

## Die AML-BFM Studiengruppe

### **Bessere Therapie für Kinder und Jugendliche mit akuter myeloischer Leukämie**

Die akute myeloische Leukämie (AML) ist eine aggressive Form des Blutkrebses, an der trotz der Fortschritte in der Therapie, viele Kinder und Jugendliche sterben. Auch für die Kinder, die gerettet werden können, bedeuten die intensive Chemotherapie und die teilweise notwendige Stammzelltransplantation, schwere Nebenwirkungen und hohe Risiken für Spätfolgen.

Die AML-BFM Studiengruppe, seit 2009 von Prof. Dr. Dirk Reinhardt geleitet, entwickelt die Therapie für alle Kinder mit AML in Deutschland, führt die nationale Referenzdiagnostik durch und berät die behandelnden Kliniken während der Therapie. Ein umfassendes Forschungsprogramm erarbeitet kontinuierlich innovative Therapieoptionen, verbessert die Diagnostik und das Wissen über die Entstehung der Leukämie.

### **Dadurch wurden in Deutschland die weltweit besten Überlebens- und Heilungschancen für Kinder und Jugendliche mit AML erreicht.**

Durch die langjährige Unterstützung der Deutschen Krebshilfe konnten die Therapieprotokolle systematisch verbessert werden.

Die jetzige Studie AIEOP-BFM 2020<sup>1</sup> soll durch eine vermutlich wirksamere aber gleichzeitig nebenwirkungsärmere Chemotherapie die Überlebenschancen der Kinder weiter verbessern.

So werden sehr wirksame Zytostatika in eine Fetthülle verpackt. Auf diese Weise können die Medikamente länger im Blut und Knochenmark gegen die Leukämiezellen wirken, erreichen jedoch gleichzeitig in anderen Organen wie zum Beispiel dem Herz geringere Konzentrationen und verursachen weniger Toxizität.

Darüber hinaus soll die Intensität der Therapie noch besser an die individuellen Risikofaktoren der Kinder angepasst werden. Grundlage ist eine umfassende immunologische und molekulargenetische Charakterisierung der Leukämie im AML-BFM Referenzlabor, um die Risikofaktoren und damit die erforderliche Therapieintensität bestmöglich für jedes Kind vorhersagen zu können.

Um in Zukunft die Therapie noch präziser zu machen, werden bei Erstdiagnose von jeder Leukämie sogenannte patient-derived Xenograft (PdX)-Modelle etabliert. Bereits während der oben beschriebenen Erstlinientherapie, sollen aufgrund der immunologischen und genetischen Merkmale neue, innovative Therapiemöglichkeiten für jeden Patienten identifiziert und im PdX-Modell auf Wirksamkeit untersucht werden. Damit stünde im Falle eines schlechten Therapieansprechens oder eines Rückfalls der Leukämie eine spezifische und auf Wirksamkeit geprüfte Option zur Verfügung.

---

<sup>1</sup> An der in Essen geleiteten Studie nehmen außer Deutschland auch Italien, Österreich, Tschechien, Slowakei, Slowenien, Griechenland, Ungarn und Polen teil.

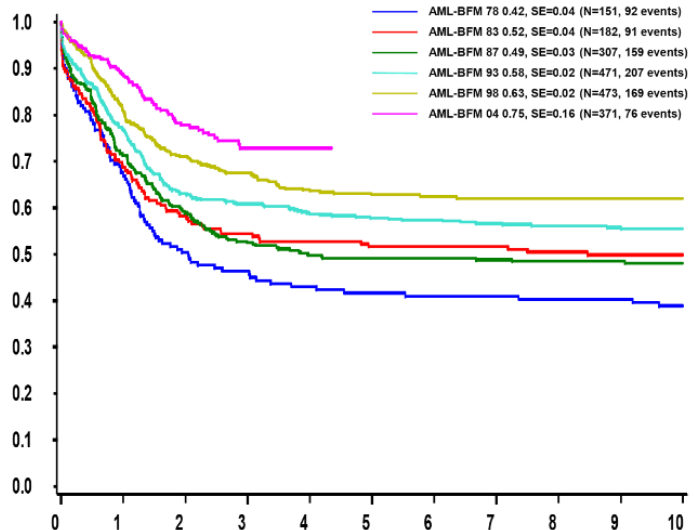
## AML-BFM Studiengruppe

Seit 1978 entwickelt die AML-BFM Studiengruppe die Behandlungsprotokolle für die AML bei Kindern. Ursprünglich nahmen Deutschland und Österreich teil, inzwischen sind auch Tschechien, Slowakei, Slowenien, Griechenland, Ungarn und Polen beigetreten.

Noch in den 70er/80er Jahren galt die AML bei Kindern als nicht heilbar.

**Durch die systematische Weiterentwicklung der Therapieprotokolle und der Diagnostik in den AML-BFM Studien konnten die Überlebenschancen der Kinder von unter 40% auf über 75% verbessert werden.**

Akute Myeloische Leukämien bei Kindern und Jugendlichen  
AML-BFM Studiengruppe



An der Universitätskinderklinik in Essen ist auch das nationale und europäische AML-BFM Referenzlabor für die umfassende Diagnostik aller AML bei Kindern angesiedelt.

Mit den modernsten immunologischen und molekulargenetischen Methoden erfolgt die umfassende Charakterisierung der Leukämiezellen, um für jedes Kind die bestmögliche Therapie zu bestimmen und anzuwenden.

Neben quantitativen molekulargenetischen Methoden, die den Erfolg der Therapie während und nach der Behandlung mit hoher Empfindlichkeit überprüfen, gewähren moderne Hochdurchsatzverfahren wie das Next Generation Sequencing präzise Einblicke in die Signatur des leukämischen Klon und des umgebenden Knochenmarkgewebes. In internationalen Kooperationen wie dem Leukemia & Lymphoma PedAL/EuPAL Projekt<sup>2</sup> werden weltweit die Daten zusammengeführt, analysiert und als Grundlage für die Entwicklung innovativer Therapien genutzt.

So werden eine Vielzahl von Forschungsprojekten durch die Studiengruppe und in internationalen Kooperationen umgesetzt, um die Ursachen der AML-Entstehung aufzuklären, neue Therapiemöglichkeiten zu finden und zu entwickeln. So können auch Spätfolgen der intensiven Therapie und der Erkrankung verhindert oder auch die Effektivität von unterstützenden Maßnahmen wie zum B der Sporttherapie belegt werden.

<sup>2</sup> EuPAL-Foundation Utrecht (Direktoren Prof. Zwaan/Prof. Reinhardt); [www.eupal.org](http://www.eupal.org)