkrankungen und deren medizinischer Versorgung informieren. Erfreulicherweise konnte der Aplastische Anämie & PNH e.V. Interessierten über bereits vorhandene Therapien und über medizinische Studien zu deren Verbesserung berichten. Gleichzeitig bot sich die Gelegenheit für die vertretenen Selbsthilfegruppen zu einem Erfahrungsaustausch der Selbsthilfearbeit. Nach den Begrüßungsreden des Sozialdezernenten Dr. Eckard Lensch und des Rheinland-pfälzischen Staatssekretärs David Langner ließen die Teilnehmer traditionell die roten Luftballons unter Beteiligung der lokalen Presse steigen. Am Nachmittag wurde erstmalig eine **Fortbildungsveranstaltung für Ärzte** zu verschiedenen seltenen Erkrankungen angeboten, die auch die Vertreter der Selbsthilfegruppen mit großem Interesse verfolgten. Insgesamt war es eine gelungene Veranstaltung und wir danken den Organisatoren Herr Parowicz von der Selbsthilfe AHC-Deutschland e.V., Frau Hollweck von der Kontakt- und Informationsstelle für Selbsthilfe in Mainz und der Stadt Mainz für die Räumlichkeiten und Verpflegung der Aussteller.

Michael Schwendler

## **DLH-Mitglieder-Jahreshauptversammlung in Königswinter**

Am 10. und 11.03.2018 fand die Mitglieder-Jahreshauptversammlung unseres Dachverbands Deutsche Leukämie- & Lymphom-Hilfe e.V. statt. Der erste Tag bestand wie bisher aus Workshops zu allgemein wichtigen Themen, in diesem Jahr war angesichts der im Mai in Kraft tretenden EU-Datenschutzgrundverordnung (EU-DSGVO) das Thema Datenschutz von besonders hohem Interesse.

Der Informatiker Niels Kill von der IT-Beratungsgesellschaft Althammer & Kill GmbH & Co. KG beschrieb im ersten Workshop die **Auswirkungen der DSGVO** insbesondere für Selbsthilfeinitiativen und stellte ihnen einen Maßnahmenkatalog zur Verfügung, an dem sie sich orientieren konnten. Unter anderem war

zu klären,

- ob ein Datenschutzbeauftragter bestellt werden muss
- eine Bestandsaufnahme vorzunehmen und ein Verzeichnis für Vorgänge mit personenbezogenen Daten zu erstellen
- die Einwilligung Betroffener über die Verarbeitung ihrer personenbezogenen Daten gegebenenfalls einzuholen.

Im zweiten Workshop berichtete eine Bloggerin über die Präsenz der **Selbsthilfe in den sozialen Netzen**. Facebook® ist demnach mehr ein Informations- als ein soziales Netzwerk, das zunehmend von älteren Betroffenen genutzt wird. Die häufigste Form der Kommunikation im Internet sind in Deutschland die Foren.

Am zweiten Tag trafen sich die Mitglieder wie üblich zur Mitgliederversammlung, der wie gewohnt der Rückblick des Vorjahres voranging. Zunächst wurden die neuen Mitarbeiter in der DLH-Geschäftsstelle vorgestellt, bevor das langjährige Vorstandsmitglied Hans-Peter Gerhards gebührend verabschiedet wurde. Jede Mitgliedsgruppe erhielt einen direkten Ansprechpartner aus dem Vorstand für Fragen und Probleme. Regionale Patiententage Hämatologie sind in Planung, der nächste am 17.11.2018 in Kiel. Die DLH-Stiftung stellte ihre Förderung der



Forschung und Einzelfallhilfen in finanziellen Notsituationen dar, die zum Beispiel durch eine Knochenmarktransplantation eintreten können.



Kurz vor der Eröffnung der Mitgliederversammlung

In der Mitgliederversammlung stand neben den üblichen Tagesordnungspunkten wie Abstimmung des Haushalts und Bericht der Kassenprüfer die **Neuwahl des Vorstands** an. Peter Gomolzig wurde erneut zum Vorsitzenden gewählt und wird weiterhin von Annette Hünefeld vertreten. Auch unser Vorstandsmitglied Rainer Göbel stellte sich zur Wiederwahl als Beisitzer und wurde einstimmig gewählt. Die Mitglieder beschloss noch einige organisatorische Änderungen, unter anderem dass ab 2019 statt der bisherigen thematisch variablen Workshops die DLH-Fortbildungsseminare der Mitgliederversammlung vorangehen sollen. Die Fortbildungsseminare decken die Themen Finanzen, Gruppenleitung und Sozialmedizin ab.

