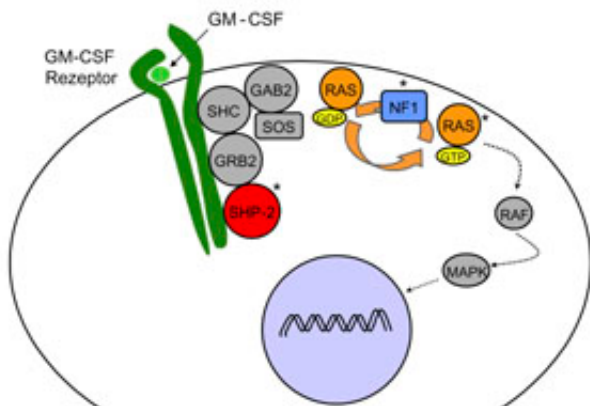


Die juvenile myelomonozytäre Leukämie (JMML) und das myelodysplastische Syndrom (MDS)

An juveniler myelomonozytärer Leukämie, abgekürzt JMML, erkranken Säuglinge und Kleinkinder. Die Kinder fallen durch Blässe, einen schlechten Allgemeinzustand und oft durch eine Vorwölbung des Bauches auf. Ursache für den ausladenden Bauch ist eine massive Vergrößerung von Leber und Milz. Andere Organe, in welche die Leukämiezellen einwandern, sind die Lunge und der Darm. Die JMML stellt einen Schwerpunkt der Forschung am Zentrum für Kinder- und Jugendmedizin dar. Das Team um [Frau Prof. Niemeyer](#) mit Prof. Dr. Flotho und Dr. Wlodarski konnte in den letzten Jahren große Fortschritte in der Diagnostik und Therapie dieser besonderen Leukämieform machen.



Weg der Signalübertragung von der Zelloberfläche zum Kern in der JMML

* = eingebaute Verstärker

Um die Entstehung der JMML zu untersuchen, werden Leukämiezellen aus Blut oder Knochenmark der Kinder im Labor im Brutschrank angezüchtet. Auch außerhalb des Körpers zeigen die Leukämiezellen ein schnelles Wachstum. Ursache für das abnorme Wachstumsverhalten ist unter anderem eine besondere Empfindlichkeit der Zellen gegenüber einem Wachstumsfaktor namens GM-CSF. GM-CSF bindet an seinen Sensor (auch Rezeptor genannt) an der Zelloberfläche, dann wird das Wachstumssignal in der Zelle über verschiedene Eiweiße zum Zellkern weitergeleitet. In diese Signalübertragung in der Zelle sind bei JMML verschiedene Verstärker eingebaut, die ein abnorm starkes Wachstumssignal zum Zellkern geben. Die nebenstehende Grafik zeigt das Innenleben einer Zelle mit der Maschinerie, die für die Überleitung von Wachstumssignalen von der Zelloberfläche zum Zellkern verantwortlich ist. Die mit * eingezeichneten Zellbestandteile sind überaktiv und für das unregelmäßige Zellwachstum verantwortlich. Veränderungen in dem Eiweiß PTPN11 finden sich bei 35% der Kinder und in RAS und NF1 bei jeweils 25%.

Das Verständnis der fehlgesteuerten Regulation des Zellwachstums kann uns in der Zukunft helfen, intelligente Medikamente und Therapieformen zu entwickeln. Heute bietet allein die allogene Stammzelltransplantation eine Heilungschance. Kinder mit JMML - und dem myelodysplastischen Syndrom (abgekürzt MDS), einer anderen Leukämieform, auf die hier nicht näher eingegangen werden soll – werden europaweit nach Therapiekonzepten behandelt, die wir in Freiburg wesentlich mitentwickelt haben. Das Zentrum für Kinderheilkunde und Jugendmedizin hat als Studienzentrale für die europaweiten Studien zur Behandlung dieser Krankheiten eine Schlüsselstellung. In Freiburg gehen alle Patientendaten ein, werden verarbeitet und ausgewertet (Studie:

[EWOG-MDS-Studie](#)

). Nicht zuletzt durch die enge europaweite Zusammenarbeit können heute ca. die Hälfte der Kinder mit JMML und MDS durch eine Stammzelltransplantation geheilt werden.