



Dr. Wolfgang NOVAK  
Univ.-Prof. Dr. Leo KAGER

*Sichelzellkrankheit* Seite 10-12



Prof. Dr. Kalus KISTERS

*„Die Diabetes Pandemie können wir bremsen oder stoppen“*  
Seite 6-7



Prof. Dr. Jörg SPITZ

*„Einwanderer aus südlichen Ländern und dicke Kinder sind besonders gefährdet“*

Seite 3

**Ärztefachzeitschrift für  
Kinder- und  
Jugendheilkunde**

**Ausgabe 1/2025**

**PROMETUS**  
MEDIA MARKETING

Österreichische Post AG MZ 19Z041744 M  
Prometus M. M. – 1230 Wien, Kaltenleutgebner Str. 24/6/1F

**Vitamin-D-Mangel**

## **Metabolisches Syndrom**

Erst Übergewicht, dann Hypertonie, hohes LDL und Diabetes



Miki (14)  
Kommt aus einer serbischen  
Familie.

Pato (59)  
Seine Familie flüchtete aus Chile  
vor Pinochet.



# Impfschutz ist Gesundheitsschutz

ÖVIH präsentiert aktualisierten Plan zur Steigerung der Durchimpfungsraten und fordert die kommende Regierung auf, weitere Schritte zu setzen

Die Wissenschaft ist sich einig, dass Impfungen Krankheiten sowie deren mögliche Folgeschäden deutlich reduzieren können und damit sowohl menschliches Leid als auch gesundheitsbezogene Kosten verringern können. Die Voraussetzung dafür ist, dass sich ausreichend viele Menschen impfen lassen. Derzeit ist eher das Gegenteil der Fall. Die Durchimpfungsraten sind bei vielen Impfungen niedrig und/oder sinken. Um dies zu ändern, ist eine Reihe von Maßnahmen notwendig – vom Etablieren eines Impfprogramms für alle Altersgruppen bis hin zu besserer Impfaufklärung und niederschweligen sowie kostenfreien Impfangeboten. Der Österreichische Verband der Impfstoffhersteller (ÖVIH) fordert die kommende Regierung daher auf, weitere Schritte zur Verbesserung des österreichischen Impfwesens zu setzen. Welche das sind, definiert er im soeben upgedateten „Aktionsplan Impfen 2025“.

## Maßnahmen notwendig

„Wir beobachten seit Jahren, dass Österreich im Vergleich zu anderen (europäischen) Ländern im Hinblick auf die Durchimpfungsraten bei vielen Menschen schlecht abschneidet“, berichtet Mag.a Renée Gallo-Daniel, Präsidentin des ÖVIH. „Sei es bei der Influenza-Impfung, der Masern- oder auch der COVID-19-Impfung.“ Das sei ein Problem, das sich nicht nur auf die erkrankten Menschen, sondern auch negativ auf die Spitäler und die Finanzen der öffentlichen Hand auswirke. Erste Ansätze hier gegenzusteuern, wurden bereits gestartet. Dazu gehören die Einführung eines allgemeinen Influenza-Impfprogramms und die passive RSV-Immunsierung für Säuglinge. Gallo-Daniel: „Das waren wichtige Schritte, doch es braucht noch weitere

Maßnahmen, insbesondere der Ausbau eines Erwachsenenimpfprogramms.“

## 6-Punkte-Plan zur Optimierung des Impfwesens

Der ÖVIH fasst die aus seiner Sicht nötigen Aktivitäten schon seit einigen Jahren in einem „Aktionsplan Impfen 2025“ zusammen. Dieser 6-Punkte-Plan liegt nun in einer aktualisierten Form vor.

„Die Basis für alles Weitere ist es, gesundheitspolitische Ziele im Hinblick auf das Impfen zu definieren“, erläutert ÖVIH-Vizepräsidentin Mag.a Sigrid Haslinger. Konkret seien dies unter anderem genaue Vorgaben des zuständigen Bundesministeriums und des Nationalen Impfgremiums (NIG) zu den notwendigen Durchimpfungsraten in sämtlichen Alters- und Risikogruppen zu allen im Österreichischen Impfplan vorgesehenen Impfungen. Abgestimmt auf die entsprechenden Zahlen sei ein Impfprogramm für alle impfpräventablen Erkrankungen über alle Altersgruppen hinweg zu entwickeln.

Der Hintergrund liegt auf der Hand. Die Anzahl der Menschen in fortgeschrittenem Alter nimmt stetig zu, gleichzeitig nehmen die gesunden Lebensjahre ab.[1] Entsprechend steigt auch die Anfälligkeit für Infektionskrankheiten. „Wenn wir nichts dagegen unternehmen, werden nicht nur das Leid, sondern auch die Kosten in den nächsten Jahren massiv ansteigen“, betont Haslinger. „Wir brauchen also ein Konzept, das sich nicht nur auf Kinderimpfungen, sondern auf lebenslanges Impfen konzentriert.“

## Zugang zu Impfungen verbessern

Alle relevanten Impfungen sind im Österreichischen Impfplan abgebildet. „Was fehlt, ist oft der Zugang dazu“, erklärt ÖVIH-Generalsekretär DI Olivier Jankowitsch. „Immer noch stehen viele Hürden im Weg. Damit ist zum Beispiel die Finanzierung gemeint, aber auch die

notwendige Aufklärung der Bevölkerung und die einfache Verfügbarkeit.“ In diesen Bereichen müsse noch viel unternommen werden.

## Transparenz wichtig und notwendig

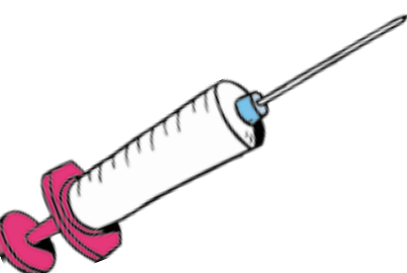
Dass alle Optimierungsschritte transparent sein müssen, versteht sich für den ÖVIH von selbst. Er setzt sich daher auch für den Ausbau des E-Impfpasses ein. Darin sollten zukünftig alle Impfungen abgebildet sein, außerdem könnten weitere Funktionen wie Erinnerungen für Auffrischungsimpfungen eine wichtige Unterstützung für die Bevölkerung sein. „Mithilfe von anonymisierten Auswertungen des E-Impfpasses kann man außerdem den Erfolg sämtlicher Maßnahmen gut feststellen und gegebenenfalls anpassen“, betont ÖVIH-Präsidentin Gallo-Daniel.

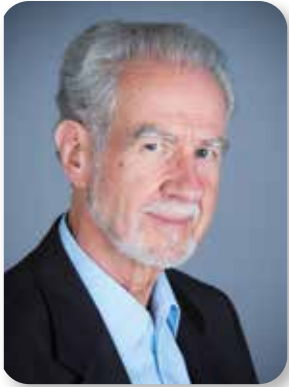
## Impfstoffhersteller unterstützen gerne

Sie unterstreicht außerdem, wie wichtig es sei, die Impfstoffhersteller in sämtliche Planungsaktivitäten der öffentlichen Hand einzubinden. „Wenn wir rechtzeitig über den Bedarf an Impfstoffen Bescheid wissen, können wir frühzeitig planen und sicherstellen, dass wir ausreichend Impfstoffe liefern können.“

„Selbstverständlich stehen wir der künftigen Regierung aber auch in jeder anderen Hinsicht zur Verfügung, wenn es darum geht, die Gesundheitsversorgung in Österreich zu verbessern. Impfungen sind ein wichtiger Eckpfeiler der Prävention, den wir gerne gemeinsam weiter ausbauen wollen.“

[1] <https://www.oecd.org/austria/health-at-a-glance-Austria-EN.pdf>





## Wien, geh Du voran!

Die Stadt Wien hat in Österreich eine besondere Bevölkerungsstruktur. Wien ist eine internationale Stadt, ähnlich wie New York, London oder Paris. Viele Wiener sind aus ganz Österreich zugewandert, aber auch aus aller Herren Länder von Asien, dem Balkan und sogar von Afrika. Bei den Kindern und Jugendlichen in Wien ist die Zahl der Migranten noch wesentlich größer. Ihre Eltern stammen oft aus Regionen mit hoher Sonneneinstrahlung. Im milderen Klima in Österreich haben sie sehr häufig einen Vitamin-D-Mangel.

Eine erhebliche Zahl von ihnen zeigt im Blutbefund sogar katastrophale Werte unter 10 ng/ml. Das sind nicht nur voll verkleidete Mädchen und junge Frauen aus religiösen Familien. Auch Teenager, die nicht mehr am Fußballplatz zu finden sind, weil sie auf ihr Smartphone und Computerspiele fixiert sind, sind durch den ausgeprägten Vitamin-D-Mangel gefährdet. Kinder von Migranten aus dem Süden haben meistens signifikant schlechtere Blutspiegel als autochthone Österreicher.

Es gilt die Warnung:

*"Menschen mit einem Vitamin-D-Spiegel unter 10 ng/ml leben in großer Gefahr. Dies gilt sowohl für akute virale Infekte als auch für den Verlauf chronischer Erkrankungen."*

In Wien hat der Ordinarius Prof. Dr. Georg Geyer schon vor 30 Jahren die Supplementierung von Vitamin D in Altenheimen angeregt, um die Pflinglinge vor Stürzen, Oberschenkelhalsbrüchen und Infektionen zu schützen. In den Geriatrie Zentren ist Vitamin D seither Standard.

Es wäre jetzt an der Zeit, die Risikogruppen auch bei den Kindern und Jugendlichen zu identifizieren. Der Vitamin-D-Spiegel sollte in jedem Lebensalter überprüft werden.

Mit kollegialen Grüßen,  
Prof. Dr. Jörg Spitz

Vitamin D im Blut, die Beurteilung:  
25 (OH) D Spiegel (ng/ml)

<20	Absoluter Mangel
20-30	Relativer Mangel
30-100	Regelrechte Versorgung
40-60	Optimaler Spiegel
> 100	Übermaß
> 150	Intoxikation möglich

## Inhalt dieser Ausgabe:

Coverstory:  
Diabetes und Vitamin D  
Prof. Dr. Klaus KISTERS 6–7

Sichelzellkrankheit  
Dr. Wolfgang NOVAK, Univ.-Prof. Dr. Leo KAGER 10–12

Geneditierung bei Sichelzellkrankheit und  
transfusionsabhängiger  $\beta$ -Thalassämie 14–15

Kongressbericht: ÖGKJ 2024  
Seltene und therapiefraktäre Epilepsien im Kindesalter 20–21

Coronavirus-Impfung bei jungen Krebspatienten 24

Pharmig News 25

Gibt es Neues zum Impfprogramm?  
PD Mag. Dr. Maria PAULKE-KORINEK, PhD, DTM 26–28

Präzisionsmedizin im Kinderkrankenhaus:  
Care-for-Rare Foundation setzt auf Knowledge Graphen und KI 30–31

Überlebende von Kinderkrebs brauchen spezialisierte Nachsorge 32–33

ReiseNews 36–37

MedNews 38–39



Fachkurzinformation Seite 34

## PROMETUS

### Impressum:

**Verlag:**  
Prometus Media Marketing  
Kaltenleutgebner Straße 24/6/1F, 1230 Wien  
office@prometus.at

**Projektleitung:**  
Karin Deflorian  
k.deflorian@prometus.at

**Redaktion:**  
redaktion@prometus.at

**Grafik + Layout:**  
macgrafik@prometus.at

**Druck:** maxmedia gmbh

ABO-Verwaltung: office@prometus.at  
Einzelpreis: € 16,00  
Jahresabo: € 80,00 inkl. USt + Porto  
Bankverbindung: Erste Bank  
IBAN: AT57 2011 1826 5207 4000  
Offenlegung nach § 25 Mediengesetz:  
Medieninhaber: Prometus Media Marketing

Richtung der Zeitschrift:  
Periodisches, medizinisch-pharmazeutische Journal für Ärzte. Das Medium Arzt+Kind ist für den persönlichen Nutzen des Lesers konzipiert. Es werden Informationen von Experten, von wissenschaftlichen Studien und Kongressen weitergegeben. Geschützte Warennamen werden nicht immer besonders kenntlich gemacht. Es kann also aus dem Fehlen eines solchen Hinweises nicht geschlossen werden, dass es sich um einen freien Warennamen handelt. Soweit in diesem Journal eine Applikation oder Dosierung angegeben wird, kann vom Verlag keine Gewähr übernommen werden. Jeder Benutzer ist angehalten, die Beipackzettel der verwendeten Präparate zu prüfen und gegebenenfalls einen Spezialisten zu konsultieren oder anhand anderer Literaturstellen auf ihre Richtigkeit zu prüfen. Alle namentlich gekennzeichneten Beiträge geben nicht unbedingt die Meinung der Redaktion wieder. Alle Rechte liegen beim Verlag, und ohne schriftliche Genehmigung dürfen weder Nachdruck noch Vervielfältigung (auch nicht auszugsweise) erfolgen. Im Sinne einer leichteren Lesbarkeit wird auf genderspezifische Unterscheidungen verzichtet. Die mit RB gekennzeichneten Beiträge sind entgeltliche Einschaltungen im Sinne § 26 Mediengesetz. Druck- und Satzfehler vorbehalten.

Fotos, Abbildungen, Grafiken wurden teilweise von den Autoren zur Verfügung gestellt.

## Wissenschaftlicher Beirat des Verlags:

Univ.-Prof. Dr. Werner **ABERER**, Dr. Bettina **BALTACIS**, Prim. Univ.-Doz. Dr. Günther **BERNERT**, Prim. Univ.-Prof. Dr. Robert **BIRNBACHER**, Prim. Dr. Waltraud **EMMINGER**, Univ.-Prof. Dr. Wolfgang **EMMINGER**, OÄ Dr. Elisabeth **FRIGO**, Univ.-Prof. Dr. Monika **FRIETZER-SZEKERES**, Ass.-Prof. Dr. Brigitte **HACKENBERG**, Prim. Univ.-Doz. Dr. Beda **HARTMANN**, Prim. Univ.-Doz. Dr. Erwin **HAUSER**, Univ.-Prof. Dr. Gabriele **HÄUSLER**, Prim. Univ.-Prof. Dr. Christian **HUEMER**, OA Univ.-Doz. Dr. Leo **KAGER**, Prim. Univ.-Prof. Dr. Sybille **KOZEK-LANGENECKER**, Univ.-Prof. Dr. Michael **KUNZE**, OA Univ.-Prof. Dr. Harald **MANGGE**, Prim. Univ.-Prof. Dr. Milen **MINKOV**, Univ.-Prof. Dr. Ingomar **MUTZ**, Prim. Univ.-Doz. Dr. Claus **RIEDL**, , Univ.-Doz. Dr. Olaf **RITTINGER**, Univ.-Prof. Dr. Alexander **ROKITANSKY**, Univ.-Prof. Dr. Ulrike **SALZER-MUHAR**, Prof. Dr. Christian **SEBESTA**, OA Dr. Nadja **SHAWA-AMANN**, Prim. Univ.-Prof. Dr. Wolfgang **SPERL**, Univ.-Prof. Dr. Thomas **SZEKERES**, OA Dr. Leonhard **THUN-HOHENSTEIN**, Dr. Gabriele **WASILEWICZ-STEPHANI**, OA Dr. Andreas **WEISS**, Univ.-Prof. Dr. Ursula **WIEDERMANN-SCHMIDT**, Univ.-Prof. Dr. Andrea **WILLFORT-EHRINGER**, Prim. Univ.-Prof. Dr. Reinhard **WINDHAGER**, Univ.-Doz. Dr. Claudia **WOJNAROWSKI**, OÄ Univ.-Doz. Dr. Angela **ZACHARASIEWICZ**, Univ.-Prof. Dr. Karl **ZWIAUER**

# Molekulare Veränderungen im Albumin: Neue Einblicke in das nephrotische Syndrom bei Kindern

**D**as nephrotische Syndrom kann bei verschiedenen Krankheiten mit Nierenbeteiligung auftreten. Es betrifft vor allem Kindern und führt zu einem übermäßigen Verlust von Eiweiß im Urin. Bisher konzentrierte sich die Forschung hauptsächlich auf die Filterfunktion der Nieren. Ein Forschungsteam der Medizinischen Fakultät der Universität Duisburg-Essen und dem Institut für Physikalische Chemie und Molekulare Selbstorganisation Halle-Wittenberg hat neue Erkenntnisse über die Ursachen des nephrotischen Syndroms im Journal of Medicinal Chemistry veröffentlicht. Die Forschenden konnten zeigen, dass auch das vermehrt ausgeschiedene Eiweiß, das sogenannte Albumin, eine wichtige Rolle spielen könnte. Albumin ist ein wichtiges Eiweiß im Blut, das normalerweise in den Nieren zurückgehalten wird. Bei Personen, die vom nephrotischen Syndrom betroffen sind, gelangt es jedoch

vermehrt in den Urin, was zu einem Albuminmangel im Körper führt. Dies kann Schwellungen (Ödeme) verursachen, die Blutfettwerte verändern und die Nierenfunktion einschränken. Medikamentös behandelt wird das Syndrom häufig durch Glucocorticoide.

Im Rahmen der Studie wurde das Blut von acht Kindern mit dem nephrotischen Syndrom untersucht – sowohl von Betroffenen, die auf die Behandlung mit Glucocorticoiden ansprechen, als auch resistente Fälle. Die Forschenden verglichen das Albumin der Patient:innen mit dem gesunder Kinder und kommerziell erhältlichem Albumin. Dabei stellten sie fest, dass das Albumin bei Patient:innen mit dem nephrotischen Syndrom drei Veränderungen aufwies: ein vergrößerter hydrodynamischer Radius, eine veränderte weniger negative Oberflächenladung und eine verringerte Bindungsaffinität von Spin markierter C16 Fettsäuren

(spin labeled 16-Doxyl Stearic Acid (16-DAS)) Letztere Messungen erfolgten mittels „Electron paramagnetischer Resonanz Spektroskopie“. Diese Veränderungen könnten dazu führen, dass das Albumin leichter durch die Filter der Nieren gelangt und dort Zellen schädigen könnte, die für die Filterfunktion wichtig sind. „Unsere Erkenntnisse bieten neue Ansätze, um die Ursachen des nephrotischen Syndroms besser zu verstehen. Wir bauen derzeit eine Kooperation mit der Ohio State University auf, der wir mit großer Spannung entgegensehen. Langfristig hoffen wir neue Therapieansätze entwickeln zu können“, so Prof. Dr. Peter F. Hoyer, langjähriger Direktor der Klinik für Kinderheilkunde II am Universitätsklinikum Essen.

Originalpublikation:

<https://pubs.acs.org/doi/10.1021/acs.jmedchem.3c00680>

**bei Bruchlandung**  
**Seractil® 200 mg für Kinder**  
**und Jugendliche ab 8 Jahre**

\* Seractil® 200 mg Filmtabletten  
30 und 50 Stk. in der Green Box

**analgetisch – antipyretisch – antiphlogistisch**

die Kraft  
gegen Schmerz  
und Entzündung

**Seractil®**

**Dexibuprofen**



Hergestellt in  
Fieberbrunn / Tirol

**Gebro Pharma**



# Diabetes und Vitamin D



**Prof. Dr. Klaus Kisters**

Chefarzt der Klinik für Innere Medizin  
des St. Anna Hospital Herne  
www.annahospital.de

Deutschland ist nach den neuesten Zahlen der Internationalen Diabetes Föderation (IDF) das Land mit der höchsten Diabetesprävalenz in Europa. 12% der 20- bis 79-Jährigen sind betroffen, insgesamt mehr als acht Millionen Bundesbürger. Etwa 20% der Ausgaben der gesetzlichen Krankenversicherungen in Deutschland werden für die Behandlung des Diabetes mellitus und seiner Folgeerkrankungen verbraucht. Pro Patient und Jahr betragen die Behandlungskosten an die 2000 Euro.

Vitamin-D-Mangel (25-OH-D:  $\leq 20$  ng/ml) und Vitamin-D-Insuffizienz (25-OH-D: 21 – 29 ng/ml) zählen zu den häufigsten Gesundheitsproblemen unserer Zeit. Nach aktuellen Studien dürfte eine unzureichende Versorgung mit Vitamin D nicht nur die allgemeine und die kardiovaskuläre Mortalität erhöhen, sondern auch ein wichtiger ätiologischer Faktor bei der Pathogenese zahlreicher chronischer Erkrankungen wie Diabetes mellitus Typ 1 und Typ 2 sein.

## Vitamin-D-Mangel und Typ-1-Diabetes

Sowohl In-vitro- als auch In-vivo-Studien belegen, dass Vitamin D in seiner hormonaktiven Form 1,25-(OH)<sub>2</sub>-D (Calcitriol) in der Lage ist, die Zerstörung der Insulinproduzierenden Betazellen im Pankreas zu verhindern und somit die Prävalenz des Typ-1-Diabetes, der durch eine Autoimmun-

reaktion ausgelöst wird, zu verringern. Dies dürfte überwiegend auf der immunmodulierenden Wirkung des 1,25-(OH)<sub>2</sub>-D auf die Immunantwort der T-Helfer(Th)-Zellen und der Suppression von proinflammatorischen Zytokinen wie TNF- $\alpha$  beruhen.

Eine Normalisierung des Vitamin-D-Status könnte bei Diagnose eines Typ-1-Diabetes dazu beitragen, die noch vorhandenen Betazellen vor der weiteren Zerstörung zu schützen.

In einer finnischen Kohortenstudie mit 12.058 Kindern wurde der Einfluss der Supplementierung von Vitamin D im ersten Lebensjahr auf die Diabetesinzidenz über einen Zeitraum von 30 Jahren verfolgt. Dabei zeigte sich, dass Neugeborene, denen im ersten Lebensjahr täglich 2.000 I.E. Vitamin D zur Rachitis-Prophylaxe gegeben wurden, im Vergleich zu denjenigen mit geringer dosierten Supplementen ein 78% niedrigeres Risiko für Diabetes mellitus Typ 1 hatten. Kinder, bei denen im ersten Lebensjahr Rachitis auftrat, hatten im Vergleich zu nicht erkrankten Kindern ein 3-fach höheres Risiko für Typ-1-Diabetes.

## Vitamin-D-Mangel und Typ-2-Diabetes

Diabetes mellitus Typ 2, Adipositas und Vitamin-D-Mangel sind pandemische Erkrankungen unserer Zeit, von denen weltweit Millionen von Menschen betroffen sind. Zwei aktuelle Studien bestätigen erneut die verhängnisvolle Beziehung zwischen Vitamin-D-Mangel und Typ-2-Diabetes.

Die Pathogenese des Typ-2-Diabetes beinhaltet sowohl eine Dysfunktion der Betazellen als auch eine Insulinresistenz. Zwischen dem 25-OH-D-Status und der Diabetes-Prävalenz, der Glucosekonzentration im Blut und der Insulinresistenz besteht eine inverse Relation. Dabei spielt auch die Suppression des proinflammatorischen Zytokins TNF- $\alpha$  eine wesentliche Rolle.

In einer randomisierten, Placebo-kontrollierten Studie mit insulinresistenten südasiatischen Frauen (Alter: 23 – 68 Jahre), die im Median einen 25-OH-D-Ausgangswert von  $< 10$  ng/ml aufwiesen, führte die tägliche Supplementierung von 4.000 I.E. Vitamin D zu einer signifikanten Verbesserung der

Insulinsensitivität und Reduktion der Insulinresistenz. Die Insulinresistenz nahm insbesondere dann ab, wenn die 25-OH-D-Spiegel über 32 ng/ml anstiegen. Optimal für die Verbesserung der Insulinresistenz waren 25-OH-D-Spiegel von 32 bis 48 ng/ml.

Die Ergebnisse dieser Studie zeigen, dass der Nutzen einer Vitamin-D-Supplementierung zur Verbesserung der Insulinresistenz vom basalen 25-OH-D-Status abhängt. Von der Vitamin-D-Supplementierung profitieren insbesondere Patienten mit einem ausgeprägten Vitamin-D-Mangel.

