

Akute Myeloische Leukämie (AML)

Prof. Dr. Hartmut Döhner, Universitätsklinikum Ulm

Einteilung der Leukämien

Leukämien werden auf zwei unterschiedliche Arten eingeteilt: zum einen nach ihrem Krankheitsverlauf, zum anderen nach dem betroffenen Zelltyp.

Nach dem Verlauf unterscheidet man akute und chronische Leukämien. Akute Leukämien entwickeln sich rasch. Betroffene erkranken innerhalb weniger Wochen bis Monate und werden häufig völlig unerwartet aus ihrem normalen Leben herausgerissen.

Chronische Leukämien hingegen verlaufen oft lange Zeit unbemerkt. Die Diagnose wird nicht selten zufällig gestellt, zum Beispiel bei einer Blutuntersuchung aus einem anderen Anlass. Dabei fällt dann etwa eine erhöhte Zahl weißer Blutkörperchen auf.

Nach dem Zelltyp unterscheidet man myeloische und lymphatische Leukämien, je nachdem, aus welcher Art von Blutzellen die Erkrankung hervorgeht.

Blutbildung

Beim gesunden Menschen findet die Blutbildung überwiegend im Knochenmark statt. Das Knochenmark befindet sich vor allem im Schädel, in den Wirbelkörpern, in den Rippen, im Becken und in den Oberschenkelknochen.

Alle Blutzellen entstehen aus sogenannten blutbildenden Stammzellen. Aus diesen Stammzellen entwickeln sich unterschiedliche Zelltypen, die man in zwei Hauptgruppen einteilt: die lymphatische und die myeloische Reihe.

Aus der lymphatischen Reihe entstehen B- und T-Lymphozyten. Diese Zellen sind ein wichtiger Bestandteil des Immunsystems und spielen eine zentrale Rolle bei der Abwehr von Krankheitserregern.

Aus der myeloischen Reihe entwickeln sich

- rote Blutkörperchen, die den Sauerstoff im Körper transportieren,
- Blutplättchen, die für die Blutstillung wichtig sind, sowie
- Granulozyten, die vor allem bei der Abwehr bakterieller Infektionen eine wichtige Aufgabe haben.

Symptome bei akuter Leukämie

Bei einer akuten Leukämie wird das normale Knochenmark zunehmend von unreifen oder fehlentwickelten Leukämiezellen verdrängt. Diese Zellen teilen sich sehr schnell und unkontrolliert. Im Knochenmark zeigt sich dadurch ein gleichförmiges Bild aus vielen ähnlichen Leukämiezellen.

Durch die Ausbreitung der Leukämiezellen wird die normale Blutbildung unterdrückt. Die Folge ist ein Mangel an gesunden Blutzellen,

was zu verschiedenen Beschwerden führen kann:

Ein Mangel an roten Blutkörperchen verursacht eine Blutarmut (Anämie). Diese kann sich durch Müdigkeit, Schwäche und Kurzatmigkeit bemerkbar machen. Ein Mangel an weißen Blutkörperchen erhöht die Anfälligkeit für Infektionen. Sind Blutplättchen stark vermindert, steigt die Neigung zu Blutungen, zum Beispiel zu Nasenbluten oder blauen Flecken.

Altersverteilung

Die **Akute Myeloische Leukämie (AML)** ist überwiegend eine Erkrankung des höheren Lebensalters. Entgegen einer häufigen Annahme betrifft sie nicht vor allem Kinder oder junge Erwachsene. Das durchschnittliche Erkrankungsalter liegt bei etwa 70 Jahren.

Das Alter spielt auch für die Behandlungsergebnisse eine wichtige Rolle. Mit zunehmendem Lebensalter nehmen die Heilungsaussichten insgesamt ab. Das hängt unter anderem damit zusammen, dass ältere Patienten die Erkrankung und die Therapie oft schlechter verkraften und häufiger Begleiterkrankungen haben. Darüber hinaus ist die AML des älteren Patienten häufiger mit prognostisch ungünstigeren genetischen Veränderungen verbunden.

Diagnostik

Nach wie vor ist die lichtmikroskopische Untersuchung des Knochenmarks und eines Blutausstrichs von großer Bedeutung für die Diagnosestellung. Ein erfahrener Hämatologe kann die Diagnose einer akuten Leukämie meist bereits unter dem Lichtmikroskop stellen.