Nach einem gemeinsamen Mittagessen verabschiedeten sich die Teilnehmer und freuten sich auf das nächste Aufeinandertreffen beim Patienten-Kongress im Juni in Düsseldorf.

Ulrike Göbel

## 21. bundesweiter DLH-Patienten-Kongress in Düsseldorf

Auf dem [DLH-Patienten-Kongress](#) am 09. und 10.06.2018 im Hilton Hotel in Düsseldorf gab es wieder für zahlreiche Krankheiten Vorträge, in denen die Referenten den Teilnehmern für ihre Fragen zur Verfügung standen. Auch der bewährte Austausch der Betroffenen untereinander im Anschluss fand reges Interesse. Darüber hinaus bot der Kongress diverse krankheitsübergreifende Themen, die für jeden Betroffenen von Interesse waren

So erläuterte Prof. Dr. Bernhard Wörmann von der Charité in Berlin in seiner **kleinen Laborkunde** die in der Hämatologie wichtigen Werte und Begriffe wie die verschiedenen Gruppen der Blutkörperchen und der klinischen Chemie. Er wies eindringlich darauf hin, dass ein Blutbild immer nur eine Momentaufnahme ist und ein Patient sich von Veränderungen nicht gleich beunruhigen lassen sollte. Erst wenn sich ein möglicher Trend in mehreren Blutbildern und gegebenenfalls durch weitere Diagnostik bestätigt, ist ein Handeln erforderlich. Für die Erläuterung der medizinischen Begriffe sei an dieser Stelle auch auf das „Kleine Wörterbuch“ der DLH hingewiesen, das von der Seite [www.leukaemie-hilfe.de](http://www.leukaemie-hilfe.de) heruntergeladen oder in der DLH-Geschäftsstelle bestellt werden kann, Telefon 0228 3388 9200.

Timo Niels von der Deutschen Sporthochschule in Köln wies auf die Wichtigkeit von **Bewegung** in jedem Stadium einer Erkrankung hin, sofern nicht medizinische Gründe dagegensprechen. Ziel sind dabei stets Erhalt und Aufbau der Muskelmasse. Nach Möglichkeit sollte sich ein Patient pro Woche 150 Minuten moderat bewegen, also Rad fahren, schnell walken oder „laufen, ohne zu schnaufen“. Hat ein Patient mehr Kraft, sind auch 75 Minuten anstrengender Aktivität möglich. Bewegung allein ist jedoch nie eine Alternative zur schulmedizinischen Therapie, sondern nur eine Ergänzung, die allerdings Nebenwirkungen beziehungsweise Spätfolgen wie zum Beispiel eine Fatigue positiv beeinflussen kann.



Die Teilnehmer hörten den Referenten im Vortragssaal aufmerksam zu.

Am Samstagabend gab es bei ausgezeichneter Verpflegung ein gemütliches Beisammensein. Für Unterhaltung sorgte der Künstler André Hartmann, der bereits auf dem Patienten-Kongress in Bonn die Zuhörer begeisterte.

Ulrike Göbel

## **Klausurwochenende des Vorstands in Egling**

Zur Klausurtagung des Vorstands trafen wir uns vom 07.-09.09.2018 in Bayern. Wir wollten noch einmal in der derzeitigen Besetzung in der Nähe des Gründungsorts des Vereins zusammenkommen, bevor die langjährigen Vorstands- und Gründungsmitglieder Heidi und Karlheinz Reger aus dem Vorstand ausscheiden. Auch Anneruth Fiethen-Jacobi wird 2019 nicht erneut kandidieren und so stand unsere Sitzung ganz im Zeichen der **Zukunft des Vereins**.

Das wichtigste Thema an beiden Sitzungstagen war daher die **Vorstandsarbeit**. Nach der nächsten Mitgliederversammlung würde der Vorstand selbst mit einer Satzungsänderung nur noch aus einer Minimalbesetzung bestehen, sodass wir unsere Arbeit nicht mehr wie bisher fortführen könnten. Das ist sehr kritisch, da Aufgaben wie Öffentlichkeitsarbeit und Interessenvertretung extrem wichtig sind. Um auf unsere schwierige Situation aufmerksam zu machen, wollen wir unter anderem auf dem Patiententag in Essen und in den Regionalgruppen um Nachwuchs werben sowie dafür weitere Medien wie unsere Website nutzen.

