



Ralf Dietrich, - Bundesgeschäftsstelle - Böckenweg 4, 59427 Unna
Birgit Schmitt, - Rechnungsführerin - Hinterhohl 14, 63863 Eschau

Vorstand:

Cornelia Sowa-Dietrich, 59427 Unna-Siddingh.
Birgit Schmitt, 63863 Eschau
Gabriele Heun, 48149 Münster
Dr. Reiner Sartorius, 74357 Bönnigheim
Derya Öztürk, 47807 Krefeld

Familienbetreuung, Ärzte und Wissenschaftlerkontakte:

Ralf Dietrich, Böckenweg 4
59427 Unna-Siddinghausen
Tel.: 02308 2324
Email: ralf.dietrich@fanconi.de
Internet: <http://www.fanconi.de>

Ein gesegnetes Weihnachtsfest
und alle guten Wünsche für
ein glückliches und gesundes
Neues Jahr 2011



für alle Fanconi-Anämie-Familien und Patienten, Verwandte, Freunde, Förderer, Spender
sowie behandelnde Ärzte, Krankenschwestern und Wissenschaftler!

Wie so oft im Leben liegen auch bei unseren Fanconi-Anämie-Familien Freude und Leid dicht
beieinander. In der beiliegenden Weihnachtsausgabe von „Projekt Hoffnung“, die eigentlich nur
Mut machen möchte, können wir zum Glück über viele Familien berichten, deren betroffene Kin-
der sich noch ohne Behandlung in einem ausreichend stabilen Zustand befinden oder die nach
einer begonnenen Androgenbehandlung (Medikamente mit männlichen Hormonen) oder einer
Knochenmarktransplantation (KMT) wieder mit großer Hoffnung in die Zukunft blicken können.

Auf der anderen Seite stehen aber auch solche Familien, deren Kinder nicht ausreichend auf
Androgene ansprechen, bei denen Veränderungen an den Chromosomen in Knochenmark und



Blut auf eine beginnende Leukämie hindeuten, die an schweren
Nebenwirkungen von Knochenmarktransplantationen leiden oder oft
schon im jungen Erwachsenenalter wegen Schleimhautkrebs in
Behandlung sind. Und Familien mit betroffenen Kindern, die, weil
keine Therapie und kein Arzt mehr helfen konnte, leider an den
Folgen lebensbedrohlicher Komplikationen verstorben sind. Als
Deutsche Fanconi-Anämie-Hilfe stehen wir allen Betroffenenfamilien
sehr nah, solchen, mit denen wir uns zusammen freuen und mit ganz

viel Zuversicht in die Zukunft schauen, und jenen, mit denen wir bangen und kämpfen müssen
oder am Ende nur noch unsere Trauer und unser Mitgefühl aussprechen können.

Die gute Nachricht für alle, denen es gut oder einigermaßen gut geht, ist, dass sich nach
gründlichen Recherchen unter allen uns in Deutschland bekannten FA-Familien ein insgesamt
Mut machender Trend ergibt: Während die durchschnittliche Überlebensrate bei Fanconi-Anämie
(FA) 1990 noch bei etwa 14 Jahren lag, ist sie in den Folgejahren auf ca. 20 Jahre angestiegen.
Alles deutet darauf hin, dass sich dieser Trend weiter fortsetzen wird.

Unter den Experten besteht große Einigkeit darüber, dass die verbesserten Überlebens-
erwartungen von Patienten mit Fanconi-Anämie weltweit vor allem eine Folge der stark
angestiegenen Erfolgsquote von Knochenmarktransplantationen sind. Annähernd zwei Drittel der
in Deutschland lebenden und unserer Betroffenenorganisation bekannten FA-Patienten haben
eine erfolgreiche KMT hinter sich und brauchen sich so gut wie keine Sorgen mehr über
bedrohlich niedrige Blutwerte oder die Gefahr einer Leukämie zu machen. Inzwischen über-
leben bis zu 80 % der FA-Patienten ihre KMT. Für die allermeisten von denen, für die kein
passender Geschwisterspender zur Verfügung steht, kann über die weltweit vernetzten

WISSENSCHAFTLICHER BEIRAT: PROF. DR. TRAUTE SCHRÖDER-KURTH, EIBELSTADT – OA DR. WOLFRAM EBELL, BERLIN – PROF. DR. HOLGER HÖHN, WÜRZBURG –
PROF. DR. KARL SPERLING, BERLIN – PROF. DR. HEIDEMARIE NEITZEL, BERLIN – PROF. DR. MARKUS GROMPE, PORTLAND/OREGON – PROF. DR. HANS JOENJE, AMSTERDAM –
PROF. DR. RUUD BRAKENHOFF, AMSTERDAM – DR. HOLGER TÖNNIES, BERLIN – PROF. DR. MARTIN DIGWEED, BERLIN – PROF. DR. HELMUT HANENBERG, DÜSSELDORF –
PROF. DR. DETLEV SCHINDLER, WÜRZBURG – PROF. DR. ALFRED BÖCKING, DÜSSELDORF

Spenderbanken mit mehr als 14 Millionen registrierten freiwilligen Spendern ein Transplantat gewonnen werden, das den hohen Anforderungen hinsichtlich der Gewebeverträglichkeit genügt.