Ergänzend kommen verschiedene Spezialuntersuchungen zum Einsatz. Eine davon ist die Immunphänotypisierung. Dabei werden Merkmale auf der Zelloberfläche und im Zellinneren der Leukämiezellen mithilfe von fluoreszenzmarkierten Antikörpern untersucht. Ziel ist es vor allem festzustellen, ob es sich um eine myeloische oder eine lymphatische Leukämie handelt.

Von entscheidender Bedeutung für die exakte Einordnung der Erkrankung und für die Abschätzung der Prognose sind genetische Untersuchungen der Leukämiezellen. Dazu zählen sowohl die Chromosomenanalyse als auch molekulargenetische Verfahren.

Chromosomenanalyse

Bei der Chromosomenanalyse werden die Chromosomen der Leukämiezellen unter dem Mikroskop untersucht. Dabei lässt sich feststellen, ob ganze Chromosomen fehlen oder zusätzlich vorhanden sind (numerische Chromosomenveränderungen) oder ob es zu Umlagerungen von Chromosomenmaterial gekommen ist (strukturelle Veränderungen).

Ein Beispiel für strukturelle Veränderungen sind sogenannte Translokationen. Dabei wird genetisches Material zwischen zwei Chromosomen ausgetauscht. Auf molekularer Ebene entstehen dadurch häufig neue, veränderte Gene (Genfusionen), die eine wichtige Rolle bei der Entstehung der Leukämie spielen können.

Solche chromosomal Veränderungen liefern entscheidende Hinweise für die genaue Einordnung der AML und für die Einschätzung des weiteren Krankheitsverlaufs.

Molekulargenetische Untersuchungen (PCR, NGS)

Molekulargenetische Methoden ermöglichen eine sehr genaue Untersuchung einzelner Gene in den Leukämiezellen. Mit der PCR (Polymerase-Kettenreaktion) können gezielt bestimmte genetische Veränderungen (Mutationen) nachgewiesen werden. Die moderne *Next-Generation-Sequencing*-Methode (NGS) erlaubt die gleichzeitige Analyse vieler Gene. Diese Informationen sind wichtig für die Prognoseeinschätzung und können zunehmend auch für die Auswahl einer gezielten Therapie genutzt werden.

Klassifikation

Aktuell existieren zwei international anerkannte Klassifikationssysteme für myeloische Neoplasien: die International Consensus Classification (ICC) und die Klassifikation der World Health Organization (WHO). Beide unterscheiden sich in Details. Im Folgenden wird ausschließlich die ICC dargestellt.

Hauptgruppen der AML in der ICC:

1. *AML mit sog. rekurrenten genetischen Veränderungen:* Diese Gruppe umfasst Leukämien mit charakteristischen Chromosomenveränderungen (Translokationen, Inversionen) oder Genmutationen (z.B. *NPM1*, *CEBPA*).
2. *AML mit TP53 Mutation:* Diese Form stellt eine eigenständige Entität dar und ist durch das Vorliegen einer *TP53*-Mutation definiert.
3. *AML mit Myelodysplasie-assoziierten Genmutationen:* Diese AML ist definiert durch eine oder mehrere Mutationen in einem Panel von 9 Genen, die häufig auch beim Myelodysplasie-Syndrom mutiert sind.
4. *AML mit Myelodysplasie-assoziierten chromosomal Veränderungen:* Diese AML ist definiert durch spezifische chromosomale Veränderungen.
5. *AML, nicht weiter spezifiziert (not otherwise specified, NOS):* In diese Gruppe fallen seltener Formen, bei denen keine der oben genannten charakteristischen genetischen oder klinischen Merkmale vorliegt.

Darüber hinaus gibt es diagnostische Zusatzmerkmale, sog „diagnostic qualifier“, die die Diagnose weiter präzisieren. Sie ergänzen die Hauptdiagnose und liefern wichtige Zusatzinformationen, zum Beispiel:

- ob die Erkrankung neu aufgetreten oder aus einer Vorläufererkrankung (z.B. einem Myelodysplasie-Syndrom) entstanden ist,
- ob eine Vorbehandlung (z.B. Chemo- oder Strahlentherapie einer vorangegangenen Tumorerkrankung) stattgefunden hat,
- ob sogenannte Keimbahnmutationen vorliegen, die zur Entwicklung einer AML prädisponieren.

[Nähere Informationen zu diesem Thema sind den DLH-INFO-Blättern „Familiäre Häufung bei akuter Leukämie, MDS und AA“ und „Familiäre Leukämie- und Lymphomerkrankungen“ zu entnehmen. Dieses können in der DLH-Geschäftsstelle angefordert oder von der Internetseite www.leukaemie-hilfe.de heruntergeladen werden.]

