

## **KURZPROTOKOLL EWOG-SAA**

<b>Öffentlicher Titel</b>	Charakterisierung der schweren aplastischen Anämie (SAA) bei Kindern und Jugendlichen
<b>Wissenschaftl. Titel</b>	Genetische und immunologische Charakterisierung der schweren aplastischen Anämie (SAA) bei Kindern und Jugendlichen
<b>Kurztitel</b>	EWOG-SAA
<b>Studienart</b>	multizentrisch, prospektiv, offen/unverblindet, zweiarmig, Investigator Initiated Trial (IIT)
<b>Studienphase</b>	Phase III/IV
<b>Erkrankung</b>	Kinder: Blutbildungs- und Blutabbaustörungen
<b>Ziele</b>	<ul style="list-style-type: none"><li>- To measure telomere length</li><li>- To explore the presence and frequency of PNH clones</li><li>- To detect T cell oligoclonality in BM derived T lymphocytes</li><li>- To study the frequency of clinically manifest EBV-related lymphoproliferation</li><li>- To detect specific genomic lesions/ genotypes by whole genome SNP-arrays in selected patients and thus to early identify patients at high risk for clonal evolution</li><li>- To analyze the epidemiology of SAA in children and adolescents</li><li>- To investigate the association of immunophenotypic subclones with oligoclonal T cell expansion in SAA</li><li>- To assess the PBMC activation status and capacity of in vitro cellular response to ATG</li><li>- To compare hematologic response and clinical outcome following IST with immunological and genetic parameters (genomic lesions, telomere length, presence of PNH clones, T-cell oligoclonality, in vitro cellular response to ATG)</li></ul>
<b>Alter</b>	6 Monate bis 17 Jahre
<b>Prüfzentren</b>	<b>Kinder- und Jugendmedizin</b> (Ausgesetzt) Schwerpunkt Onkologie, Hämatologie und Hämostaseologie Theodor-Stern-Kai 7 60590 Frankfurt am Main Prof. Dr. med Thomas Klingebiel Tel: 069 6301-5094 Fax: 069 6301-6700 <a href="mailto:Thomas.Klingebiel@kgu.de">Thomas.Klingebiel@kgu.de</a>
<b>Sponsor</b>	Universitätsklinikum Freiburg (Hauptsponsor)
<b>Förderer</b>	Universitätsklinikum Freiburg
<b>Links</b>	<a href="#">zu den Ein- und Ausschlusskriterien</a>