**Nach den aktuellen Erkenntnissen sollte der 25-OH-D-Spiegel im Serum bei 30 bis 60 ng/ml liegen.**

Diese Referenzwerte gelten sowohl für Erwachsene als auch für Kinder. 25-OH-D-Spiegel über 40 ng/ml sind notwendig, um einen sekundären Hyperparathyreoidismus zu vermeiden.

In einer prospektiven Studie wurde die Assoziation des 25-OH-D-Spiegels mit der Inzidenz des Metabolischen Syndroms bei 4164 australischen Erwachsenen (Alter  $\pm$  50 Jahre) erfasst. Dabei wurden von allen Studienteilnehmern neben dem Taillenumfang auch die klassischen Risikofaktoren des Metabolischen Syndroms erhoben. Nach fünf Jahren Follow-up beobachteten die Wissenschaftler bei den Studienteilnehmern mit einem 25-OH-D-Spiegel  $< 18$  ng/ml bzw. 18–23 ng/ml eine signifikant erhöhte Wahrscheinlichkeit, am Metabolischen Syndrom zu erkranken, als bei den Studienteilnehmern mit einem guten Vitamin-D-Status (25-OH-D:  $> 34$  ng/ml). Sie schlussfolgerten daraus, dass bei australischen Erwachsenen ein Vitamin-D-Mangel (25-OH-D:  $\leq 20$  ng/ml) sowie eine Vitamin-D-Insuffizienz (25-OH-D: 21–29 ng/ml) mit signifikant erhöhten Risiken für das Metabolische Syndrom, für Insulinresistenz, für einen hohen Taillenumfang sowie für erhöhte Glucose- und Triglycerid-Spiegel ( $p < 0,01$ ) assoziiert sind.

Eine prospektive Studie liefert zusätzlich aussagekräftige Ergebnisse dafür, dass ein Vitamin-D-Mangel die Progression eines Prädiabetes zum Typ-2-Diabetes beschleunigt.

nigt. Die Wissenschaftler untersuchten hierbei die Glucosetoleranz und 25-OH-D-Spiegel von 980 Frauen und 1398 Männern (Alter: 35 – 56 Jahre), bei denen vor Studienbeginn kein Typ-2-Diabetes vorlag. Nach acht bis zehn Jahren Follow-up wurden die Studienteilnehmer mit Prädiabetes oder Typ-2-Diabetes mit alters- und geschlechtskorrelierten Kontrollen verglichen, die eine normale Glucosetoleranz aufwiesen. Nach Bereinigung von potenziellen Störvariablen hatten die männlichen Studienteilnehmer mit den höchsten 25-OH-D-Spiegeln (4. Quartile) gegenüber denjenigen mit den niedrigsten 25-OH-D-Spiegeln (1. Quartile) ein um 48% verringertes Risiko für die Progression vom Prädiabetes zum Typ-2-Diabetes (OR 0,52; 95%-KI 0,30 bis 0,90). Bei Frauen und Männern, die zu Studienbeginn einen Prädiabetes aufwiesen, war pro Anstieg des 25-OH-D-Spiegels um 4 ng/ml eine bemerkenswerte 25%ige Reduktion der Typ-2-Diabetes-Inzidenz nachweisbar.

Die Ergebnisse dieser Studien stimmen mit denen einer prospektiven Studie aus Schweden mit 24.098 Frauen überein, in der die Frauen mit der höchsten Sonnenlichtexposition ein um 30% verringertes Risiko für einen Diabetes mellitus Typ 2 hatten.

**Vitamin-D-Mangel bei Kindern erhöht das Diabetesrisiko**

Zahlen zur Häufigkeit des Typ-2-Diabetes wurden kürzlich in einer Studie in Südbayern erhoben. In einer Gruppe von 520 stark übergewichtigen Kindern und Jugendlichen im Alter zwischen 9 und 20 Jahren fand sich bei 6,7% ein Hinweis auf eine Störung der Glucosetoleranz, und bei 1,5% lag bereits ein Typ-2-Diabetes vor.

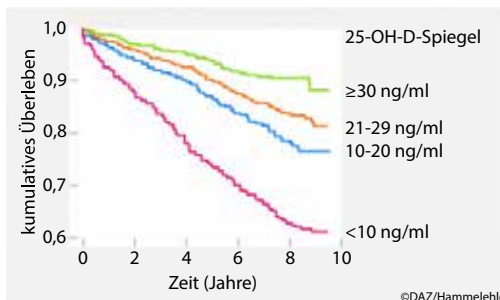
Nach den Ergebnissen großer deutscher Studien ist die Vitamin-D-Versorgung bei den meisten Kindern und Jugendlichen mangelhaft. In einer repräsentativen Stichprobe des Kinder- und Jugendgesundheits-surveys (KIGGS) hatten unter den Kleinkindern im Alter bis 2 Jahren die Mädchen durchschnittlich einen 25-OH-D-Spiegel von 23 ng/ml und die Jungen von 25 ng/ml.

*Alarmierend ist, dass der Vitamin-D-Spiegel mit zunehmendem Alter unter den Kindern und Jugendlichen abnimmt.*

Jungen im Alter von 14–17 Jahren und Mädchen im Alter von 11–13 Jahren weisen mit 14 ng/ml die niedrigsten Vitamin-D-Spiegel auf. Auch wurden deutliche saisonale Unterschiede der 25-OH-D-Spiegel beobachtet mit dem niedrigsten Durchschnittswert im Februar (11 ng/ml) und dem höchsten im August (24 ng/ml).

Bei Kindern mit Migrationshintergrund liegt der Durchschnittswert (13 ng/ml) deutlich unter dem der Kinder ohne Migrationshintergrund (17 ng/ml). Legt man einen Grenzwert des 25-OH-D-Spiegels von 20 ng/ml zugrunde, so liegt bei 62% der 3- bis 17-Jährigen Nicht-Migranten und bei 76% der Migranten ein Vitamin-D-Mangel vor. Des Weiteren zeigten sich, wie zu erwarten war, bei adipösen und übergewichtigen Kindern und Jugendlichen deutlich niedrigere 25-OH-D-Spiegel als bei normalgewichtigen.

Die ersten Untersuchungen an übergewichtigen Kindern bekräftigen, dass Vitamin-D-Mangel im Kindesalter das Risiko für die Entwicklung einer Insulinresistenz sowie des Metabolischen Syndroms und Typ-2-Diabetes fördert.



*Gesamt mortalität in Abhängigkeit vom 25-OH-D-Status bei Patienten mit Metabolischem Syndrom (LURIC-Studie; p < 0,001).*

**Vitamin-D-Mangel steigert die Mortalität beim Metabolischen Syndrom**

Ein Vitamin-D-Mangel (25-OH-D: ≤ 20 ng/ml) scheint nach den aktuellen Daten nicht nur die Progression vom Prädiabetes zum manifesten Typ-2-Diabetes zu steigern, sondern hat beim Metabolischen Syndrom auch einen Einfluss auf die Mortalität: In der Ludwigshafener LURIC-Studie, an der 1801 Patienten mit Metabolischem Syndrom teilnahmen (Durchschnittsalter 63,5 Jahre, Frauenanteil 30,2%), war ein guter Vitamin-D-Status (25-OH-D: ≥ 30 ng/ml) gegenüber

einem schweren Vitamin-D-Mangel (25-OH-D: < 10 ng/ml) mit einer 75%igen Reduktion der Gesamtmortalität und einer 66%igen Reduktion der kardiovaskulären Mortalität in knapp zehn Jahren verbunden (Abb. 1 und 2). Patienten mit einem guten Vitamin-D-Status hatten gegenüber denjenigen mit einem schweren Vitamin-D-Mangel ein um 85% bzw. 76% reduziertes Mortalitätsrisiko durch plötzlichen Herztod bzw. Herzinsuffizienz.



Selbst wenn Patienten mit Typ-2-Diabetes aus der Analyse herausgenommen wurden, wiesen diejenigen mit optimalem Vitamin-D-Status im Vergleich zu denen mit einem schweren Vitamin-D-Mangel eine um 64% reduzierte Gesamtmortalität auf.

**Fazit**

Dem Vitamin-D-Mangel sollte in der ärztlichen und pharmazeutischen Praxis größere Aufmerksamkeit geschenkt werden.

Die Vitamin-D-Versorgung kann in jeder Hausarztpraxis durch die einfache labordiagnostische Erfassung des 25-OH-D-Status im Serum objektiviert werden.

Diabetiker scheinen im Hinblick auf ihren Stoffwechsel und ihr erhöhtes Mortalitätsrisiko im besonderen Maße von Vitamin D zu profitieren.

Grundsätzlich sollte das Problem des Vitamin-D-Mangels auch in der Kinderheilkunde ernster genommen werden als bisher. Neben einer gesunden Ernährung und regelmäßiger körperlicher Aktivität spielt auch ein gesunder Vitamin-D-Status bei Kindern für die Prävention von Wohlstandskrankheiten eine wichtige Rolle.

Quellen: Interview von Uwe Gröber, Akademie & Zentrum für Mikronährstoffmedizin

## Background-Informationen

# Eine kleine Weichkapsel pro Woche

Apotheken-Kunden kaufen Vitamin D oft als Nahrungsergänzungsmittel mit subtherapeutischer Dosierung. Dabei kann eine einfache Blutuntersuchung herausfinden, ob eine verbesserte Supplementierung empfehlenswert ist. Auf der sicheren Seite ist der Patient bei 30 -100 ng/ml. Das Optimum liegt bei 40-60 ng/ml. Die Gesundheitsbehörden haben deshalb ein hochdosiertes Präparat zugelassen: Dekristolmin enthält pro Kapsel 20.000 I.E. Colecalciferol. Bei einem Spiegel unter 30 ng/ml wird empfohlen, die ersten zwei Wochen täglich eine Kapsel einzunehmen, um die Speicher in der Leber erneut aufzubauen. Danach genügt meistens eine Kapsel wöchentlich. Bei massiv reduziertem Spiegel (ca. 15 ng/ml) sollte die Aufbauphase auf vier Wochen verlängert werden, um dann danach eine Kapsel pro Woche einzunehmen. Der Normwert von 30 ng/ml oder mehr kann mit Dekristolmin® praktisch immer erreicht werden.



# Tropfen in neuer Dosierung

Dekristolmin-Tropfen sind eine echte Verbesserung. Jeder Tropfen enthält um 20% mehr Vitamin D als ältere Produkte. Obwohl mehr drinnen ist, bietet die Dermapharm die Dekristolmin-Tropfen besonders günstig an – ein Service für unser Gesundheitssystem. Die Zahl der täglichen Tropfen richtet sich nach dem Lebensalter und dem Körpergewicht. Für alle Kinder- und Jugendliche gilt als Ziel ein Vitamin-D-Spiegel von 40 ng/ml bis 60 ng/ml.

Die Dekristolmin-Tropfen schmecken neutral. Dermapharm verzichtet auf jeglichen Zucker-Zusatz oder chemischen Süßstoff. Wir sollten Babys nicht auf „süß“ trimmen!  
Die Dekristolmin-Tropfen sind jetzt kassenfrei.

Dekristolmin 20.000 I.E. Weichkapseln

**Zusammensetzung:** Jede Weichkapsel enthält 500 Mikrogramm Colecalciferol (Vitamin D3, entsprechend 20.000 I.E. als Colecalciferol Ölkonzentrat), Erdnussöl, Gelatine, Glycerol 85 %, Mittelkettige Triglyceride, Gereinigtes Wasser, All-rac- $\alpha$ -Tocopherol (Ph.Eur.). **Anwendungsgebiete:** Zur Anfangsbehandlung von klinisch relevanten Vitamin-D-Mangelzuständen bei Erwachsenen. **Gegenanzeigen:** Überempfindlichkeit gegen den Wirkstoff, Erdnuss, Soja oder einen der sonstigen Bestandteile, Hyperkalzämie, Hyperkalzurie, Hypervitaminose D, Pseudohypoparathyreoidismus (der Vitamin-D-Bedarf kann durch die phasenweise normale Vitamin-D-Empfindlichkeit herabgesetzt sein, mit dem Risiko einer lang dauernden Überdosierung), Nephrokalzinose, Nierensteine, schwere Nierenfunktionsstörung, zusätzliche Einnahme von Arzneimitteln, welche Vitamin D enthalten. **Pharmakotherapeutische Gruppe:** Vitamin D und Analoga, Colecalciferol. **ATC-Code:** A11CC05 **Rezeptpflicht/Apothekenpflicht:** Rezept- und apothekenpflichtig. **Pharmazeutischer Unternehmer:** Dermapharm GmbH, 1010 Wien Stand: 04/2022



Dekristolmin® 20.000 I.E./ml Tropfen zum Einnehmen, Lösung

**Zusammensetzung:** 1 ml Lösung (40 Tropfen) enthält 0,5 mg Colecalciferol (Vitamin D3, entsprechend 20.000 I.E.). (1 Tropfen enthält ca. 500 I.E. Vitamin D3.) **Sonstige Bestandteile:** Mittelkettige Triglyceride Butylhydroxytoluol **Anwendungsgebiete:** Vorbeugung von ernährungsbedingter Rachitis bei Säuglingen und Kleinkindern, Neugeborenen und Frühgeborenen; Vorbeugung eines Vitamin-D-Mangels bei Erwachsenen, Jugendlichen und Kindern mit bekanntem Risiko; Behandlung eines Vitamin-D-Mangels bei Erwachsenen, Jugendlichen und Kindern; als Ergänzung zu einer spezifischen Osteoporosetherapie bei Patienten mit Vitamin-D-Mangel oder Risiko eines Vitamin-D-Mangels. **Gegenanzeigen:** Überempfindlichkeit gegen den Wirkstoff oder einen der sonstigen Bestandteile, Hyperkalzämie, Hyperkalzurie, Hypervitaminose D, Nephrolithiasis (Nierensteine), stark eingeschränkte Nierenfunktion **Pharmakotherapeutische Gruppe:** Vitamin D und Analoga, Colecalciferol **ATC-Code:** A11CC05 **Rezeptpflicht/Apothekenpflicht:** Rezept- und apothekenpflichtig. **Pharmazeutischer Unternehmer:** Dermapharm GmbH, 1010 Wien Stand: 06/2020

Weitere Angaben zu Nebenwirkungen, Wechselwirkungen mit anderen Arzneimitteln oder sonstigen Wechselwirkungen, Schwangerschaft und Stillzeit, Gewöhnungseffekten und zu den Warnhinweisen und Vorsichtsmaßnahmen für die Anwendung sind der veröffentlichten Fachinformation zu entnehmen

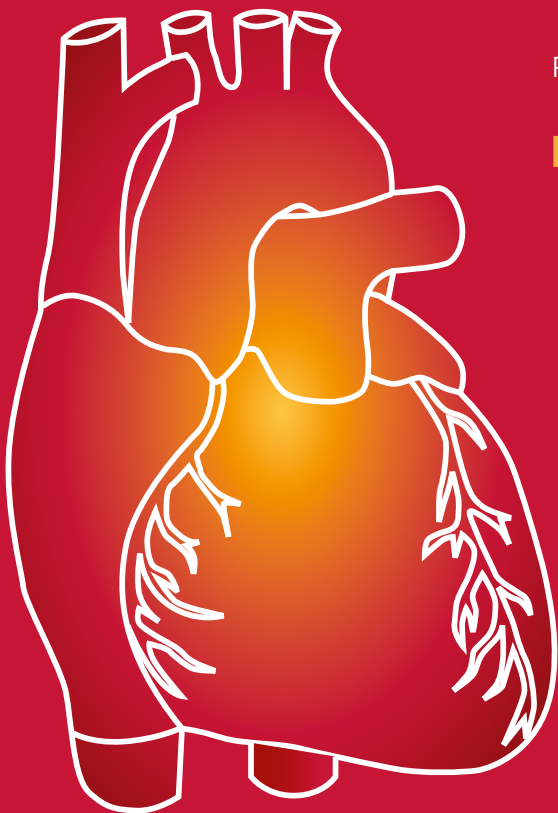


FÜR ALLE ÄRZTE AUS  
PRAXIS UND KLINIK!

# WORKSHOP

## DER AG HERZINSUFFIZIENZ

DER ÖSTERREICHISCHEN KARDIOLOGISCHEN GESELLSCHAFT



### Diagnostik in der Herzinsuffizienz

Prim. Dr. Andreas Winter (Ordensklinikum Linz Barmherzige Schwestern)

### Medikamentöse Therapie der Herzinsuffizienz

Priv.-Doz. Dr. Deddo Mörtl (Universitätsklinikum St. Pölten)

### Devices in der Herzinsuffizienz

Univ.-Prof. Dr. Marianne Gwechenberger (AKH Wien)

### Spezielle Fälle in der Herzinsuffizienz

Univ.-Doz. Dr. Martin Hülsmann (AKH Wien)

*anhand aktueller Fallbeispiele*

9.00–13.00 Uhr

**Sa 4. Oktober 2025**

Novotel Wien Hauptbahnhof

med Congress

#### ANMELDUNG:

per E-Mail an [fortbildung@medcongress.at](mailto:fortbildung@medcongress.at)  
Die Teilnahme ist kostenlos.

**Eine Anmeldung ist unbedingt erforderlich.**

#### ORGANISATION:

medCongress GmbH, Gabriele Rech  
2221 Gr. Schweinbarth  
Hochleitengasse 34/Top 1

Diese Veranstaltung entspricht 5 DFP-Punkten  
der Österreichischen Ärztekammer.



**Herzinsuffizienz**

Arbeitsgruppe Herzinsuffizienz  
der Österreichischen Kardiologischen Gesellschaft

# Sichelzellkrankheit



**Dr. Wolfgang NOVAK**

St. Anna Kinderspital  
Universitätsklinik für Kinder- und Jugendheilkunde  
Kinderspitalgasse 6, 1090 Wien  
wolfgang.novak@stanna.at  
www.stanna.at



**Univ.-Prof. Dr. Leo KAGER**

St. Anna Kinderspital  
Universitätsklinik für Kinder- und Jugendheilkunde  
Kinderspitalgasse 6, 1090 Wien  
leo.kager@stanna.at  
www.stanna.at

Die Sichelzellkrankheit (engl.: sickle cell disease, SCD) wird in Österreich als seltene Erkrankung betrachtet, doch durch die zunehmende globale Migration steigt die Prävalenz auch in Europa stetig an. Derzeit werden in Österreich mehr als 100 Kinder und Jugendliche mit SCD behandelt, davon über die Hälfte in Wien. Weltweit werden jährlich jedoch über eine halbe Million Kinder mit SCD geboren, wobei rund 80% in Subsahara-Afrika leben. Damit ist die SCD die häufigste monogenetische Krankheit weltweit. Die SCD ist eine komplexe Multisystemerkrankung, die durch eine Punktmutation im Gen der  $\beta$ -Globin-Kette (p.Glu7Val) verursacht wird. Diese Mutation führt zur Bildung von Sichelzell-Hämoglobin (HbS) anstelle des normalen adulten Hämoglobins (HbA). Während heterozygote Träger dieser Mutation einen evolutionären Überlebensvorteil bei Malaria-Infektionen haben, entwickelt sich in homozygoter Form oder bei compound-heterozygoter Vererbung (z.B. mit Hämoglobin C oder einer  $\beta$ -Thalassämie-Mutation) der charakteristische, schwerwiegende Phänotyp dieser Erkrankung. Die SCD entsteht durch die Eigenschaft von HbS, nach der Abgabe von Sauerstoff zu polymerisieren. Dieser Vorgang führt zur Verformung der Erythrozyten, die schließlich die typische Sichelform annehmen. Diese veränderten Erythrozyten verursachen einerseits eine chronische intravaskuläre Hämolyse, da sie frühzeitig zerstört werden, und andererseits mikrovaskuläre Verschlüsse. Diese Verschlüsse entstehen durch komplexe pathophysiologische Prozesse, bei denen unter anderem die Aktivierung von Leukozyten und Thrombozyten eine Rolle spielt. Infolgedessen kommt es zu einer Gewebshypoxie und lokalen Entzündungsreaktionen, die sich in akuten Schmerzkrise, den sogenannten vaso-okklusiven Krisen, äußern. Langfristig führen diese wiederholten Krisen zu chronischen Schmerzen und progressiven Multiorganschäden, was die Lebenserwartung und Lebensqualität der Betroffenen erheblich beeinträchtigt.

## Fallvignette 1 – Diagnose

Ein sechs Monate alter, reifgeborener Säugling mit Coombs-negativer hämolytischer Anämie wurde in einem externen Krankenhaus aufgrund einer schmerzhaften Schwellung von Händen und Füßen aufgenommen. Die Familienanamnese zeigt keine Auffälligkeiten hinsichtlich hämatologischer Erkrankungen, der ältere Bruder ist gesund. Ein entscheidender Hinweis auf die Ursache der Erkrankung ergibt sich jedoch aus der Herkunft der Eltern, die beide aus Nigeria stammen. Nach Kontaktaufnahme wurde eine Blutprobe an das St. Anna Kinderspital geschickt, wo im peripheren Blutausschrieb Sichelzellen nachgewiesen wurden.

Die Hochleistungsflüssigkeitschromatographie (HPLC) bestätigte den Verdacht auf SCD mit einem HbS-Anteil von 77% und einem HbF-Anteil von 21%. Die anschließende genetische Analyse ergab die klassische homozygote Form der Erkrankung (HBB; c.20A>T, p.Glu7Val). Die schmerzhaftige Schwellung von Händen und Füßen tritt bei dieser Erkrankung überwiegend im frühen Kindesalter auf und wird als Daktylitis oder Hand-Fuß-Syndrom bezeichnet.

## Manifestation und Diagnose der Erkrankung

Aufgrund der bei Geburt noch hohen Konzentrationen an fetalem Hämoglobin (HbF) tritt die SCD typischerweise erst ab dem dritten Lebensmonat in Erscheinung, wenn HbF durch das abnormale HbS ersetzt wird. So ist auch die in Fallvignette 1 beschriebene Daktylitis als Erstmanifestation ab diesem Zeitpunkt zu erwarten. Die Diagnose wird, wie oben beschrieben, durch HPLC oder Hämoglobin-Elektrophorese gestellt. Aufgrund der Tragweite der Erkrankung wird die Diagnose zusätzlich durch genetische Untersu-

chung abgesichert. Um Patienten frühzeitig zu identifizieren, wurde in Deutschland bereits ein Neugeborenencreening auf SCD implementiert.

### Fallvignette 2 – Komplikation Milzsequestration

Ein sechs Jahre alter Patient mit SCD (Genotyp HbS- $\beta$ -Thalassämie) wird in reduziertem Allgemeinzustand in die Notfallambulanz eingeliefert. Die Mutter berichtet, dass er seit heute über Bauchschmerzen klagte. Bei der Untersuchung fällt neben einer ausgeprägten Tachykardie eine stark vergrößerte, harte Milz auf. Die Laboruntersuchung zeigt eine schwere Anämie mit einem Hb-Wert von 4 g/dl, eine deutliche Retikulozytose (17%) und einen Abfall der Thrombozyten auf 70 G/L. Der Patient leidet unter einer lebensbedrohlichen Komplikation der SCD: einer Milzsequestration, bei der ein Pooling von Blut in die Milz erfolgt

### Komplikationen

Akute anämische Komplikationen, die vor allem im Kindesalter eine erhebliche klinische Bedeutung haben, sind die Milzsequestration (siehe Fallvignette 2) und die aplastische Krise. Letztere wird durch eine Infektion mit dem Parvovirus B19 ausgelöst, die durch Zytokine vermittelt, zu einer passageren Suppression der Erythropoese führt.

Kinder mit SCD haben auch eine erhöhte Gefahr, an einer Sepsis zu versterben, die auf eine funktionelle Asplenie zurückzuführen ist. Dies erhöht die Infektionsgefahr durch bekapselte Erreger: Pneumokokken, Haemophilus influenzae Typ b und Meningokokken. Ein weiteres ernstes Risiko sind zerebrale Insulte, insbesondere zwischen dem 2. und 5. Lebensjahr. Zur Prävention ist es wichtig, ab dem 2. Lebensjahr jährliche transkranielle Gefäßdoppler-Ultraschalluntersuchungen durchzuführen. Im Erwachsenenalter ist die pulmonale Hypertonie eine gefährliche Komplikation, die zu einer Überlastung des rechten Herzens und letztlich zu einer Rechtsherzinsuffizienz führen kann. Gleichzeitig können Patienten eine Sichelzell-Nephropathie entwickeln, die durch eine schleichende Verschlechterung der Nierenfunktion und Proteinurie gekennzeichnet ist. Das akute



Abb. 1:  
Fallvignette 3 Anstieg von MCV als Marker des Therapie-Ansprechens auf Hydroxyurea

Thoraxsyndrom (ATS) ist eine Komplikation, die in allen Altersgruppen auftreten kann und häufig nach einer akuten Schmerzkrise auftritt. Es kann einen fulminanten Verlauf nehmen, und die Diagnose muss schnell gestellt werden, insbesondere bei einem Abfall der Sauerstoffsättigung und progredienten Infiltraten im Thorax-Röntgen.

