kinderkrebsinfo

Informationsportal zu Krebserkrankungen bei Kindern und Jugendlichen

Akute myeloische Leukämie (AML) – Kurzinformation

Copyright © 2026 www.kinderkrebsinfo.de

Autor: Maria Yiallouros, erstellt am 02.02.2010, Freigabe: Prof. Dr. med. Ursula Creutzig, Zuletzt bearbeitet: 04.11.2026

Kinderkrebsinfo wird von der Deutschen Kinderkrebsstiftung gefördert

Table of Content

1. Krankheitsbild 3
2. Häufigkeit 3
3. Formen der akuten myeloischen Leukämie 3
4. Ursachen 4
5. Krankheitszeichen 5
6. Diagnose 6
6.1. Blut- und Knochenmarkuntersuchungen 6
6.2. Untersuchungen zur Ausbreitung der Erkrankung 7
6.3. Untersuchungen vor Therapiebeginn 7
7. Therapieplanung 7
8. Behandlung 8
8.1. Behandlungsmethoden 8
8.2. Behandlungsablauf (Chemotherapie) 9
9. Therapieoptimierungsstudien und Register 10
10. Prognose 12
Literatur 14
Glossary 17

Copyright 2026 www.kinderkrebsinfo.de

Akute myeloische Leukämie (AML) – Kurzinformation

1. Krankheitsbild

Die akute myeloische Leukämie (AML) – auch akute nicht lymphoblastische Leukämie genannt – ist eine bösartige Erkrankung des blutbildenden Systems. Sie entsteht im *Knochenmark*, dem Ort der Blutbildung, und geht im Allgemeinen mit einer Überproduktion unreifer weißer Blutzellen einher.

Normalerweise vermehren und erneuern sich alle Blutzellen in einem harmonischen Gleichgewicht. Sie durchlaufen dabei einen komplizierten Reifungsprozess. Bei der AML ist dieser Prozess außer Kontrolle geraten: Die weißen Blutkörperchen (*Leukozyten*) reifen nicht mehr zu funktionstüchtigen Zellen heran, sondern vermehren sich rasch und unkontrolliert. Sie verdrängen dadurch zunehmend die normale Blutbildung, so dass gesunde weiße Blutzellen sowie rote Blutzellen (*Erythrozyten*) und Blutplättchen (*Thrombozyten*) nicht mehr im notwendigen Umfang gebildet werden.

Blutarmut (*Anämie*), *Infektion*en und erhöhte Blutungsneigung können die Folge und zugleich auch das erste Anzeichen einer akuten Leukämie sein. Da die AML von Anfang an nicht auf eine bestimmte Stelle im Körper begrenzt ist, sondern vom Knochenmark ausgehend das Blut, die lymphatischen Gewebe [*lymphatisches System*] und alle anderen Organe und somit ganze Organsysteme befallen kann, wird sie – wie alle Leukämien – auch als bösartige Systemerkrankung bezeichnet.

Die AML nimmt einen raschen Verlauf. Erfolgt keine Behandlung, kommt es durch die Ausbreitung der Leukämiezellen und der damit einhergehenden Schädigung der Körperorgane zu schweren Erkrankungen, die unbehandelt innerhalb weniger Wochen oder Monate zum Tod führen.

2. Häufigkeit

Die akute myeloische Leukämie (AML) ist – nach der akuten lymphoblastischen Leukämie (ALL) – mit knapp 20 % die zweithäufigste *Leukämie* bei Kindern und Jugendlichen. Ihr Anteil an der Gesamtheit aller bösartigen Erkrankungen im Kindes- und Jugendalter beträgt etwa 4 %. In Deutschland erkranken nach Angaben des Deutschen Kinderkrebsregisters (Mainz) pro Jahr circa 90 Kinder und Jugendliche im Alter von 0 bis 17 Jahren neu an einer akuten myeloischen Leukämie.

Die AML kann in jedem Alter auftreten, am häufigsten ist sie im höheren Erwachsenenalter. Im Kindes- und Jugendalter sind Säuglinge und Kleinkinder in den ersten beiden Lebensjahren am häufigsten betroffen. Das durchschnittliche Erkrankungsalter liegt bei 7 Jahren. Jungen erkranken etwas häufiger als Mädchen (Geschlechterverhältnis: 1,1:1).

3. Formen der akuten myeloischen Leukämie

Die AML entsteht durch die bösartige Veränderung (Entartung) unreifer myeloischer *Zelle*n. Es handelt sich dabei um *Stammzellen* der Blutbildung (kurz: *Blutstammzellen*), aus denen im weiteren

Copyright 2026 www.kinderkrebsinfo.de

Entwicklungsverlauf – je nach Art der Stammzelle – bestimmte weiße Blutzellen (*Granulozyten*, *Monozyten*), rote Blutzellen oder Blutplättchen hervorgehen.

Bei der AML findet in der Regel eine Entartung in einer unreifen Vorläuferzelle der weißen Blutzellen, den Myeloblasten, statt. Prinzipiell können aber Vorläufer aller myeloischen Zellen entarten, so auch die der roten Zellreihe und die der Blutplättchen oder auch gemeinsame Vorläuferzellen. Da die bösartige Veränderung demnach verschiedene Zelltypen betreffen und zudem auf unterschiedlichen Reifungsstufen erfolgen kann, gibt es verschiedene Formen der AML (zum Beispiel Myeloblastenleukämie, Monoblastenleukämie, Erythroblastenleukämie, Megakaryozytenleuämien und verschiedene Mischformen).

Anhand der unter dem Mikroskop sichtbaren (*zytomorphologische*n) Form der Leukämiezellen werden (nach der French-American-British- (FAB-)Klassifikation) acht verschiedene Hauptformen der AML unterschieden; diese waren in der Vergangenheit für die Einteilung der AML wichtig. Die FAB-*Klassifikation* wird heutzutage zunehmend durch die *WHO-Klassifikation* ersetzt, die neben zytomorphologischen auch *zytogenetische* und und *molekulargenetische*r Merkmale der entarteten Zellen berücksichtigt.

Wichtig zu wissen: Es gibt verschiedene Formen der AML, die sich, was Krankheitsverlauf und Heilungsaussichten (Prognose) betrifft, zum Teil deutlich voneinander unterscheiden. Bei der Wahl der Behandlungsstrategie werden diese Unterschiede berücksichtigt.

4. Ursachen

Die Ursachen der akuten myeloischen Leukämie (AML) sind weitgehend unbekannt. Man weiß zwar, dass die Krankheit durch die bösartige Veränderung einer unreifen myeloischen *Zelle* entsteht und dass die Entartung mit Veränderungen im Erbgut der Zelle einhergeht. In den meisten Fällen bleibt jedoch unklar, warum genetische Veränderungen auftreten und warum sie bei manchen Kindern zur Erkrankung führen, bei anderen nicht. Nach heutigem Wissen müssen mehrere genetische Veränderungen zusammenkommen, bevor eine Leukämie entsteht.

Bekannt ist, dass Kinder und Jugendliche mit bestimmten ererbten oder erworbenen *Immundefekten* oder mit bestimmten *Chromosomen*veränderungen ein erhöhtes Risiko haben, an einer AML zu erkranken. Erbliche Vorerkrankungen, die die Entwicklung einer AML begünstigen, sind zum Beispiel das *Down-Syndrom*, die *Fanconi-Anämie*, das *Bloom-Syndrom*, die *Neurofibromatose* und die familiäre *Monosomie 7*. Da diese Krankheitsbilder mit einer Veranlagung für die Krebsentstehung einhergehen, werden sie auch als *Krebsprädispositionssyndrom*e bezeichnet.

Darüber hinaus können auch *radioaktive Strahlung* und *Röntgenstrahlung*, bestimmte chemische Substanzen und Medikamente, Zigaretten- oder Alkoholkonsum der Eltern und möglicherweise auch *Viren* bei der Entstehung einer Leukämie eine Rolle spielen. Bei der Mehrheit der Patienten kennt man die krankheitsauslösenden Faktoren jedoch nicht.

Copyright 2026 www.kinderkrebsinfo.de

5. Krankheitszeichen

Die Krankheitszeichen (*Symptome*), die mit einer akuten myeloischen Leukämie (AML) einhergehen, entwickeln sich meist innerhalb weniger Wochen. Sie sind auf die Ausbreitung der bösartigen Zellen im *Knochenmark* und in anderen Körperorganen und -geweben zurückzuführen. Die ungehemmte Teilung der Leukämiezellen im Knochenmark beeinträchtigt zunehmend die Produktion der normalen Blutzellen.

Kinder und Jugendliche, die an einer AML erkrankt sind, fallen deshalb meist zunächst durch allgemeine Krankheitszeichen wie Mattigkeit, Spielunlust und Blässe (*Anämie*) auf. Diese sind bedingt durch den Mangel an roten Blutkörperchen, deren Aufgabe es ist, den Sauerstoff in die Körperzellen zu transportieren. Durch den Mangel an funktionstüchtigen weißen Blutkörperchen (zum Beispiel *Lymphozyten* und *Granulozyten*) können Krankheitserreger nicht mehr ausreichend bekämpft werden; es stellen sich *Infektion*en ein, die sich durch Fieber bemerkbar machen. Das Fehlen von Blutplättchen, die für eine rasche *Blutgerinnung* sorgen, kann zu Haut- und Schleimhautblutungen führen.