Auch über die nächste **Mitgliederversammlung** haben wir viel diskutiert - soll sie im Rahmen eines der Patiententage in Essen oder Ulm stattfinden oder an einem zentral in Deutschland gelegenen Ort? Für 2019 haben wir uns dafür entschieden, zunächst die Uniklinik in Ulm zu fragen, ob sie sich für das Frühjahr einen Patiententag vorstellen kann, bei dem wir sie unterstützen und unsere Mitgliederversammlung einbinden würden. Sollte dies nicht der Fall sein, wollen wir die Mitgliederversammlung an einem zentralen Ort in Deutschland durchführen oder die Uniklinik Essen fragen, wobei deren Termin für den Patiententag im Herbst schon recht spät im Jahr liegt.

**Was meinen Sie, liebe Mitglieder? Bitte teilen Sie uns mit, welche Variante Sie bevorzugen!**

Vor einige Herausforderungen stellte uns - wie viele andere kleine Vereine auch - das Inkrafttreten der **EU-Datenschutzgrundverordnung** (EU-DSGVO) am 25.05.2018. Daher trafen sich Michael Schwendler sowie Rainer und Ulrike Göbel Anfang Juni, um die Vorgaben der Verordnung für den Verein umzusetzen. Fristgerecht vor ihrem Inkrafttreten hatten wir bereits den Zugriff auf unsere Website gesichert und die Datenschutzerklärung aktualisiert. Weitere Maßnahmen wie die Information an die Mitglieder, welche ihrer personenbezogenen Daten wir zu welchem Zweck verarbeiten, stehen noch aus.

Nachdem wir über diese Themen am ersten Tag der Sitzung intensiv diskutiert hatten, verbrachten wir den Samstagnachmittag mit einem sehr schönen Ausflug, den Heidi und Karlheinz, die Organisatoren unserer Tagung, hervorragend organisiert hatten. Auch das Wetter spielte mit und ließ uns den Blick vom Wallberg und den anschließenden Spaziergang entlang des Tegernsees sehr genießen.

Am Sonntag setzten wir unsere Klausurtagung mit einem weiteren wichtigen Thema fort: unserem **neuen Logo**. Mit der auf der Mitgliederversammlung im Mai beschlossenen Umbenennung unseres Vereins in „Aplastische Anämie & PNH e.V.“ haben wir zum Ausdruck gebracht, dass wir für Patienten und Angehörige beider Krankheitsbilder da sind. Nun galt es, das Logo anzupassen, und wir haben uns in Egling für eines entschieden, das wir als Weiterentwicklung des bisherigen sehen, wobei es uns wichtig war, den Regenbogen, unser „Markenzeichen“, zu erhalten:



Neben all diesen aktuellen Themen beschäftigten wir uns mit der Aufnahme neuer Mitglieder und dem Haushaltsplan, den wir in der Mitgliederversammlung 2019 zur Abstimmung bringen werden.

Ulrike Göbel





## 10. Patienten- und Angehörigenseminar zu PNH und AA in Essen

Das 10. Essener Patienten- und Angehörigenseminar zu Paroxysmaler Nächtlicher Hämoglobinurie (PNH) und Aplastischer Anämie (AA) fand am 22.09.2018 im Deichmann-Auditorium des Universitätsklinikums Essen statt. Veranstaltet wurde das Seminar von Prof. Dr. med. Ulrich Dührsen und Priv.-Doz. Dr. med. Alexander Röth vom Universitätsklinikum Essen (UKE), [Klinik für Hämatologie](#).

Ungefähr 150 interessierte Teilnehmer verfolgten eine Reihe an Vorträgen zu verschiedenen Aspekten der Erkrankung und nutzten die zahlreichen Möglichkeiten des Austauschs mit den Vortragenden und untereinander.

Nach der Begrüßung und Programmeinführung durch Prof. Dr. Dührsen, Direktor der Klinik für Hämatologie, hielt Motivationstrainer Markus Neumann einen Vortrag über **Wahrnehmung**. Anschließend gab Herr Dr. Röth einen Überblick über **Ursache, Verlauf und Therapie der Erkrankungen**. Die Folien zu diesem Vortrag werden, wie die Jahre zuvor auch, unter <https://www.pnh-forum.de/> bereitgestellt werden.