### Fallvignette 3 – Therapie

Bei einer 17-jährigen Patientin mit SCD und regelmäßigen Schmerzkrisen zeigte sich in den letzten Laboruntersuchungen ein zunehmender Abfall des mittleren korpuskulären Volumens (MCV), welches als Marker für die Therapie-Compliance unter Hydroxyurea dient. Auch die Werte des fetalen Hämoglobins (HbF) waren auf 7% gesunken, was dem Ausgangswert vor Therapiebeginn entspricht. In einem Gespräch, das von einer Oberärztin und einer Psychologin geführt wurde, gab die Patientin an, die Therapie in letzter Zeit vernachlässigt zu haben. In diesem Gespräch wurden der Patientin erneut die gefährlichen Risiken der Erkrankung ausführlich aufgezeigt, darunter die Gefahr lebensbedrohlicher Komplikationen sowie eine deutlich reduzierte Lebenserwartung und Lebensqualität. Das Gespräch hatte eine eindruckliche Wirkung auf die Therapie-Compliance: Die Werte von MCV (siehe Abb. 1), Hämoglobin und HbF stiegen deutlich an, und klinisch berichtete die Patientin über keine Schmerzkrisen mehr.

### Etablierte Therapien der Sichelzellkrankheit

Die Therapie von Patienten mit SCD basiert auf verschiedenen Ansätzen, wobei Hydroxyurea (HU) die Standardtherapie zur Reduktion von Morbidität und Mortalität darstellt und für alle Patienten empfohlen wird. Die Wirksamkeit von Hydroxyurea in der Reduktion von sichelzellbedingten Ereignissen ist durch zahlreiche Studien belegt, und sie

führt zu einer Verbesserung der Lebenserwartung und Lebensqualität. Der wichtigste Effekt von Hydroxyurea ist die Erhöhung der HbF-Produktion und die Senkung der Leukozytenzahl.

Allerdings gibt es auch Patienten, die trotz Hydroxyurea einen schweren Krankheitsverlauf zeigen. In solchen Fällen sollte zunächst die Compliance der Patienten überprüft werden (siehe Fallvignette 3), und es sollte eine Therapie mit der maximal tolerierten Dosis von Hydroxyurea erfolgen. Für Patienten, die weiterhin zahlreiche Komplikationen haben, sind chronische Austauschtransfusionen eine hocheffektive Alternative. Diese erfolgen alle 6 bis 8 Wochen, um den HbS-Wert unter 30% zu halten. Eine kurative Behandlungsmöglichkeit stellt die hämatopoetische Stammzelltransplantation (HSZT) von einem HLA-identen Spender dar, der entweder ein Geschwisterspender (engl., matched sibling donor, MSD) oder ein Fremdspender (engl., matched unrelated donor, MUD) sein kann. Bei jungen SCD-Patienten, die von einem MSD transplantiert wurden, liegt das ereignisfreie Überleben bei 95–100%. Allerdings ist die Verfügbarkeit solcher Spender in Europa begrenzt: Weniger als 14% der Patienten haben einen MSD, und weniger als 18% einen MUD zur Verfügung.





Abb. 3: Fallvignette 4, Lungenröntgen bei akutem Thoraxsyndrom

#### Fallvignette 4

Ein 17-jähriger Patient mit einer Vorgeschichte multipler sichelzellanbedingter Komplikationen unter Hydroxyurea-Therapie stellt sich mit starken Schmerzen im linken Hüftgelenk vor. Seit sechs Tagen klagt er über zunehmende Schmerzen und eine deutliche Einschränkung der Beweglichkeit in der linken Hüfte. Röntgen- und MRT-Untersuchungen (Abb.2) zeigen eine Hüftkopfnekrose mit ausgedehnter Destruktion des linken Hüftkopfes, weshalb die Indikation zur Implantation einer Hüft-Totalendoprothese gestellt wird. Vor dem Eingriff erfolgt ein komplikationsloser Erythrozytenaustausch, jedoch lehnt der Patient regelmäßige Austauschtransfusionen ab. Ein halbes Jahr nach dem erfolgreichen Eingriff wird der Patient aufgrund eines akuten Thoraxsyndroms (Abb.3) erneut stationär

aufgenommen – eine erneute schwere Komplikation, die eine intensivmedizinische Behandlung erforderlich macht. Da der Patient mittlerweile volljährig ist, steht nach der überstandenen Komplikation die Transition in die Erwachsenenversorgung an. Eine HSZT ist aufgrund des Fehlens eines geeigneten Spenders nicht möglich. Der Patient setzt seine Hoffnung auf die Gentherapie als potenzielle Heilungsoption.

#### Gentherapie

Seit dem Frühjahr 2024 ist mit Exagamglogene autotemcel (Exa-cel) eine neue Gentherapie von der Europäischen Arzneimittelagentur (EMA) für die Behandlung von SCD zugelassen. In den USA ist zusätzlich zu dieser Therapie auch die Gentherapie mittels Lovo-cel (Genaddition) von der Food and Drug Administration (FDA) zugelassen worden.

Die Gentherapie stellt einen vielversprechenden kurativen Ansatz für Patienten ohne passenden HSZT-Spender dar. Ein wesentlicher Vorteil gegenüber der HSZT ist das fehlende Risiko einer Graft-versus-Host-Erkrankung. Allerdings bleiben bei den aktuell verfügbaren Therapien die Nebenwirkungen und Risiken der myeloablativen Konditionierung bestehen.

Die Lovo-cel (Lovotibeglogene autotemcel)-Therapie nutzt eine Gen-Addition-Strategie, bei der ein Gen, das für ein modifiziertes Hämoglobin mit einer  $\beta(87T>Q)$ -Mutation kodiert, über Lentiviren in hämatopoetische Stammzellen (HSC) eingebracht wird. Exa-cel hingegen erhöht die HbF-Produktion

mittels CRISPR-Cas9-Technologie. Dies erfolgt durch die Umkehr des Hämoglobinwechsels, bei dem physiologisch die Produktion von HbF zugunsten von HbA reduziert wird. Ein zentraler Regulator dieses Wechsels ist der Transkriptionsfaktor BCL11A, der die Expression der  $\gamma$ -Globin-Gene (HBG1 und HBG2) hemmt. Die Geneditierungsstrategie von Exa-cel zielt auf die Inaktivierung von BCL11A in erythroiden Zellen ab, um die HbF-Produktion zu fördern. In einer Phase-3-Studie (Locatelli 2024) zeigte Exa-cel bei 97% der Patienten mit ausreichender Nachbeobachtungszeit (30 von 44) eine Freiheit von vaso-okklusiven Krisen für mindestens 12 aufeinanderfolgende Monate.

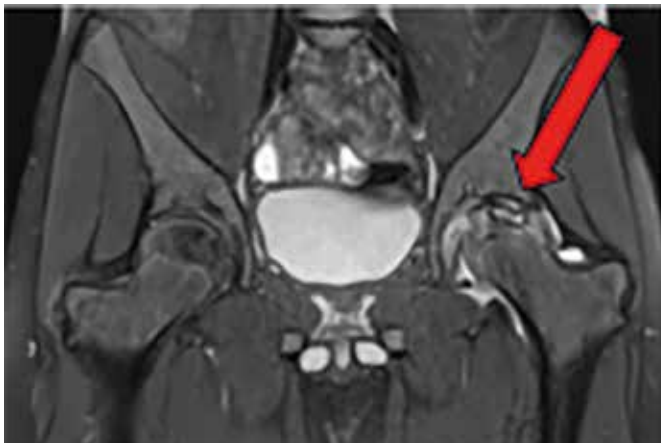


Abb. 2: Fallvignette 4, MRT-Untersuchungen zeigen eine Hüftkopfnekrose mit ausgedehnter Destruktion des linken Hüftkopfes

# Das Management der Baby-Popo-Pflege



## Mit wertvollen Pflanzenextrakten behandeln

**ANULIND® lindert, reinigt und pflegt auch die empfindliche Haut im Windelbereich**

### Mit der Kraft der Natur:

**Kamille, Ringelblume, Kornblume und Rosskastanie**

Das 3-Phasen-Pflegesystem von ANULIND® reinigt und pflegt die empfindliche Haut mit wertvollen Pflanzenextrakten aus Kamille, Ringelblume, Kornblume und Rosskastanie einfach, effektiv und völlig kortisonfrei. Durch diese Kombinationen wird die Haut regeneriert, geschützt - die unangenehmen Empfindungen und Irritationen verschwinden.

### Für wirksame Linderung:

#### ANULIND® Crème

Die schützende Emulsion lindert die Symptome bei Analbeschwerden und auch Hämorrhoiden. Dank ihres schützenden und erfrischenden Gleitfilms lindert die ANULIND® Creme die lästigen Beschwerden – sowohl Schmerzen, Juckreiz wie auch Brennen. Für die äußerliche Anwendung wird das Medizinprodukt sanft einmassiert.



### Für die erfrischende Dusche:

#### ANULIND® Waschschaum

Der zarte, cremige Waschschaum eignet sich ideal für die behutsame Reinigung des empfindlichen äußeren Bereichs auch bei schmerzenden Irritationen im Analbereich unter der Dusche. Der ANULIND® Waschschaum ist ein dermatologisch getestetes Kosmetikum – reinigt, beruhigt und erfrischt die Haut und bereitet die Haut für die Anwendung der Creme vor.

### Für die sanfte Reinigung:

#### ANULIND®Reinigungs- & Pflgetücher

zwischendurch und unterwegs sind die milden ANULIND® Feuchttücher ideal. Auch auf Reisen ist die wiederverschließbare Packung besonders praktisch. Die Reinigungs- und Pflgetücher sind aus einem anschmiegsamen und doch reißfestem Vlies und dermatologisch getestet. Sie enthalten natürliche Extrakte aus Kamille, Kornblume sowie Ringelblume, pflegen die empfindliche Haut im Analbereich und anschließend kann die ANULIND® Crème aufgetragen werden.



**Die ANULIND® Pflegeserie gibt es rezeptfrei in jeder Apotheke, alle Produkte einzeln oder zum Vorteilspreis als Starter-Set erhältlich.**



# Geneditierung bei Sichelzellkrankheit und transfusionsabhängiger $\beta$ -Thalassämie

## Erste Gentherapie mittels Geneditierung in Europa zugelassen

Die Sichelzellkrankheit (SCD) und transfusionsabhängige  $\beta$ -Thalassämie (TDT) sind zwei seltene Erbkrankheiten mit schwerer, angeborener Störung der Blutbildung. Bisher hatten nur wenige Betroffene eine Chance auf Heilung durch die Anwendung einer Stammzelltransplantation. Mit Casgevy® (Exagamglogene autotemcel/Exa-cel) steht nun die erste Geneditierungstherapie basierend auf der CRISPR-Cas-Technologie zur Verfügung. Das 5-Jahres-Follow-up bestätigt das Potential für eine transformative und dauerhafte funktionelle Heilung.

Die Entdeckung der CRISPR-Cas-Methode durch die beiden Biochemikerinnen Emmanuelle Charpentier und Jennifer Doudna war eines der revolutionärsten Ereignisse in der Molekularbiologie. Für ihre bahnbrechende Publikation im Jahr 2012 [1] wurden die beiden Forscherinnen 2020 mit dem Nobelpreis für Chemie ausgezeichnet. Nachdem 2021 die Studienergebnisse zur Behandlung zweier Hämoglobinopathien mit schwerem Verlauf publiziert wurden [2], wurde im Februar 2024 Exa-cel durch die europäische Kommission für die Behandlung von TDT und SCD bei Patienten ab 12 Jahren in Europa zugelassen. Damit ist das neue Gentherapeutikum die erste und einzige Geneditierungstherapie mittels CRISPR/Cas bei monogenetischen Erkrankungen.

### Wirkmechanismus aus der Natur

Das CRISPR/Cas-System basiert auf der spezifischen Immunabwehr von Bakterien zur intrazellulären Bekämpfung von Bakterio-phagen. Das Enzym Cas spaltet die Viren-DNA und die Bruchstücke werden in kurzen, sich wiederholenden Teilen (Clustered Regularly Interspaced Short Palindromic Repeats, CRISPR) ins Bakteriengenom eingefügt. Dadurch soll das Virus-Genmaterial bei erneutem Befall erkannt und zerstört werden. Casgevy® ist eine genetisch modifizierte, autologe, mit CD34+-Zellen angereicherte Population von hämatopoetischen Stamm-

und Vorläuferzellen (HSPC). [5] Ziel ist, die erythroide Verstärkerregion innerhalb des BCL11A-Gens präzise auszuschalten und die Expression von BCL11A zu reduzieren. Dabei kommt es zur Reaktivierung fetaler Hämoglobin (HbF)-Spiegel, die zu einer verringerten Morbidität und Mortalität bei Patienten mit Hämoglobinopathien führen. [3, 4] Der steigende Anteil fetalen Hämoglobins in den Erythrozyten soll vasookklusive Krisen bei SCD-Patienten verhindern und Transfusionsunabhängigkeit für TDT-Patienten gewährleisten. [5]

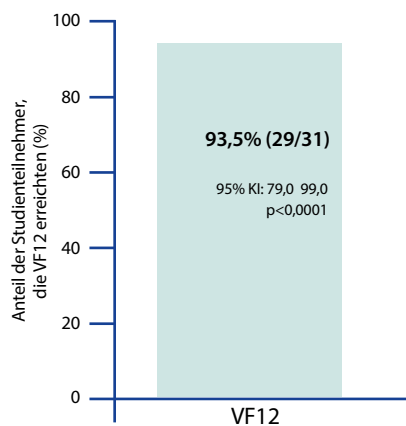
### Ermutigende Zulassungsstudien

Die Wirksamkeit und Verträglichkeit von Exa-cel wurde in zwei internationalen, multizentrischen, open label, einarmigen Phase-III-Studien bei Kindern und Erwachsenen (12–35 Jahre) mit SCD (CLIMB SCD-121) und TDT (CLIMB THAL-111) untersucht. Patienten, die CLIMB SCD-121 und CLIMB THAL-111 abgeschlossen haben, können in die laufende Lang-

zeitstudie CLIMB-131 aufgenommen werden. Hier werden in einer Nachbeobachtungszeit von insgesamt 15 Jahren Daten zur Sicherheit und Verträglichkeit erhoben.

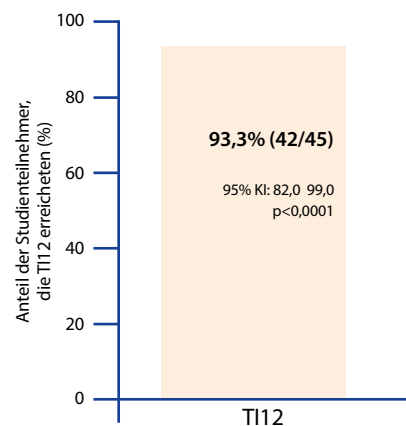
In CLIMB SCD-121 [6] erhielten 46 Patienten mit SCD und einer Vorgeschichte schwerer vaso-klusiver Schmerzkrisen (VOCs) Casgevy®. Für die Evaluierung der Wirksamkeitsendpunkte wurden die Daten von 31 Patienten untersucht (Datacut 18.9.23). Primärer Endpunkt war das Ausbleiben schwerer VOCs für mindestens 12 aufeinanderfolgende Monate (VF12), sekundärer Endpunkt der Wegfall notwendiger Hospitalisierungen aufgrund schwerer VOCs. Mit einem frühen und nachhaltigen Hb- und HbF-Anstieg, der Freiheit von schweren VOCs bei 93,5% und einer Verhinderung der Hospitalisierung bei 100% der Patienten für mindestens 12 aufeinanderfolgende Monate wurden alle Endpunkte erreicht. [6] Der Anteil der bearbeiteten BCL11A-Allele war in CD34+ Zellen des Knochenmarks und in kernhaltigen Zellen des peripheren Blutes stabil. Die Behandlung mit Exa-cel führte auch in CLIMB THAL-111 [8] zu

#### Freiheit von vasookklusiven Krisen bei SCD Patienten



A: CLIMB SCD-121: Anteil der Patienten mit Sichelzellerkrankung frei von vaso-klusiven Krisen über einen Zeitraum von  $\geq 12$  Monaten (VF12) nach Therapie mit Exa-cel.

#### Transfusionsfreiheit bei TDT Patienten



B: CLIMB THAL-111: Anteil der über einen Zeitraum von  $\geq 12$  Monaten transfusionsabhängigen (T12)  $\beta$ -Thalassämie-Patienten nach Therapie mit Exa-cel.

Abb. 1.: Primäre Endpunkte (pEP) der Studien zu Exa-cel. (EHA2024 Hybrid Congress <https://onlinelibrary.wiley.com/doi/epdf/10.1002/hem3.104>)

**CASGEVY® ist für folgende Indikationen zugelassen:**

- **Behandlung von Patienten ab 12 Jahren mit transfusionsabhängiger Beta-Thalassämie (TDT), die für eine Transplantation von hämatopoetischen Stammzellen (HSZ) geeignet sind und für die kein humaner Leukozyten-Antigen (HLA)-kompatibler, verwandter HSZ-Spender zur Verfügung steht.**
- **Behandlung von Patienten ab 12 Jahren mit schwerer Sichelzellerkrankung (SCD) mit rezidivierenden vaso-okklusiven Krisen (VOC), die für eine Transplantation von hämatopoetischen Stammzellen (HSZ) geeignet sind und für die kein humaner Leukozyten-Antigen (HLA)-kompatibler, verwandter HSZ-Spender zur Verfügung steht**

einer frühen und anhaltenden Erhöhung von Hb und HbF und ermöglichte 93,3% der 45 Patienten mit TDT ein Leben ohne Transfusionen. [9, 10] Das Sicherheitsprofil von Exa-cel stimmt in beiden Studien im Allgemeinen mit der myeloablativen Busulfan-Konditionierung und der autologen Transplantation überein. [6, 8] Schwerwiegende Nebenwirkungen, die auf Casgevy® zurückgeführt wurden, traten bei zwei Patienten (3,7%) mit TDT auf: ein Patient (1,9%) mit hämophagozytischer Lymphohistiozytose, akutem Atemnotsyn-

drom, idiopathischem Pneumoniesyndrom und Kopfschmerzen; ein Patient (1,9 %) mit verzögertem Engraftment und Thrombozytopenie. Kein Patient mit SCD hatte schwerwiegende Nebenwirkungen, die auf Casgevy® zurückgeführt wurden. [5]

**Dauerhafter Erfolg und Verbesserung der Lebensqualität**

Auf dem Jahreskongress der European Hematology Association (EHA 2024) wurde ein Follow-up der Studien bis zu 5 Jahren präsentiert. Die Daten bestätigen den transformativen und anhaltenden klinischen Nutzen der Therapie. [7] In beiden Studien blieb die zielgenaue Editierung an BCL11A dauerhaft bestehen, sowohl in peripheren nukleären Blutzellen wie auch in CD34-positiven Knochenmarkszellen. In den "patient-reported outcomes" (PROs) berichten die Patienten beider Erkrankungen von dauerhaften und klinisch relevanten Verbesserungen ihrer Lebensqualität, einschließlich des körperlichen, emotionalen, sozialen/familiären und arbeitsbezogenen Wohlbefindens wie auch des allgemeinen Gesundheitszustands. [9,10] Damit kann Casgevy® Betroffenen zukünftig eine Chance auf funktionelle Heilung bieten.

**Literatur:**

[1] Jinek M et al.: A programmable dual-RNA-guided DNA endonuclease in adaptive bacterial immunity. *Science* 2012; 337(6096): 816–21

[2] Frangoul H et al.: CRISPR-Cas9 Gene Editing for Sickle Cell Disease and  $\beta$ -Thalassemia. *N Engl J Med* 2021; 384: 252–60

[3] Sankaran VG, Orkin SH: *Cold Spring Harb Perspect Med* 2013; 3(1): a01164

[4] Bauer DE et al.: *Curr Opin Gene Dev* 2015; 33: 62-70

[5] Fachinformation Casgevy® Stand Feb. 2024

[6] Frangoul H et al.: *HemaSphere* 2024; 8(S1): 379, DOI: 10.1002/hem3.104. Online unter <https://onlinelibrary.wiley.com/doi/epdf/10.1002/hem3.104>

[7] Exagamglogene Autotemcel for severe sickle cell disease, EHA 2024 Abstract Book in <https://online.library.wiley.com/doi/epdf/10.1002/hem3.104>, S. 379-38

[8] Locatelli F et al.: *HemaSphere* 2024; 8(S1): 382, DOI: 10.1002/hem3.104. Online unter <https://onlinelibrary.wiley.com/doi/epdf/10.1002/hem3.104>

[9] Frangoul H et al.: *HemaSphere* 2024; 8(S1): 2760, DOI: 10.1002/hem3.104. Online unter <https://onlinelibrary.wiley.com/doi/epdf/10.1002/hem3.104>

[10] de la Fuente J et al.: EHA-Kongress 2024; 8(S1): 2822, DOI: 10.1002/hem3.104. Online unter <https://onlinelibrary.wiley.com/doi/epdf/10.1002/hem3.104>

RB

Fachkurzinformation Seite 34  
AT-72-2400066



# Stammzelltransplantation: Die DKMS finanziert lebensrettende Einrichtung für Kinder in Indien

Die internationale gemeinnützige Organisation DKMS weitet ihr weltweites Engagement aus und finanziert eine neue hochmoderne Einrichtung für Stammzelltransplantationen in Ahmedabad, Indien. Diese wird jährlich bis zu 120 Kindern mit erblichen Blutkrankheiten wie Thalassämie eine lebendrettende Behandlung ermöglichen und ihnen eine zweite Chance auf Leben geben.

**A**m 7. und 8. Februar 2025 feierte die DKMS gemeinsam mit der Sankalp India Foundation die Einweihung einer neuen Einrichtung für Stammzelltransplantationen in Ahmedabad. Die DKMS, bekannt für den Aufbau der weltweit größten Stammzellspenderdatei, setzt damit einen weiteren Meilenstein in der Versorgung von Patient:innen. Das neue Zentrum trägt entscheidend dazu bei, den wachsenden Bedarf an Stammzelltransplantationen in der Region zu decken. Es umfasst 10 spezialisierte pädiatrische Transplantationsbetten, Apherese- und Pflegeeinrichtungen sowie ein Ambulanzzentrum. Mehr als 26 Fachkräfte, darunter 4 Ärzte und 14 Krankenschwestern, werden die bestmögliche medizinische Betreuung der Patienten sicherstellen.

## Dringender Bedarf in Indien gedeckt

Indien steht vor einer dringenden gesundheitlichen Herausforderung: Jedes Jahr werden mehr als 12.000 Kinder mit Thalassämie geboren, einer erblichen Bluterkrankung, die zu schwerer Anämie führt. Diese Kinder sind oft lebenslang auf Bluttransfusionen angewiesen, und ohne entsprechende Behandlung werden viele von ihnen nicht einmal 20 Jahre alt. Die einzige Heilungsmöglichkeit ist die Stammzelltransplantation, doch der Zugang ist aufgrund finanzieller und logistischer Hindernisse nach wie vor begrenzt.

Um diese Lücke zu schließen, haben die DKMS und die gemeinnützige Sankalp India Foundation die neue Transplantationseinrichtung in Ahmedabad aufgebaut. Die DKMS hat 31,15 Millionen indische Rupien (etwa 350.000 Euro) zur Finanzierung der Initiative bereitgestellt, die von Sankalp mit medizinischer Beratung durch Cure2Children geleitet wird.