Anlass zur Sorge gibt die Beobachtung, dass eine erfolgreich überstandene Knochenmarktransplantation (KMT) bei Fanconi-Anämie leider nicht das stark erhöhte Risiko zur Entwicklung von Schleimhautkrebs reduziert. Auf die uns bekannten Verläufe der vergangenen 20 Jahre bezogen scheint der Krebs bei FA-Patienten nach KMT sogar um Jahre früher aufzutreten als bei denen, die noch nicht transplantiert werden mussten. Ob sich dieses Besorgnis erregende Unverhältnis mit der Einführung milderer Transplantationsvorbereitungen vor etwa 10 Jahren zur Abtötung des alten Knochenmarks (besser verträgliche Chemotherapie, möglichst keine Bestrahlung mehr) und durch wirksamere Methoden zur Vorbeugung und Behandlung von Abstoßungsreaktionen und Infektionen nach KMT langfristig wieder umkehrt, bleibt abzuwarten.

Für betroffene Familien, die für ihre Kinder vor der Entscheidung zu einer KMT stehen, sind dies enorm wichtige Fragen. Sollen sie, wenn es irgend geht, mit einer Transplantation noch warten und lieber zunächst mit einer Androgentherapie beginnen, wo doch mehr als die Hälfte der Fanconi-Anämie-Kinder auf Androgene ausreichend gut anzusprechen scheint? Nicht selten stabilisieren sich während oder nach der Pubertät die Blutwerte sogar so gut, dass die Dosis der Androgene deutlich reduziert werden kann oder sie sogar völlig abgesetzt werden können. Andererseits kann es trotz erfolgreicher Androgentherapie bei FA weiterhin zur gefürchteten Leukämie kommen. Leider sinken die Erfolgchancen von KMTs, das ist bekannt, mit zunehmenden Lebensalter ab. Wie sollen sich FA-Familien zusammen mit den ihre Kinder behandelnden Ärzten entscheiden? Solche Fragen lassen sich nur dann besser beantworten, wenn weltweit möglichst viele FA-Krankheitsverläufe gründlicher dokumentiert und ausgewertet werden.

Zusammen mit engagierten und erfahrenen Medizinern und Wissenschaftlern sowie im Austausch mit anderen FA-Patienten-Organisationen im In- und Ausland können und werden wir uns auch in Zukunft mit großem Nachdruck daran beteiligen, noch deutlich mehr dieser sehr wichtigen Informationen zu sammeln und zusammenzutragen. Obwohl einige dieser Experten aus unserem Wissenschaftlichen Beirat (Frau Prof. Traute Schroeder-Kurth, Prof. Karl Sperling, Prof. Holger Höhn, Prof. Alfred Böcking – und in Kürze Prof. Hans Joenje) aus Altersgründen an ihren Universitäten aus dem aktiven Berufsleben ausgeschieden sind, haben sie zugesagt, uns auch weiterhin (und eventuell sogar mit mehr Zeit als zuvor) aktiv zur Seite zu stehen.

Wie jedes Jahr zu Weihnachten ein großes Dankeschön an alle, die unsere Arbeit durch Spenden bzw. ihre aktive Mithilfe unterstützt haben! Auch im kommenden Jahr werden wir gemeinsam u.a. mit Dr. Eunike Velleuer, Prof. Alfred Böcking, Prof. Stefan Biesterfeld, Prof. Ruud Brakenhoff und Dr. Karin Kunzi-Rapp (Universitäten Düsseldorf, Amsterdam und Ulm) schwerpunktmäßig den Ausbau unseres Schleimhautkrebs-Früherkennungs-Projekts bei FA vorantreiben und verstärkt die Entwicklung und Verbreitung verbesserter Methoden zur möglichst frühen und effektiven Therapie von Schleimhautkarzinomen bei Fanconi-Anämie unterstützen. Weitere Informationen hierzu sowie unsere zahlreichen anderen Ziele und Aufgaben in Verbindung mit der Diagnose, Untergruppenzuordnung und Leukämiefrüherkennung bei FA sowie mit der KMT (Prof. Detlev Schindler, Prof. Heidemarie Neitzel und Dr. Wolfram Ebell - Universität Würzburg bzw. Charité Universitätsmedizin Berlin) finden Sie in der beigefügten Ausgabe von „Projekt Hoffnung 2010“.

Alle guten Wünsche zu Weihnachten
und ein gesegnetes und vor allem gesundes Neues Jahr 2011
im Namen von Vorstand und Geschäftsführung
Birgit Schmitt, Gabriele Heun, Cornelia Sowa-Dietrich,
Derya Öztürk, Dr. Reiner Sartorius und Ralf Dietrich