Therapie

In den letzten Jahren hat sich die Behandlung der AML grundlegend verändert. Während früher vor allem einheitliche Chemotherapie-Protokolle eingesetzt wurden, entwickelt sich die Therapie heute zunehmend hin zu einer personalisierten Behandlung. Das bedeutet, dass die Therapie immer stärker an die biologischen Eigenschaften der Leukämie sowie an die individuelle Situation des Patienten angepasst wird.

Grundlage hierfür sind insbesondere die genetischen Untersuchungen der Leukämiezellen. Sie ermöglichen es, bestimmte Angriffspunkte in den Krebszellen zu identifizieren und gezielt zu behandeln. So kommen heute zusätzlich oder alternativ zur klassischen Chemotherapie zielgerichtete Medikamente zum Einsatz. Beispiele hierfür sind das Antikörper-Wirkstoff-Konjugat Gemtuzumab Ozogamicin, die liposomale Chemotherapie CPX-351 bei AML mit Myelodysplasie-assoziierten Veränderungen oder bei therapieassozierter AML sowie FLT3-Inhibitoren und IDH1-Inhibitoren bei entsprechenden genetischen Veränderungen.

Darüber hinaus haben BCL-2-Inhibitoren insbesondere bei älteren oder weniger belastbaren Patienten neue, wirksame Behandlungsoptionen eröffnet. Ziel all dieser Ansätze ist es, die Wirksamkeit der Therapie zu verbessern und gleichzeitig Nebenwirkungen besser kontrollieren zu können.

Intensive versus weniger intensive Thermen

Bei der Entscheidung für oder gegen eine intensive Therapie spielt das Lebensalter des Patienten eine wichtige Rolle. Das kalendariische Alter allein ist heute jedoch nicht mehr ausschlaggebend. Entscheidend ist vielmehr der allgemeine Gesundheitszustand, also die körperliche Fitness des Patienten. So gibt es mittlerweile viele Patienten bis etwa 75 Jahre, die für eine intensive Chemotherapie infrage kommen.

Darüber hinaus wird geprüft, ob relevante Begleiterkrankungen vorliegen. Eine eingeschränkte Nierenfunktion kann zum Beispiel ein Risikofaktor für eine intensive Chemotherapie sein. Auch andere chronische Erkrankungen wie Diabetes oder Bluthochdruck fließen in die Therapieentscheidung ein.

Ebenfalls von großer Bedeutung sind die genetischen Veränderungen der Leukämiezellen. Bestimmte genetische Konstellationen

sprechen auf eine herkömmliche, intensive Chemotherapie weniger gut an, sodass alternative Behandlungsstrategien bevorzugt werden.

Nicht zuletzt spielt auch der Wunsch des Patienten eine zentrale Rolle. Die Entscheidung für eine bestimmte Therapieform erfolgt daher immer im gemeinsamen Gespräch zwischen Patient und Behandlungsteam.

Intensive Chemotherapie

Die intensive Chemotherapie gliedert sich in zwei Behandlungsphasen: die Induktionsbehandlung und die Konsolidierungsbehandlung.

Das am häufigsten eingesetzte Induktions-Therapieschema besteht aus einer Kombination eines sogenannten Anthrazyklins (Daunorubicin oder Idarubicin) und Cytarabin. Dieses Behandlungsschema wird auch als „3+7“-Schema bezeichnet, da das Anthrazyklin über drei Tage und Cytarabin über sieben Tage intravenös verabreicht wird. Ziel der Induktions-Behandlung ist es, eine komplette Remission der Erkrankung zu erreichen. Eine komplette Remission (*complete remission*, mit „CR“ abgekürzt) bedeutet, dass im Lichtmikroskop weniger als 5 % unreife Leukämiezellen (sogenannte Blasen) im Knochenmark nachweisbar sind und sich die normale Blutbildung (das Blutbild) wieder erholt hat. Eine komplette Remission ist jedoch nicht gleichbedeutend mit einer Heilung. Auch wenn im Knochenmark keine Leukämiezellen mehr sichtbar sind, können sich noch sehr kleine Mengen von Leukämiezellen im Körper befinden, die mit herkömmlichen Untersuchungsmethoden nicht nachweisbar sind (siehe unten: Absatz zur Messbaren Resterkankung).