Für die Behandlung der AA mit **ATGAM®** ([ATG](#) vom Pferd) zur Erstbehandlung besteht weiterhin keine Zulassung und es muss daher bei den Kostenträgern extra beantragt werden. Gelegentlich kommt es hierbei zu Problemen mit der Kostenübernahme. Ratsuchende können sich an den [Aplastische Anämie & PNH e.V.](#) oder an die [Stiftung Lichterzellen](#) wenden. Revolade® (Eltrombopag, ein Wachstumsfaktor für Thrombozytenbildung im Knochenmark) wurde inzwischen vielfach mit ATG zusammen als Zweittherapie (2. Behandlungsversuch) erfolgreich eingesetzt, so dass nun für das Medikament die Zulassung zur Erstbehandlung in der EU beantragt wurde.

Zur **Kontrolle des Therapieansprechens** wird in Einzelfällen auch [PET-MRT](#) zur Bildgebung des Knochenmarks eingesetzt, so dass die Behandlung für Patienten optimiert werden kann. Insgesamt hat die Behandlung der AA eine gute Prognose, wobei eine frühzeitige Diagnose und rascher Therapiebeginn in spezialisierten Zentren empfohlen wird.

Bei der Behandlung der PNH wies Dr. Röth ausdrücklich auf die Notwendigkeit einer **Meningokokkenimpfung** und deren Auffrischung alle 3 Jahre hin. Neben dem bekannten Soliris® (Eculizumab), das alle 14 Tage eine Infusion erfordert, wird voraussichtlich 2019 ein weiteres Medikament mit dem Wirkstoff Ravulizumab auf den Markt kommen, welches das Infusionsintervall auf 8 Wochen erweitert. Des Weiteren befinden sich noch weitere Substanzen in medizinischen Studien, die unter die Haut gespritzt werden können und damit regelmäßige, zeitraubende Infusionen überflüssig werden lassen. Eine weitere Studie befasst sich mit einer Behandlung mittels Tabletten. Eine Markteinführung dieser Wirkstoffe wird aller Voraussicht nach nicht vor 2020/21 zu erwarten sein.

Nach einer Kaffeepause mit Gruppenbild folgte im Plenum die Vorstellung der Selbsthilfegruppe [Aplastische Anämie & PNH e.V.](#) (Ulrike Göbel) und der [Stiftung Lichterzellen](#) (Pascale Burmester). Ergänzend zur Vorstellung der Selbsthilfegruppe bat Frau Göbel eindringlich um Unterstützung, um die Vereinsarbeit nach altersbedingtem Ausscheiden einiger Vorstandsmitglieder weiterhin zu ermöglichen.

Im Anschluss an einem leckeren Mittagsimbiss mit der inzwischen schon legendären Lasagne teilte sich das Seminar in zwei Blöcke mit jeweils vier parallel stattfindenden Vorträgen auf. Dadurch konnte die Teilnehmer wählen zwischen **Grundlageninformation** zur AA und PNH, zu Vorträgen über **Transplantation**, zur **Ernährung**, zu praktischen Übungen in **Qigong**, zur **Lebensqualität** und zu **Nachahmerpräparaten** wie [Generika](#) und [Biosimilars](#). Letzterer Vortrag wurde von Rainer Göbel und Ulrike Göbel vom Aplastische Anämie & PNH e.V. gehalten.



Rainer Göbel während des Vortrags

Letzter Programmpunkt war eine große **Fragerunde** im Plenum, in der Teilnehmer nochmals die Gelegenheit bekamen, Dr. Röth zu verschiedenen Aspekten der Erkrankungen zu befragen.

Anschließend ließen die Teilnehmer das Seminar beim gemeinsamen Abschlusskaffee ausklingen.

Nach dem sehr informativen Tag mit interessanten Begegnungen und intensivem Erfahrungsaustausch danken wir Herrn Dr. Röth und seinen Helfern für die tolle Organisation des 10. Patienten- und Angehörigenseminars, für die hervorragende Verpflegung zwischen den Vorträgen sowie für die Möglichkeit, dass sich der Verein Aplastische Anämie & PNH e.V. wieder mit einem Vortrag beteiligen konnte. Wir freuen uns auf die Fortsetzung des Seminars im nächsten Jahr!