Die Überhandnahme der Leukämiezellen im Körper führt, abgesehen von Veränderungen im Blutbild, zu Organbeschwerden: Das Wachstum der Leukämiezellen in den Hohlräumen der Knochen, im Knochenmark, kann Knochenschmerzen hervorrufen, vor allem in Armen und Beinen. Sie können so ausgeprägt sein, dass kleinere Kinder nicht mehr laufen mögen und getragen werden wollen. Die bösartigen Zellen können sich außerdem in Leber, Milz und *Lymphknoten* festsetzen, so dass diese Organe anschwellen und zu entsprechenden Beschwerden, zum Beispiel Bauchschmerzen, führen. Kein Organ ist grundsätzlich verschont. Bei Patienten mit einer AML kann es auch zu einem Befall der *Hirnhäute* kommen. Kopfschmerzen, Gesichtslähmungen, Sehstörungen und/oder Erbrechen können die Folge sein. Auch tumorartige Haut- oder Schleimhautveränderungen kommen vor.

Die wichtigsten Symptome sind in der folgenden Übersicht zusammengefasst:

Sehr häufig (bei über 60 % der Patienten):

- Müdigkeit, allgemeine Abgeschlagenheit und Lustlosigkeit, Krankheitsgefühl
- Hautblässe durch Mangel an roten Blutzellen (*Anämie*)
- Fieber und/oder erhöhte Infektneigung durch Mangel an weißen Blutzellen (*Neutropenie*)
- Bauchschmerzen und Appetitlosigkeit (durch Vergrößerung von Milz und/oder Leber)

Häufig bis relativ häufig (bei 20 bis 60 % der Patienten)

- Blutungsneigung ohne jedwede oder bei nur geringer Einwirkung von außen, zum Beispiel schwer zu stillendes Nasen- und/oder Zahnfleischbluten, blaue Flecken oder kleine punktförmige Hautblutungen (Petechien), selten Hirnblutungen

Copyright 2026 www.kinderkrebsinfo.de

- Geschwollene *Lymphknoten*, etwa am Hals, in den Achselhöhlen oder in der Leiste
- Knochen- und Gelenkschmerzen

Selten (bei unter 20 % der Patienten)

- Kopfschmerzen, Sehstörungen, Erbrechen, Hirnnervenlähmungen (durch Befall des *Zentralnervensystem*s)
- Atemnot (bei *Hyperleukozytose*)
- Hautveränderungen und Chlorome (Myeloblastome oder Myelosarkome): tumorförmige Ansammlungen von Leukämiezellen in der Haut, den Lymphknoten oder im Knochen, manchmal um die Augen herum, zum Teil blau-grün gefärbt
- Zahnfleischwucherungen (sogenannte Gingivahyperplasie)
- Vergrößerung der/eines Hoden

Gut zu wissen: Die Symptome einer AML können individuell sehr verschieden stark ausgeprägt sein. Wichtig zu wissen ist auch, dass das Auftreten eines oder mehrerer der genannten Krankheitszeichen nicht unbedingt bedeuten muss, dass eine Leukämie vorliegt. Viele dieser Symptome treten bei vergleichsweise harmlosen Erkrankungen auf, die mit Leukämie nichts zu tun haben. Bei Beschwerden ist es jedoch ratsam, so bald wie möglich einen Arzt zu konsultieren, um deren Ursache zu klären. Liegt tatsächlich eine akute Leukämie vor, muss schnellstmöglich mit der Therapie begonnen werden.

6. Diagnose

Findet der (Kinder-)Arzt durch Krankheitsgeschichte (*Anamnese*) und *körperliche Untersuchung* des Patienten Hinweise auf eine akute Leukämie, wird er zunächst eine umfassende Blutuntersuchung vornehmen. Wenn sich, durch bestimmte Veränderungen im *Blutbild*, der Verdacht auf eine Leukämie erhärtet, ist eine Entnahme von Knochenmark (*Knochenmarkpunktion*) zur Sicherung der Diagnose notwendig. Zu diesem Zweck und für eventuell sich anschließende Untersuchungen wird der Arzt den Patienten in ein Krankenhaus überweisen, das auf Krebs- und Bluterkrankungen bei Kindern und Jugendlichen spezialisiert ist (Klinik für pädiatrische Onkologie/Hämatologie).

6.1. Blut- und Knochenmarkuntersuchungen

Blut- und Knochenmarkuntersuchungen erlauben eine genaue Aussage darüber, ob und an welcher Art von Leukämie der Patient erkrankt ist. Die Untersuchungen beinhalten mikroskopische (*zytomorphologische*), *immunologische* und *genetische* Laborverfahren. Diese ermöglichen es nicht nur, eine AML von anderen Leukämiearten (zum Beispiel einer ALL) abzugrenzen, es lassen sich

Copyright 2026 www.kinderkrebsinfo.de

auch innerhalb des Krankheitsbildes AML verschiedene Unterformen unterscheiden. Dies ist eine wichtige Voraussetzung für eine gezielte Therapieplanung, denn es hat sich gezeigt, dass sich die verschiedenen AML-Formen nicht nur auf zellulärer und *molekular*er Ebene voneinander unterscheiden, sondern auch deutliche Unterschiede in ihrem Krankheitsverlauf, ihren Heilungsaussichten (Prognose) und der Therapierbarkeit zeigen.

6.2. Untersuchungen zur Ausbreitung der Erkrankung

Liegt eine AML vor, so ist es für die Behandlungsplanung auch wichtig zu wissen, ob außerhalb des Knochenmarks noch weitere Organe des Körpers – zum Beispiel Gehirn, Leber, Milz, *Lymphknoten*, Haut oder Knochen – von Leukämiezellen befallen sind. Auskunft darüber geben verschiedene bildgebende Verfahren wie *Ultraschall*- und *Röntgenuntersuchung*, im Bedarfsfall auch *Magnetresonanztomographie* (MRT) und/oder die *Computertomographie* (CT). Um herauszufinden, ob auch das Zentralnervensystem (Gehirn und Rückenmark) von der Erkrankung betroffen ist, wird außerdem aus dem Nervenwasserkanal eine Probe entnommen und auf Leukämiezellen untersucht (*Lumbalpunktion*).

6.3. Untersuchungen vor Therapiebeginn

Behandlungsvorbereitend erfolgt ferner eine Überprüfung der Herzfunktion (*Elektrokardiographie* [EKG] und *Echokardiographie*) und der Gehirnfunktion (*Elektroenzephalographie*, EEG). Umfangreiche Laboruntersuchungen dienen dazu, den Allgemeinzustand des Patienten zu überprüfen und festzustellen, ob durch die Leukämie die Funktionen einzelner Organe (zum Beispiel Nieren und Leber) beeinträchtigt sind oder Stoffwechselstörungen vorliegen, die vor oder während der Behandlung besonders berücksichtigt werden müssen. Veränderungen, die möglicherweise im Laufe der Therapie auftreten, können aufgrund solcher Ausgangsbefunde besser beurteilt werden. Im Hinblick auf eventuell notwendig werdende *Bluttransfusion*en muss eine Bestimmung der *Blutgruppe* erfolgen.

Gut zu wissen: Nicht alle Untersuchungen sind bei jedem Patienten notwendig. Andererseits können eventuell Untersuchungen hinzukommen, die hier nicht erwähnt wurden. Ihr Behandlungsteam wird Sie darüber informieren, welche diagnostischen Verfahren bei Ihnen oder Ihrem Kind zur Therapieplanung erforderlich sind.

Psychosoziale Versorgung

Die Krebserkrankung eines Kindes ist für die ganze Familie eine belastende Situation. Das Psychosoziale Team der Klinik oder später der Nachsorgeeinrichtung steht Patienten und ihren Angehörigen von der Diagnose bis zum Abschluss der Behandlung sowie während der Nachsorge beratend und unterstützend zur Seite. Zögern Sie nicht, dieses Angebot in Anspruch zu nehmen. Es ist fester Bestandteil des Behandlungskonzepts aller kinderonkologischen Zentren im deutschsprachigen Raum. Hier finden Sie umfassende Informationen zum Thema.

7. Therapieplanung

Bestätigt sich der Verdacht auf eine akute Leukämie, erfolgt die Therapieplanung. Um eine möglichst individuelle, auf den Patienten zugeschnittene (risikoadaptierte) Behandlung durchführen zu

Copyright 2026 www.kinderkrebsinfo.de

können, berücksichtigt das Behandlungsteam bei der Planung bestimmte Faktoren, die die Prognose des Patienten beeinflussen (sie werden daher auch Risiko- oder Prognosefaktoren genannt).

Wichtige *Prognosefaktoren* sind zum einen der Subtyp der AML (*siehe Kapitel zu AML-Formen*), zum anderen die Krankheitsausbreitung im Körper und das Ansprechen der AML auf die Chemotherapie. Die genaue Kenntnis des Tumortyps gibt dem Behandlungsteam Hinweise darauf, wie sensibel die Tumorzellen auf eine *Chemotherapie* reagieren und nach welchem Therapieplan die Patienten folglich behandelt werden müssen, um das Rückfallrisiko möglichst gering zu halten. Krankheitsausdehnung und Therapieansprechen beeinflussen die Entscheidung, ob zusätzlich zur Chemotherapie weitere Therapiemethoden (zum Beispiel eine *Strahlentherapie* des Schädels oder eine *Hochdosis-Chemotherapie* mit nachfolgender *Stammzelltransplantation*) zur Verbesserung der Heilungsaussichten erforderlich sind.

