

Erhebungseinheit für seltene pädiatrische Erkrankungen in Deutschland



Forschungsstelle für pädiatrische Epidemiologie bei der Deutschen Gesellschaft für Kinder- und Jugendmedizin e.V.

Akute Immunthrombozytopenie (ITP) im Kindes- und Jugendalter

Ziele:

Erfassung von Patienten mit Immunthrombozytopenie im Hinblick auf Behandlung, Umsetzung der Therapieempfehlungen (AWMF-Leitlinie), klinischen Verlauf und Outcome.

Studienleitung:

PD Dr. med. Verena Wiegering, Päd. Hämatologie-Onkologie, Universitätsklinikum Würzburg, Kinderklinik und Poliklinik, Josef Schneiderstr. 2, 97080 Würzburg Tel: 0931-20127921, Fax: 0931-20127730, Wiegering_v@ukw.de

Studiendauer: mindestens 1 Jahr, Beginn: 09/2018

Hintergrund:

Die Immunthrombozytopenie (ITP) ist eine mit einer isolierten Thrombozytopenie (Thrombozytenzahl <100.000/µl) einhergehende Autoimmunerkrankung. Die primäre ITP ist bei fehlendem Nachweis spezifischer Antikörper eine Ausschlussdiagnose. Mit einer Inzidenz von 3-5/100.000 ist die ITP die häufigste Ursache für kindliche Thrombozytopenien [1]. Charakteristisch sind petechiale Haut- und Schleimhautblutungen sowie Hämatome. Bei einer starken Thrombozytopenie können jedoch auch lebensbedrohliche Blutungen auftreten, u.a. des Magen-Darm-Trakts und intrazerebral. Die Erkrankung ist bei Kindern in den meisten Fällen selbstlimitierend und bedarf keiner medikamentösen Therapie. Bei schweren Verläufen stehen Immunglobuline, Steroide und die Substitution von Thrombozyten zur Verfügung. Es existieren zur Diagnostik und Therapie seit einigen Jahren AWMF-Leitlinien [2], deren Aktualisierung für 2018 geplant ist. Dennoch erscheint in der klinischen Praxis die Leitlinienadhärenz sehr gering, insbesondere in kleineren Zentren mit geringer Fallzahl. Dies konnte auch in einer, durch die Antragssteller erhobenen, noch unveröffentlichten, freiwilligen und anonymisierten Umfrage in Niedersachsen und über den GPOH-Verteiler bestätigt werden. Insbesondere der Einsatz von Blutprodukten (Thrombozyten und Immunglobulinen) bei geringen Blutungszeichen scheint vor dem Hintergrund der geringen spontanen Blutungsrate bei ITP-Patienten im Abwägen der Risiko-Nutzen-Relation unverhältnismäßig hoch. Hier besteht aus Sicht der Antragssteller ein dringender Handlungsbedarf, um die Patientensicherheit zu verbessern und unnötige Kosten im Gesundheitssystem sowie erhebliche psychosoziale Einschränkungen für die Patienten und ihre Familien zu vermeiden.

Fragestellungen:

- 1. Welche initiale Diagnostik wird bei Kindern/Jugendlichen mit ITP durchgeführt?
- 2. Wird vor einer (medikamentösen) Behandlung routinemäßig eine Knochenmarkpunktion durchgeführt?
- 3. Kommt es bei abwartendem Verhalten trotz niedriger Thrombozytenzahlen zu klinisch relevanten Blutungsereignissen?
- 4. Welche klinischen und laborchemischen Parameter sind ausschlaggebend für den Beginn einer medikamentösen Therapie?
- 5. Wie wird die aktuelle AWMF-Leitlinie umgesetzt?

Falldefinition:

Patienten (≤18 Jahre) mit neu diagnostizierter Immunthrombozytopenie.

<u>Ausgeschlossen</u> sind Thrombozytopenien anderer Art: neonatal (<4 Lebenswochen), hereditär, onkologisch, während eines Infektes/einer Sepsis.

Logistik:

Bitte melden Sie alle Patienten nach obiger Falldefinition an die ESPED-Zentrale, von der Sie dann einen Fragebogen erhalten. Senden Sie den ausgefüllten Erhebungsbogen bitte zeitnah wieder an die ESPED-Zentrale zurück. Vielen Dank! Für Fragen steht Ihnen die Studienleitung gerne zur Verfügung.

Literatur:

- 1. Bolton-Maggs P. Idiopathic thrombocytopenic purpura. Arch Dis Child. September 2000;83(3):220–2.
- 2. Dickerhoff R, Eberl W: Leitlinie "Immunthrombozytopenie (ITP) im Kindes- und Jugendalter", Stand 08/2011, AWMF-Register Nr. 086/001, Klasse S2k. https://www.awmf.org/leitlinien/detail/ll/086-001.html