Michael Schwendler



## DGHO-Jahrestagung in Wien

Auf der diesjährigen Jahrestagung der Deutschen, Österreichischen und Schweizerischen Gesellschaften für Hämatologie und medizinische Onkologie – kurz „DGHO-Tagung“ – vom 29.09.-02.10.2018 in Wien gab es verschiedene Vorträge zu Aplastischer Anämie und PNH.

Prof. Dr. André Tichelli vom Universitätsspital Basel berichtete über die **zunehmende Bedeutung der allogenen Stammzelltransplantation bei Schwerer Aplastischer Anämie (SAA)**. Für Patienten bis 40 Jahre mit einem passenden Geschwisterspender ist dies die Therapie der Wahl, da sie sehr gute Ansprechraten mit hohem Langzeitüberleben verzeichnet. Allerdings ist auch die immunsuppressive Therapie (IST) mit Pferde-ATG, Ciclosporin und ggf. Eltrombopag eine gute Alternative.

Auch für Patienten bis 40 Jahre ohne Geschwisterspender sind die Aussichten bei einer allogenen Stammzelltransplantation aufgrund einer sorgfältigeren Spenderauswahl, besserer Supportivmaßnahmen und Transplantationsprotokolle günstiger geworden. Dabei sind die Ergebnisse besser, wenn Knochenmark und nicht peripheres Blut übertragen wird und je zügiger die Transplantation nach der Diagnose erfolgt. Die vorliegenden Daten beruhen jedoch noch vor allem auf Transplantationen aufgrund einer vorangegangenen gescheiterten immunsuppressiven Therapie.

Insgesamt führen die deutlich verbesserten Ergebnisse der allogenen Stammzelltransplantation zu einer Infragestellung des bisherigen eher zurückhaltenden Einsatzes dieser Therapie, sodass künftig auch Patienten bis 40 Jahre ohne passenden Geschwisterspender vermehrt mit guter Prognose transplantiert werden könnten.

Dr. Sigrid Machherndl-Spandl vom Ordensklinikum Linz gab einen Überblick über die Verwendung von ATG und die Aussicht, dass **Eltrombopag** – ein Hormon, das das Wachstum der Blutplättchen anregt – künftig zusammen mit ATG und Ciclosporin Teil der Erstlinientherapie bei Aplastischer Anämie werden könnte. Erste Therapieergebnisse bei Patienten, die auf die IST allein nicht ansprachen, sind vielversprechend. Die EBMT<sup>1</sup>-Arbeitsgruppe für Schwere Aplastische Anämie führt derzeit zwei Studien durch, wovon die eine ATG und Ciclosporin mit und ohne Eltrombopag bei SAA vergleicht, während die andere

---

<sup>1</sup> European Society for Blood and Marrow Transplantation

die Ergebnisse von Ciclosporin mit und ohne Eltrombopag bei nicht-Schwerer Aplastischer Anämie untersucht.

Sollten die Ergebnisse und Überlebensraten das bisherige positive Ansprechen bestätigen, könnte Eltrombopag sowohl die Erstlinientherapie als auch die Therapiestrategien verändern<sup>2</sup>.

Bei der PNH stieß insbesondere der Bericht von Dr. Britta Höchsmann über die Vergleichsstudie der Alexion-Medikamente Ravulizumab und Eculizumab auf Interesse. Ravulizumab ist wie Eculizumab ein Antikörper, der an einer bestimmten Stelle des Immunsystems (C5) „andockt“, jedoch in leicht veränderter Form hinsichtlich der Bindungseigenschaft. Er wird nur alle acht Wochen als Infusion gegeben und führt im Vergleich mit Eculizumab zu besseren Ergebnissen bei Transfusionsabhängigkeit, Normalisierung des LDH-Werts, Fatigue, Durchbruchhämolyse und Stabilisierung des Hämoglobinwerts. Die Unterdrückung des Komplements C5 erfolgte bei Ravulizumab am Ende der ersten Infusion vollständig und durchgängig bis zur nächsten Gabe. Sicherheit und Verträglichkeit von Ravulizumab entsprachen der von Eculizumab.