Alle Risikofaktoren fließen in die Behandlungsplanung ein mit dem Ziel, für jeden Patienten das jeweils bestmögliche Behandlungsergebnis zu erreichen. Die jeweilige Krankheitssituation ist somit ausschlaggebend dafür, welcher Therapiegruppe der Patient zugeordnet wird und nach welchem Therapieplan er behandelt wird. Derzeit werden drei Risikogruppen unterschieden: eine Standardrisikogruppe, eine mittlere (intermediäre) Risikogruppe und eine Hochrisikogruppe. *Weitere Informationen zur Therapieplanung finden Sie in unserem ausführlichen Patiententext hier*.

8. Behandlung

Die Behandlung eines Patienten mit akuter myeloischer Leukämie (AML) muss schnellstmöglich in einer kinderonkologischen Behandlungseinrichtung erfolgen. Dort ist das hoch qualifizierte Fachpersonal (Ärzte, Fachpflegekräfte) auf die Behandlung krebskranker Kinder spezialisiert und mit den modernsten Therapieverfahren vertraut. Die Ärzte dieser Klinikabteilungen stehen in fachorientierten Arbeitsgruppen in ständiger, enger Verbindung miteinander und behandeln ihre Patienten nach gemeinsam entwickelten und stetig weiter verbesserten Therapieplänen. Ziel der Behandlung ist, eine hohe Heilungsrate bei möglichst geringen Nebenwirkungen und Spätfolgen zu erreichen.

8.1. Behandlungsmethoden

Zu den Behandlungsmethoden, die bei einer akuten myeloischen Leukämie in Frage kommen, gehören die **Chemotherapie**, **zielgerichtete Therapieoptionen**, die **Strahlentherapie** (selten) und die **Hochdosis-Chemotherapie** mit anschließender **Stammzelltransplantation** (Stammzelltherapie).

- **Chemotherapie:** Im Zentrum der Behandlung eines Patienten mit akuter myeloischer Leukämie (AML) steht die intensive *Chemotherapie*. Man versteht darunter eine Behandlung mit zellwachstumshemmenden Medikamenten (Zytostatika). Da ein einzelnes Medikament in der Regel nicht ausreicht, um alle Leukämiezellen zu vernichten, werden Kombinationen verschiedenartig wirkender *Zytostatika* eingesetzt (Polychemotherapie). Auf diese Weise soll die größtmögliche Wirkung gegen die bösartigen Zellen erzielt werden.

Copyright 2026 www.kinderkrebsinfo.de

- **Chemotherapie-Abweichungen bei Down-Syndrom und APL:** Bei Patienten mit einem *Down-Syndrom* ist eine weniger intensive Chemotherapie erforderlich als bei anderen AML-Betroffenen. Bei Patienten mit akuter Promyelozytenleukämie (APL) – einer Sonderform der AML – kann fast ganz auf die Chemotherapie verzichtet werden. Diese Patienten erhalten anstelle von Zytostatika andere Medikamente (*siehe hierzu unsere Kapitel Therapie Down-Syndrom und Therapie APL im ausführlichen Patiententext*).

- **Strahlentherapie:** In wenigen Fällen wird die Chemotherapie durch eine *Bestrahlung* des *Zentralnervensystem*s (Schädelbestrahlung) ergänzt. Allerdings spielt die Strahlentherapie bei der heutigen AML-Behandlung nur eine untergeordnete Rolle.

- **Zielgerichtete Therapie:** Bei Patienten mit bestimmten immunologischen Subtypen der AML (zum Beispiel FLT3-ITD/TKD-positiver AML) kommt eine zielgerichtete Behandlung mit *Tyrosinkinase*hemmern (FLT3-Inhibitoren wie Sorafenib) in Frage. Bei diesen Patienten liegt in den Leukämiezellen eine *Mutation* des *FLT3-Gen*s vor. Dies führt zu einem veränderten FLT3-Rezeptorprotein auf der Oberfläche der Leukämiezellen, welches deren Wachstum/Vermehrung stimuliert. Durch den FLT3-Inhibitor wird das Wachstum der Leukämiezellen gestoppt; sie sterben ab (*Apoptose*). Die *FLT3*-Mutation tritt bei etwa 10–15 % der AML-Patienten auf.

- **Stammzelltherapie:** Bei Patienten, die nicht gut auf die Standardtherapie ansprechen, ein hohes Rückfallrisiko haben oder einen Krankheitsrückfall erleiden, ist eine *Hochdosis-Chemotherapie* mit anschließender Übertragung von Spender-Stammzellen (*allogene Stammzelltransplantation*) eine weitere Möglichkeit der Behandlung. Die Behandlung zielt darauf ab, die Leukämiezellen im Körper möglichst vollständig zu vernichten, so dass das *Knochenmark* seine Funktion als blutbildendes Organ wieder aufnehmen kann.

Therapiebegleitend erfolgen unterstützende Behandlungsmaßnahmen, die der Vermeidung von Komplikationen dienen. Diese sogenannte *Supportivtherapie* stellt bei Patienten mit AML einen wichtigen Teil der Behandlung dar.

Gut zu wissen: Die Intensität und Dauer einer *Chemotherapie*, die Option einer ergänzenden zielgerichteten Therapie, die Notwendigkeit einer *Strahlentherapie* oder *Stammzelltransplantation* sowie die *Prognose* der Erkrankung richten sich unter anderem danach, an welcher AML-Unterform der Patient erkrankt ist, wie stark sich die Leukämiezellen im Körper bereits ausgebreitet haben und wie die Leukämie auf die Therapie anspricht (*siehe Kapitel "Therapieplanung"*).

8.2. Behandlungsablauf (Chemotherapie)

Prinzipiell (abgesehen von den oben genannten Therapieabweichungen bei Patienten mit Down-Syndrom oder APL) besteht die Chemotherapie aus verschiedenen Therapiephasen, die sich hinsichtlich ihrer Dauer und der eingesetzten Medikamentenkombinationen voneinander unterscheiden und unterschiedliche Ziele verfolgen. Wichtige Therapieelemente sind:

Copyright 2026 www.kinderkrebsinfo.de

1. **die Induktionstherapie:** Sie besteht aus einer besonders intensiven Chemotherapie und zielt darauf ab, innerhalb kurzer Zeit die Mehrzahl der Leukämiezellen zu vernichten, das heißt, eine *Remission* herbeizuführen. Die Induktionstherapie umfasst zwei Chemotherapie-Blöcke und dauert mit Erholungspause etwa zwei Monate.

2. **die Konsolidierungs- und Intensivierungstherapie** schließt sich an die Induktionstherapie an und besteht aus zwei bis drei Blöcken einer ebenfalls intensiven Chemotherapie, zum Teil mit anderen Medikamentenkombinationen. Ihr Ziel ist, die noch verbliebenen Leukämiezellen im Körper zu vernichten und so das Risiko eines Krankheitsrückfalls zu minimieren. Die Intensivierungstherapie dauert etwa drei bis vier Monate.

3. **die ZNS-Therapie:** Es handelt sich dabei um eine vorbeugende (prophylaktische) oder therapeutische Behandlung des Zentralnervensystems (ZNS). Sie soll verhindern, dass sich Leukämiezellen im *Gehirn* oder *Rückenmark* ansiedeln oder weiter ausbreiten. Die ZNS-Therapie erfolgt während der systemischen Chemotherapie in Form mehrerer Medikamentengaben in den Nervenwasserkanal (*intrathekale Chemotherapie*). Eine zusätzliche *Bestrahlung*sbehandlung des Kopfes (Schädelbestrahlung) erfolgt nur noch in Ausnahmefällen.

Manche Patienten (mit großen Leukämiezellzahlen im Blut oder starkem Organbefall) erhalten vor der eigentlichen Therapie eine sogenannte **Vortherapie** (*zytoreduktive* Vorphase). Der Zweck dieser etwa einwöchigen Behandlung besteht darin, die Leukämiezellen auf eine schrittweise und damit für den Organismus möglichst schonende Weise zu reduzieren, um Komplikationen (besonders Blutungen oder auch das Zellzerfalls- oder *Tumorlyse-Syndrom*) zu vermeiden.

Gut zu wissen: Bis 2023 wurde im Anschluss an die intensive Therapiephase eine **Erhaltungs- oder Dauertherapie** durchgeführt. Sie bestand aus einer milderen Chemotherapie, dauerte insgesamt ein Jahr und erfolgte vorwiegend *ambulant*. Ihr Ziel war es, durch eine möglichst lange Therapiedauer all jene Leukämiezellen zu vernichten, die trotz der intensiven Behandlung überlebt hatten. Die Erhaltungs-/Dauertherapie ist in den aktuellen AML-Behandlungskonzepten im Rahmen der Standard-Chemotherapie und auch in den Prüfarmen aktueller Studien nicht mehr vorgesehen. In Sonderfällen oder im Rahmen bestimmter Therapieprotokolle kann sie jedoch noch zum Einsatz kommen.

Die **Gesamtdauer der Therapie** beträgt ohne Erhaltungs- oder Dauertherapie etwa ein halbes Jahr (sofern keine Stammzelltransplantation erforderlich ist und kein Rückfall eintritt). Dieser sechsmonatige, intensive Behandlungsteil ist mit vielen stationären Klinikaufenthalten verbunden, Erholungspausen zwischen den Chemotherapiegaben können aber zu Hause stattfinden, wenn keine Probleme (wie Fieber oder Infektionen) auftreten.

