KURZPROTOKOLL
EWOG-SAA

Öffentlicher Titel	Charakterisierung der schweren aplastischen Anämie (SAA) bei Kindern und Jugendlichen
Wissenschaftl. Titel	Genetische und immunologische Charakterisierung der schweren aplastischen Anämie (SAA) bei Kindern und Jugendlichen
Kurztitel	EWOG-SAA
Studienart	multizentrisch, prospektiv, offen/unverblindet, zweiarmig, Investigator Initiated Trial (IIT)
Studienphase	Phase III/IV
Erkrankung	Kinder: Blutbildungs- und Blutabbaustörungen
Ziele	- To measure telomere length - To explore the presence and frequency of PNH clones - To detect T cell oligoclonality in BM derived T lymphocytes - To study the frequency of clinically manifest EBV-related lymphoproliferation - 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 - To analyze the epidemiology of SAA in children and adolescents - To investigate the association of immunophenotypic subclones with oligoclonal T cell expansion in SAA - To assess the PBMC activation status and capacity of in vitro cellular response to ATG - 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)
Alter	6 Monate bis 17 Jahre
Sponsor	Universitätsklinikum Freiburg (Hauptsponsor)
Förderer	Universitätsklinikum Freiburg
Links	zu den Ein- und Ausschlusskriterien