



Medienmitteilung

Zürich, 24. Oktober 2013

Immunkrankheit Chronische Granulomatose besser heilen

Chronische Granulomatose kann durch die Transplantation von Blutstammzellen geheilt werden. Eine dabei neu eingesetzte, individuell angepasste und reduzierte Chemotherapie verringert die Toxizität erheblich und steigert das Überleben. Dies belegen Transplantationsmediziner und Wissenschaftler des Kinderspitals Zürich, des Universitätsspitals Zürich, der Universität Zürich und des Karolinska Instituts der Universität Stockholm mit einer weltweit angelegten Langzeitstudie.

Jährlich erkranken im Durchschnitt zwei Schweizer an der chronischen Granulomatose (CGD). Diese seltene Erbkrankheit betrifft die weissen Blutkörperchen, die ihre Immunfunktion nicht richtig erfüllen. In den ersten beiden Lebensjahrzehnten versterben 20 bis 30 Prozent aller Patienten. Die Mehrheit erreicht das frühe Erwachsenenalter, wenn Antibiotika, Anti-Pilzmittel und entzündliche Medikamente konsequent eingenommen werden. Die pharmakologischen Möglichkeiten, um Infektionen und Entzündungen zu beherrschen, sind jedoch beschränkt, oder haben Nebenwirkungen, so dass die Patienten frühzeitig versterben oder massiv in ihrer Lebensqualität eingeschränkt sind. Hingegen kann die Transplantation mit Blutstammzellen die CGD heilen, allerdings bisher nur bei einem Teil der Patienten. Transplantationsmediziner des Kinderspitals Zürich, des Universitätsspitals Zürich, der Universität Zürich und des Karolinska Institutes in Schweden haben dazu ein neues Verfahren entwickelt, das hervorragende Resultate zur Behandlung von CGD-Patienten aller Altersklassen liefert.

Reduzierte Toxizität und höhere Überlebenschancen

In der international ausgelegten Langzeitstudie unter Führung des Kinderspitals Zürich wurden 56 an CGD erkrankte Kinder und Erwachsene mit diesem neuen Verfahren behandelt. Darunter hatten 45 Patienten ein Hochrisiko-Profil mit hartnäckigen Infektionen und Gewebeerkrankungen zum Zeitpunkt der Transplantation. Den Patientinnen und Patienten wurde unmanipulierte Knochenmark oder periphere Blutstammzellen von verwandten und unverwandten Spendern transplantiert. Neu wurden die Patienten dabei vorher mit einer auf sie abgestimmten, reduzierten Chemotherapie behandelt. Zur Anwendung kam die bekannte chemotherapeutische Substanz Busulfan, die aufgrund ihres pharmakologischen Profils mit einer auf den Patienten zugeschnittenen Dosis verabreicht werden konnte. «Im Schnitt konnten wir so 30 bis 50 Prozent der sonst empfohlenen Busulfan-Dosis einsparen, ohne dass die Patienten unterbehandelt waren oder transplantierten Zellen vermehrt abgestossen wurden», erklärt der Stammzell- und Transplantationsmediziner Tayfun Güngör vom Kinderspital Zürich.

21 Monate nach der Blutstammzellentransplantation lag die Überlebensrate bei 93 Prozent (52 von 56), nur bei drei Patienten versagte die Transplantation bzw. wurden die transplantierten Zellen ganz abgestossen. Vorbestehende schwere Infektionen und Entzündungen heilten vollständig ab. Eine chronische Abstoßungsreaktion gegen den Empfänger war selten und in der Regel gut behandelbar.



Das neue Verfahren soll helfen, Spätfolgen der Chemotherapie, wie Unfruchtbarkeit und vorzeitige Menopause, zu verhindern. So dokumentiert die Studie zwei Vaterschaften nach der erfolgten Transplantation. «Da die Chronische Granulomatose eine Modellkrankheit für andere Immundefekte darstellt, ist eine erfolgreiche Blutstammzelltransplantation nach massgeschneiderter Vorbehandlung mit reduzierter Toxizität von grossem Interesse für Patienten aller Altersgruppen mit angeborenen Erkrankungen des Immunsystems und des Blutes», schliesst Tayfun Güngör.

Literatur:

Tayfun Güngör, Pierre Teira, Mary Slatter, Georg Stussi, Polina Stepensky, Despina Moshous, Clementien Vermont, Imran Ahmad, Peter J Shaw, José Marcos Telles da Cunha, Paul G Schlegel, Rachel Hough, Anders Fath, Karim Kentouche, Bernd Gruhn, Juliana F Fernandes, SilvyLachance, RobbertBredius, Igor B Resnick, Bernd H Belohradsky, Andrew Gennery, Alain Fischer, H Bobby Gaspar, Urs Schanz, Reinhard Seger, Katharina Rentsch, Paul Veys, Elie Haddad, Michael H Albert, Moustapha Hassan. Reduced-intensityconditioning and HLA-matchedhaemopoieticstem-celltransplantation in patientswithchronicgranulomatousdisease: a prospectivemulticentrestudy. Lancet. October 23, 2103.

Hintergrund

Unter der Führung des Kinderspitals Zürich in Zusammenarbeit mit dem Universitätsspital Zürich, dem Karolinska Institut in Stockholm, Schweden, wurde zwischen 2003 und 2012 eine prospektive Studie durchgeführt, an der 16 Zentren aus 10 Ländern (Schweiz, Deutschland, Frankreich, Niederlande, England, Schweden, Israel, Brasilien, Australien, Kanada) teilnahmen.

Die Studie schloss Patientinnen und Patienten im Alter von 0 bis 40 Jahren ein (Median: 12,7 Jahre).

Kontakt:

PD Dr. Tayfun Güngör
Abteilungsleiter Knochenmark- und Blutstammzelltransplantation
Kinderspital Zürich
Tel. +41 44 266 74 92
E-Mail: tayfun.guengoer@kispi.uzh.ch

Nathalie Huber
Media Relations
Universität Zürich
Tel. +41 44 634 44 64
E-Mail: nathalie.huber@kommunikation.uzh.ch