„Unser Ziel ist es, nachhaltige Heilungsmöglichkeiten für Patienten in benachteiligten Regionen zu schaffen, indem wir lokale Kapazitäten aufbauen und Unterstützung 'im Land, für das Land' anbieten“, erklärt Dr. Elke Neujahr, Global CEO der DKMS. „Durch die Finanzierung der Einheit in Ahmedabad bringen wir die lebensrettende Versorgung näher an den Wohnort, erleichtern wir den Zugang zur Behandlung und unterstützen Familien, die sonst weite Strecken zurücklegen müssten. Wir träumen davon, jedem an Thalassämie erkrankten Kind in Indien eine zweite Lebenschance zu geben – eine Chance zu lächeln, zu wachsen und die Zukunft zu haben, die es verdient.“

## Erweiterung der lebensrettenden Maßnahmen

Das neue Zentrum ersetzt eine ältere, kleinere Einrichtung in Ahmedabad, die den steigenden Bedarf der Region nicht mehr decken konnte. Es ist die zweite Transplantationseinheit in Indien, die von der DKMS in Erinnerung an Mechtild Harf, der verstorbenen Ehefrau des DKMS-Gründers Peter Harf, finanziert wurde.

Seit ihrer Einrichtung im Jahr 2021 hat die erste Einheit in Bangalore bereits mehr als 460 Kindern mit Thalassämie geholfen. Sankalp betreibt auch diese in Zusammenarbeit mit Cure2Children. Beide Projekte sind Teil des Capacity Building Programms der DKMS, zum Aufbau lokaler Infrastruktur. Mit ihrer Initiative ‚Zugang zu Transplantationen‘ zielt die DKMS darauf ab, Patienten in Regionen mit niedrigem und mittlerem Einkommen eine lebensrettende Behandlung zu ermöglichen, die ihnen sonst verwehrt bliebe.

## Eine Geschichte der Hoffnung: Tanvi

Die Wirksamkeit dieser Initiative zeigt sich an der Geschichte von Tanvi, einem Mädchen, bei dem im Alter von nur sechs Monaten Thalassämie diagnostiziert wurde. Sie wurde in eine Familie hineingeboren, die täglich mit finanziellen Problemen zu kämpfen hatte. Ihr Vater – ein Autoriksha-Fahrer – arbeitete unermüdlich, um für sie zu sorgen. Für Tanvi wurden regelmäßige Bluttransfusionen zum Rettungsanker, doch als die finanzielle Belastung immer erdrückender wurde, suchte ihr Vater verzweifelt nach Hilfe.

Dank einer kostenlosen sogenannten HLA-Typisierung, die von der DKMS finanziert und von Sankalp vermittelt wurde, konnte ein genetisches Match und somit die Grundlage für eine lebensrettende Stammzelltransplantation gefunden werden: Tanvis eigene Schwester Dhanvi. Mit neuer Hoffnung entschied sich die Familie für die Behandlung in der ehemaligen Einrichtung in Ahmedabad – ein Wendepunkt in Tanvis Kampf gegen die Krankheit. Heute, fünf Jahre nach der Transplantation, geht es der 16-jährigen Tanvi gut. Sie ist ein fröhliches Kind, das gerne tanzt und das Leben mit neuer Energie genießt.

„Ich bin unendlich dankbar, dass meine Tochter dank der DKMS und Sankalp diese Behandlung erhalten konnte“, sagt Tanvis Vater. „Dank ihnen kann ich sie wieder lächeln sehen. Sie hat jetzt die Chance auf ein langes und erfülltes Leben.“

Neben der Transplantation profitierte Tanvis Familie auch von dem Patient Funding Programm der DKMS. Diese Unterstützung verringerte die finanzielle Belastung und bildete die Grundlage dafür, dass Tanvi die benötigte Behandlung erhielt.

„Unsere Zusammenarbeit mit der DKMS hat seit 2018 das Leben von mehr als 570 Kindern



in Indien verändert“, sagt Rajat Kumar Agarwal, Präsident von Sankalp. „Mit der neuen und erweiterten Einrichtung in Ahmedabad, in der bis zu 120 Kinder pro Jahr behandelt werden können, können wir noch mehr Kinder retten und ein glückliches Leben ermöglichen. Das bedeutet Hoffnung und eine bessere Zukunft für Familien, die mit den Herausforderungen der Thalassämie konfrontiert sind.“

## Wie Sie helfen können

Mit 4.500 Euro pro Patient ermöglicht die DKMS Kindern mit Thalassämie in Indien den Zugang zu einer Stammzelltransplantation, indem sie einen erheblichen Teil der Behandlungskosten übernimmt, im Durchschnitt ein Drittel der Gesamtkosten einschließlich der einjährigen Nachsorge.

Sie können heute helfen, Leben zu retten:

Mit 100 Euro zum Beispiel können Sie einen wichtigen Beitrag zu den Behandlungskosten leisten, damit ein an Thalassämie erkranktes Kind in Indien Zugang zu einer Stammzelltransplantation erhält.

Mit 150 Euro finanzieren Sie zum Beispiel die HLA-Typisierung einer fünfköpfigen Familie in Indien und geben Thalassämie-Patient:innen die Hoffnung, ein passendes Familienmitglied für eine Stammzellspende zu finden.

Mit 560 Euro ermöglichen Sie beispielsweise einem an Thalassämie erkrankten Menschen in Indien ein Jahr lang die notwendige medizinische Versorgung.

Mehr über die Unterstützung der Arbeit der DKMS oder eine Spende aus Deutschland erfahren Sie unter [www.dkms.de/aktiv-werden/geld-spenden](http://www.dkms.de/aktiv-werden/geld-spenden).

## Über die DKMS

Die DKMS ist eine internationale gemeinnützige Organisation, deren Ziel es ist, weltweit so vielen Blutkrebspatient:innen wie möglich eine zweite Lebenschance zu geben. Sie wurde 1991 in Deutschland von Dr. Peter Harf gegründet und sorgt seither dafür, dass immer mehr Patient:innen eine lebensrettende Stammzellspende erhalten. Bei der DKMS sind mehr als 12,5 Millionen potenzielle Spender:innen registriert, bis heute hat die Organisation mehr als 120.000 Stammzellspenden vermittelt. Die DKMS ist außer



Dr. Elke Neujahr, Global CEO der DKMS, bei der feierlichen Eröffnung der neuen Transplantationseinheit in Ahmedabad. © DKMS

in Deutschland in den USA, Polen, UK, Chile, Indien und Südafrika aktiv. Durch internationale Projekte und Hilfsprogramme verschafft die DKMS noch mehr Menschen weltweit Zugang zu einer lebensrettenden Therapie. Darüber hinaus engagiert sich die DKMS in den Bereichen Medizin, Wissenschaft und Forschung, um die Heilungschancen von Patienten zu verbessern. In ihrem Hochleistungslabor, dem DKMS Life Science Lab, setzt die Organisation weltweit Maßstäbe für die Typisierung potenzieller Stammzellspender:innen, um so das perfekte Match für eine Transplantation zu finden.

## Über Sankalp

Die Sankalp India Foundation ist eine gemeinnützige Organisation mit Sitz in Bangalore, die sich seit 2003 für die freiwillige Blutspende und die Behandlung von Kindern mit Bluterkrankungen wie Thalassämie einsetzt. Sankalp hat ein Netzwerk von 23 gemeinnützigen Kindertagesstätten im ganzen Land aufgebaut, in denen über 2.500 Kinder mit Bluterkrankungen eine angemessene medizinische Versorgung erhalten. Seit 2015 heilt die Organisation in ihren beiden Zentren (Bangalore und Ahmedabad) Kinder durch Blutstammzelltransplantationen auf gemeinnütziger Basis und hat bereits mehr als 700 Transplantationen für Kinder in Indien organisiert. Sankalp arbeitet auch an der Prävention von Hämoglobinopathien: Sie bietet schwangeren

Frauen ein gezieltes Screening auf vererbte Blutkrankheiten an. Bislang wurden über 140.000 Paare getestet, um mögliche Risiken frühzeitig zu erkennen und zu behandeln.

## Über Cure2Children

Cure2Children ist eine gemeinnützige Organisation, die es sich zur Aufgabe gemacht hat, krebskranke Kinder und Kinder mit schweren Blutkrankheiten zu heilen. Die Organisation mit Sitz in Florenz, Italien, ist weltweit tätig. Sie wurde 2007 von einer Gruppe von Eltern, die ihr Kind durch Krebs verloren hatten, in Zusammenarbeit mit dem pädiatrischen Hämatologen und Onkologen Dr. Lawrence Faulkner gegründet. Cure2Children hat mehrere Zentren für Stammzelltransplantationen in Ländern mit niedrigem und mittlerem Einkommen in Südostasien, dem Nahen Osten und Afrika eingerichtet. Bis heute wurden 1.300 Stammzelltransplantationen durchgeführt, vor allem bei schweren Thalassämie-Syndromen bei Kindern unter 18 Jahren.

**DKMS Donor Center gGmbH**  
Kressbach 1  
72072 Tübingen  
Deutschland

T +49 7071 943-0  
post@dkms.de



Du bist unter 20 und erwartest ein Baby?



**„Ich bin schwanger!“** Die freudige Nachricht wird für Teenager oft zur Belastungsprobe. YoungMum ist eine Einrichtung am St. Josef Krankenhaus Wien und unterstützt die jungen Mädchen und Frauen.

Im Jahr 2023 waren in Österreich 900 Frauen bei der Geburt ihres Kindes unter 20 Jahre alt. Doch wenn Teenager Nachwuchs erwarten, stehen sie oft vor großen Herausforderungen. „Manche von ihnen haben keinen Rückhalt in der Familie, oft müssen sie die Schule oder Ausbildung abbrechen, zum Teil fehlt auch die nötige medizinische Betreuung“, beschreibt die Leiterin der Einrichtung, Irene Richter, die Lebenssituation der jungen Frauen. Auch im sozialen Umfeld stoßen sie oft auf Unverständnis und Vorurteile, die psychische Belastung ist meist hoch.

## YoungMum hilft

Bei YoungMum erhalten junge Frauen und Mädchen unter 20 eine intensive Begleitung vor, während und nach der Geburt, bis hin zum ersten Geburtstag des Kindes. „Die meisten Frauen sind 17, 18 oder 19 Jahre alt. Es kommen aber auch 14-jährige Mädchen zu uns“, beschreibt Elisabeth Bramauer, Hebamme bei YoungMum. Gemeinsam mit einer weiteren Hebamme, Gynäkolog\*innen, Psycholog\*innen, einer Sozialarbeiterin und einem Rechtsberater unterstützt sie pro Jahr an die 80 schwangere Teenager. Die Themen, mit denen sich die jungen Frauen auseinan-

dersetzen müssen, sind meist vielfältig. „Egal ob es Probleme mit den Eltern, dem Partner, der Schule, dem Arbeitgeber, den Behörden oder der Wohnsituation sind: Wir unterstützen die jungen Frauen in vielen Bereichen“, so Bramauer. Die Betreuung erfolgt in Form von persönlichen Terminen, oft auch telefonisch, per Mail oder als Videocall – jedenfalls aber in dem Ausmaß, wie es die Betroffenen benötigen. „Wichtig ist uns, dass wir eine gute Beziehung zu den jungen Frauen aufbauen und sie das Gefühl haben, dass sie sich jederzeit an uns wenden können“, erklärt die Hebamme. Um die Betroffenen gut auf die Schwangerschaft und das Leben mit dem Baby vorzubereiten, gibt es eigene Geburtsvorbereitungskurse oder Treffen mit anderen jungen Müttern. Auch aus medizinischer Sicht profitieren die Betroffenen vom Angebot: „Werden die Teenager umfassend betreut, gibt es weniger Schwangerschaftskomplikationen, weniger Frühgeburten und seltener die Notwendigkeit für einen Kaiserschnitt“, fasst OA Dr. Stefan Zawodsky, Ärztlicher Leiter bei YoungMum, zusammen. YoungMum ist spendenfinanziert.

## Schwangere Teenager

# YoungMum ist die kostenfreie Anlaufstelle für junge Mütter

### Germania unterstützt das Projekt für Teenager Mütter

Als erfolgreiches österreichisches Familienunternehmen unterstützen wir gemäß unserem Unternehmensmotto immer gerne Projekte, die „näher am Menschen“ sind. Bei YoungMum zählt die Hilfe ja doppelt – den jungen Müttern und ihren Babys wird der gemeinsame Start ins Leben erleichtert. Wir freuen uns sehr, mit der Germania Pharmazeutika einen Beitrag leisten zu können, zeigt sich der Geschäftsführer Herr Mag. Georg Fischill beeindruckt vom umfassenden Unterstützungsangebot des Teams.

Weitere Infos zur Germania Pharmazeutika Ges.m.b.H: [www.germania.at](http://www.germania.at)  
Weitere Infos zu Projekt und Spenden: [www.sjk-wien.at](http://www.sjk-wien.at)



foto © Thomas M. Laimgruber

Spendenübergabe am St. Josef Krankenhaus Wien durch Herrn Mag. Georg Fischill an die Mitarbeitenden des Projektes: Frau Elisabeth Bramauer, die Leiterin Frau Irene Richter, Herr OA Dr. Stefan Zawodsky, Herr Prim. Dr. Andreas Brandstetter mit Frau Mag. Margot Nitsch und Frau Mag. Birgit Füssl, beide Firma Germania Pharmazeutika.

# Süße statt bitterer Tabletten in der Kinderonkologie

## Erstmals Anwendung 3D-gedruckter Arzneimittel im Universitätsklinikum Hamburg-Eppendorf

**E**rstmals werden im Universitätsklinikum Hamburg-Eppendorf (UKE) Patient:innen mit Medikamenten behandelt, die in der eigenen Klinikapotheke im 3D-Drucker hergestellt worden sind. In einer gemeinsamen Studie der Klinikapotheke und der Kinderonkologie des UKE wird geprüft, ob die individuell dosierten 3D-Kautabletten im Vergleich zu den herkömmlichen, eher bitteren Medikamenten von den Patienten bevorzugt werden. Die Tabletten enthalten den Wirkstoff Dexamethason, der zur Prophylaxe gegen Übelkeit vor einigen Chemotherapien gegeben wird.

„Wir sind deutschlandweit die erste Klinik, die 3D-gedruckte Medikamente selbst entwickelt hat und nun im Rahmen einer Studie Patienten in der Kinderonkologie verabreicht. Wir wollen damit eine präzisere Arzneimitteldosierung ermöglichen“, erklärt Dr. Adrin Dadkhah, Co-Leiter Forschung und Lehre der UKE-Klinikapotheke. Das neue Verfahren befindet sich seit drei Jahren im UKE in der Entwicklung. In einer zuvor von der Klinikapotheke durchgeführten Machbarkeitsstudie wurde die Implementierung des 3D-Drucks zur Herstellung individuell dosierter Arzneimittel in den bestehenden Medikationsprozess erfolgreich getestet.

### Kleine Patienten können Tabletten häufig nicht schlucken

Bisher stoßen Ärzte und Pflegende bei der Medikamentengabe in der Kinderheilkunde täglich an Grenzen. Weil es die meisten Wirkstoffe nicht als Tropfen oder Säfte gibt, müssen sie in der Regel auf Tabletten zurückgreifen. Die aber können viele Kinder nicht schlucken: „Einige der kleinen Patienten finden den Geschmack so furchtbar oder die Tabletten zu groß, dass sie sie nicht schlucken können“, erklärt PD Dr. Beate Winkler, Oberärztin in der Klinik für Pädiatrische Hämatologie und Onkologie des UKE. Zudem müssen viele Medikamente gewichtsabhängig dosiert und



damit bei geringem Körpergewicht halbiert, geviertelt oder gemörsert werden. Auch das erschwert eine exakte Dosierung.

In der Studie erhalten Kinder, die noch zwei Zyklen einer besonders Übelkeit verursachenden Chemotherapie vor sich haben, einmal die herkömmlichen Tabletten und einmal die 3D-gedruckten Kautabletten.

Kinder, Eltern und Pflegende werden dann zu beiden befragt.

„Es geht zum einen um die Akzeptanz, zum anderen um die Komplexität, also insgesamt um die Arzneimitteltherapiesicherheit“, erklärt PD Dr. Claudia Langebrake, Forschungsgruppenleiterin der Klinikapotheke. Wenn in der bis voraussichtlich 2026 laufenden Studie erstmals die Vorteile von 3D-gedruckten Medikamenten für die Patientensicherheit gezeigt werden können, haben Apotheker

und Ärzte weitere Einsatzmöglichkeiten für 3D-gedruckte Medikamente bereits im Blick: Mehrere Wirkstoffe könnten in einer Tablette kombiniert werden, oder Medikamente könnten individuell hergestellt und ihre Dosierung im Therapieverlauf immer wieder neu angepasst werden.

**neu**

**Nocutil® Melt**

Sublingual-Tabletten bei Enuresis Nocturna

trockene Nacht – guter Tag

**Nocutil**  
Desmopressin

60; 120 µg Sublingualtabletten  
30; 100 Stück

RE2

Gebro Pharma

## Seltene und therapierefraktäre Epilepsien im Kindesalter

### Erfahrungen mit dem Cannabidiol-haltigen Fertigarzneimittel Epidyolex®

- „Epilepsie ist die häufigste im Kindesalter vorkommende neurologische Erkrankung“, berichtete PD Prim. Dr. Edda Haberlandt, Dornbirn. Die Inzidenz läge in Österreich bei 880 bis 1.200 Kindern.
- Etwa ein Drittel der pädiatrischen Patienten mit einer Epilepsie (36 %) seien therapierefraktär; d.h. zwei unterschiedliche Arzneimittel, die ausreichend dosiert und lang genug verabreicht wurden, führten nicht zu einer Anfallsfreiheit.
- Die Wirksamkeit und Sicherheit des Cannabidiol-haltigen Fertigarzneimittels Epidyolex® konnte in fünf randomisierten, doppelblinden, placebokontrollierten Studien an insgesamt 939 Patienten mit Dravet- (DS) und Lennox-Gastaut-Syndrom (LGS) bzw. Tuberöser Sklerose (TSC) mit Therapieresistenz gezeigt werden. [1–5]
- Epidyolex® hat ebenso positive Effekte auf die Kognition, den Schlaf und die Stimmung der pädiatrischen Patienten. [6] Diese Effekte konnten auch in einer retrospektiven Befragung von Betreuern betroffener Kinder und Jugendlicher bestätigt werden. [7]
- Epidyolex® ist in Österreich zur Behandlung von Epilepsie bei DS und LGS ab dem 2. Lebensjahr in Kombination mit Clobazam sowie bei TSC ab dem 2. Lebensjahr ohne Clobazam zugelassen und in der gelben Box aufgenommen.

anfallssuppressive Medikamente (ASM) mehr Wirkungen haben als nur die Reduktion von Anfällen. [6] So können sie auch Effekte auf die Kognition, den Schlaf, das Verhalten und die Stimmung (psychiatrische Komorbiditäten) ausüben. Einige ASM wirken sich negativ aus, wie beispielsweise Topiramamat und Zonisamid auf die Kognition. Epidyolex® zeigte sich insbesondere auf die Kognition, den Schlaf und die Stimmung als positiv. [6]

Bestätigt wurden diese Erkenntnisse nun auch durch eine Studie in den USA. Hier wurden 498 Betreuer, meist Eltern, von Kindern mit LGS oder DS nach ihren Erfahrungen mit dem Medikament befragt. [7] Sie beschrieben ihre Kinder als wacher, lernfähiger und aufmerksamer, wie Prof. Anastasia Male-Dressler, Wien, erläuterte. Sie nahmen ihre Umwelt besser wahr und konnten häufiger Sätze mit zumindest zwei Wörtern sprechen, Wörter wiederholen oder Dinge beim Namen nennen. Sie waren öfter in der Lage, ihr gegenüber anzuschauen und zu lächeln, konnten ausdrücken, was sie wollten oder nicht wollten. Die häufigeren Interaktionen und das Gefühl, dass die Kinder und Jugendlichen glücklich und ruhig sind, war für viele Familien wichtig und fiel positiv auf. [7] Überraschenderweise berichteten auch diejenigen Eltern positiv über kognitive, emotionale und soziale Veränderungen, deren Kinder weniger oder gar nicht in Bezug auf Anfälle profitier-

„Im Kindesalter treten verglichen mit dem Erwachsenenalter etwa doppelt so häufig Epilepsien auf“, darüber sprach PD Prim. Dr. Edda Haberlandt, Dornbirn, bei einem Jazz Pharmaceuticals Symposium im Rahmen der 62. Jahrestagung der Österreichischen Gesellschaft für Kinder- und Jugendheilkunde (ÖGKJ) in Bregenz. Jährlich würden in Österreich 880 bis 1.200 neue Epilepsie-Fälle bei Kindern registriert. Glücklicherweise könnten zwei von drei Kindern mit einem Medikament gut eingestellt und dadurch anfallsfrei werden, betonte die Expertin. Rund 36% erführen allerdings auch nach dem dritten Therapieversuch keine Erleichterung. Trotz ausreichend langer Behandlung mit einer angemessenen Dosis komme es bei ihnen weiter zu Anfällen. Therapierefraktär und komplex in der Behandlung seien insbesondere Kinder mit entwicklungsbedingten und epileptischen Enzephalopathien (DEE). Beispiele hierfür seien das Lennox-Gastaut- und das Dravet-Syndrom sowie die Tuberöse Sklerose.

In der Vergangenheit habe es wenige Medikamente zur Behandlung der Epilepsie gegeben. Erst seit den 1980 Jahren seien mehr und mehr Entwicklungen marktreif geworden. Zu den aktuellen Neuentwicklungen zähle auch das Cannabidiol-Fertigarzneimittel Epidyolex®, so die erfahrene Expertin weiter. Der Wirkmechanismus sei noch nicht vollständig geklärt. Eine antikonvulsive Wirkung von Cannabidiol sei aber bekannt. [8] In fünf

Zulassungsstudien konnte gezeigt werden, dass Epidyolex® als Add-on Therapie bei Anfällen nachweislich signifikant wirksam ist, so PD Prim. Dr. Haberlandt weiter. [1–5] Epidyolex® kann die Häufigkeit von Anfällen im Vergleich mit Placebo um 50% oder mehr in den ersten 12 Wochen reduzieren. Zu den häufigsten unerwünschten Wirkungen zählen Müdigkeit, Appetitlosigkeit und Diarrhoen. Wie eine Untersuchung der Neuropädiaterin Prof. Dr. Susanne Schubert-Bast und des Neurologen Prof. Dr. Adam Strzelczyk, beide Frankfurt am Main, ergab, können



ten, so die Wiener Expertin weiter. Bei vielen Patienten kam es allerdings zu einer deutlichen Verbesserung der Anfallsfrequenz und -schwere, insbesondere auch zu mehr anfallsfreien Tagen – ein wichtiger Punkt, meinte Prof. Male-Dressler.

Die Expertin referierte ebenso über die Empfehlungen zur Optimierung der Behandlung von Anfällen mit Epidyolex<sup>®</sup>\*, [9] Sie wies darauf hin, dass die Diagnose LGS oft aufgrund fehlender Elektroenzephalogramme (EEGs) aus der frühen Kindheit schwer zu stellen sei. Die Therapie sei individuell zu führen und die Dosis u.a. von den zuvor verabreichten Medikamenten und dem therapeutischen Ziel abhängig. Die Empfehlungen sehen auch vor, dass Epidyolex<sup>®</sup> entweder immer mit dem Essen oder stets nicht mit dem Essen verabreicht werden soll. Eine fettreiche Mahlzeit erhöhe die Aufnahme des Wirkstoffs. Es biete sich also an, die Dosis etwas geringer zu halten und das Arzneimittel mit der Nahrung aufzunehmen. Aber auch eine Einnahme zwischen den Mahlzeiten sei in Ordnung, solange es immer gleich gehandhabt werde. Eine langsame Titration

sei empfehlenswert. Epidyolex<sup>®</sup> könne u.a. den Clobazamspiegel erhöhen. Gleiches gilt für Everolimus. Bei gleichzeitiger Gabe von Valproat seien zudem die Leberfunktionsparameter zu kontrollieren.