Aus diesem Grund schließt sich an die Induktionsbehandlung die Konsolidierungstherapie an. Ziel dieser Behandlung ist es, den erreichten Therapieerfolg zu festigen und das Rückfallrisiko zu senken. Dafür stehen unterschiedliche Strategien zur Verfügung: zum einen die weitere Chemotherapie (konventionelle Konsolidierung), zum anderen die allogene Stammzelltransplantation. Bei der konventionellen Konsolidierung erhält der Patient in der Regel noch zwei bis vier weitere Chemotherapiezyklen. Die wichtige Entscheidung für oder gegen eine allogene Stammzelltransplantation hängt im Wesentlichen von zwei Faktoren ab: dem Risikoprofil der Leukämie und dem Allgemeinzustand des Patienten.

Das Risikoprofil wird insbesondere anhand genetischer Merkmale der Leukämiezellen bestimmt. Liegt ein ungünstiges Risikoprofil vor, wird häufig zu einer allogenen Stammzelltransplantation geraten. Gleichzeitig muss sorgfältig geprüft werden, ob der Patient die körperlichen und gesundheitlichen Voraussetzungen für diese intensive Therapie mitbringt. Zur Unterstützung dieser Entscheidung werden spezielle Risiko-Scores (z.B. der HCT-CI) ermittelt.

[Nähere Informationen zum Verfahren der allogenen Stammzelltransplantation sind der DLH-Broschüre „Ratgeber für Patienten nach allogener Stammzelltransplantation“ zu entnehmen. Diese kann in der DLH-Geschäftsstelle angefordert oder von der Internetseite www.leukaemie-hilfe.de heruntergeladen werden.]

Wie oben bereits erwähnt, entwickelt sich die Therapie zunehmend zu einer personalisierten Therapie. Bei der AML, die eine Mutation im FLT3-Gen aufweist, wird heute standardmäßig die intensive Chemotherapie mit dem FLT3-Inhibitor Midostaurin oder Quizartinib kombiniert. Gemtuzumab-Ozogamicin ist ein Antikörper-Wirkstoff-Konjugat, das zur Behandlung der CD33-positiven AML eingesetzt wird. Es besteht aus einem monoklonalen Antikörper gegen das CD33-Antigen, der ein starkes zytotoxisches Mittel (Ozogamicin) direkt in Krebszellen bringt. CPX-351 ist ein Kombinationspräparat, das aus liposomalem Daunorubicin und Cytarabin besteht. CPX-351 ist zugelassen für bestimmte Hoch-Risiko-Formen der AML wie die AML mit Myelodysplasie-assoziierten Veränderungen und der Therapie-assoziierten AML. Weitere Kombinationsbehandlungen sind derzeit in klinischer Prüfung.

Weniger intensive Therapie

Nicht alle Patienten mit AML sind für eine intensive Chemotherapie geeignet. Gründe können ein höheres Lebensalter, Begleiterkrankungen oder der allgemeine Gesundheitszustand sein. In diesen Situationen stehen weniger intensive, meist besser verträgliche Behandlungsoptionen zur Verfügung. Ziel dieser Therapien ist es, ebenfalls eine Remission zu erreichen, die Erkrankung möglichst gut zu kontrollieren sowie die Lebensqualität zu erhalten oder zu verbessern. Eine Heilung der Erkrankung ist mit diesen weniger intensiven Therapien in aller Regel nicht zu erwarten.

Die am häufigsten eingesetzte Therapie besteht aus einer Kombination von Azacitidin oder Decitabin mit Venetoclax. Azacitidin und Decitabin gehören zu den sogenannten hypomethylierenden Substanzen. Azacitidin wird in der Regel an sieben aufeinanderfolgenden Tagen als Spritze unter die Haut (subkutan) verabreicht, Decitabin über fünf Tage als Infusion in die Vene (intravenös). Beide Medikamente greifen in die Steuerung der Leukämiezellen ein und können deren Wachstum hemmen.

Venetoclax ist ein gezielt wirkendes Medikament, das ein Eiweiß (BCL-2) blockiert, welches in Leukämiezellen stark vermehrt ist und deren natürlichen Zelltod verhindert. Durch die Hemmung dieses Eiweißes fördert Venetoclax das Absterben der Leukämiezellen und verstärkt damit die Wirkung der Therapie. Venetoclax wird in Tablettenform eingenommen. Die Dauer der Einnahme richtet sich nach dem Therapieansprechen und nach dem Ausmaß der Beeinträchtigung der Blutbildung im Knochenmark (sogenannte Knochenmarkssuppression oder Aplasie). In einer großen randomisierten Studie konnte gezeigt werden, dass die Kombination aus Azacitidin und Venetoclax der alleinigen Behandlung mit Azacitidin hinsichtlich der Lebenserwartung deutlich überlegen ist.

