

Therapieoptionen

Geschrieben von: Administrator
Mittwoch, den 19. Januar 2011 um 16:00 Uhr -

Patienten mit Thalassämien sollten in einem pädiatrisch-hämatologischen Zentrum vorgestellt werden, um das therapeutische Vorgehen zu bestimmen.

Thalassaemia minor:

Die Thalassämia minor bedarf meist keiner Behandlung.
Beim Auftreten von Anämien nach schweren Infektionen oder in der Schwangerschaft auf, genügt meist eine Bluttransfusion.

Thalassaemia major:

1. Kausale Behandlung

Eine kausale Behandlung der Thalassaemia major ist derzeit noch nicht möglich. Als kurativer Ansatz kommt für einen Teil der Patienten die Knochenmarktransplantation zum Einsatz, die bei Vorliegen bestimmter Voraussetzungen (HLA-identischer Familienspender, Fehlen schwerer Häm sideroseschäden) die Therapie der Wahl darstellen kann. Eine Gentherapie steht z.Zt. noch nicht zur Verfügung.

Hier klicken um mehr Informationen über die Knochenmarktransplantation zu erhalten.

2. Symptomatische Behandlung

Ziele der symptomatischen Behandlung:

Therapieoptionen

Geschrieben von: Administrator

Mittwoch, den 19. Januar 2011 um 16:00 Uhr -

* Regelmäßiges Transfusionsprogramm

* Chelattherapie

Für die Standardtherapie wird ein Protokoll verwendet, das sich aus einer in vorgegebenen Abständen, festgelegten Erythrozytensubstitution und einer täglichen Gabe des Eisenchelatlösers Deferoxamin (DFO, Desferal®) zusammensetzt. Neuerdings ist für die Thalassämie auch der orale Chelator Deferipon (DFP, Ferriprox®) zugelassen. Hierzu liegen aber bis heute nur relativ begrenzte Erfahrungen vor, die Wirksamkeit scheint ähnlich, evtl. etwas geringer zu sein als die von DFO.

* Regelmäßige Transfusionen um ein Absinken der Hämoglobinkonzentration auf unter 8 g/dl zu verhindern. Der empfohlene Basis-Hb Wert zur permanenten, wirksamen Suppression der endogenen Erythropoese beträgt trotz nicht eindeutiger Daten 10,5 g/dl. Als Transfusionsintervall wird ein 3-wöchiger Abstand empfohlen, als Zielgröße nach jeder Transfusion ist eine Hb-Konzentration von 10-12 g/dl anzustreben. Optimale Erythrozytenpräparationen (EK) sind möglichst frische, untergruppen-kompatible, leukozytenarme Konzentrate, die auf Virussicherheit (Hepatitis B,C; HIV) geprüft wurden.

* Chelattherapie (Eisenelimination) zur Verhinderung oder Verlangsamung der Eisenüberladung des Organismus mit Deferoxamin. Die Indikation zum Beginn der DFO-Gaben wird bei einem Serum-Ferritinwert von 1000 ng/ml gestellt, der etwa nach 15 Transfusionen im Alter von 3 Jahren erreicht wird.

Als Applikationsmodus des DFO hat sich die tägliche subkutane Infusion in einer Dosis von 40 mg/kg KG mit einer tragbaren Pumpe über 8-10 Stunden während der Nacht bewährt. In besonderen Fällen kann auch eine i.v. Therapie indiziert sein. Vitamin C 100 mg pro Tag verbessert die Eisenelimination mit DFO.

Prophylaxe (primäre Prävention)

Therapieoptionen

Geschrieben von: Administrator

Mittwoch, den 19. Januar 2011 um 16:00 Uhr -

Eine sorgfältige genetische Familienberatung muss sichergestellt werden. Eine Pränataldiagnostik mit der Möglichkeit einer Interruptio durch eine DNA-Analyse von Chorionzotengewebe oder kultivierten Amniozyten ist möglich. Dies ist in einigen Ländern mit häufigen Thalassämiefällen selbstverständlicher Alltag (z.B. Italien).

Habilitation und Rehabilitation

Die sozialpädiatrischen Probleme in der Langzeitbetreuung der chronisch kranken Patienten müssen angemessen berücksichtigt werden.