Anhand von zwei Fallbeispielen zeigten Prof. Male-Dressler und OÄ Dr. Herta Zellner, Innsbruck, u.a., wie Patienten mit LGS und TSC von der Behandlung mit Epidyolex<sup>®</sup> profitieren können. Beide Patientengruppen zogen von dem Medikament Vorteile bezüglich ihrer Lebensqualität und konnten den Schulbesuch (wieder) aufnehmen. Die Fallbeispiele zeigten eindrücklich, dass es bei DEE nicht nur um eine Reduktion der Anfälle geht, sondern häufig um Wirkungen darüber hinaus.



**Referenzen**

1. Devinsky O, et al. Trial of cannabidiol for drug-resistant seizures in the Dravet syndrome. *N Engl J Med* 2017;376:2011–2020
2. Miller I, et al. Dose-ranging effect of adjunctive oral cannabidiol vs placebo on convulsive seizure frequency in Dravet syndrome: a randomized clinical trial. *JAMA Neurol* 2020;77:613–621
3. Devinsky O, et al. Effect of cannabidiol on drop seizure frequency in patients with Lennox-Gastaut syndrome. *N Engl J Med* 2018;378:1888–1897
4. Thiele EA, et al. Cannabidiol in patients with seizures associated with Lennox-Gastaut syndrome (GWPCARE4): a randomised, double-blind, placebo-controlled phase 3 trial. *Lancet* 2018;391:1085–1096
5. Thiele EA, et al. Add-on Cannabidiol Treatment for Drug-Resistant Seizures in Tuberous Sclerosis Complex: A Placebo-Controlled Randomized Clinical Trial. *JAMA Neurol* 2021;78:285–292
6. Strzelczyk A, Schubert-Bast, S. Psychobehavioural and Cognitive Adverse Events of Anti-Seizure Medications for the Treatment of Developmental and Epileptic Encephalopathies. *CNS Drugs* 2022;36:1079–1111
7. Berg AT et al. Caregiver-reported outcomes with real-world use of cannabidiol in Lennox-Gastaut syndrome and Dravet syndrome from the BECOME survey. *Epilepsy Res* 2024;200:107280
8. Mechoulam R, et al.: Cannabidiol – recent advances. In: *Chemistry & Biodiversity* 4,8, 2007, S.1678–1692
9. Wechsler RT, et al. Consensus panel recommendations for the optimization of EPIDIOLEX<sup>®</sup> treatment for seizures associated with Lennox-Gastaut syndrome, Dravet syndrome, and tuberous sclerosis complex. *Epilepsia Open* 2024;9(5):1632–1642

\* Empfehlungen eines Consensus Panels aus sieben Health-Care-Professionals (HCPs) mit Erfahrungen in der Therapie von Epilepsie. Die Empfehlungen haben Leitlinien-Charakter.

**Über EPIDIOLEX<sup>®</sup> (Cannabidiol Fertigarzneimittel)**

Epidiolex<sup>®</sup>/Epidyolex<sup>®</sup> (Cannabidiol), das erste von der US-amerikanischen Food and Drug Administration (FDA) für die USA und von der Europäischen Kommission für Europa zugelassene verschreibungspflichtige Medikament auf pflanzlicher Cannabidibasis, ist eine orale Lösung, die hochreines Cannabidiol (CBD) enthält. In den USA ist Epidiolex<sup>®</sup> als Therapie bei Krampfanfällen in Verbindung mit dem Lennox-Gastaut-Syndrom (LGS), dem Dravet-Syndrom (DS) oder Tuberöser Sklerose (TSC) bei Patienten ab einem Alter von einem Jahr zugelassen. In der Europäischen Union ist Epidyolex<sup>®</sup> als Zusatztherapie von Krampfanfällen in Verbindung mit Clobazam bei Patienten ab zwei Jahren mit dem Lennox-Gastaut-Syndrom (LGS) oder dem Dravet-Syndrom (DS) zugelassen sowie für die Zusatztherapie von Krampfanfällen im Zusammenhang mit Tuberöser Sklerose (TSC), für Patienten ab 2 Jahren. Epidyolex<sup>®</sup> wurde von der Europäischen Arzneimittel-Agentur (EMA) der Orphan Drug-Status für die Behandlung von Krampfanfällen im Zusammenhang mit DS, LGS und TSC zuerkannt.

**Über Jazz Pharmaceuticals plc / GW Pharmaceuticals**

Jazz Pharmaceuticals plc (NASDAQ: JAZZ) ist ein globales biopharmazeutisches Unternehmen, dessen Ziel es ist, durch Innovationen das Leben von Patienten und ihren Familien zu verbessern. Wir haben uns der Entwicklung von lebensverändernden Medikamenten für Menschen mit schweren Krankheiten verschrieben, für die es oft nur begrenzte oder gar keine therapeutischen Optionen gibt.

Wir verfügen über ein breit gefächertes Portfolio an vermarkteten Medikamenten und neuartigen Produktkandidaten in den Bereichen Neurowissenschaften und Onkologie, die sich im frühen bis späten Entwicklungsstadium befinden. Wir forschen an biologisch und chemisch hergestellten Wirkstoffkandidaten, innovativen Verabreichungstechnologien und Cannabinoiden, um neue Therapieoptionen für Patienten zu finden. Jazz hat seinen Hauptsitz in Dublin, Irland, und beschäftigt Mitarbeiter, die sich für Patienten in fast 75 Ländern weltweit engagieren. Für weitere Informationen besuchen Sie bitte [www.jazzpharmaceuticals.com](http://www.jazzpharmaceuticals.com).

# Tag der seltenen Erkrankungen: Genomanalyse für die Gesundheit der Kleinsten

## „Babypanther“-Projekt soll Fortschritte bei genetischer Analyse bringen

**W**enn Neugeborene oder Kinder bereits früh in ihrem Leben mit schweren Erkrankungen zu kämpfen haben, liegt der Grund dafür meist im Genom. Der Weg zu einer Diagnose kann allerdings lang sein: Invasive Diagnostik, Wartezeiten und die Erkrankung selbst stehen einer guten Lebensqualität für Kind und Eltern im Wege. Die Humangenetik kann vielen schwerwiegenden Problemen schnell auf die Schliche kommen und so rascher zu einer gezielten Behandlung führen. Das Projekt „Babypanther“, das federführend von der Med Uni Graz geleitet wird, soll Umsetzbarkeit und Nutzen einer aufwendigeren Genomanalyse aufzeigen. Basierend auf „Baby Bear“-Studien aus den Vereinigten Staaten bringt das Projekt „Babypanther“ die umfassende Genomanalyse in die Steiermark.

### Genetische Erkrankungen im Fokus

Genetische Erkrankungen sind aufgrund ihrer sehr vielfältigen Ausprägung und vor allem ihrer Seltenheit besonders schwer zu diagnostizieren. Dabei ist eine rasche Diagnose nicht nur für die Lebensqualität von Kindern und Eltern wichtig, sondern sie kann auch eine Rolle in der weiteren Familienplanung spielen: Denn sollten ein oder beide Elternteil(e) stille Träger einer Erbveränderung sein, können auch weitere Kinder erkranken. Um die genetische Diagnostik zu verbessern, versuchen Wissenschaftler und Mediziner mithilfe der Trio-Genomanalyse, den seltenen genetischen Erkrankungen auf die Spur zu kommen.

### Exom versus Genom

Das Exom umfasst etwas mehr als 20.000 Gene, die dafür verantwortlich sind, den Bauplan für Proteine bereitzustellen. Bei der Exomanalyse werden diese Gene untersucht, um Fehler zu finden, die eine Erkrankung hervorrufen können. Bei einer Genomanalyse wird hingegen das gesamte Erbgut durchleuchtet. Zum Vergleich: Das Exom stellt in Sachen

„Datenmenge“ etwa 2% des Genoms dar. Moderne Analysemethoden ermöglichen es mittlerweile, diese Unmengen an Daten zu verarbeiten. Die Analysemethoden, die bei der Genomanalyse verwendet werden, erlauben es in manchen Fällen auch, Veränderungen im Exom besser aufzuspüren.

### Für die Kleinsten

„Internationale Erfahrungen zeigen, dass die sogenannte ‚Trio-Genomanalyse‘ – also die Untersuchung des Erbguts des erkrankten Kindes und beider Eltern – bei schwer kranken Neugeborenen besonders hilfreich sein kann. Häufig kann so bereits innerhalb weniger Tage ermittelt werden, ob eine genetische Veränderung die Ursache für die Erkrankung des Kindes ist.

Eine rasche und zielgerichtete Diagnose stabilisiert den Gesundheitszustand des Kindes oft schnell, weil Ärzte die Behandlung genau auf die genetische Ursache abstimmen können“, erklärt Klaus Wagner vom Diagnostik- und Forschungsinstitut für Humangenetik der Med Uni Graz. Eltern und Angehörige bekommen damit Klarheit und eine verlässliche Basis für medizinische Entscheidungen und ihre Familienplanung. Zugleich profitiert das Gesundheitssystem von einer frühzeitigen und passgenauen Therapie durch den Entfall unnötiger Untersuchungen und kürzeren Krankenhausaufenthalten.

### Die Ziele des „Babypanthers“

Im Rahmen des „Babypanther“-Projekts wird nun getestet, wie effektiv und effizient diese rasche Genomanalyse in der Praxis umzusetzen ist. Ziel ist es, Vorteile und mögliche Nachteile der Genomtestung auszuloten und den Nutzen für die klinische Betreuung zu bewerten. Dabei reicht das Spektrum von einer schnelleren Entlassung aus dem Krankenhaus bis hin zu neuen Behandlungswegen, die sich im Rahmen der personalisierten Medizin durch eine präzise Diagnose eröffnen.



Dr. Sarah Verheyen

Medizinische Universität Graz  
Diagnostik- und Forschungsinstitut für Humangenetik  
+43 316 385 73816  
sarah.verheyen@medunigraz.at

Bereits frühere Studien haben gezeigt, dass die Trio-Genomanalyse (also die Genomanalyse des Kindes und beider Elternteile) bei rund einem Drittel der Patienten zu einer Veränderung der medizinischen Versorgung geführt hat. Mit „Babypanther“ soll dieses wichtige Werkzeug nun im österreichischen Gesundheitssystem eingeführt und weiterentwickelt werden. Damit erhalten die kleinsten Patienten möglichst rasch die richtige Hilfe und Familien ebenso wie das Gesundheitssystem werden langfristig entlastet.

### Tag der seltenen Erkrankungen

Der Tag der seltenen Krankheiten wurde dieses Jahr am 28. Februar begangen. An der Med Uni Graz gab es anlässlich dieses Aktionstages ein breites Programm an Informationsveranstaltungen und eine Ausstellung zum Thema „Selten allein“. Führende Expertinnen und Experten der Med Uni Graz hielten spannende Vorträge zum Thema Gentherapie und Selbsthilfegruppen und Betroffene konnten sich untereinander austauschen.

# Mukoviszidose schädigt das Immunsystem früh

## Mögliche Erklärung für Entzündungen trotz vielversprechender Therapien

- **Immunzellen sind bei Mukoviszidose schon verändert, bevor Infektionen durch veränderte Schleimproduktion auftreten – vermutlich schon bei Geburt**
- **Medikamente gegen Schleimbildung (CFTR-Modulatoren) haben keinen Einfluss auf diesen Mechanismus, daher kommt es weiterhin zu Lungenentzündungen**
- **„Notfallmodus“ könnte für Produktion unreifer Immunzellen verantwortlich sein**

Trotz neuer Medikamente kommt es bei Mukoviszidose, auch als zystische Fibrose bekannt, häufig zu bleibenden Lungenschäden. Ein Team um Forschende der Technischen Universität München (TUM) hat jetzt herausgefunden, dass die Erkrankung vermutlich schon bei Neugeborenen Veränderungen im Immunsystem bewirkt. Diese sorgen für häufige Entzündungen und werden von den Medikamenten nicht beeinflusst.

Mukoviszidose wird durch erbliche genetische Mutationen ausgelöst. Durch diese wird das Protein CFTR in seiner Funktion beeinträchtigt oder gar nicht erst gebildet. Am stärksten betroffen sind die Atemwege. Dort wird der Schleim so zähflüssig, dass Krankheitserreger wie Bakterien nicht durch Husten abtransportiert werden können. Die Folge ist oft ein tödlicher Kreislauf von Infektionen und Entzündungen.

Seit einigen Jahren lässt sich durch sogenannte CFTR-Modulator-Therapien die Funktion des Proteins verbessern. Dadurch wird die Schleimbildung reduziert und die Lebensqualität der Betroffenen steigt erheblich. Klinische Studien zeigen allerdings, dass weiterhin häufig Entzündungen der Atemwege auftreten. Gerade bei älteren Patientinnen und Patienten scheint die Abnahme der Lungenfunktion unaufhaltsam.

Forschende bemühen sich deswegen, die Vorgänge bei Mukoviszidose noch besser zu verstehen. Eine Studie dazu wurde von einem internationalen Team in "Science Translational

Medicine" veröffentlicht. „Wir haben uns speziell damit beschäftigt, wie sich das Immunsystem bei Mukoviszidose verhält, bevor der Kreislauf aus Infektionen und Entzündungen beginnt“, sagt Prof. Nikolai Klymiuk von der TUM.

### Unreife Immunzellen in Blutproben von Kindern mit Mukoviszidose

Die Forschenden haben festgestellt, dass in Blutproben von Kindern mit Mukoviszidose und biologischem Material von Schweinen mit dem gleichen Gendefekt bestimmte Zellen des angeborenen Immunsystems unreif sind. Dadurch sind sie weniger effektiv bei der Bekämpfung von Bakterien. Schweine mit Mukoviszidose zeigten zudem schon bei Geburt eine erhöhte Anzahl und eine deutlich veränderte Zusammensetzung von Immunzellen in der Lunge. Die große Ähnlichkeit des Immunsystems von Schweinen mit unserem legt nahe, dass dies bei Menschen genauso ist.

### Notfall-Programm verantwortlich für veränderte Immunantwort?

Eine mögliche Erklärung für die Veränderungen des Immunsystems wäre den Autorinnen und Autoren zufolge eine Art „Notfallprogramm“. Dabei wird der Körper angeregt, besonders schnell oder über einen längeren Zeitraum eine große Anzahl von Immunzellen zu produzieren. Eine Folge ist die Bildung unreifer Immunzellen, was zu dem fatalen Kreislauf von Infektionen und Entzündungen bei Mukoviszidose beitragen könnte: Es sind zwar Immunzellen in der Lunge vorhanden, diese sind aber ineffektiv und richten Schaden im Lungengewebe an, ohne langfristig Infektionen zu verhindern.

Da in Immunzellen grundsätzlich nur sehr geringe Mengen von CFTR gebildet werden, nimmt das Forschungsteam an, dass der Einfluss von Mukoviszidose auf das Immunsystem

indirekt ist. Das könnte erklären, wieso fehlerhafte Immunreaktionen durch die neuartigen CFTR-Modulator-Therapien nicht gut behandelt werden können.

### Veränderungen bislang als Folge häufiger Infektionen verstanden

„Wir wissen bislang nicht genau, warum die Immunzellen bei Mukoviszidose solche Veränderungen zeigen“, sagt Nikolai Klymiuk, Professor für Kardiovaskuläre Translation in Großtiermodellen. „Wir können aber zeigen, dass diese schon früh im Leben auftreten. Im weiteren Verlauf des Lebens bleiben sie dann erhalten.“ Klymiuk zufolge kannte man veränderte Immunzellen zwar aus Blutproben von Erwachsenen mit Mukoviszidose, hatte sie aber als eine Folge der zahlreichen Infektionen gesehen.

„Um Menschen, die an Mukoviszidose erkrankt sind, ein Leben ohne Beschwerden zu ermöglichen, müssen wir vermutlich auf mehreren Ebenen gegen die Krankheit vorgehen“, sagt Nikolai Klymiuk. „Wir hoffen, dass wir mit unserer Arbeit einen Beitrag dazu leisten können, die Ursachen des fehlerhaften Immunsystems besser zu verstehen und in Zukunft korrigieren zu können.“

Publikation:  
Florian Jaudas et al. Perinatal dysfunction of innate immunity in cystic fibrosis. *Sci. Transl. Med.* 17, eadk9145(2025). DOI:10.1126/scitranslmed.adk9145

## Coronavirus-Impfung bei jungen Krebspatienten

Eine Kohortenstudie mit 58 jungen Krebspatienten in der Türkei zeigte eine Immunantwort gegen das neue Coronavirus sowohl mit mRNA- als auch mit Totimpfstoff. Die Serokonversionsrate war jedoch mit dem mRNA-Impfstoff signifikant höher. Typische Impf-Nebenwirkungen traten vergleichbar häufig mit beiden Impfstoffen und ähnlich oft zu gesunden Kindern und Jugendlichen auf.

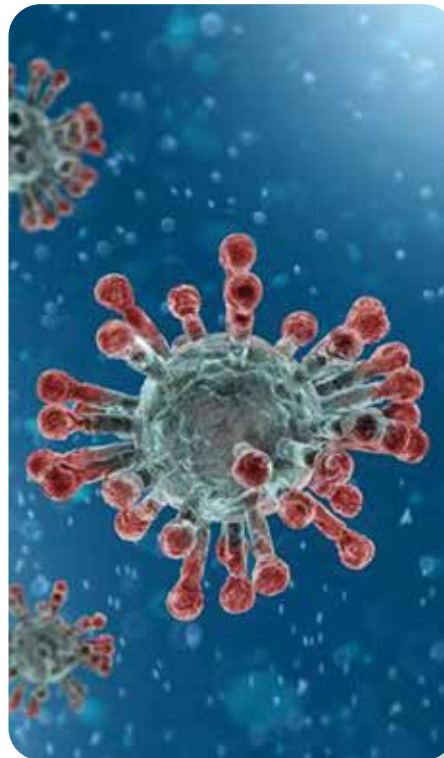
Kinder und Jugendliche mit Krebs sind stärker durch eine Infektion mit dem neuen Coronavirus SARS-CoV-2 und der Erkrankung COVID-19 gefährdet. Die Impfung ist in dieser Personengruppe daher besonders wichtig. Die vorliegende Studie ermittelte nun, wie wirksam die Coronavirus-Impfung bei Kindern und Jugendlichen mit Krebserkrankung ist und welche Nebenwirkungen auftreten können.

### Coronavirus-Impfung besonders wichtig bei Kindern mit Krebs – effektiv?

Die Analyse umfasste eine Kohorte von jungen Krebspatienten in 4 klinischen Zentren in der Türkei, die entweder mit den dort zugelassenen Impfstoffen CoronaVac (Totimpfstoff) oder BNT162b2 (mRNA-Impfstoff) geimpft wurden. Bei allen Patienten wurden Antikörperspiegel gegen das SARS-CoV-2-Spikeprotein gemessen und Impf-bezogene Beschwerden dokumentiert.

### Kohortenstudie mit 58 Patienten und zwei Impfstoffen

Die Studie schloss 58 junge Patienten (33 männlich, 25 weiblich) im durchschnittlichen Alter von 16,9 Jahren (+/- 2,3 Jahre) ein. Die meisten Kinder und Heranwachsenden (58,6 %) litten an einer Blutkrebserkrankung. Die meisten Patienten (n = 38) hatten ihre Behandlung bereits beendet, 20 Patienten



sen. Die Autoren fanden allerdings keinen signifikanten Unterschied zwischen Antikörperspiegeln je nach Erkrankungs-Untergruppe oder verschiedenen behandlungsspezifischen Aspekten wie der Art der Therapie.

Die häufigsten Nebenwirkungen, Schmerzen an der Injektionsstelle (37,9 %) und Krankheits- oder Schwächegefühl (17,2 %), traten vergleichbar häufig mit beiden Impfstoffen auf und ähnlich häufig wie bei gesunden Kindern.

### Signifikant höhere Serokonversionsrate mit mRNA-Impfstoff

Die Studie zeigte somit, dass sowohl ein mRNA- als auch ein Totimpfstoff gegen das neue Coronavirus eine Immunantwort bei Kindern und Jugendlichen mit Krebserkrankung hervorriefen. Die Serokonversionsrate war mit dem mRNA-Impfstoff signifikant höher. Typische Impf-Nebenwirkungen traten vergleichbar häufig bei beiden Impfstoffen und ähnlich oft zu gesunden Kindern und Jugendlichen auf.

waren aktuell in Behandlung für ihre Krebserkrankung. Insgesamt erhielten 48 Patienten Chemotherapie mit oder ohne Bestrahlung, 13 wurden mit einer Immuntherapie behandelt und 3 junge Patienten erhielten eine Stammzelltransplantation.

Ein Viertel der Patienten (24 %) wurden mit dem Totimpfstoff geimpft, 76 % erhielten den mRNA-Impfstoff. Der durchschnittliche Antikörperspiegel gegen das Spikeprotein von SARS-CoV-2 war nach Impfung mit dem Totimpfstoff nominell, jedoch nicht signifikant, niedriger als nach dem mRNA-Impfstoff. Mit beiden Impfstoffen wurden im Schnitt protektive Werte erreicht. Jedoch war die Serokonversionsrate mit dem mRNA-Impfstoff signifikant höher ( $p = 0,015$ ): nur 6,8 % der Patienten mit mRNA-Impfstoff erreichten keine Antikörperspiegel von mindestens 300 U/ml, während 35,7 % der Patienten mit Totimpfstoff Spiegel unter 300 U/ml aufwie-

*Original Titel:  
Safety and efficacy of COVID-19 vaccines in children and adolescents with cancer*





## Impfungen:

# Der Sicherheitsgurt für unsere Gesundheit

„Gurt sei Dank!“ – so lautet ein oft plakatierter Hinweis auf Österreichs Autobahnen, um ans Anschnallen zu erinnern. Denn der angelegte Gurt kann bei Unfällen schwere Folgen verhindern oder wesentlich dazu beitragen, Verletzungen deutlich zu mildern und Leben zu retten. Impfungen können, wie Sie als Kinderärztinnen und Kinderärzte wissen, den Ausbruch von Krankheiten verhindern oder den Verlauf einer Infektionskrankheit erheblich abmildern. Eine Impfung ist somit wie ein Sicherheitsgurt. Verabreicht mit einem kleinen Pieks, entfalten Impfstoffe ihre große Schutzwirkung – und das bei derzeit bis zu 20 verschiedenen Infektionskrankheiten.

### Aktuelle Herausforderungen: Masern und Polio

Doch ihren Schutz können Impfungen nur dann entfalten, wenn sie auch zum Einsatz kommen. Ebenso wie der Sicherheitsgurt, der nutzlos ist, wenn er nicht verwendet wird. Und hier hakt es in Österreich gewaltig, wie aktuelle Zahlen zeigen: Im vergangenen Jahr hat sich etwa die Zahl der Masernfälle in Österreich verdreifacht. Innerhalb Europas entwickelte sich Österreich sogar zu einem regelrechten Masernhotspot. Der Hauptgrund sind, Sie ahnen es bereits, zunehmende Impflücken. Welches Ausmaß das annehmen kann, zeigt auch ein Blick über die Grenze ins Nachbarland Deutschland. Hier wurden Anfang des Jahres bereits erste Fälle des Poliovirus im Abwasser nachgewiesen – und damit eine Virenart, die bereits durch Impfprogramme in Europa ausgerottet werden konnte.

### Herausforderungen und Maßnahmen zur Stärkung des Vertrauens

Österreichs Bevölkerung erweist sich in Umfragen immer wieder als ein Land, das wissenschaftlichen Erkenntnissen zum Teil skeptisch gegenübersteht. So zeigt eine Studie des Instituts für Höhere Studien (IHS) von



foto©PHARMIG/Stephan Csaky

„Falschinformationen und Mythen über Impfungen verbreiten sich leicht.“

**Alexander Herzog**  
Generalsekretär der PHARMIG

2023, dass zehn Prozent der Bevölkerung in Österreich Wissenschaft über mehrere Bereiche hinweg ablehnen. Ähnliches bescheinigen auch weitere Umfragen aus den Jahren davor. Als Ursache werden immer wieder mangelndes Vertrauen in Institutionen, persönliche Überzeugungen oder ein fehlendes Verständnis für wissenschaftliche Methoden angeführt.