Patienten, für die selbst diese Kombinationstherapie zu belastend ist, werden häufig mit Azacitidin oder Decitabin allein behandelt. Alternativ kann niedrig dosiertes Cytarabin eingesetzt werden, das subkutan verabreicht wird.

Für Patienten mit AML, bei denen eine Mutation im sogenannten *IDH1*-Gen nachgewiesen wurde, steht inzwischen eine sehr gezielte und wirksame Therapie zur Verfügung. Dabei handelt es sich um die Kombination aus Azacitidin und dem *IDH1*-Inhibitor Ivosidenib. Diese genetische Veränderung ist vergleichsweise selten und findet sich bei etwa 6–8 % der AML-Erkrankungen. Der molekulargenetische Test auf das Vorliegen einer *IDH1*-Mutation sollte daher heute routinemäßig im Rahmen der Diagnostik durchgeführt werden. Auch für diese Therapieform konnte in einer randomisierten Studie gezeigt werden, dass die Kombination aus Azacitidin und Ivosidenib der alleinigen Behandlung mit Azacitidin hinsichtlich des Behandlungserfolgs überlegen ist.

Bei Patienten, die keine antileukämische Therapie vertragen oder sich bewusst gegen eine solche Behandlung entscheiden, steht eine bestmögliche unterstützende Behandlung im Vordergrund. Diese sogenannte *Best Supportive Care* (BSC) umfasst insbesondere Blut- und Thrombozytentransfusionen sowie die Behandlung und Vorbeugung von Infektionen, zum Beispiel mit Antibiotika.

Messbare Resterkrankung (MRD)

Die Analyse der sogenannten messbaren Resterkrankung (englisch: *measurable residual disease*, MRD) ist inzwischen ein fester Bestandteil der Diagnostik im Rahmen einer intensiven Chemotherapie bei der AML. Im Kontext weniger intensiver Therapien ist der Stellenwert der MRD-Diagnostik derzeit noch nicht etabliert.

Auch wenn nach der Induktions-Behandlung eine komplette Remission erreicht wurde, können im Körper weiterhin Leukämiezellen verbleiben, die mit herkömmlichen lichtmikroskopischen Untersuchungen nicht nachweisbar sind. In diesem Fall spricht man von einer sogenannten messbaren Resterkrankung (MRD). Der Nachweis einer MRD ist klinisch bedeutsam, da er Hinweise auf das Rückfallrisiko der Erkrankung liefern kann und dem behandelnden Team zudem als wichtige Entscheidungshilfe dient, beispielsweise bei der Frage, ob eine allogene Stammzelltransplantation in Betracht gezogen werden sollte.

Die MRD kann mit sehr empfindlichen Spezialuntersuchungen bestimmt werden. Bei bestimmten genetischen Veränderungen, zum Beispiel bei einer *NPM1*-Mutation, erfolgt der Nachweis mittels quantitativer Polymerase-Kettenreaktion (PCR), mit der selbst kleinste Mengen von Leukämiezellen nachgewiesen werden können. Unabhängig von genetischen Veränderungen kann die MRD auch mithilfe der Durchflusszytometrie untersucht werden, bei der charakteristische Oberflächenmerkmale der Leukämiezellen analysiert werden.

Die Ergebnisse der MRD-Untersuchungen können dabei helfen, den weiteren Krankheitsverlauf besser einzuschätzen und gegebenenfalls die Therapie individuell anzupassen.

Neue Entwicklungen

Nach vielen Jahren mit nur wenigen Neuerungen haben sich die Behandlungsmöglichkeiten bei der AML in den letzten Jahren sehr dynamisch weiterentwickelt. Seit dem Jahr 2017 wurden insgesamt 14 neue Medikamente von der amerikanischen Arzneimittelbehörde (*Food and Drug Administration*, FDA) zugelassen, viele davon inzwischen auch von der europäischen Zulassungsbehörde (*European Medicines Agency*, EMA).

Bei den meisten dieser neuen Medikamente handelt es sich um sogenannte zielgerichtete Therapien. Sie greifen ganz gezielt bestimmte Strukturen in den Leukämiezellen an, die entweder durch genetische Veränderungen (Mutationen) verändert sind oder in den Leukämiezellen besonders stark vorkommen.