Auch PD Dr. Alexander Röth von der Uniklinik Essen hielt einen Vortrag über Ravulizumab. Er berichtete von einer Studie, die untersuchte, bei welcher Dosis das Ansprechen auf das Medikament am höchsten ist, um die optimale, gewichtsabhängige Dosierung für PNH-Patienten festzulegen. Unterschiedliche Dosierungen und Intervalle führten bei den bisher nicht mit einem C5-Antikörper therapierten Patienten durchweg zu reduzierten LDH-Spiegeln und verbesserter Fatigue.

---

<sup>2</sup> Inzwischen hat die US-Behörde FDA Eltrombopag als Erstlinientherapie für SAA zugelassen, der Antrag für die EU ist bei der European Medicines Agency (EMA) gestellt.



Ulrike Göbel und Michael Schwendler an unserem Stand

Unser Verein war wie in den vergangenen Jahren wieder mit einem **Informationsstand** vertreten und bot den Besuchern Gelegenheit, sich über unsere Erkrankungen zu informieren. Wir wiederum nutzten die Chance, uns mit Ärzten, weiteren Selbsthilferevertretern und anderen Besuchern auszutauschen.

Ulrike Göbel

## **Termine**

### **1. Februar 2019**

#### **Treffen der Regionalgruppe Nord in Hamburg**

Ort: **KISS Hamburg, Kontaktstelle Mitte**

Kreuzweg 7, 20099 Hamburg

Zeit: ab 15.00 Uhr

### **23. Februar 2019**

#### **Treffen der Regionalgruppe Rhein-Main**

Ort: **Trattoria Da Arnaldo**

Wallstr. 56, 55122 Mainz

Zeit: 19.00 Uhr

### **9. März 2019**

#### **Workshop zu Aplastischer Anämie und PNH**

im Rahmen des Tags der Berliner Krebsselfhilfe

Referent: Prof. Dr. med. Jörg Westermann, Charité

Ort: **Technische Universität**

Straße des 17. Juni 135, 10623 Berlin

Zeit: Workshop 15.15 Uhr, Veranstaltung 11.00 - 17.00 Uhr

### **6. April 2019**

#### **Treffen der Regionalgruppe NRW*plus* in Essen**

Ort: **Café Livres**

Moltkestr. 2a, 45127 Essen

Zeit: 14.00 - 17.00 Uhr

**29./30. Juni 2019**

**22. bundesweiter DLH-Patienten-Kongress Leukämien & Lymphome in Kassel**

Ort: **La Strada Kassel**  
Raiffeisenstr. 10, 34121 Kassel  
Zeit: Sa. 9.00 Uhr - So. 14.00 Uhr  
Internet: [www.dlh-kongress.de](http://www.dlh-kongress.de)

**voraussichtlich im September 2019**

**11. Essener Patienten- und Angehörigen-Seminar zu Paroxysmaler Nächtlicher Hämoglobinurie (PNH) und Aplastischer Anämie (AA)**

Ort: **Universitätsklinikum Essen**  
Hufelandstr. 55, 45147 Essen  
Deichmann-Auditorium, Lehr- und Lernzentrum  
Zeit: Sa. 9.30 Uhr - 16.00 Uhr  
Internet: [www.pnh-forum.de](http://www.pnh-forum.de)

Fragen können gerichtet werden an:

PD Dr. med. Alexander Röth, Telefon: 0201 723 5136, E-Mail: [alexander.roeth@uk-essen.de](mailto:alexander.roeth@uk-essen.de)

Die Teilnahme an der Veranstaltung ist kostenlos.

## **Spenden**

Der Verein erhielt in diesem Jahr Spenden in Höhe von 1.550,00 Euro.

Wir bedanken uns bei unseren Spendern sehr herzlich!

## **In stillem Gedenken**



an unser verstorbenes Vereinsmitglied

Robert Flatz

## **Impressum**

Aplastische Anämie & PNH e.V. ▪ Postfach 52 03 25 ▪ D - 12593 Berlin

Tel.: +49 30 54909 4080 ▪ Fax: +49 30 54909 4089

Eingetragen im Vereinsregister beim Amtsgericht Charlottenburg, VR 36821 B

E-Mail: [info@aa-pnh.de](mailto:info@aa-pnh.de)

Internet: [www.aa-pnh.de](http://www.aa-pnh.de)

Copyright © 2018 Aplastische Anämie & PNH e.V.