### Hausverstand statt Forschungsergebnis

Trotz der klaren Vorteile, die wissenschaftliche Fortschritte für die Gesellschaft bringen, wird Wissenschaft in der Allgemeinheit und auch im politischen Diskurs von einzelnen Personen oder Personengruppen immer wieder diskreditiert. Falschinformationen und Mythen über Impfungen verbreiten sich leicht, wie wir vor allem während der Corona-Pandemie mitbekommen haben, und beeinflussen die öffentliche Meinung. Den Dialog mit Skeptikerinnen und Skeptikern zu suchen und ein grundlegendes Verständnis für den Wert der Wissenschaft



gezielt auch bei der Politik zu schärfen, sind notwendige Maßnahmen, um letztlich auch in der Bevölkerung die Akzeptanz und idealerweise auch Begeisterung in Bezug auf Forschung und Wissenschaft zu stärken.

Der Wert wissenschaftlicher Fortschritte  
Wissenschaftliche Fortschritte sind die Basis für unser modernes Leben und die Entwicklung unserer Gesellschaft. Speziell im Gesundheitsbereich sehen wir, dass durch Forschung und Wissenschaft unsere Lebenserwartung gestiegen ist, medizinische Diagnosen genauer und die Heilungschancen bei schweren Krankheiten besser geworden sind. Das verdanken wir dem Engagement unzähliger Wissenschaftlerinnen und Wissenschaftler. Deren Erkenntnisse kommen allen zugute, auch jenen, die Kritik an jedweder Wissenschaft üben. Darüber aufzuklären ist eine verantwortungsvolle Aufgabe.

Hier leisten Sie als Kinderärztinnen und Kinderärzte im täglichen Gespräch mit Eltern einen wichtigen Beitrag, und ich danke Ihnen für Ihren Einsatz. Nur wenn wir kontinuierlich darüber aufklären, was Impfungen leisten und diese Effekte nachvollziehbar und sichtbar machen, können wir Vertrauen in die Forschung und ihre Ergebnisse aufbauen. Nur so können wir langfristig dazu beitragen, die Impfquoten zu erhöhen und unser Gesundheitssystem im Kampf gegen Krankheiten zu entlasten. Denn das Gute ist: Der Gurt schützt alle, die ihn anlegen – auch, wenn sie nicht an ihn glauben.

## Gibt es Neues zum Impfprogramm?



foto©karo.pernegger

PD Mag. Dr. Maria PAULKE-KORINEK, PHD, DTM

Ltg. Abteilung Impfwesen  
Sektion VII – Öffentl. Gesundheit und Gesundheitssystem  
BM für Soziales, Gesundheit, Pflege und Konsumentenschutz

Mitglied des Nationalen Impfgremiums

Radetzkystraße 2, 1030 Wien  
www.sozialministerium.at

2024 war geprägt von mehreren großartigen neuen Errungenschaften im Bereich des Impfwesens in Österreich. Seit der Einführung des kostenfreien Kinderimpfprogramms 1997/1998 konnten in keinem Jahr größere Erfolge erzielt werden:

- Eine zweite Impfung gegen **Keuchhusten** für Kinder im Schulalter kann im kostenfreien Kinderimpfprogramm des Bundes, der Bundesländer und der Sozialversicherung bereitgestellt werden.
- Die **HPV-Impfung** wird seit Juli 2024 zeitlich begrenzt bis zum 31. Dezember 2025 für Menschen in Österreich bis zum 30. Geburtstag gratis in einem Nachhol-Impfprogramm angeboten.
- Seit Dezember 2024 können wir in Österreich auch den **RSV-Schutz** für Babies mittels monoklonaler Antikörper im kostenfreien Kinderimpfprogramm des Bundes, der Bundesländer und der Sozialversicherung anbieten.
- Die **Influenza-Impfung** wird im Öffentlichen Impfprogramm Influenza für die gesamte Bevölkerung kostenfrei bereitgestellt.

Das ist die gute Nachricht. Gleichzeitig war das Jahr 2024 jedoch auch geprägt von massiven Ausbruchsgeschehen im Bereich von durch Impfungen vermeidbarer Erkrankungen.

Es wurden laut AGES 2024 (**Keuchhusten (Pertussis) - AGES**) 15.465 Pertussis-Fälle gemeldet. Mit diesen Fallzahlen befinden wir uns in Größenordnungen, die zuletzt vor Verfügbarkeit von Pertussis-Impfungen 1959 beobachtet wurden. Besonders betroffen waren hier Kinder.

Zudem wurden laut AGES (**Masern - AGES**) 542 Masernfälle gemeldet, davon musste mehr als ein Fünftel der Fälle ins Krankenhaus aufgenommen werden, 4 Fälle sogar auf eine Intensivstation. Derart hohe Masernzahlen wurden zuletzt im Rahmen der großen Masern-Ausbrüche in Österreich Mitte der 1990er beobachtet.

Dies ist letztendlich darauf zurückzuführen, dass Durchimpfungsraten in Österreich – soweit wir dazu Daten vorliegen haben – prinzipiell auf zu niedrigem Niveau stabil



sind. Genauer analysiert wurden Durchimpfungsraten in Hinblick auf Masern, Polio (die wegen der Kombinationsimpfungen auch für Pertussis gelten) und HPV. Die Daten, die uns aufliegen, zeigen zudem, dass Eltern während der Phasen der Lockdowns ihre Kinder seltener impfen ließen. So sind 2020/2021 einige Impflücken entstanden, die bis heute nicht richtig geschlossen werden konnten. Dies betrifft beispielsweise die Masern-Impfung, bei der wir bei Kindern im Alter von 4 Jahren im Jahr 2023 vergleichsweise niedrige Durchimpfungsraten beobachten können. 2023 waren die Masern-Impfraten insgesamt zu gering: Wir konnten feststellen, dass die erste MMR Impfung bei nur rund 59% der Kinder bis zum Alter von 11 Monaten erfolgt – diese ist mit vollendetem 9. Lebensmonat empfohlen. Selbst bei den 2-Jährigen konnten wir für die erste Masern-Mumps-Röteln-Impfung eine Impfquote von nur 93 % beobachten, für die 2. Teilimpfung von nur 78%. Erforderlich wären 95% mit 2 Impfungen, was den massiven Nachholbedarf verdeutlicht.

In Hinblick auf **Masern** kann man gar nicht oft genug betonen, dass die Impfung für alle Altersgruppen kostenfrei im Impfprogramm des Bundes, der Bundesländer und der Sozialversicherung verfügbar ist. Als ausreichend geschützt gilt, wer dokumentierter Weise 2 Impfungen gegen Masern-Mumps-Röteln erhalten hat, bei dem ausreichend Antikörper nachgewiesen wurden, oder wer eine labordiagnostisch bestätigte Maserninfektion hatte (nach durchgemachten Masern besteht lebenslange Immunität). Bei fehlender Immunität auch gegen nur eine Impfkombination oder fehlender Impfdokumentation sollte die MMR-Impfung in jedem Lebensalter nachgeholt werden. Besteht ein Zweifel, so sollte die Impfung nachgeholt werden, das gilt auch für Erwachsene, die als Kinder nur einmal wurden.

Da es sich beim Masern-Mumps-Röteln-Impfstoff um einen Lebendimpfstoff handelt, ist ein Impfen bei bestehender Immunität oder nach vorhergehenden Impfungen unproblematisch, denn in diesem Fall werden die Impfviren durch die bereits bestehende Immunabwehr an ihrer Vermehrung gehindert, ein Überimpfen ist also nicht möglich.

**Wegen des massiven Ausbruchsgeschehens in Hinblick auf Keuchhusten in Österreich wurde im Oktober 2024 die Keuchhusten-Impfempfehlung geändert:**



Aufgrund der epidemiologischen Situation sind Auffrischungsimpfungen mit Pertussis als 3-fach-Kombinationsimpfstoff mit Tetanus- und Diphtheriekomponente derzeit alle 5 Jahre empfohlen. Um dies auch bei Kindern umsetzen zu können, wurde die Impfempfehlung auch für Kinder geändert und konnte das kostenfreie Kinderimpfprogramm im Vorschul-/Schulalter geändert bzw. erweitert werden: Es wird nun die erste Auffrischungsimpfung mit einem 4-fach-Kombinationsimpfstoff gegen Diphtherie-Tetanus-Polio-Pertussis (derzeit im Kinderimpfprogramm Repevax verfügbar) früher, bereits mit vollendetem 5. Lebensjahr/im 6. Lebensjahr empfohlen, und für Schulkinder eine zweite Auffrischungsimpfung nach 5 Jahren bzw. spätestens in der 8. Schulstufe/im 14. bzw. 15. Lebensjahr/vor Ende des Pflichtschulalters, empfohlen. Die beiden Auffrischungsimpfungen stehen im kostenfreien Kinderimpfprogramm zur Verfügung.

Langfristig ist hier auch das Ziel, diese Auffrischungsimpfungen bei den Schulkindern wieder zu synchronisieren, so dass das Impfprogramm für Ärztinnen und Ärzte, aber auch für die Schulen und Landessanitätsdirektionen wieder einfacher umsetzbar ist und dies auch besser kommuniziert werden kann. In den letzten Jahren wurden nämlich gerade die Auffrischungsimpfungen gegen Diphtherie-Tetanus-Polio-Pertussis in den einzelnen Bundesländern, aber auch Schulen sehr unterschiedlich umgesetzt.

Die zweite schöne Neuerung 2024 ist, dass das kostenfreie **HPV-Impfangebot** bis 31.12.2025 im Sinne einer Nachholimpfkaktion bis zum

30. Geburtstag ausgedehnt werden konnte. Das bedeutet, laut derzeitiger Beschlusslage können bis 31.12.2025 Erstimpfungen gegen HPV erfolgen. Ab 1.1.2026 ist dies nicht mehr möglich und sind auch keine Zweitimpfungen mehr vorgesehen. Insofern ist es besonders wichtig, dass jetzt entsprechende Mobilisierungen erfolgen, damit interessierte Personen in der Altersgruppe der 21–30-Jährigen noch im ersten Halbjahr des Jahres 2025 die erste HPV-Teilimpfung erhalten. Nur so können die Betroffenen auch die zweite Impfung kostenfrei im Impfprogramm erhalten. Wichtig ist dabei, dass die Impfempfehlung für Personen bis zum 30. Geburtstag auf zwei Dosen geändert wurde: Daten zeigen mittlerweile sehr eindrucksvoll, dass bei jüngeren Personen zwei Impfungen gegen HPV im Abstand von sechs Monaten als ausreichend erachtet werden. Wird der Abstand von sechs Monaten zwischen den beiden Impfungen eingehalten, führt dies bei jungen, gesunden Personen in der Regel zu einer sehr guten Immunantwort. Beträgt der Abstand zwischen den zwei Impfungen weniger als fünf Monate, sollten jedenfalls eine dritte Impfung verabreicht werden. Drei HPV Impfungen sollten Immunsupprimierte erhalten, sowie weiterhin Personen ab dem 30. Geburtstag, wobei hier die erste Impfung als Stichtag zählt.

Eine Errungenschaft, auf die wir besonders stolz sind, ist, dass es 2024 noch gelungen ist, den **RSV-Schutz** kostenfrei bereitzustellen: Im Herbst war lange Zeit nicht klar, ob die Antikörper rechtzeitig in Österreich verfügbar sind. Glücklicherweise konnten jedoch ab 5. Dezember 2024 erste Dosen ausgeliefert

werden, sodass alle Neugeborenen in Österreich geschützt werden konnten. Geholfen hat uns, dass die RSV-Saison zudem verspätet begonnen hat, sodass Neugeborene in Österreich noch rechtzeitig immunisiert werden können und konnten. Im weiteren Laufe der Saison 2024/25 konnte schließlich noch weitere Ware in der höheren Dosierung von 100 mg bereitgestellt werden, sodass die Versorgung für Kinder in der Saison 2024/25 bis Ende der Saison, also Ende März, gegeben ist. Nachdem es sich um ein neues Produkt handelt ist hier nun die große Herausforderung, Beyfortus rasch und ausreichend in Österreich zu verteilen, damit alle Kinder in deren erster RSV-Saison geschützt werden können, und bestimmte Risikokinder auch bis zum Alter von 24 Monaten. Zu berücksichtigen ist dabei, dass Neugeborene, deren Mütter 4 Wochen vor der Geburt in der Schwangerschaft gegen RSV geimpft wurden, keine zusätzliche passive Immunisierung benötigen. Wenn die Schwangere jedoch weniger als 2 Wochen vor Geburt geimpft wurde, sollte eine passive Immunisierung erfolgen. Frühgeborene sollten Beyfortus unabhängig davon erhalten, ob die Mutter während der Schwangerschaft gegen RSV geimpft wurde. Beyfortus kann zeitgleich mit Kinderimpfungen verabreicht werden.

Last but not least sind wir sehr stolz darauf, dass wir letztendlich erreichen konnten, dass die **Influenza-Impfung** in der heurigen Saison 2024/25 für alle kostenfrei bereitgestellt werden konnte: Das öffentliche Impfprogramm Influenza des Bundes der Bundesländer und der Sozialversicherung geht in der Saison 2024/25 in die zweite Runde und es konnten zahlreiche Neuerungen umgesetzt werden: Beispielsweise konnte die Impfstoffbestellung über den e-Impfshop der BBG abgewickelt werden. Hier dürfen wir stolz darauf sein, dass wir weltweit zum Vorreiter damit werden, eine zentrale, nationale Impfstoff-Bestellplattform vorweisen zu können und verfolgen damit auch das Ziel, dass für impfende Einrichtungen mehr Klarheit und Transparenz herrscht, wann welche und wie viele Impfstoffe bereitstehen und wann diese ausgeliefert werden können. Wir konnten erreichen, dass Impfstoffe auch direkt an die impfenden Einrichtungen geliefert werden konnten. Auch die Tatsache, dass die Impfung kostenfrei bereitgestellt werden kann und kein Selbstbehalt mehr eingehoben werden muss, hat in der Saison 2024/25 dazu beigetragen, dass die Akzeptanz der Impfung und des Impfprogramms nicht nur in der Bevölkerung, sondern auch in der Ärzteschaft höher war. Derzeit laufen bereits intensive Diskus-

sionen wie das öffentliche Impfprogramm Influenza der kommenden Saison 2025/26 weiter verbessert werden kann, sodass Abläufe für Kolleginnen und Kollegen vereinfacht und verschlankt werden können.

Insgesamt können wir auf das vergangene Jahr 2024 sehr stolz sein. Nachdem im Rahmen der Gesundheitsreform beschlossen wurde, dass bis 2028 jährlich zusätzliche Mittel für das Impfen bereitstehen, arbeiten wir intensiv an weiteren Neuerungen und Verbesserungen und hoffen, zeitnah für die Bevölkerung die öffentlichen Impfprogramme ausbauen zu können. Auch der elmpfpass wird weiter ausgebaut: es soll zukünftig möglich sein, bestimmte Impfungen über den elmpfpass abrechnen zu können und es laufen Arbeiten, um auch individuelle Impferinnerungen basierend auf Vor-Impfungen ausprechen zu können. Dafür ist es jetzt schon besonders wichtig, möglichst viele Impfungen im elmpfpass einzutragen und diese auch mit der richtigen „Dosiskennung“ zu versehen. Diese Dosiskennungen sind im Impfplan 2024/25 neu als „grüne Balken“ abgebildet, damit impfendes Gesundheitspersonal einen besseren Überblick hat, wie die Impferinnerungen im elmpfpass zukünftig berechnet werden. Nur mit korrekten Dosiskennungen werden auch korrekte Impferinnerungen möglich sein.

*Wir haben also noch viel zu tun und müssen „dranbeiben“. Gemeinsam und schrittweise können wir jedoch mit konsequentem Commitment und gemeinsamer Arbeit die Impflandschaft für die Bevölkerung und für die Kollegenschaft verbessern und damit Großes erreichen, wie 2024 gezeigt hat.*



# 23. Pädiatrischer Frühling 15.–17. Mai 2025



## Kongress-Highlights:

- Interaktive Workshops und Seminare mit renommierten Experten
- Präsentation von bahnbrechenden Forschungsergebnissen
- Diskussion über aktuelle Herausforderungen und Trends in der pädiatrischen Medizin
- Netzwerkmöglichkeiten mit Kollegen und Fachleuten aus der Branche
- Ausstellung von innovativen Produkten und Dienstleistungen im Bereich der Kindermedizin

### Tagungsort

Kongresszentrum Schloss Seggau  
Seggauberg 1, 8430 Leibnitz  
[www.seggau.com](http://www.seggau.com)  
[schloss@seggau.com](mailto:schloss@seggau.com)

### Kongressleitung

Univ.-Prof. Dr. Reinhold Kerbl  
Emer. Univ.-Prof. Dr. Wilhelm Müller  
Univ.-Prof. Dr. Ernst Eber

### Tagungssekretariat

Sanicademia Fortbildungsverein  
Nikolaigasse 43, 9500 Villach  
MMag. Kathrin Brugger  
Mail: [info@sanicademia.eu](mailto:info@sanicademia.eu)  
Büro +43(0)4242/208-63977  
Mobil +43(0)676/6585337

# antibiophilus®

## Breit gefächerte probiotische Wirksamkeit bei Diarrhoen\*

Fachkuzinformation Seite 35

\* unterschiedlicher Genese ABINS2105



DAS BREITBAND  
PROBIOTIKUM

GRÜNE  
BOX  
KASSENFREI  
OPI

probiotisches Arzneimittel

[www.antibiophilus.at](http://www.antibiophilus.at)

# Präzisionsmedizin im Kinderkrankenhaus: Care-for-Rare Foundation setzt auf Knowledge Graphen und KI

Der 28. Februar ist internationaler Rare-Disease-Day, der Tag der seltenen Erkrankungen. Die Aktion soll Aufmerksamkeit schaffen für die rund 300 Millionen Menschen weltweit, die an seltenen Erkrankungen leiden – 70% der Betroffenen sind Kinder. Die Care-for-Rare Foundation unterstützt Ärzte und Wissenschaftler, welche sich diesen kleinen Patienten Tag für Tag widmen. Dabei nutzen beispielsweise die Ärzte des Dr. von Haunerschen Kinderspitals der LMU München einen Neo4j Knowledge Graphen und Künstliche Intelligenz (KI), um schwer zu diagnostizierende Krankheiten schneller zu erkennen.

Die Identifikation einer seltenen Erkrankung gleicht der Suche nach einer Nadel im Heuhaufen. „Selten“ bedeutet, dass nicht mehr als fünf von 10.000 Menschen von einer Krankheit betroffen sind. Gleichzeitig ist die Zahl der als selten eingestuften Krankheiten mit mehr als 8.000 sehr hoch. Um eine sichere Diagnose treffen zu können, müssen Ärzte bei jedem Patienten und jeder Patientin die individuellen Symptome und Manifestation der Erkrankung mit winzigen genetischen Mutationen, sogenannten Single Nucleotide Polymorphisms (SNPs), in Verbindung bringen.

Die Care-for-Rare Foundation nutzt für diese Art von Präzisionsmedizin eine innovative Kombination aus Graphentechnologie, Künstlicher Intelligenz (KI) und Maschinellen Ler-

nen (ML). Der Clinical Knowledge Graph (CKG) verknüpft genomische Daten, diverse Blut- und Testwerte und den Krankheitsverlauf der Erkrankten, wissenschaftliche Fachliteratur und Informationen zu zugelassenen Arzneimitteln (DrugBank) zu einem einzigartigen Wissenskontext. Das leistungsfähige Datenmodell basiert auf der Graphdatenbank Neo4j.

Medizinischer Wissenskontext im Clinical Knowledge Graph (CKG)(Quelle: Rare-for-Care Foundation/Neo4j, Download)

## Technologie-Boost für die Präzisionsmedizin

Im Knowledge Graph finden sich momentan 2.500 erkrankte Kinder. Jeder Patient und jede Patientin ist als Knoten dargestellt, der mit anderen Knoten (z. B. Symptome, Proteine, Phänotypen) verknüpft ist. Auf der Suche nach Korrelationen zwischen Proteinen, Genen und klinischen Symptomen navigieren die Ärzte des Dr. von Haunerschen Kinderspitals in einem Datenmeer von rund 16 Millionen Knoten und 220 Millionen Beziehungen (Stand: Februar 2025). Graph-Algorithmen beschleunigen die Analyse und Interpretation der vernetzten Daten und geben Aufschluss über Zusammenhänge.

„KI ist auf einen großen Datenpool angewiesen. Traditionell gilt in der KI-Entwicklung die Regel, dass die Anzahl der Trainingsbeispiele mindestens das Zehnfache der Modellparameter betragen muss“, erklärt Daniel Weiss, Leiter BioIT am Dr. von Haunerschen



Daniel Weiss, Leiter BioIT, Dr. von Haunerschen Kinderspital der LMU München (Quelle: Daniel Weiss)

Kinderspital der LMU München. „Graph Data Science und Graph Machine Learning durchbrechen dieses Paradigma, indem sie den im Knowledge Graphen entstandenen Kontext nutzen, um effizientere Modelle zu erstellen. In der BioIT haben diese Technologien das Potential, das Forschen und Arbeiten in der Genomik, Proteomik und personalisierten Medizin von Grund auf zu verändern.“

## Kooperation für die „Waisen der Medizin“

Die Care-for-Rare Foundation kooperiert aus diesem Grund mit einem internationalen Netzwerk von Ärzten und Wissenschaftlern. In Rahmen des AMIGO Projekts können Forscher an unterschiedlichen Standorten die klinischen und genetischen Daten analysieren und für Diagnosen heranziehen. Der Dual-Graph-Ansatz sorgt für den Datenschutz: Sensible Patientendaten bleiben vor Ort im Krankenhaus, während ein zweiter, cloudbasierter Graph synthetische Daten zur Entwicklung von KI-Modellen nutzt. Die disziplinübergreifende Zusammenarbeit ist entscheidend, um sowohl die Arbeit im Kinderspital als auch die genomische Medizin generell voranzutreiben.

„Kinder mit seltenen Erkrankungen sind die Waisen der Medizin. Die kleinen Patienten erhalten bei weitem nicht die nötige Aufmerksamkeit von Gesellschaft, Politik und Pharmaindustrie, auf die sie ein Recht haben. Viele haben eine wahre Odyssee im Gesundheitssystem hinter sich und erhalten eine Fehldiagnose nach der anderen, ehe die Krankheit überhaupt richtig diagnostiziert wird“, erklärt Prof. Dr. Christoph Klein. Der Kin-



Medizinischer Wissenskontext im Clinical Knowledge Graph (CKG)(Quelle: Rare-for-Care Foundation/Neo4j)



Prof. Dr. Christoph Klein, Direktor der Kinderklinik und Kinderpoliklinik, Dr. von Haunerschen Kinderspital der LMU München (Quelle: Care-for-Rare Foundation)

deronkologe und -hämatologe hat 2009 die Care-for-Rare Foundation gegründet und ist Direktor der Kinderklinik und Kinderpoliklinik am Dr. von Haunerschen Kinderspital der LMU München. Ziel der Stiftung ist es, Betroffenen einen schnellen Zugang zu moderner genetischer Diagnostik und zu innovativen Therapieverfahren zu ermöglichen – und das über Ländergrenzen hinweg.

„Der Weg zur Diagnose ist ein Wettlauf mit der Zeit. Die Forschungsanstrengungen müssen hier dringend verstärkt und die internationale Zusammenarbeit gefördert werden“, betont Klein. „Der Einsatz neuer Technologien wie Graphen und Künstlicher Intelligenz spielt in der Forschung dabei eine immer wichtigere Rolle. Es geht darum, jedem Kind mit einer seltenen Erkrankung eine faire Chance auf Heilung zu geben.“

## Knowledge Graphen in der Forschung

Perspektivisch soll deshalb auch die Pharmaindustrie als Partner in das AMIGO-Projekt einbezogen werden. Gesucht sind Startups und Unternehmen aus dem Biowissenschaftssektor, die auf die anonymisierte Datenbasis Zugang erhalten. Gemeinsam lässt sich dann die Medikamentenentwicklung sowie die Nutzung bestehender Arzneimittel für neue therapeutische Zwecke (Drug-Repurposing) vorantreiben. Auch Rückschlüsse auf bestimmte Risikofaktoren für seltene Erkrankungen im Erwachsenenalter sind damit grundsätzlich möglich.