Beispiele sind die erfolgreiche Entwicklung der FLT3-Inhibitoren Midostaurin, Gilteritinib und Quizartinib, der IDH1-Inhibitoren Ivosidenib und Olutasidenib, des IDH2-Inhibitors Enasidenib, und des BCL-2 Inhibitors Venetoclax.

Eine neue und vielversprechende Gruppe von Medikamenten sind die sogenannten Menin-Inhibitoren. Diese neuen Wirkstoffe werden bei bestimmten Unterformen der AML eingesetzt, zum Beispiel bei einer AML mit einer *NPM1*-Mutation oder bei der AML mit Veränderungen des *KMT2A*-Gens. Erste Studien zeigen, dass Menin-Inhibitoren auch bei Patienten wirksam sein können, bei denen andere Behandlungen nicht mehr ausreichend geholfen haben. Zu den ersten Vertretern dieser Medikamentengruppe gehören Revumenib und Ziftomenib, die in den Jahren 2024 bzw. 2025 von der FDA zugelassen wurden. Weitere Menin-Inhibitoren befinden sich derzeit in der klinischen Entwicklung. Aktuell wird in klinischen Studien untersucht, wie diese neuen Medikamente mit den bestehenden Standardtherapien in der Erstlinientherapie kombiniert werden können – sowohl mit intensiven als auch mit weniger intensiven Behandlungsformen. Solche Studien werden auch an ausgewählten spezialisierten Zentren in Deutschland angeboten.

Insgesamt geht die Entwicklung zunehmend dahin, die Behandlung individueller und passgenauer auf die jeweilige Erkrankung abzustimmen. Dieses Vorgehen bezeichnet man auch als „personalisierte Therapie“.

Im Gegensatz zu den lymphatischen Erkrankungen wie Maligne Lymphome oder der Akuten Lymphatischen Leukämie spielt die Immuntherapie bei der AML derzeit nach wie vor eine sehr geringe Rolle. Hierfür gibt es einige Gründe. Immuntherapien richten sich gegen bestimmte Strukturen auf der Oberfläche von Krebszellen. Bei AML kommen diese Strukturen jedoch häufig auch auf gesunden blutbildenden Zellen (Stammzellen) vor. Eine Immuntherapie würde dann nicht nur die Leukämiezellen, sondern auch das gesunde Knochenmark angreifen, was zu schweren Nebenwirkungen führen kann.

Trotz dieser Herausforderungen wird intensiv an neuen Immuntherapien geforscht. Die Hoffnung ist, künftig besser verträgliche und gezieltere Immuntherapien zu entwickeln, die auch für Patienten mit AML sicher und wirksam sind.

Referentenkontakt

Dr. Hartmut Döhner, Universitätsklinikum Ulm, Klinik für Innere Medizin III, Albert-Einstein-Allee 23, 89081 Ulm, E-Mail: hartmut.doehner@uniklinik-ulm.de

Erläuterungen zu Fachbegriffen und Abkürzungen

allogene Stammzelltransplantation:

Ersatz des erkrankten blutbildenden Systems eines Patienten durch gesunde Stammzellen eines fremden oder verwandten Spenders

Durchflusszytometrie:

hochsensitive und automatisierte laserbasierte Messmethode zur schnellen Analyse und Sortierung von Zellen oder Partikeln in einer Flüssigkeit anhand physikalischer Eigenschaften wie beispielsweise Größe und Komplexität

Entität:

Erkrankung

Immunphänotypisierung:

Identifizierung spezifischer Antigene auf Zelloberflächen (CD-Marker) mittels Durchflusszytometrie

NGS:

Next-Generation Sequencing (NGS): Hochdurchsatz-Technologie zur schnellen Analyse von DNA/RNA, die in der Medizin die gleichzeitige Untersuchung vieler Gene ermöglicht.

Panel:

Mit einer Erkrankung assoziierte Gruppe von Genen

PCR:

Polymerase-Kettenreaktion (engl.: polymerase chain reaction): hochempfindliche molekularbiologische Methode für die schnelle milliardenfache Vervielfältigung spezifischer DNA-Abschnitte

Prädisposition:

angeborene oder erworbene Anlage beziehungsweise erhöhte Empfänglichkeit für bestimmte Erkrankungen

Randomisierung:

zufällige Zuweisung von Studienteilnehmern zu den verschiedenen Therapiearmen einer Studie (beispielsweise Kontrollgruppe oder Gruppe mit neuem Arzneimittel) zur Minimierung von systematischen Verzerrungen («Bias») und Erreichen von Vergleichbarkeit