9. Therapieoptimierungsstudien und Register

Fast alle Kinder und Jugendlichen mit akuter myeloischer Leukämie (AML) werden in Deutschland im Rahmen von *Therapieoptimierungsstudie*n behandelt. Es handelt sich dabei um kontrollierte klinische Studien, die das Ziel haben, erkrankte Patienten nach dem jeweils aktuellen Wissens-

Copyright 2026 www.kinderkrebsinfo.de

stand zu behandeln und gleichzeitig die Behandlungsmöglichkeiten zu verbessern und weiter zu entwickeln. Da viele Behandlungszentren beteiligt sind, spricht man auch von „multizentrischer" Studie.

Patienten, die an keiner Studie teilnehmen, entweder weil zum Zeitpunkt ihrer Erkrankung keine Studie verfügbar ist oder weil sie die Einschlusskriterien einer bestehenden Studie nicht erfüllen, werden oft in einem sogenannten **Register** dokumentiert. Die Behandlung erfolgt generell nach den Therapieempfehlungen der Studienzentrale. Auf diese Weise erhält der Patient die zu diesem Zeitpunkt verfügbare optimale Therapie.

Zurzeit gibt es in Deutschland, in der Regel mit internationaler Beteiligung, die im Folgenden genannten Therapiestudien und Register zur Behandlung von Kindern und Jugendlichen mit AML:

- **Studie AIEOP-BFM-AML 2020:** Für Kinder und Jugendliche mit AML ist seit Ende Februar 2023 die internationale Therapieoptimierungsstudie AIEOP-BFM-AML 2020 offen. Zugelassen sind Patienten unter 18 Jahren mit AML-Ersterkrankung beziehungsweise Patienten unter 21 Jahren mit AML-Rezidiv. Von der Studie ausgeschlossen sind AML-Patienten mit akuter Promyelozytenleukämie (APL), mit Down-Syndrom und/oder transient-myeloproliferativem Syndrom (TMD). Ziel der Studie ist, mit Hilfe neuer oder anders wirkender Medikamente nicht nur die Heilungsraten zu erhöhen, sondern vor allem auch die Nebenwirkungen der Therapie zu verringern. An der Studie sind zahlreiche Behandlungseinrichtungen in ganz Deutschland sowie in anderen europäischen Ländern beteiligt. **Wichtig:** *Die Aufnahme von Patienten mit AML-Ersterkrankung wurde zum 19.02.2026 beendet. Für alle anderen AML-Patienten (zum Beispiel mit Rückfall oder Indikation für eine Stammzelltransplantation, Arm B und C der Studie) gilt derzeit ein vorübergehender Rekrutierungsstopp. Neu erkrankte Patienten werden in das Register (*siehe unten*) aufgenommen und nach Standard behandelt.*

- **Register AML-BFM 2017:** Seit Anfang 2018 können sich alle AML-Patienten unter 18 Jahren im Register AML-BFM 2017 erfassen lassen (welches das Register AML-BFM 2012 ablöst). Das gilt für Patienten mit AML-Ersterkrankung ebenso wie mit Krankheitsrückfall oder einer AML als Zweitmalignom. Dokumentiert werden auch Patienten mit akuter Promyelozytenleukämie (APL) sowie Kinder und Jugendliche mit *Down-Syndrom*. Ebenfalls erfasst werden Neugeborene mit Down-Syndrom, die an einem sogenannten transient-myeloproliferativem Syndrom (TMD) erkrankt sind, einer Krankheit, die häufig in eine myeloische Leukämie übergeht. Die Registerzentrale erhofft sich mit der flächendeckenden Erfassung aller AML-Erkrankungen und deren Behandlung ein verbessertes Verständnis der AML und eine weitere Optimierung der Therapie. Für Patienten, die an keiner Studie teilnehmen, bietet die Registerzentrale Therapieempfehlungen, um die derzeit optimale Behandlung weiterhin zu gewährleisten.

- **Studie ML-DS 2018:** Für Kinder mit einem Down-Syndrom und myeloischer Leukämie (kurz: ML-DS) steht seit Februar 2021 die Therapieoptimierungsstudie ML-DS 2018 zur Verfügung. Zugelassen sind Patienten mit und ohne *GATA1*-Mutation, die älter als 6 Monate, aber unter 4 Jahre alt sind, ODER Patienten mit *GATA1*-Mutation, die über 4 Jahre und unter 6 Jahre alt

Copyright 2026 www.kinderkrebsinfo.de

sind. Die Studie soll zeigen, ob bei Patienten mit gutem Therapieansprechen eine weitere Reduzierung der Therapieintensität (und somit der Nebenwirkungen) möglich ist. Zahlreiche Behandlungseinrichtungen in ganz Deutschland und anderen europäischen Ländern nehmen an der Studie teil. **Wichtig:** *Die Aufnahme von Patienten in die Studie ist seit 15.08.2026 vorübergehend ausgesetzt. Neu erkrankte Patienten werden in das Register aufgenommen (*siehe oben*) und nach Standard behandelt.*

Anmerkung: Die Studien und das Register werden von der Studienzentrale an der Klinik für Kinder- und Jugendmedizin des Universitätsklinikums Frankfurt/Main betreut (Studienleitung: Prof. Dr. med. Jan-Henning Klusmann).

10. Prognose

Die Heilungschancen (Prognose) von Kindern und Jugendlichen mit akuter myeloischer Leukämie (AML) haben sich dank der großen Therapiefortschritte in den letzten vier Jahrzehnten deutlich verbessert. Die heute eingesetzten modernen Untersuchungsmethoden und intensiven, standardisierten Kombinationschemotherapien führen dazu, dass fünf Jahre nach der Diagnosestellung etwa 75-80 % der an AML erkrankten Kinder und Jugendlichen am Leben sind (5-Jahres-Überlebensraten).

Dies bedeutet allerdings auch, dass für etwa 20-25 % aller AML-Patienten eine Heilung heute noch nicht möglich ist. Der Hauptgrund dafür ist die hohe Zahl der Krankheitsrückfälle (Rezidive) nach zunächst erfolgreicher Behandlung: Fast ein Drittel aller AML-Patienten ist davon betroffen. Darüber hinaus gibt es Patienten, deren Erkrankung von Anfang an nicht oder nur unzureichend auf die Behandlung anspricht (etwa 10 %), also keine *Remission* eintritt. Die Ärzte bezeichnen dies als Therapieversagen.

Die Prognose für den einzelnen Patienten hängt in erster Linie davon ab, an welchem genetischen Subtyp der AML er erkrankt ist und wie gut die Krankheit auf die Behandlung anspricht: Patienten mit günstigen Leukämiezelleigenschaften und gutem Therapieansprechen können Heilungsraten von bis zu 90 % erreichen. Bei Patienten mit ungünstigen *Prognosefaktoren* dagegen kann die Heilungschance weit unter 70 % betragen, auch wenn eine intensivierte Therapie eingesetzt wird. Patienten mit Ersterkrankung einer akuten Promyelozytenleukämie (APL) haben aufgrund einer geringeren Rückfallwahrscheinlichkeit eine 10-Jahres-Überlebensrate von über 90 % und somit eine bessere Prognose als Patienten mit anderen AML-Subtypen.

Bei einem Krankheitsrückfall sind die Heilungsaussichten im Allgemeinen ungünstig, vor allem dann, wenn er sich zu einem frühen Zeitpunkt, das heißt, noch vor Ablauf eines Jahres nach Erreichen einer Erstremission, ereignet. Das Gleiche gilt für Patienten, die von Anfang an nicht auf die Therapie ansprechen. Bei diesen Patienten kann jedoch mit einer erneuten Chemotherapie (Rezidivtherapie) und anschließender *Stammzelltransplantation* noch eine Heilung erzielt werden. Der Behandlungserfolg für die Gesamtheit der Patienten mit AML-Rezidiv liegt derzeit bei etwa 40% (5-Jahres-Überleben). Im Rahmen der derzeitigen *Therapieoptimierungsstudie*n sowie zukünftiger Studien sollen die Heilungsaussichten auch für diese Patienten weiter verbessert werden.

Copyright 2026 www.kinderkrebsinfo.de

Anmerkung: Bei den genannten Heilungsraten handelt es sich um statistische Größen. Sie stellen nur für die Gesamtheit der an einer AML erkrankten Patienten eine wichtige und zutreffende Aussage dar. Ob der einzelne Patient geheilt werden kann oder nicht, lässt sich aus der Statistik nicht vorhersagen. Eine Leukämieerkrankung kann selbst unter günstigsten beziehungsweise ungünstigsten Voraussetzungen ganz unerwartet verlaufen.