Im Life Science- und Pharma-Bereich kommt Graphentechnologie sowohl in der Forschung als auch entlang des kompletten Drug-Life-Cycle zum Einsatz – von der Target Priorisierung über das Wirkstoffmanagement und die Dokumentation klinischer Studien bis hin zur Fertigung von Arzneimitteln. Zu den

Kunden von Neo4j gehören Biotech-Startups (z. B. Basecamp Research), Gesundheitseinrichtungen (z. B. Deutsches Zentrum für Diabetesforschung) sowie internationale Pharmakonzerne (z. B. Novartis, Novo Nordisk und Astra Zeneca).

„Der menschliche Organismus ist um ein Vielfaches komplexer als jedes von Menschen entwickelte System. Um das System „Mensch“ in seiner Gänze zu verstehen, müssen wir die Fülle an Informationen zunächst zu einem Gesamtbild zusammenfügen“, erklärt Dr. Alexander Jarasch, Global Head of Pharma and Life Sciences bei Neo4j. „Graphdatenbanken sind genau dazu konzipiert: Sie verknüpfen große, heterogene Daten zu einem Wissenskontext, in dem Anwender investigativ forschen und Zusammenhänge nachgehen können. Im Knowledge Graphen werden dabei auch Korrelationen und Muster sichtbar, die vorab nicht bekannt waren.“

Der Clinical Knowledge Graph (CKG) ist Teil der Graphs4Goods Initiative von Neo4j. Der Graph-Experte unterstützt damit Organisationen, zentrale Herausforderungen in der Gesellschaft mit Hilfe von Graphentechnologie zu lösen. Die Projekte reichen von der Beseitigung von Weltraumschrott über investigativen Journalismus (z. B. Panama Papers) bis hin zum Kampf gegen Krebs und Diabetes.

Mehr über Neo4j und den Knowledge Graphen der Care-for-Rare-Foundation erfahren Sie der aktuellen Case Study auf der Neo4j Webseite. Informationen rund um das AMIGO Projekt finden Sie hier.

## Über Neo4j

Neo4j, der führende Anbieter von Graphdatenbanken und Graph Analytics, hilft Unternehmen, versteckte Muster und Beziehun-



Dr. Alexander Jarasch, Global Head for Pharma and Life Sciences bei Neo4j (Quelle: Neo4j)

gen innerhalb von Milliarden von Daten umfassend, einfach und schnell aufzudecken. Anwender nutzen diese vernetzte Datenstruktur, um innovative Lösungen für ihre dringlichsten Geschäftsprobleme zu entwickeln – von Betrugserkennung und 360-Grad-Kundenansicht, über Knowledge Graphen und Supply Chain, bis hin zu Netzwerkverwaltung und IoT. Und das unabhängig vom Datenwachstum. Neo4js umfassender Graph Stack bietet leistungsstarke Graph-Datenspeicherung mit nativer Vektorsuche, Data Science, Analytik und Visualisierung, einschließlich hoher Sicherheitseinstellungen für Enterprise-Umgebungen, skalierbarer Architektur und ACID-Konformität. Die dynamische Open-Source-Community von Neo4j bringt über 250.000 Entwickler, Datenwissenschaftler und Architekten sowie Hunderte von Fortune-500-Unternehmen, Regierungsbehörden und NGOs zusammen. Besuchen Sie [www.neo4j.com](http://www.neo4j.com).

## Über Care for Rare Foundation

Die Care-for-Rare Foundation ist Deutschlands erste gemeinnützige Stiftung, die sich Kindern mit seltenen Erkrankungen annimmt. Gemäß ihrem Motto „From Discovery to Cure“ widmet sie sich der Erforschung und Behandlung seltener Erkrankungen bei Kindern. In ihren fünf Förderlinien Alliance, Academy, Award, Awareness und Aid unterstützt Care-for-Rare ein globales Netzwerk, um Kindern ohne Ansehen ihrer Herkunft Zugang zu Wissenschaft und bester Medizin zu gewähren. Die Care-for-Rare Foundation baut Brücken zwischen Menschen, Kulturen und Wissenschaften – um dadurch Kindern mit seltenen Erkrankungen zu helfen. Weitere Informationen erhalten Sie unter [www.care-for-rare.org](http://www.care-for-rare.org) oder per E-Mail: [info@care-for-rare.org](mailto:info@care-for-rare.org).

# Überlebende von Kinderkrebs brauchen spezialisierte Nachsorge



**OÄ Dr. Eva Maria TINNER OEHLER**

*Pädiatrische Onkologie und Hämatologie,  
Kinderklinik, Inselspital  
Universitätsspital Bern und Universität Bern  
Wissenschaftliche Mitarbeiterin  
Pädiatrische Onkologie und Hämatologie  
Kantonsspital Baselland, Liestal.*

Eine Studie des Inselspitals, Universitätsspital Bern und der Universität Bern, in Zusammenarbeit mit dem Kantonsspital Baselland, zeigt, dass erwachsene Überlebende von Kinderkrebs in der Schweiz mit vielfältigen gesundheitlichen Herausforderungen konfrontiert sind. Spezialisierte, interdisziplinäre Nachsorgesprechstunden unter der Leitung von Internisten bieten umfassende Unterstützung. Die Studie hebt die Bedeutung multidisziplinärer Betreuung hervor und fordert eine breitere Implementierung solcher Sprechstunden im ganzen Land.

In der Schweiz leben aktuell über 7.000 Erwachsene, die eine Krebserkrankung im Kindesalter überlebt haben. Diese sogenannten „Adult Childhood Cancer Survivors“ (kurz ACCS) leiden oft an gesundheitlichen Problemen, die sich im Laufe ihres Lebens verschlimmern und zu einer höheren Sterblichkeit führen. Nebst dem erhöhten Risiko einer erneuten Krebserkrankung, stellt die Organtoxizität eine grosse Herausforderung für die langfristige Gesundheit von ACCS dar. Unter Organtoxizität versteht man die schädigende Wirkung, die bestimmte Medikamente, Chemikalien oder Strahlentherapien, die zur Krebsbehandlung eingesetzt werden, auf gesunde Zellen und Gewebe haben können. Diese Schäden an verschiedenen Organen können sofort nach der Behandlung auftreten oder sich erst Jahre später bemerkbar

machen. Sie nehmen mit fortschreitendem Alter zu. Deshalb ist eine lebenslange spezialisierte Nachsorge für Überlebende von Kinderkrebs von grosser Bedeutung.

## Errichtung interdisziplinärer Nachsorgesprechstunden

Obwohl etablierte Richtlinien die wesentlichen Komponenten von Nachsorgeprogrammen aufzeigen, belegen Studien, dass das Vorhandensein solcher Richtlinien keine angemessene Nachsorge garantiert. Die meisten erwachsenen Überlebenden von Kinderkrebs in der Schweiz erhalten ihre medizinische Betreuung von Erwachsenenkrebspraxen oder ihren Hausärzten.

Um die Betreuung für potenziell multimorbide ACCS zu verbessern, haben Fachleute vom Inselspital Bern und dem Kantonsspital Baselland deshalb zwei umfassende Nachsorgesprechstunden eingerichtet, die von erfahrenen Internisten und pädiatrischen Onkologen geleitet werden. In diesen Sprechstunden erhalten die ACCS nach einer detaillierten Erhebung ihrer Krankengeschichte und ihres aktuellen Gesundheitszustandes einen individuellen Nachsorgeplan basierend auf den Langzeitnachsorge-Richtlinien der Children's Oncology Group. In einer kürzlich veröffentlichten Studie haben die Expertinnen und Experten nun die Gesundheitsprobleme und die gesundheitsbezogene Lebensqualität von ACCS untersucht, die in einer dieser beiden Sprechstunden behandelt wurden.

## Hohe Zufriedenheit trotz häufiger gesundheitlicher Probleme

Die Studie analysierte die Daten von 102 erwachsenen Überlebenden von Kinderkrebs, die die spezialisierten Nachsorgesprechstunden besucht haben. Die Studienteilneh-





# De Rehydratation

menden wurden einer umfassenden körperlichen Untersuchung unterzogen, und ihre gesundheitsbezogene Lebensqualität mithilfe eines Fragebogens erfasst. Zusätzlich erhielten die Teilnehmenden drei Monate nach dem Besuch der Sprechstunde einen Feedback-Fragebogen, um ihre Zufriedenheit mit der Nachsorge zu bewerten.

Die Ergebnisse der Studie zeigen, dass die grosse Mehrheit (94 Prozent) der ACCS gesundheitliche Probleme hatte, die durchschnittlich sechs Organsysteme betrafen. Besonders auffällig war, dass ältere ACCS häufiger schwerwiegende Gesundheitsprobleme hatten und über eine schlechtere körperliche und mentale Lebensqualität berichteten als die Schweizer Allgemeinbevölkerung und jüngere ACCS. Trotz dieser Herausforderungen äusserten die meisten Patientinnen und Patienten eine hohe Zufriedenheit mit der Nachsorge und den bereitgestellten Gesundheitsinformationen in den Sprechstunden.

## Finanzielle Herausforderungen

Die Studienresultate unterstreichen die Vorteile einer umfassenden, internistengeleiteten multidisziplinären Betreuung. So profitierten auch Patientinnen und Patienten, die zuvor keine regelmässige, risikoadaptierte Nachsorge hatten, von den Sprechstunden. Dr. med. Eva Maria Tinner, Oberärztin der Kinderklinik am Inselspital und Koordinatorin für das Nachsorgeprojekt am Kantonsspital Baselland, erläutert: «Die Ergebnisse unserer Studie belegen die Dringlichkeit und den Nutzen von spezialisierten Nachsorgesprechstunden für erwachsene Überlebende von Kinderkrebs. Eine enge Zusammenarbeit zwischen pädiatrischen Onkologinnen und Onkologen und erfahrenen Internistinnen und Internisten ist entscheidend, um die vielfältigen Gesundheitsprobleme der ACCS effektiv zu adressieren.»

Trotz der positiven Ergebnisse stehen spezialisierte Nachsorgesprechstunden vor grossen Herausforderungen. Aufgrund der erheblichen Arbeitsbelastung und knappen finanziellen Ressourcen sind diese Sprechstunden in der Anzahl der ACCS, die sie jährlich aufnehmen können, begrenzt. Die Expertinnen und Experten empfehlen daher, ähnliche Sprechstunden in verschiedenen Regionen der Schweiz zu etablieren, um die Versorgung von Betroffenen zu verbessern. Darüber hinaus zeigt die Studie, dass weitere Forschung notwendig ist, um die Kosteneffizienz und verbesserten klinischen Ergebnisse spezialisierter Nachsorgesettings aufzuzeigen. Vertiefende qualitative Studien könnten zudem helfen, die Bedürfnisse der ACCS noch besser zu verstehen und das Nachsorgemodell weiter zu optimieren. Die Kohortenstudie, deren erste Ergebnisse in dieser Publikation vorgestellt werden, ist weiterhin offen. Die Forschenden hoffen, dadurch zur Klärung der genannten Fragen beizutragen.



 **Normolyt**<sup>®</sup>  
für Säuglinge  
und Kinder

F14



**bei akuter Diarrhö** gezielt  
Elektrolyte und Flüssigkeit  
ausgleichen

 Gebro Pharma

## CASGEVY<sup>®</sup>▼

**Bezeichnung des Arzneimittels:** Casgevy 4-13 × 10<sup>6</sup> Zellen/ml Infusionsdispersion. **Pharmakotherapeutische Gruppe:** Andere hämatologische Arzneimittel. **ATC-Code:** B06AX05. **Qualitative und quantitative Zusammensetzung:** Allgemeine Beschreibung: Casgevy (Exagamglogene autotemcel) ist eine genetisch modifizierte, autologe, mit CD34+-Zellen angereicherte Population v. hämatopoetischen Stamm- u. Vorläuferzellen (HSPC), die ex vivo unter Verwendung v. CRISPR/Cas9 in der Erythroid-spezifischen Enhancer-Region des BCL11A-Gens editiert wurden. Zusammensetzung: Jede patientenspezifische Durchstechflasche Casgevy enth. Exagamglogene autotemcel mit einer chargenabhängigen Konzentration einer mit genetisch veränderten autologen CD34+-Zellen angereicherten Population. Das Arzneimittel ist in eine od. mehrere Durchstechflaschen verpackt, die insgesamt eine Infusionsdispersion mit 4-13 × 10<sup>6</sup> Zellen/ml einer mit lebensfähigen CD34+-Zellen angereicherten Population enth., die in einer Lösung mit Kryokonservierungsmittel suspendiert ist. Jede Durchstechflasche enthält 1,5 bis 20 ml Infusionsdispersion. Die quantitativen Angaben zum Arzneimittel, einschließlich der Anzahl der zu verwendenden Durchstechflaschen, sind dem Chargeninformationsblatt (Lot Information Sheet, LIS) im Deckel des f. den Transport verwendeten Kryotransportbehälters zu entn. Sonstige Bestandteile mit bekannter Wirkung: Enthält 50 mg Dimethylsulfoxid (DMSO) u. 3,5 mg Natrium pro ml. Sonstige Bestandteile: CryoStor CS5 (enthält Dimethylsulfoxid u. Dextran 40). **Anwendungsgebiet:** Behandlung v. transfusionsabhängiger Beta-Thalassämie (TDT): Patienten ab 12 Jahren, die für eine Transplantation v. hämatopoetischen Stammzellen (HSZ) geeignet sind u. für die kein humaner Leukozyten-Antigen (HLA)-kompatibler, verwandter HSZ-Spender zur Verfügung steht. Behandlung v. schwerer Sichelzellerkrankheit (SCD): Patienten ab 12 Jahren mit rezidivierenden vaso-okklusiven Krisen (VOC), die für eine Transplantation v. hämatopoetischen Stammzellen geeignet sind u. für die kein humaner Leukozyten-Antigen (HLA)-kompatibler, verwandter HSZ-Spender zur Verfügung steht. **Gegenanzeigen:** Überempfindlichkeit gegen den Wirkstoff od. einen der sonst. Bestandt. Gegenanzeigen der zur Mobilisierung u. myeloablativen Konditionierung eingesetzten Arzneimittel sind zu beachten. **Inhaber der Zulassung:** Vertex Pharmaceuticals (Ireland) Limited, Unit 49, Block 5, Northwood Court, Northwood Crescent, Dublin 9, D09 T665, Irland. **NR, apothekenpflichtig. Weitere Angaben zu Warnhinweisen und Vorsichtsmaßnahmen für die Anwendung, Wechselwirkungen, Schwangerschaft und Stillzeit, sowie Nebenwirkungen entnehmen Sie bitte der veröffentlichten Fachinformation.**

▼ Dieses Arzneimittel unterliegt einer zusätzlichen Überwachung. Dies ermöglicht eine schnelle Identifizierung neuer Erkenntnisse über die Sicherheit. Angehörige von Gesundheitsberufen sind aufgefordert, jeden Verdachtsfall einer Nebenwirkung zu melden. Bitte melden Sie jeden Verdacht auf eine Nebenwirkung zu Casgevy<sup>®</sup> an: Vertex Pharmaceuticals (Telefon: 0800-080-062; Email: [Vertexmedicalinfo@vrtx.com](mailto:Vertexmedicalinfo@vrtx.com)) und/oder über das nationale Meldesystem an das Bundesamt für Sicherheit im Gesundheitswesen (BASG), Traisengasse 5, 1200 Wien, Österreich, Fax: +43 (0) 50 555 36207, Website: <http://www.basg.gv.at/>.  
AT-72-2400024 Stand: März 2024

## Dekristolmin<sup>®</sup> 20.000 I.E./ml Tropfen zum Einnehmen, Lösung

**Zusammensetzung:** 1 ml Lösung (40 Tropfen) enthält 0,5 mg Colecalciferol (Vitamin D<sub>3</sub>, entsprechend 20.000 I.E.). (1 Tropfen enthält ca. 500 I.E. Vitamin D<sub>3</sub>). Sonstige Bestandteile: Mittelkettige Triglyceride, Butylhydroxytoluol. **Anwendungsgebiete:** Vorbeugung von ernährungsbedingter Rachitis bei Säuglingen und Kleinkindern, Neugeborenen und Frühgeborenen, Vorbeugung eines Vitamin-D-Mangels bei Erwachsenen, Jugendlichen und Kindern mit bekanntem Risiko, Behandlung eines Vitamin-D-Mangels bei Erwachsenen, Jugendlichen und Kindern, als Ergänzung zu einer spezifischen Osteoporosetherapie bei Patienten mit Vitamin-D-Mangel oder Risiko eines Vitamin-D-Mangels. **Gegenanzeigen:** Überempfindlichkeit gegen den Wirkstoff oder einen der sonstigen Bestandteile, Hyperkalzämie, Hyperkalzurie, Hypervitaminose D, Nephrolithiasis (Nierensteine), stark eingeschränkte Nierenfunktion. **Pharmakotherapeutische Gruppe:** Vitamin D und Analoga, Colecalciferol. **ATC-Code:** A11CC05. **Rezeptpflicht/Apothekenpflicht:** Rezept- und apothekenpflichtig. **Pharmazeutischer Unternehmer:** Dermapharm GmbH, 1010 Wien. **Stand:** 06/2020

**Weitere Angaben zu Nebenwirkungen, Wechselwirkungen mit anderen Arzneimitteln oder sonstigen Wechselwirkungen, Schwangerschaft und Stillzeit, Gewöhnungseffekten und zu den Warnhinweisen und Vorsichtsmaßnahmen für die Anwendung sind den veröffentlichten Fachinformationen zu entnehmen.**

## Nocutil Melt 60 Mikrogramm Sublingualtabletten Nocutil Melt 120 Mikrogramm Sublingualtabletten Nocutil Melt 240 Mikrogramm Sublingualtabletten

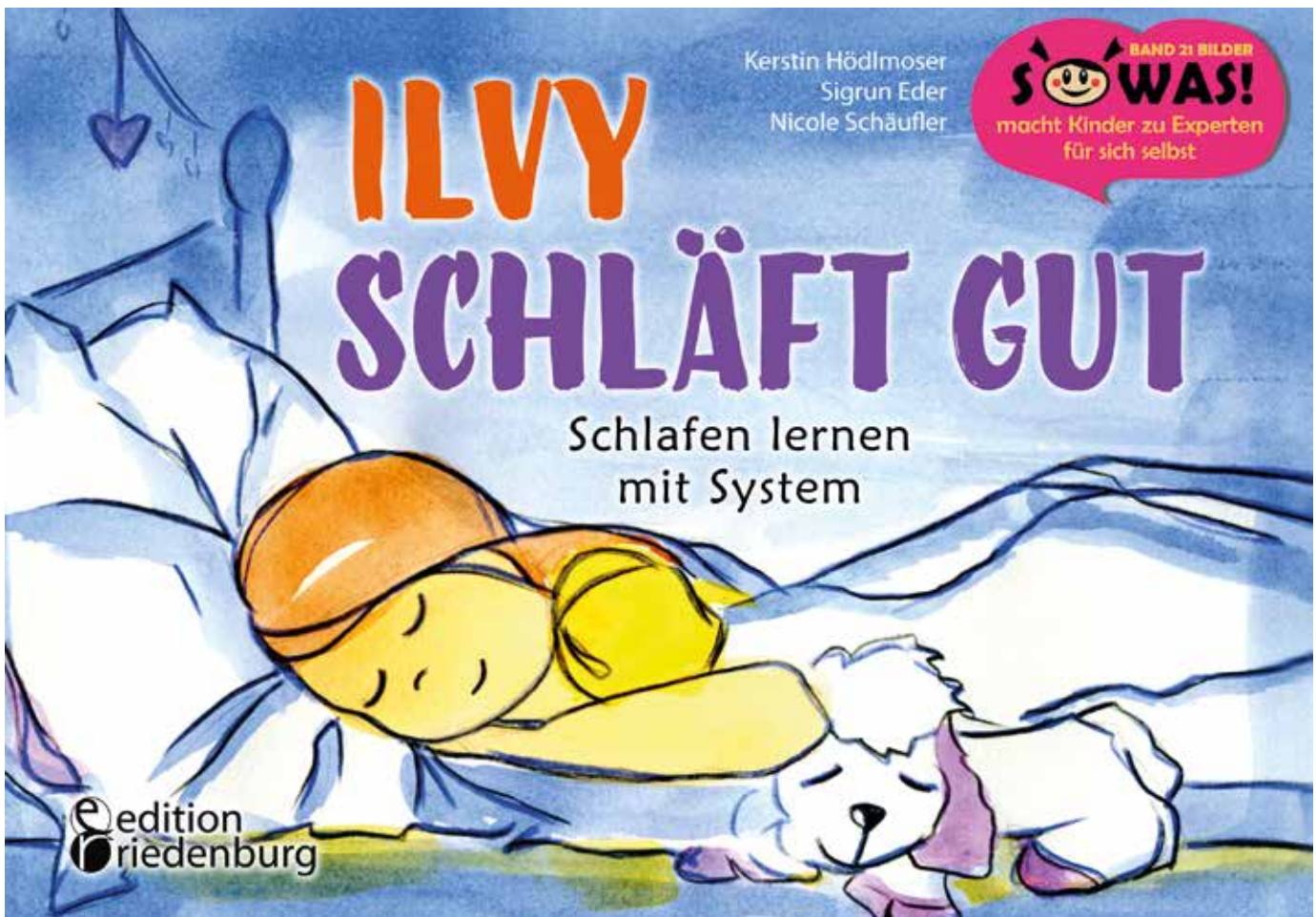
**Zusammensetzung:** Nocutil Melt 60 Mikrogramm. Eine Sublingualtablette enthält 60 Mikrogramm Desmopressin (als Desmopressinacetat). Nocutil Melt 120 Mikrogramm. Eine Sublingualtablette enthält 120 Mikrogramm Desmopressin (als Desmopressinacetat). Nocutil Melt 240 Mikrogramm. Eine Sublingualtablette enthält 240 Mikrogramm Desmopressin (als Desmopressinacetat) Hilfsstoffe: Eine Sublingualtablette enthält 62 mg Lactose (als Monohydrat), Maisstärke, Citronensäure (E 330), Croscarmellose-Natrium (E 468), Magnesiumstearat (E 470b). **Anwendungsgebiete:** - Behandlung des zentralen Diabetes insipidus. - Behandlung der primären Enuresis nocturna bei Kindern ab 5 Jahren bei normaler Fähigkeit, Urin zu konzentrieren. - Symptomatische Behandlung der Nykturie bei Erwachsenen unter 65 Jahren, die mit nächtlicher Polyurie assoziiert ist, d.h. wenn die nächtliche Urinproduktion die funktionelle Blasenkapazität übersteigt. **Gegenanzeigen:** Überempfindlichkeit gegen den Wirkstoff oder einen der in Abschnitt 6.1 genannten sonstigen Bestandteile. Habituelle oder psychogene Polydipsie (mit einer Urinproduktion von mehr als 40 ml/kg/24 Std.). Bekannte Herzinsuffizienz oder Verdacht auf Herzinsuffizienz sowie andere Zustände, die eine Therapie mit Diuretika erforderlich machen. Mäßig starke bis schwere Nierenfunktionsstörungen (Kreatinin-Clearance unter 50 ml/min). Bereits bestehende Hyponatriämie. Syndrom der inadäquaten ADH (antidiuretisches Hormon)-Sekretion (SIADH). Kinder unter 5 Jahren, bei Anwendung des Arzneimittels zur Behandlung der primären Enuresis nocturna. Ältere Patienten über 65 Jahren, bei Anwendung des Arzneimittels zur Behandlung der primären Enuresis nocturna oder Nykturie. Patienten, die es nicht schaffen, die Einschränkung der Flüssigkeitszufuhr einzuhalten. **ATC-Code:** Pharmakotherapeutische Gruppe: Hypophysen- und Hypothalamushormone und Analoga, Vasopressin und Analoga. **ATC-Code:** H01BA02. **Abgabe:** Rezept- und apothekenpflichtig. **Packungsgrößen:** Nocutil Melt 60 Mikrogramm > 30 Stück und 100 Stück. Nocutil Melt 120 Mikrogramm > 30 Stück und 100 Stück. **Zulassungsinhaber:** Gebro Pharma GmbH, 6391 Fieberbrunn **Stand der Information:** Juli 2024.

