

# Wahlfachangebot Klinik

## Wahlfachbezeichnung

Zelluläre Therapien bei ausgewählten pädiatrischen (non-malignen) Erkrankungen

## Stoffgebiet

Kinderheilkunde

## Institut / Klinik

Päd. Onkologie, Hämatologie und Hämostaseologie

## Durchführende

PD Dr. med. Jörn-Sven Kühl; OA Dr. med. R. Buhmann (Inst. Transfusionsmedizin)

## Kurzbeschreibung

Es sollen Prinzipien, Anwendungen, Komplikationen der allogenen und autologen hämatopoetischen Stammzelltherapie, der Transfusionsmedizin, der Gentherapie (lentiviral, AAV-Vektoren, CRISPR-CAS) und mesenchymale Stammzellen am Beispiel typischer Indikationen in der Pädiatrie dargestellt werden. Das Wahlfach soll somit ein erstes tieferes Verständnis für moderne zelluläre Therapien insbesondere bei angeborenen Erkrankungen in der Pädiatrie vermitteln. Darüber hinaus sollen auch Verfahren wie extrakorporale Photophorese und Plasmapherese dargestellt werden. Die Lehrinhalte werden vermittelt in Lehrvisite/Unterricht am Krankenbett, Seminar (Dozenten- und Studentenvorträge) und Praktikum/Institutsbesuch (Blutbank, Herstellungsbereiche (IZI) Der Kurs wird in Zusammenarbeit mit der Blutbank durchgeführt (OA Dr. R. Buhmann)

## Form

Kleingruppe / Unterricht am Krankenbett

## Termine und Ort

24.07. , 26.07., 31.07., 02.08., 07.08., 09.08., und 14.08.2024 jeweils 3 Zeitstunden (4 Unterrichtsstunden) [10-13:00 Uhr oder 14-17:00 Uhr] Haus 7, J01-1; 1-2 Tage davon als Praktikumstag im ITM (Blutbank), nach Möglichkeit auch 1 Tag im IZI (Fraunhofer Institut)

## Prüfungsmodalitäten

mündlich

## Anzahl Gruppen

1 x 6

## **Ansprechpartner im Fach**

PD Dr. med. J.-S. Kühl (OHH) Dr. med. R. Buhmann (ITM)

## **Lehrinhalte**

Allogene (und autologe) hämatopoetischen Stammzelltherapie (Indikationen, Chancen und Risiken, typische Komplikationen) Transfusionsmedizin in der Pädiatrie (Indikationen, Produkte, Herstellungsweise, Anwendung) Gentherapie (lentiviral, AAV-Vektoren, CRISPR-CAS): Prinzipien, Vor- und Nachteile, aktuelle Limitationen. Erkrankungen wie Lysosomale und peroxisomale Stoffwechselerkrankungen wie Adreno- und metachromatische Leukodystrophie, Mukopolysaccharidosen, M. Gaucher, Immundefekte, z.B. Schwere kombinierte Immundefekte (SCID) Hämoglobinopathien ( $\beta$ -Thalassämie) Angeborene Knochenmarkversagenssyndrome (Fanconi Anämie) Granulozyten- (CGD) und NK-Zell-Defekte (HLH) Graft-versus-host-Erkrankung Grundzüge gesetzlicher Richtlinien wie Transfusions- und Gewebegesetz.

## **Lernziele**

Chancen und Risiken moderner zellulärer Therapieverfahren besonders in der Pädiatrie bewerten zu können. Kenntnisse über typische, lebensbedrohliche (angeborene) Erkrankungen in der Pädiatrie zu entwickeln, die konservativ allein oft nicht befriedigend behandelbar sind.