Copyright 2026 www.kinderkrebsinfo.de

Literatur

[1] Arber DA, Orazi A, Hasserjian R, Thiele J, Borowitz MJ, Le Beau MM, Bloomfield CD, Cazzola M, Vardiman JW „, The 2016 revision to the World Health Organization classification of myeloid neoplasms and acute leukemia“ *Blood* 2016 May 19;127(20):2391-405, 27069254 [pubmed]

[2] Aydin S, Passera R, Scaldaferri M, Dellacasa CM, Poggiu M, Cattel F, Zallio F, Brunello L, Giaccone L, Dogliotti I, Busca A „, Sorafenib maintenance after hematopoietic stem cell transplantation improves outcome of FLT3-ITD-mutated acute myeloid leukemia.“ *International journal of hematology* 2022 Dec;116(6):883-891, 35943684 [pubmed]

[3] Belson M, Kingsley B, Holmes A „, Risk factors for acute leukemia in children: a review“ *Environmental health perspectives* 2007 Jan;115(1):138-45, 17366834 [pubmed]

[4] Creutzig U, Dworzak M, Reinhardt D „, Akute myeloische Leukämie (AML) im Kindes- und Jugendalter“ *Leitlinie der Gesellschaft für Pädiatrische Onkologie und Hämatologie* AWMF, https://register.awmf.org/assets/guidelines/025-031l_S1_Akute-myeloische-Leukaemie%E2%80%93AML%E2%80%93Kinder-Jugendliche_2019-09-abgelaufen.pdf [uri]

[5] Creutzig U, Reinhardt D „, Akute myeloische Leukämien, in Niemeyer CH, Eggert A (Hrsg.): Pädiatrische Hämatologie und Onkologie“ *Springer-Verlag GmbH Deutschland* 2018, 3540037020 [isbn]

[6] Creutzig U, Dworzak M, von Neuhoff N, Rasche M, Reinhardt D „, [Acute Promyelocytic Leukemia: New treatment strategies with ATRA and ATO - AML-BFM-Recommendations]“ *Klinische Padiatrie* 2018 Oct;230(6):299-304, 30399642 [pubmed]

[7] Creutzig U, Dworzak MN, Bochennek K, Faber J, Flotho C, Graf N, Kontny U, Rossig C, Schmid I, von Stackelberg A, Mueller JE, von Neuhoff C, Reinhardt D, von Neuhoff N „, First experience of the AML-Berlin-Frankfurt-Münster group in pediatric patients with standard-risk acute promyelocytic leukemia treated with arsenic trioxide and all-trans retinoid acid“ *Pediatric blood & cancer* 2017; Epub ahead of print, 28111878 [pubmed]

[8] Creutzig U ,Zimmermann M, Dworzak MN, Ritter J, Schellong G, Reinhardt D „, Development of a curative treatment within the AML-BFM studies“ *Klinische Padiatrie* 2013;225 Suppl 1:S79-86, 23700063 [pubmed]

[9] Kaspers GJ, Zimmermann M, Reinhardt D, Gibson BE, Tamminga RY, Aleinikova O, Armendariz H, Dworzak M, Ha SY, Hasle H, Hovi L, Maschan A, Bertrand Y, Leverger GG, Razzouk BI, Rizzari C, Smisek P, Smith O, Stark B, Creutzig U „, Improved Outcome in Pediatric Relapsed Acute Myeloid Leukemia: Results of a Randomized Trial on Liposomal Daunorubicin by the International BFM Study Group“ *J Clin Oncol* 2013;31(5):599-607, 23319696 [pubmed]

[10] von Neuhoff C, Reinhardt D, Sander A, Zimmermann M, Bradtke J, Betts DR, Zemanova Z, Stary J, Bourquin JP, Haas OA, Dworzak MN, Creutzig U „, Prognostic Impact of Specific Chromosomal Aberrations in a Large Group of Pediatric Patients With Acute Myeloid Leu-

Copyright 2026 www.kinderkrebsinfo.de

kemia Treated Uniformly According to Trial AML-BFM 98“ *Journal of clinical oncology* 2010; 28: 2682-9, 20439630 [pubmed]

[11] Niewerth D, Creutzig U, Bierings MB, Kaspers GJ „, A review on allogeneic stem cell transplantation for newly diagnosed pediatric acute myeloid leukemia“ *Blood* 2010;, 20538803 [pubmed]

[12] Rasche M, Zimmermann M, Steidel E, Alonzo T, Aplenc R, Bourquin JP, Boztug H, Cooper T, Gamis AS, Gerbing RB, Janotova I, Klusmann JH, Lehrnbecher T, Mühlegger N, Neuhoff NV, Niktoreh N, Sramkova L, Stary J, Waack K, Walter C, Creutzig U, Dworzak M, Kaspers G, Kolb EA, Reinhardt D „, Survival Following Relapse in Children with Acute Myeloid Leukemia: A Report from AML-BFM and COG.“ *Cancers* 2021 May 12;13(10), 34066095 [pubmed]

[13] Rasche M, Steidel E, Kondryn D, Von Neuhoff N, Sramkova L, Creutzig U, Dworzak M, Reinhardt D. „, Impact of a Risk-Adapted Treatment Approach in Pediatric AML: A Report of the AML-BFM Registry 2012“ *Blood* 2019, 134 (Supplement_1): 293, https://doi.org/10.1182/blood-2019-130969 [doi]

[14] Reinhardt D, Antoniou E, Waack K „, Pediatric Acute Myeloid Leukemia-Past, Present, and Future.“ *Journal of clinical medicine* 2022;11(3), 35159956 [pubmed]

[15] Reinhardt D, Von Neuhoff C, Sander A, Creutzig U „, [Genetic Prognostic Factors in Childhood Acute Myeloid Leukemia]“ *Klinische Padiatrie* 2012;224(6):372-6, 22821298 [pubmed]

[16] Ronckers CM, Spix C, Grabow D, Erdmann F. „, German Childhood Cancer Registry - Annual Report 2022 (1980-2021)“ *Institute of Medical Biostatistics, Epidemiology and Informatics (IMBEI) at the University Medical Center of the Johannes Gutenberg University Mainz* 2025, https://www.kinderkrebsregister.de/fileadmin/kliniken/dkkr/pdf/jb/jb2022/JB_2022_final.pdf [uri]

[17] Rossig C, Juergens H, Schrappe M, Moericke A, Henze G, von Stackelberg A, Reinhardt D, Burkhardt B, Woessmann W, Zimmermann M, Gadner H, Mann G, Schellong G, Mauz-Koerholz C, Dirksen U, Bielack S, Berthold F, Graf N, Rutkowski S, Calaminus G, Kaatsch P, Creutzig U „, Effective childhood cancer treatment: The impact of large scale clinical trials in Germany and Austria“ *Pediatric blood & cancer* 2013;60(10):1574-81, 23737479 [pubmed]

[18] Sander A, Zimmermann M, Dworzak M, Fleischhack G, von Neuhoff C, Reinhardt D, Kaspers GJ, Creutzig U „, Consequent and intensified relapse therapy improved survival in pediatric AML: results of relapse treatment in 379 patients of three consecutive AML-BFM trials“ *Leukemia* 2010, 20535146 [pubmed]

[19] Stanulla M, Erdmann F, Kratz CP „, Risikofaktoren für Krebserkrankungen im Kindes- und Jugendalter“ *Monatsschrift Kinderheilkunde 169, 30-38* 2021, 10.1007/s00112-020-01083-8 [doi]

[20] Uffmann M, Rasche M, Zimmermann M, von Neuhoff C, Creutzig U, Dworzak M, Scheffers L, Hasle H, Zwaan CM, Reinhardt D, Klusmann JH „, Therapy reduction in patients with

Copyright 2026 www.kinderkrebsinfo.de

Down syndrome and myeloid leukemia: the international ML-DS 2006 trial“ *Blood* 2017 Jun 22;129(25):3314-3321, 28400376 [pubmed]

[21] Zwaan MC, Reinhardt D, Hitzler J, Vyas P „, Acute leukemias in children with down syndrome“ *Pediatric clinics of North America* 2008;55(1):53-70, 18242315 [pubmed]

Copyright 2026 www.kinderkrebsinfo.de

Glossary

allogene Stammzelltransplantation	Übertragung von Stammzellen von einem Spender auf einen Empfänger; Voraussetzung für eine allogene Transplantation ist, dass die Gewebemerkmale von Spender und Empfänger weitestgehend übereinstimmen. Die Stammzellen werden aus dem Blut oder Knochenmark gewonnen.
ambulant	nicht-stationäre medizinische Versorgung: Der Patient bleibt für Diagnose- und/oder Behandlungsmaßnahmen nicht über Nacht in der medizinischen Einrichtung, sondern kann am selben Tag wieder nach Hause gehen.
Anämie	Blutarmut; Verminderung des roten Blutfarbstoffs (Hämoglobin) und/oder des Anteils der roten Blutkörperchen (Hämatokrit) im Blut unter den für ein bestimmtes Alter typischen Normwert. Zeichen einer Anämie sind z.B. Blässe, Kopfschmerzen, Schwindel, Schlappheitsgefühl.
Anamnese	Krankengeschichte, Entwicklung von Krankheitszeichen; im ärztlichen Anamnesegespräch mit dem Kranken werden Art, Beginn und Verlauf der (aktuellen) Beschwerden sowie eventuelle Risikofaktoren (z. B. Erbkrankheiten) erfragt.
Apoptose	programmierter Zelltod; Form des Zelltodes, der durch verschiedene Mechanismen in der Zelle durch diese selbst ausgelöst wird; dies kann auf natürliche Weise im Rahmen der Zellalterung geschehen, aber auch z. B. als Reaktion auf eine Zellschädigung (etwa durch Zytostatika, Strahlentherapie).
Bestrahlung	kontrollierte Anwendung ionisierender (hochenergetischer) Strahlen zur Behandlung von bösartigen Erkrankungen
Bloom-Syndrom	seltene erbliche Erkrankung, gekennzeichnet durch Wachstumsstörungen, Pigmentfehler, Lichtempfindlichkeit, Störungen der Fruchtbarkeit, verstärkte Infektanfälligkeit und erhöhtes Krebsrisiko (Leukämien und solide Tumoren); betroffene Patienten entwickeln bereits in den ersten zwei Lebensjahren mehrere, in der übrigen Bevölkerung selten auftretende Tumoren. Das Bloom-Syndrom zählt daher zu den Krebsprädispositionssyndromen.