**Weitere Angaben zu Warnhinweisen und Vorsichtsmaßnahmen für die Anwendung, Wechselwirkungen mit anderen Arzneimitteln und sonstigen Wechselwirkungen, Schwangerschaft und Stillzeit, Nebenwirkungen sowie Gewöhnungseffekten entnehmen Sie bitte der veröffentlichten Fachinformation.**

## Seractil 200 mg - Filmtabletten Seractil 300 mg - Filmtabletten Seractil forte 400 mg - Filmtabletten Seractil akut 400 mg Pulver zur Herstellung einer Suspension

**Zusammensetzung:** Filmtablette: Eine Filmtablette enthält 200/300/400 mg Dexibuprofen. Hilfsstoffe: Tablettenkern: Hypromellose, mikrokristalline Cellulose, Carmellose Calcium, hochdisperses Siliciumdioxid, Talk Filmüberzug: Hypromellose, Titandioxid (E-171), Glyceroltriacetat, Talk, Macrogol 6000. Pulver: Ein Beutel enthält 400 mg Dexibuprofen. Sonstige Bestandteile mit bekannter Wirkung: 2,4 g Saccharose. Hilfsstoffe: Saccharose, Zitronensäure, Orangenaroma, Saccharin, Hochdisperses Siliciumdioxid, Natriumdodecylsulfat. **Anwendungsgebiete:** Filmtabletten: Dieses Arzneimittel ist ein Nichtsteroidales Antiphlogistikum/Analgetikum Seractil - Filmtabletten werden angewendet bei Erwachsenen und Kindern und Jugendlichen ab 8 Jahren. Zur symptomatischen Behandlung von Schmerzen und Entzündungen bei Osteoarthritis/Arthrose, Regelschmerzen (primäre Dysmenorrhoe), leichten bis mäßig starken Schmerzen, wie Schmerzen des Bewegungsapparates, Kopf- oder Zahnschmerzen, schmerzhaften Schwellungen und Entzündungen nach Verletzungen und zur kurzzeitigen symptomatischen Behandlung von rheumatoider Arthritis, wenn andere, längerfristige Therapieoptionen (Basistherapie: Disease Modifying Antirheumatic Drugs, DMARDs) nicht in Betracht gezogen werden. Pulver: Symptomatische Behandlung von Schmerzen und Entzündungen bei Osteoarthritis/Arthrose. Akute symptomatische Behandlung von Regelschmerzen (primäre Dysmenorrhoe). Symptomatische Behandlung leichter bis mäßig starker Schmerzen, wie Schmerzen des Bewegungsapparates oder Zahnschmerzen. **Gegenanzeigen:** Dexibuprofen darf nicht angewendet werden bei Patienten: - mit einer bekannten Überempfindlichkeit gegen Dexibuprofen, gegen andere NSAR oder gegen einen der sonstigen Bestandteile. - bei denen Stoffe mit ähnlicher Wirkung (z.B. Acetylsalicylsäure oder andere NSAR) Asthmaanfälle, Bronchospasmen, akute Rhinitis, Nasenpolypen, Urtikaria oder angioneurotische Ödeme auslösen. - mit einer Vorgeschichte von gastrointestinalen Blutungen oder Perforationen, die im Zusammenhang mit einer vorhergehenden NSAR-Therapie steht. - mit bestehenden oder in der Vergangenheit wiederholt aufgetretenen peptischen Ulzera oder Blutungen (mindestens zwei voneinander unabhängige Episoden von nachgewiesener Ulzeration oder Blutung). - mit zerebrovaskulären oder anderen aktiven Blutungen. - mit aktivem Morbus Crohn oder aktiver Colitis ulcerosa. - mit schwerer Herzinsuffizienz (NYHA-Klasse IV). - mit schwerer Nierenfunktionsstörung (GFR < 30 ml/min). - mit schwerer Leberfunktionsstörung. - ab dem sechsten Monat der Schwangerschaft. **ATC-Code:** M01AE14 **Abgabe:** Rezept- und apothekenpflichtig **Packungsgrößen:** 200 mg Filmtabletten: 30, 50 Stück. 300 mg/forte 400 mg Filmtabletten: 10, 30, 50 Stück. 10 Beutel pro Schachtel mit einem gelblichen Pulver. **Zulassungsinhaber:** Gebro Pharma GmbH, A-6391 Fieberbrunn **Stand der Information:** Oktober 2022

**Weitere Angaben zu Warnhinweisen und Vorsichtsmaßnahmen für die Anwendung, Wechselwirkungen mit anderen Arzneimitteln und sonstigen Wechselwirkungen, Schwangerschaft und Stillzeit, Nebenwirkungen sowie Gewöhnungseffekten entnehmen Sie bitte der veröffentlichten Fachinformation.**



**Bezeichnung: Antibiohilus - Hartkapseln, Antibiohilus – Pulver zum Einnehmen;**

**Zusammensetzung:** 1 Kapsel zu 250mg bzw. 1 Beutel zu 1,5g enthält lebensfähige Keime von Lactobacillus casei rhamnosus (LCR 35) mit einer Keimzahl von  $\geq 2 \times 10^8$  bzw.  $\geq 1,5 \times 10^8$  zum Ende der Laufzeit. **Sonstige Bestandteile:** Hartkapseln: Kartoffelstärke, Lactose-Monohydrat, LCR 35 Nährmedium, Maltodextrin, Natriumthiosulfat, Natriumglutamat, Magnesiumstearat; Gelatine, Titandioxid E-171; Pulver zum Einnehmen: Kartoffelstärke, Lactose-Monohydrat, LCR 35 Nährmedium, Maltodextrin. **Anwendungsgebiete:** Behandlung von Durchfällen unterschiedlicher Genese, insbesondere auch von Antibiotika- oder Strahlentherapie-bedingten Durchfällen. Antibiohilus wird angewendet bei Erwachsenen, Jugendlichen, Kindern, Kleinkindern, Säuglingen, Neugeborenen und Frühgeborenen ab einem Geburtsgewicht von 1000 g. **Gegenanzeigen:** Überempfindlichkeit gegen den Wirkstoff oder einen der sonstigen Bestandteile. Die Informationen bez. Warnhinweisen, Wechselwirkungen und Nebenwirkungen sowie Gewöhnungseffekten sind der veröffentlichten Fachinformation zu entnehmen. **Abgabe:** Rezeptfrei, apothekenpflichtig. **ATC-Klasse:** A07FA01 **Zulassungsinhaber:** Germania Pharmazeutika GesmbH, Schuselkagasse 8, 1150 Wien

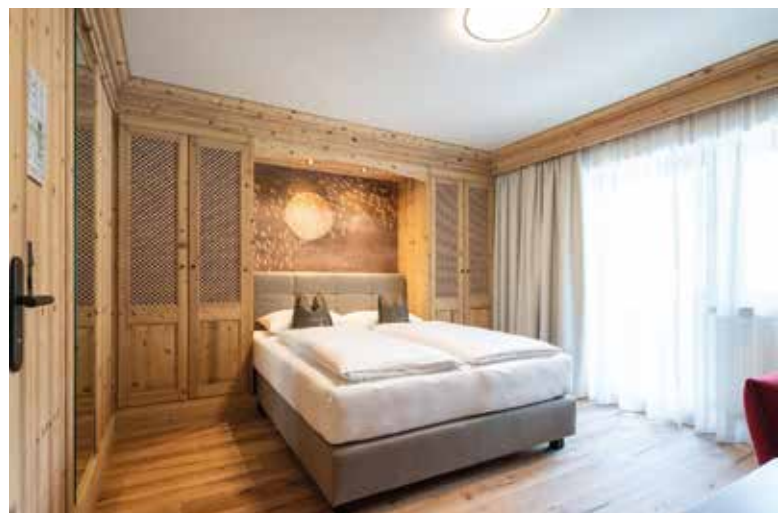
**Normolyt für Kinder - lösliches Pulver**

**Zusammensetzung:** 1 Beutel zu 5,4 g enthält: Wasserfreie Glucose 4,00 g, Natriumchlorid 0,35 g, Natriumcitrat 2H<sub>2</sub>O 0,59 g, Kaliumchlorid 0,30 g. (Die trinkfertige Lösung enthält: Glucose 111 mmol/l, Natrium 60 mmol/l, Kalium 20 mmol/l, Citrat 10 mmol/l, Chlorid 50 mmol/l). Hilfsstoffe: Siliziumdioxid, Saccharin-Natrium (0,015 g/Beutel), Aroma Tutti-Frutti, Aroma Golden Sirup. **Anwendungsgebiete:** Zur oralen Elektrolyt- und Flüssigkeitszufuhr bei akuten Durchfallerkrankungen mit und ohne Erbrechen im Säuglings- und Kindesalter. **Gegenanzeigen:** Überempfindlichkeit gegen die Wirkstoffe oder einen der sonstigen Bestandteile. nstillbares Erbrechen, schwere Bewusstseinsstrübung und Bewusstlosigkeit, Schock, metabolische Alkalose, Anurie, Monosaccharid-Malabsorption, schwere Nierenfunktionsstörung. **Pharmakotherapeutische Gruppe:** Elektrolyte mit Kohlenhydraten **ATC-Code:** A07CA **Packungsgröße(n):** 10 Stück **Abgabe:** Rezept- und apothekenpflichtig **Kassenstatus:** Green Box **Zulassungsinhaber:** Gebro Pharma GmbH, 6391 Fieberbrunn, Österreich **Stand der Information:** Juni 2014 **Weitere Angaben zu Warnhinweisen und Vorsichtsmaßnahmen für die Anwendung, Wechselwirkungen mit anderen Arzneimitteln und sonstigen Wechselwirkungen, Schwangerschaft und Stillzeit und Nebenwirkungen sowie Gewöhnungseffekten entnehmen Sie bitte der veröffentlichten Fachinformation.**



## Auffi gondeln & owi wedeln – Sonnenski lauf vom Feinsten!

**E**s ist Zeit für Gassner Ski Time mit Alpenkino, Wellness und Genuss PUR. Über schier endlose Pisten wedeln. Im warmen Wasser abtauchen. Kuschelige Abende mit den Liebsten verbringen. Das ist der Sonnenski lauf im Wander- und Wellnesshotel Gassner \*\*\*\*Superior.



Der Bergwinter in der Wildkogel-Arena zeigt sich als besonders facettenreich und lebendig. Wildromantisch und herrlich naturverbunden. Vom Wander- und Wellnesshotel Gassner \*\*\*\*Superior, das mittendrin steht, kann man all dem nachgehen, wonach sich das Herz sehnt: Rodeln auf der längsten beleuchteten Rodelbahn der Welt oder mit Wanderführerin Monika bis zu fünfmal die Woche auf Streifzug durch die verschneiten Nationalparktäler gehen. Nicht zuletzt: Skifahren bis die Wintersonne hinterm Berg verschwindet – die Kleinsten am Übungslift vorm Haus, die erfahreneren Wintersportler in der Wildkogel-Arena oder in den benachbarten Skigebieten Zillertal-Arena und Kitzbühel. Dank E-Liner ist auch die „Anreise“ zur Talstation der Wildkogelbahnen einfach tiefenentspannt, ebenso wie der restliche Aufenthalt, wenn man sich dann doch einmal dazu entscheidet, von der atemberaubenden Landschaft ins warme Innere zu gehen. Mit dem Partner, den Freunden, der Familie im Hotel-Wohnzimmer ein lustiges Brettspiel zu starten. Und den Tag dann bei einem perfekten 5-Gang-Genießer-menü ausklingen zu lassen.

### Erweckt das innere Naturkind

Und so fühlt man sich plötzlich wieder wie ein Kind, das den Schneeflocken beim Tanzen zusieht und dem Knistern des Kaminfeuers lauscht. Das sich mit einer kindlichen Leichtigkeit durch die warmen Gewässer des 1.200 m<sup>2</sup> großen CrystalSPA treiben lässt oder beherzt zum Eisbaden in den klirrendkalten Natursee taucht. Das frische Spuren in den Schnee wedelt und zum ersten Mal in Schneeschuhen steckt. Für die Gassner-Gastgeber und ihre Seilschaft sind es diese besonderen Momente, die bleiben. Die Spuren hinterlassen und Geschichten schreiben.

*Kontakt Daten Hotel:  
Wander- & Wellnesshotel Gassner \*\*\*\*Superior  
Familie Gassner  
Hadergasse 167  
5741 Neukirchen am Großvenediger  
Tel.: +43 (0) 6565 6232  
info@hotel-gassner.at  
www.hotel-gassner.at*





Prof. Bernhard Resch

Insbesondere intensivgepflegte Frühgeborene weisen ein erhöhtes Risiko für Komplikationen wie Antibiotika-assoziierte Diarrhoe (AAD), nosokomiale Sepsis (LONS), Ventilator-assoziierte Pneumonie (VAP), Multiorganversagen (MODS von engl. multiple organ dysfunction syndromes) und nekrotisierende Enterokolitis (NEC von engl. neonatal necrotizing enterocolitis) auf. Diese Diplomarbeit hatte das Ziel zu untersuchen, ob eine frühzeitige Probiotikatherapie mit *Lactobacillus casei rhamnosus* (LCR35) Komplikationen, welche im Rahmen einer neonatalen Intensivtherapie bei Frühgeborenen auftreten können, vorbeugen und behandeln kann.

**Methoden**

Es wurden retrospektiv die Daten aller Frühgeborenen mit einem Gestationsalter von über 32 Wochen herangezogen, die im Jahre 2005 bis 2015 geboren wurden und sich an der Klinischen Abteilung für Neonatologie Graz für mindestens sieben Tage auf der Intensivstation befanden. Alle Kinder erhielten während der gesamten Dauer ihres Aufenthalts Nystatin, Gentamycin und *Lactobacillus casei rhamnosus* zur Prophylaxe einer NEC. Diese wurden jeweils nach Geburtsgewicht berechnet und in dieser Dosierung bis zur Entlassung verabreicht. Untersucht wurde das Auftreten von AAD, LONS, VAP, MODS und NEC. Die Häufigkeit der Komplikationen wurde mit Daten aus der Literatur verglichen. D Microsoft Excel und SPSS durchgeführt. Zur Prüfung der statistischen Signifikanz ( $p < 0,05$ ) wurden Chi-Quadrat-

Test, Fisher's Exact Test sowie der t-Test verwendet.

**Ergebnisse der Diplomarbeit  
Dr. Julia Laubenbacher**

824 von 1334 Frühgeborenen bildeten die Studienpopulation. Das mittlere Gestationsalter der Studienpopulation lag bei 34 Wochen, das mittlere Geburtsgewicht bei 2168 Gramm, die durchschnittliche Hospitalisierungsdauer betrug 17 Tage. Bei 3,2% der Frühgeborenen (n=26) wurde mindestens eine der untersuchten Komplikationen (AAD, LONS, VAP, MODS und NEC) dokumentiert. Dabei erlitten 1,9% (n=16) eine LONS, 1,1% der Kinder (n=9) hatten eine VAP und bei 0,6% der Kinder (n=5) kam es zu

einem MODS. Keines der Kinder aus der iv Frühgeborenen-Kohorte erkrankte

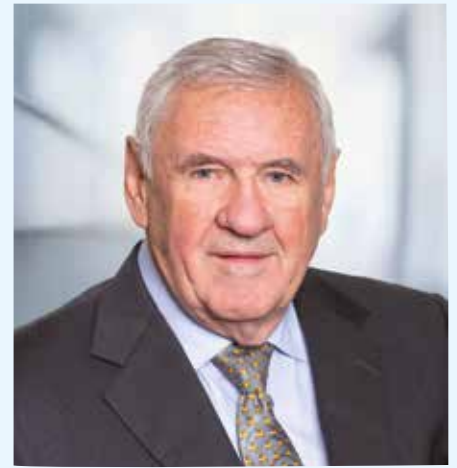


# Kann die Therapie mit *Lactobacillus casei rhamnosus* Komplikationen bei intensiv gepflegten Frühgeborenen reduzieren?

an einer AAD oder an einer NEC. Dabei unterschieden sich Frühgeborene mit Komplikationen und Frühgeborenen ohne Komplikationen hinsichtlich ihrer perinatalen Daten nicht voneinander. In Bezug auf die neonatalen Behandlungsdaten zeigten Frühgeborene mit Komplikationen im Vergleich zu Frühgeborenen ohne Komplikationen längere Krankenhausaufenthalte (median=21 vs. 11 Tage;  $p < 0,001$ ) und waren häufiger (52% vs. 100%;  $p < 0,001$ ) sowie länger (median=18 vs. 3 Tage;  $p < 0,001$ ) beatmet. Auch eine Antibiotikatherapie war bei Kindern mit Komplikationen über einen längeren Zeitraum nötig (median=19 vs. 4 Tage;  $p < 0,001$ ). Kinder mit Komplikationen brauchten weniger Surfactant als jene ohne Komplikationen (12% vs. 25%;  $p < 0,001$ ).

**Schlussfolgerung**

Das standardisierte antiinfektive Behandlungsschema zur Prävention vordefinierter Komplikationen bei Frühgeborenen mit einem Gestationsalter von über 32 Wochen zeigte mit 3,2% eine sehr niedrige Rate. Frühgeborene mit und/ohne Komplikationen im Rahmen ihrer Intensivpflege unterschieden sich hinsichtlich ihrer perinatalen Daten nicht voneinander. Im Vergleich mit internationalen Daten lag die Komplikationsrate für diese Altersgruppe ähnlich niedrig. Es konnten keine unerwünschten Nebenwirkungen festgestellt werden. Die gewonnenen Erkenntnisse deuten darauf hin, dass das antiinfektive Behandlungsschema der neonatologischen Abteilung Graz bereits gute Wirkungen zeigt.



Prof. Peter Guggenbichler leitete 25 Jahre die Erlanger Kinderklinik

## Achtung, Hilfe!

Die resistenten Mikroorganismen sind zu einer Seuche geworden. In Erlangen hatten wir jede Woche Todesfälle durch Krankenhausinfektionen bei Frühgeborenen, Neugeborenen, postoperativen Patienten, Tumorkranken, Leukämiekindern. Die Eltern sind mich angegangen, Sie haben das falsche Antibiotikum gegeben, ich klage Sie an usw.. Mich hat diese Pandemie sehr belastet. Ich habe deshalb über 10.000 Stunden in die Analyse gesteckt und leider 10 Jahre mit allen möglichen unbrauchbaren, toxischen Produkten die Zeit vergeudet bis ich schließlich erfolgreich war.

Es ist schockierend, aber die Wahrheit: Gängige Desinfektionsmittel sind heute die wesentliche Ursache des Problems! Sie pumpen Antibiotika aus der Zelle und bewirken Resistenzen gegenüber zelltoxischen Stoffen. In vielen Nächten der Klinik konnte ich schließlich Substanzen identifizieren, die resistente Keime auch im Biofilm der kontaminierten Oberflächen eliminieren. Für einige Konzerne ist das schockierend, weil man damit die Desinfektionsmittel abschaffen kann. Aber natürlich tun die Firmen alles, um das zu verhindern und blockieren sogar die Publikationen.

Die kontaminierten Oberflächen, von denen die resistenten Keime durch Schwestern, aber auch durch Patienten übertragen werden, findet man in jeder Abteilung. In kleinen Feldexperimenten sieht man die Wirkung des neuen Konzepts.

Anfragen bitte an AmiSTec, Leitweg 23, 6345 Kössen / Tirol.



# SIE BEHANDELN IHRE KLEINEN PATIENTEN, WIR UNTERSTÜTZEN MIT DEN PASSENDEN PRODUKTEN.

Vertrauen Sie der Nr. 1 bei Fieber und Schmerzen im Kinderschmerzmittelmarkt.\*



\* IQVIA, Marktanteil Nureflex, Kinderschmerzmittelmarkt Österreich, MAT 12/2020

**Nureflex 20 mg/ml orale Suspension für Kinder | Nureflex Junior Orange 40 mg/ml Suspension zum Einnehmen | Nureflex Junior Erdbeer 40 mg/ml Suspension zum Einnehmen | Nureflex 60 mg – Zäpfchen für Kinder | Nureflex 125 mg – Zäpfchen für Kinder**

**Zusammensetzung:** Suspension: 1 ml Suspension zum Einnehmen enthält 20 mg (entsprechend 2%, 20 mg/ml) bzw. 40 mg (entsprechend 4%, 40 mg/ml) Ibuprofen. **Nureflex Zäpfchen:** 1 Zäpfchen enthält 60 mg bzw. 125 mg Ibuprofen. **Sonstige Bestandteile:** **Nureflex 20 mg/ml:** Maltitol-Lösung 2,226 g/5 ml, Polysorbat 80, Glycerol, Xanthangummi, Saccharin-Natrium, Citronensäure, Natriumcitrat, Natriumchlorid, Orangenaroma, Domiphenbromid, gereinigtes Wasser, (Natrium 9,25 mg/5 ml). **Nureflex Junior Orange/Erdbeer 40 mg/ml:** Maltitol-Lösung 0,442 g/ml, Citronensäure-Monohydrat, Natriumcitrat, Natriumchlorid (Natrium 1,87 mg/ml), Saccharin-Natrium, Polysorbat 80, Domiphenbromid, Glycerol, Xanthangummi, gereinigtes Wasser, Orangenaroma (enthält Weizenstärke 3,1 mg/ml) bzw. Erdbeeraroma (enthält Propylenglykol). **Nureflex 60 mg/125 mg – Zäpfchen für Kinder:** Hartfett. **Anwendungsgebiete:** **Suspension/ Zäpfchen:** Zur kurzzeitigen symptomatischen Behandlung von leichten bis mäßig starken Schmerzen und Fieber. Die Verabreichung von Nureflex Zäpfchen für Kinder wird empfohlen, wenn eine orale Verabreichung nicht ratsam ist, z. B. im Fall von Erbrechen. **Gegenanzeigen:** Überempfindlichkeit gegen Ibuprofen, andere NSAR oder einen der sonstigen Bestandteile, Bronchospasmus, Asthma, Rhinitis, Angioödem oder Urtikaria im Zusammenhang mit der Anwendung von Acetylsalicylsäure, Ibuprofen oder anderen NSAR in der Anamnese, ungeklärte Blutgerinnungsstörungen, zerebrovaskuläre oder andere aktive Blutungen, gastrointestinale Blutungen oder Perforation in der Anamnese im Zusammenhang mit einer vorherigen NSAR-Therapie, bestehende oder in der Vergangenheit wiederholt aufgetretene peptische Ulzera oder Hämorrhagien (mindestens 2 nachgewiesene unterschiedliche Episoden), schwere Nieren- oder Leberinsuffizienz, schwere Herzinsuffizienz (NYHA IV), schwere Dehydratation, letztes Trimenon der Schwangerschaft, sowie bei Nurofen 60 mg Zäpfchen: Kinder unter 6 kg (3 Monate), bei Nurofen 125 mg Zäpfchen: Kinder unter 12,5 kg (2 Jahre). **Pharmakotherapeutische Gruppe:** Nichtsteroidale Antiphlogistika und Antirheumatika; Propionsäure-Derivate. **ATC-Code:** M01AE01. **Inhaber der Zulassung:** Reckitt Benckiser Deutschland GmbH, Darwinstrasse 2-4, 69115 Heidelberg, Deutschland. **Rezeptpflicht/Apothekenpflicht:** Nureflex: Rezept- und apothekenpflichtig. **Die Informationen zu den Abschnitten Warnhinweise und Vorsichtsmaßnahmen für die Anwendung, Wechselwirkungen, Fertilität, Schwangerschaft und Stillzeit sowie Nebenwirkungen und Gewöhnungseffekte sind der veröffentlichten Fachinformation zu entnehmen.** Stand der Information: 07/2018 (Nureflex 20 mg/ml orale Suspension für Kinder), 07/2018 (Nureflex Junior Erdbeer/Orange 40 mg/ml Suspension zum Einnehmen), 07/2018 (Zäpfchen 60 mg/125 mg). **NURF071**

**NUREFLEX®**

Effektiv bei Fieber und Schmerzen.