Copyright 2026 www.kinderkrebsinfo.de

Blutbild	Blutanalyse zur Bestimmung der qualitativen und quantitativen Zusammensetzung des Blutes in einer Blutprobe: Untersucht werden u. a. die Zahl der roten und weißen Blutkörperchen sowie der Blutplättchen, der Hämoglobingehalt (Hb-Wert) des Blutes und der Volumenanteil der roten Blutkörperchen am Gesamtblut (Hämatokrit). Das "große Blutbild" beinhaltet zusätzlich ein so genanntes Differentialblutbild, bei dem speziell die weißen Blutzellen genauer auf ihre Zusammensetzung (prozentuale Anteile der verschiedenen Unterformen) und ihr Aussehen überprüft werden.
Blutgerinnung	phasenweises Erstarren des flüssigen Blutes; eine intakte Blutgerinnung ist z. B. wichtig bei der Blutstillung und Wundheilung während bzw. nach Operationen. Der Vorgang der Blutgerinnung ist vom Gleichgewicht vieler verschiedener Faktoren (Gerinnungsfaktoren, Thrombozytenfaktoren) abhängig. Eine herabgesetzte Blutgerinnung führt zu erhöhter Blutungsneigung und/oder verlängerter Blutungszeit (z. B. nach einer Verletzung). Eine erhöhte Blutgerinnung kann z. B. Thrombosen verursachen.
Blutgruppe	erbliche, meist stabile, auf den Zellwänden von Blut- und anderen Gewebezellen befindlichen Struktureigenschaften (Blutgruppenantigene) von Blutbestandteilen (z. B. ABNull-Blutgruppen);
Blutstammzellen	Vorläuferzellen aller Blutzellen; aus ihnen entstehen die roten Blutkörperchen (Erythrozyten), die weißen Blutkörperchen (Leukozyten) sowie die Blutplättchen (Thrombozyten) und einige andere Zellen. Dieser Prozess wird als Blutbildung bezeichnet. Die verschiedenen Blutzellen werden im Knochenmark gebildet und von dort teilweise ins Blut ausgeschwemmt.
Bluttransfusion	Übertragung von Blut (Vollblut) oder Blutbestandteilen (z. B. Erythrozytenkonzentrat, Thrombozytenkonzentrat) von einem Spender auf einen Empfänger;
Chemotherapie	hier: Einsatz von Medikamenten (Chemotherapeutika, Zytostatika) zur spezifischen Hemmung von Tumorzellen im Organismus;
Chromosomen	Träger des Erbgutes, d. h. der genetischen Information einer Zelle; Chromosomen bestehen vor allem aus DNA und Eiweißen und sind Bestandteile des Zellkerns. Gestalt und Zahl der Chromosomen sind artspezifisch. Der Mensch besitzt pro Körperzelle 46 Chromosomen (23 Chromosomenpaare).

Copyright 2026 www.kinderkrebsinfo.de

Computertomographie	bildgebendes, röntgendiagnostisches Verfahren; es erzeugt durch die computergesteuerte Auswertung einer Vielzahl von Röntgenaufnahmen aus verschiedenen Richtungen ein Bild. Dadurch können Schichtaufnahmen von Körperteilen (Tomogramme, Quer- oder Längsschnitte des menschlichen Körpers) hergestellt werden.
Down-Syndrom	angeborene Erkrankung, die mit einer Fehlentwicklung von Geweben und Organen, einer individuell unterschiedlich ausgeprägten geistigen Behinderung, Minderwuchs und Fehlbildungen im Gesichtsbereich einhergeht. Patienten mit Down-Syndrom haben außerdem ein erhöhtes Risiko, an Krebs, besonders an Leukämien zu erkranken. Ursache des Down-Syndroms ist eine Chromosomenveränderung: Chromosom 21 liegt in jeder Körperzelle dreifach statt zweifach vor. Dies führt dazu, dass Gewebe und Organe langsamer wachsen, unreif bleiben, schneller altern und Fehlbildungen aufweisen.
Echokardiographie	Ultraschalluntersuchung des Herzens zur Überprüfung seiner Leistungsfähigkeit (Herzfunktion); untersucht und beurteilt werden u.a. die Lage bzw. Struktur der Herzklappen und -wände, die Wanddicke des Herzmuskels, die Größe des Herzens und das ausgeworfene Blutvolumen (Pumpfunktion des Herzens).
Elektroenzephalographie	Methode zur Registrierung der elektrischen Gehirnaktivität; das Elektroenzephalogramm (ebenfalls EEG abgekürzt) ist die graphische Darstellung dieser elektrischen Gehirnaktivität. Durch seine Auswertung lassen sich Hinweise auf Funktionsstörungen des Gehirns gewinnen.
Elektrokardiographie	Methode zur Registrierung der elektrischen Herzaktivität
Erythrozyten	rote Blutkörperchen, die häufigsten Zellen im Blut; sie dienen vor allem dem Sauerstoff-Transport im Organismus; Erythrozyten werden im Knochenmark gebildet (Erythropoese). Für die Bindung und den Transport des in der Lunge aufgenommenen Sauerstoffs ist der rote Blutfarbstoff (Hämoglobin) im Inneren der Erythrozyten verantwortlich. Sind rote Blutkörperchen nicht in ausreichender Menge vorhanden oder, aus Mangel an Hämoglobin, nicht funktionstüchtig, spricht man von einer Anämie, einer Blutarmut.

Copyright 2026 www.kinderkrebsinfo.de

Fanconi-Anämie	erbliche Blutbildungsstörung; sie ist u. a. gekennzeichnet durch eine fortschreitende Funktionsstörung des Knochenmarks, die zu einer verminderten Bildung von Blutzellen führt (Knochenmarkinsuffizienz), sowie durch chronische Anämie und ein hohes Krebsrisiko (v. a. für akute myeloische Leukämien). Zu den weiteren Begleiterscheinungen gehören Skelettfehlbildungen (z.B. Kleinwuchs, Fehlbildungen der Daumen und Arme). Die Fanconi-Anämie zählt zu den Krebsprädispositionssyndromen. Auf zellulärer Ebene zeigt sich eine erhöhte Chromosomenbrüchigkeit; diese führt zu Chromosomenveränderungen und, damit einhergehend, zu Störungen der Zellzykluskontrolle.
Gehirn	der im Kopf gelegene Teil des Zentralnervensystems (ZNS); das Gehirn liegt geschützt in der Schädelhöhle, wird umhüllt von den Hirnhäuten und besteht hauptsächlich aus Nervengewebe.
Gen	Einheit der Erbinformation im Erbgut der Lebewesen; ein Gen enthält die genetische Information – den Bauplan – für ein bestimmtes Genprodukt (Eiweiß oder RNA). In den meisten Organismen liegt die Gesamtheit aller Gene, das Genom, als Desoxyribonukleinsäurekette (DNS; engl: DNA) vor, die im Zellkern die Chromosomen bildet. Die Information eines Gens wird durch eine bestimmte Reihenfolge der Nukleinsäure-Bausteine Adenin, Guanin, Cytosin und Thymin vermittelt.
genetisch	die (Ebene der) Vererbung bzw. Gene betreffend; vererbt
Granulozyten	Untergruppe der weißen Blutkörperchen (Leukozyten); sie sind vor allem für die Abwehr von Bakterien und anderen Krankheitserregern (wie Viren, Parasiten und Pilze) zuständig; Granulozyten sind auch an allergischen und entzündlichen Reaktionen sowie an der Eiterbildung beteiligt. Die Granulozyten machen ca. 60 –70 % der Leukozyten im Blut aus. Aufgrund ihrer unterschiedlich anfärbbaren Körnchen (Granula) und ihrer unterschiedlichen Aufgaben werden sie in drei Unterformen eingeteilt: neutrophile (90%), eosinophile (2 – 4 %) und basophile Granulozyten (bis 1 %). Die neutrophilen Granulozyten (kurz: Neutrophile) spielen die wichtigste Rolle bei der Infektabwehr.
Hirnhäute	Bindegewebsschichten, die das Gehirn schützend umhüllen; an die drei Hirnhäute schließt sich nach außen der Schädelknochen an. Im Bereich des Rückenmarks gehen die Hirnhäute in die

Copyright 2026 www.kinderkrebsinfo.de

	ebenfalls dreischichtige Rückenmarkshaut über, die den Rest des Zentralnervensystems umgibt.
Hochdosis-Chemotherapie	Einsatz einer besonders hohen Dosis zellwachstumshemmender Medikamente (Zytostatika); bei einer Krebserkrankung zielt sie darauf ab, sämtliche bösartigen Zellen zu vernichten. Da dabei auch das blutbildende System im Knochenmark zerstört wird, müssen im Anschluss eigene oder fremde Blutstammzellen übertragen werden (autologe bzw. allogene Stammzelltransplantation).
Hyperleukozytose	ausgeprägte Leukozytose, d. h. stark erhöhte Anzahl weißer Blutkörperchen (Leukozyten) im Blut im Vergleich zur altersentsprechenden Norm (über 100.000 gegenüber normalerweise 5.000 bis 8.000 Leukozyten pro Mikroliter Blut)
Immundefekt	angeborene oder erworbene Störung des Immunsystems, die eine Schwächung der körpereigenen Immunantwort zur Folge hat; dies führt dazu, dass Krankheitserreger und folglich Infekte nicht ausreichend oder adäquat abgewehrt werden können.
immunologisch	Struktur und Funktion des körpereigenen Abwehrsystems (Immunsystem) betreffend; beinhaltet die Erkennungs- und Abwehrmechanismen eines Organismus für körperfremde und körpereigene Substanzen und Gewebe
Infektion	Eindringen kleinster Organismen (z. B. Bakterien, Viren, Pilze) in den Körper und anschließende Vermehrung in diesem. Je nach Eigenschaften der Mikroorganismen und der Abwehrlage des Infizierten kann es nach Infektionen zu verschiedenen Infektionskrankheiten kommen.
intrathekale Chemotherapie	Verabreichung von zellwachstumshemmenden Medikamenten (Zytostatika) in den Nervenwasserkanal (Liquorraum), der die Gehirn-Rückenmark-Flüssigkeit enthält.
Knochenmark	Ort der Blutbildung; schwammartiges, stark durchblutetes Gewebe, das die Hohlräume im Innern vieler Knochen (z. B. Wirbelkörper, Becken- und Oberschenkelknochen, Rippen, Brustbein, Schulterblatt und Schlüsselbein) ausfüllt. Im Knochenmark entwickeln sich aus Blutvorläuferzellen (Blutstammzellen) alle Formen von Blutzellen.

Copyright 2026 www.kinderkrebsinfo.de

Knochenmarkpunktion	Entnahme von Knochenmarkgewebe zur Untersuchung der Zellen; bei der Punktion werden mit Hilfe einer dünnen Hohlnadel wenige Milliliter flüssiges Knochenmark aus Beckenknochen oder Brustbein in eine Spritze gezogen. Die Punktion erfolgt bei größeren Kindern unter örtlicher Betäubung; eventuell wird zusätzlich ein Beruhigungsmittel verabreicht (Sedierung). Bei kleineren Kindern kann unter Umständen eine kurze Narkose zweckmäßig sein.
körperliche Untersuchung	wichtiger Bestandteil diagnostischer Untersuchungen; beinhaltet u. a. das Abtasten und Abhören bestimmter Körperorgane sowie das Testen von Reflexen, um Hinweise auf die Art bzw. den Verlauf einer Erkrankung zu erhalten.
Krebsprädispositionssyndrom	genetische Erkrankungen, die neben einem erhöhten Tumorrisiko Fehlbildungen und geistige Behinderung umfassen können; nach aktuellen Erkenntnissen entstehen etwa 10 % der Krebserkrankungen im Kindes- und Jugendalter aufgrund einer bekannten erblichen Veränderung bzw. auf der Grundlage eines Krebsprädispositionssyndroms. Zu den Krebsprädispositionssyndromen zählen u. a. das Louis-Bar-Syndrom (= Ataxia teleangiectatica), das Beckwith-Wiedemann-Syndrom, das Down-Syndrom, das Hippel-Lindau-Syndrom, das Li-Fraumeni-Syndrom, das MEN-Syndrom, die Neurofibromatose und das WAGR-Syndrom. Auch die familiäre Form des Retinoblastoms gehört dazu.
Leukämie	bösartige Erkrankung des blutbildenden Systems und häufigste Krebserkrankung bei Kindern und Jugendlichen (mit ca. 33%); je nach Herkunft der bösartigen Zellen unterscheidet man lymphoblastische und myeloische Leukämien. Abhängig vom Krankheitsverlauf (schnell oder langsam) werden akute und chronische Leukämien unterschieden.
Leukozyten	weiße Blutkörperchen; sie dienen, als Zellen des Immunsystems, der Abwehr von Krankheitserregern und der Bekämpfung von Infektionen. Außerdem beseitigen sie die durch den Zerfall von Körperzellen anfallenden Zelltrümmer. Zu den Leukozyten gehören die Granulozyten (mit 60 – 70 %), die Lymphozyten (20 – 30 %) und die Monozyten (2 – 6 %). Leukozyten werden hauptsächlich im Knochenmark gebildet. Dieser Vorgang wird Leukopoese genannt.

Copyright 2026 www.kinderkrebsinfo.de

Lumbalpunktion	Einstich in den Wirbelkanal im Bereich der Lendenwirbelsäule, z. B. zur Entnahme von Gehirn-Rückenmark-Flüssigkeit (Liquor) oder zwecks Verabreichung von Medikamenten (so genannte intrathekale Behandlung); bei einer Krebserkrankung kann eine Entnahme und Untersuchung von Liquor dem Nachweis bösartiger Zellen dienen; bei erhöhtem Hirndruck aufgrund eines ZNS-Tumors dient die Liquorentnahme ggf. auch einer Druckentlastung.
lymphatisches System	Sammelbegriff für Lymphgefäße, Lymphgefäßstämme, Lymphknoten, lymphatische Gewebe (Lymphozyten in Bindegewebe, Schleimhäuten, Drüsen) und lymphatische Organe (Milz, Rachenmandeln, Knochenmark, Thymusdrüse)
Lymphknoten	kleine linsen- bis bohnenförmige Organe, die zum körpereigenen Abwehrsystem gehören und sich an vielen Stellen des Körpers befinden; sie dienen als Filterstationen für das Gewebewasser (Lymphe) einer Körperregion und enthalten Zellen des Immunsystems.
Lymphozyten	Untergruppe der weißen Blutkörperchen, die für die körpereigene Abwehr, insbesondere die Abwehr von Viren, zuständig sind; es gibt B- und T-Lymphozyten. Sie werden im Knochenmark gebildet, reifen aber z. T. erst im lymphatischen Gewebe (z. B. Lymphknoten, Milz, Thymusdrüse) zu voller Funktionsfähigkeit heran. Über die Lymphbahnen gelangen sie schließlich ins Blut, wo sie ihre jeweiligen Aufgaben übernehmen.
Magnetresonanztomographie	bildgebendes Verfahren; sehr genaue, strahlenfreie Untersuchungsmethode zur Darstellung von Strukturen im Inneren des Körpers; mit Hilfe magnetischer Felder werden Schnittbilder des Körpers erzeugt, die meist eine sehr gute Beurteilung der Organe und vieler Organveränderungen ermöglichen.
molekular	die Ebene der Moleküle betreffend
molekulargenetisch	Struktur, Bildung, Entwicklung, Funktion und Wechselwirkungen von Zellen und Zellbausteinen (z. B. Nukleinsäuren, Proteine) auf molekularer Ebene betreffend; im Mittelpunkt stehen die Analyse der in den Nukleinsäuren (DNA und RNA) gespeicherten Erbinformation und deren Verarbeitung im Rahmen der Proteinsynthese sowie die Genregulation.

Copyright 2026 www.kinderkrebsinfo.de

Monosomie 7	angeborene Erkrankung, die mit einem erhöhten Risiko für die Entwicklung einer akuten myeloischen Leukämie (AML) verbunden ist; Ursache der Erkrankung ist eine Erbgutveränderung (Genommutation), bei der das Chromosom 7 aufgrund eines Chromosomenverlusts nur einfach anstatt wie sonst üblich doppelt vorhanden ist.
Monozyten	Unterform der weißen Blutzellen (Leukozyten); nach ihrer Ausreifung im Knochenmark zirkulieren sie zunächst ein bis zwei Tage im Blut und dienen dort der Immunabwehr. Anschließend wandern sie in verschiedene Gewebe ein und entwickeln sich dort zu ortsständigen, gewebetypischen Makrophagen („große Fresszellen“) weiter.
Mutation	Veränderung des genetischen Materials; sie kann ohne erkennbare äußere Ursache entstehen (so genannte Spontanmutation) oder durch äußere Einflüsse hervorgerufen werden (induzierte Mutation). Zu den äußeren Einflüssen zählen z. B. ionisierende Strahlen oder bestimmte chemische Substanzen (Mutagene). Sind Körperzellen betroffen, spricht man von einer somatischen Mutation, sind Keimzellen betroffen, von einer generativen Mutation. Somatische Mutationen sind nicht vererbbar, während generative Mutationen zu erblichen Schädigungen des Genträgers führen können. Je nach Ausmaß der Veränderung (einzelne oder mehrere Gene, größere Chromosomenabschnitte oder komplette Chromosomen) unterscheidet man Punkt- und Blockmutationen sowie numerische und strukturelle Chromosomenaberrationen.
Neurofibromatose	erbliche Erkrankung, die zu Tumoren der Nervenscheiden, der Hirnhäute und der Glia (dem "Bindegewebe" des Nervensystems) führt. Klinisch und molekulargenetisch lassen sich zwei Formen der Neurofibromatose unterscheiden, die durch unterschiedliche genetische Defekte hervorgerufen werden: 1. Die periphere Neurofibromatose (NF1, auch Recklinghausen-Krankheit): Diese ist durch so genannte Cafe-au-lait-Flecken auf der Haut und eine Veranlagung für verschiedene Tumoren gekennzeichnet (u. a. Neurofibrome, Gliome des Sehnervs, Irishamartome sowie Astrozytome und Phäochromozytome). 2. Die zentrale Neurofibromatose (NF2): Sie ist durch meist (beidseitige) Neurinome des Hörnervs (Acusticus) charakterisiert, die zu Taubheit, Gesichtslähmungen und geistigen Störungen führen können. Ebenso besteht ein erhöhtes Risiko für Tumoren (u. a. Astrozytome, spinale Epen-

Copyright 2026 www.kinderkrebsinfo.de

	dymome). Die Neurofibromatose gehört zu den so genannten Phakomatosen.
Neutropenie	verminderte Zahl der (neutrophilen) Granulozyten im Blut; da Granulozyten für die Immunabwehr wichtig sind, kommt es bei Patienten mit Neutropenie (Granulozytopenie) leicht zu Infektionen. Die schwerste Form der Neutropenie ist die Agranulozytose, der (nahezu) vollständige Mangel an Granulozyten im Blut. Die Neutropenie ist die häufigste Form der Leukopenie (Leukozytopenie).
Prognose	Vorhersage, Voraussicht auf den Krankheitsverlauf, Heilungsaussicht
Prognosefaktoren	Faktoren, die eine ungefähre Einschätzung des weiteren Krankheitsverlaufs (d. h. der Prognose) erlauben;
radioaktive Strahlung	Strahlung, die durch den Zerfall (Kernzerfall) radioaktiver Substanzen entsteht. Es handelt sich um Substanzen mit instabilen Atomkernen, die sich spontan unter Abgabe von Energie umwandeln. Die frei werdende Energie wird als ionisierende Strahlung (energiereiche Teilchen und/oder Gammastrahlung) abgegeben.
Remission	vorübergehende oder dauerhafte Abnahme oder Verschwinden der Krankheitszeichen der Krebserkrankung.
Röntgenstrahlung	energiereiche, elektromagnetische Strahlung, entdeckt von W. C. Röntgen 1895; Röntgenstrahlung kann Materie zum Teil durchdringen, so dass u. a. Einblicke in das Innere des menschlichen Körpers möglich werden. Da Röntgenstrahlen ionisierend wirken (ionisierende Strahlen), können sie auch Materie verändern, also z. B. Zellen schädigen und ggf. Krebs verursachen. Röntgenstrahlen haben eine höhere Energie als UV-Strahlen; sie entstehen durch hochenergetische Elektronenprozesse, die technisch z. B. in Röntgenröhren erzeugt werden. In der Diagnostik werden Röntgenstrahlen zur Untersuchung von bestimmten Körperregionen eingesetzt. Je nach Art des durchstrahlten Gewebes wird die Strahlung unterschiedlich stark abgefangen (absorbiert) und auf einer Filmplatte als zweidimensionales Bild dargestellt. Da jede Röntgenuntersuchung mit einer gewissen Strahlenbelastung verbunden ist, müssen besonders empfindliche Körperteile (wie Keimdrüsen) geschützt werden. Im Rahmen der Röntgentherapie (z. B. Strahlentherapie) wird sehr energiereiche Röntgenstrahlung genutzt, um Tumorzellen abzutöten.

Copyright 2026 www.kinderkrebsinfo.de

Röntgenuntersuchung	bildgebendes Verfahren, das durch Anwendung von Röntgenstrahlen Organe bzw. Organteile sichtbar macht.
Rückenmark	Teil des Zentralnervensystems; seine Hauptaufgabe ist die Nachrichtenvermittlung zwischen Gehirn und anderen Körperorganen. Das Rückenmark wird von den drei Rückenmarkshäuten und dem knöchernen Wirbelkanal schützend umhüllt.
Stammzellen	hier: unreife (undifferenzierte) und unbegrenzt teilungsfähige Körperzellen, die entweder weitere Stammzellen hervorbringen oder zu verschiedenen Zell- / Gewebetypen ausreifen können (Differenzierung). Stammzellen sind das Ausgangsmaterial der embryonalen Organentwicklung und aller regenerationsfähigen Gewebe des Erwachsenen (z. B. Haut, Schleimhäute, blutbildende Zellen des Knochenmarks).
Stammzelltransplantation	Übertragung blutbildender (hämatopoetischer) Stammzellen nach vorbereitender Chemotherapie, Bestrahlung oder Immunsuppression des Empfängers; die Stammzellen können entweder aus dem Knochenmark oder aus der Blutbahn gewonnen werden. Im ersten Fall nennt man das Verfahren ihrer Übertragung Knochenmarktransplantation, im zweiten Fall periphere Stammzelltransplantation. Nach Art des Spenders unterscheidet man zwei Formen der SZT: die allogene SZT (Stammzellen von einem Fremdspender) und die autologe SZT (eigene Stammzellen).
Strahlentherapie	kontrollierte Anwendung ionisierender (hochenergetischer) Strahlen zur Behandlung von bösartigen Erkrankungen
Supportivtherapie	unterstützende Behandlungsmaßnahmen zur Vorbeugung, Linderung oder Behandlung krankheits- und/oder behandlungsbedingter Nebenwirkungen oder Komplikationen; die Supportivtherapie dient der Verbesserung der Lebensqualität des Patienten.
Symptom	Krankheitszeichen
Therapieoptimierungsstudie	kontrollierte klinische Studie, die der optimalen Behandlung der Patienten dient und gleichzeitig die Behandlungsmöglichkeiten verbessern und weiterentwickeln soll; die Therapieoptimierung ist dabei nicht nur auf eine Verbesserung der Heilungsaussichten, sondern auch auf eine Begrenzung behandlungsbedingter Nebenwirkungen und Spätfolgen ausgerichtet.

Copyright 2026 www.kinderkrebsinfo.de

Thrombozyten	Blutzellen, die für die Blutstillung verantwortlich sind; sie sorgen dafür, dass bei einer Verletzung die Wände der Blutgefäße innerhalb kürzester Zeit abgedichtet werden und somit die Blutung zum Stillstand kommt.
Tumorlyse-Syndrom	Stoffwechselveränderung infolge von Zellzerfall von Tumoren mit meist großer Masse oder Zellzahl nach einer Chemotherapie; sie äußert sich durch eine erhöhte Harnsäure-, Kalium- und Phosphatkonzentration sowie einen Abfall der Calciumkonzentration im Serum und kann ein akutes Nierenversagen zur Folge haben.
Tyrosinkinase	Enzyme aus der Familie der Proteinkinasen; sie leisten einen wichtigen Beitrag bei der Übertragung von Signalen innerhalb der Zelle und sind wichtig für die embryonale Entwicklung sowie die Regeneration und Instandhaltung von Geweben. Funktionsstörungen können u. a. bei der Krebsentstehung eine Rolle spielen. Die Aufgabe der Tyrosinkinasen ist – auf chemischer Ebene – die Übertragung einer Phosphatgruppe auf die Aminosäure Tyrosin eines anderen Proteins; das Zielprotein wird dadurch in seiner Aktivität beträchtlich beeinflusst.
Ultraschall	bildgebendes Verfahren zur Untersuchung von Organen; es werden dabei Ultraschallwellen durch die Haut in den Körper eingestrahlt; an Gewebs- und Organgrenzen werden die Schallwellen zurückgeworfen (reflektiert), von einem Empfänger (Schallkopf) aufgenommen und mit Hilfe eines Computers in entsprechende Bilder umgewandelt.
Viren	infektiöse Partikel, die keinen eigenen Stoffwechsel haben und daher für ihre Vermehrung auf Wirtszellen angewiesen sind; auf diese wirken sie häufig krankheitserregend.
WHO-Klassifikation	von der Weltgesundheitsorganisation (WHO) erarbeitete internationale Standards zur Einteilung (Klassifikation), Diagnose und differenzierten Unterscheidung verschiedener (bösartiger) Erkrankungen
Zelle	kleinste Bau- und Funktionseinheit von Organismen mit der Fähigkeit zu Stoffwechselleistungen, Reizbeantwortung, unwillkürlicher Muskelbewegung und Vermehrung; jede Zelle enthält einen Zellkern und einen Zellkörper (Zytoplasma) und ist äußerlich begrenzt durch die Zellmembran.

Copyright 2026 www.kinderkrebsinfo.de

Zentralnervensystem	umfasst Gehirn und Rückenmark und wird vom so genannten peripheren Nervensystem abgegrenzt; als zentrales Integrations-, Koordinations- und Regulationsorgan dient es der Verarbeitung von äußeren Sinneseindrücken sowie von Reizen, die vom Organismus selbst produziert werden.
zytogenetisch	Zahl und Aufbau der im Zellkern enthaltenen Chromosomen betreffend
zytomorphologisch	Form und Bau der Zellen (unter dem Mikroskop) betreffend; die Zytomorphologie ist die Lehre vom Bau und von der Gestalt der Zellen.
zytoreduktiv	zyt-: Wortteil mit der Bedeutung Zelle; reduktiv bedeutet verringernd; die Zellzahl verringernd
Zytostatika	zellwachstumshemmende Medikamente; Zytostatika können auf den Stoffwechsel verschiedenartiger Zellen einwirken und diese dadurch vernichten und/oder deren Vermehrung verhindern. Betroffen sind insbesondere Zellen, die sich häufig teilen.

Copyright 2026 www.kinderkrebsinfo.de