

# Institut für seltene Erkrankungen in der Hämatologie

Leitung: Univ. Prof. Dr. Paul Knöbl

Medizinische Universität Wien, 1090 Wien,  
Lazarettgasse 25/1. Stock  
E-Mail: paul.knoebl@meduniwien.ac.at

## Schwerpunkte

ATMAR (Austrian Thrombotic MicroAngiopathy Registry): Es laufen Vorarbeiten zur Umsetzung eines österreichweiten Registers zur Erfassung von Patienten mit thrombotischen Mikroangiopathien. Der Projektplan wurde erstellt und von der Ethikkommission der Medizinischen Universität Wien befürwortet. Das Design der Datenbank wurde erstellt und wird nun umgesetzt. Auch die Etablierung der Biobank ist in Arbeit.

SAHARA (Structured Acquired Hemophilia A Registry Austria): Der Projektplan wurde erstellt, die administrativen Arbeiten zur Umsetzung laufen.

### Neue Projekte:

Fundraising Veranstaltung „Race Around Austria“: Zur Unterstützung der wissenschaftlichen Forschung auf dem Gebiet der Amyloidose wurde von einem betroffenen Patienten eine sehr erfolgreiche Aktion initiiert, durch die Spendengelder akquiriert werden konnten. Dadurch werden folgende Projekte finanziert:

- Amyloidose-Studie: Eine retrospektive multizentrische Beobachtungsstudie zur Erhebung realer Gesundheitsdaten über Patienten mit systemischer AL-Amyloidose in Europa.
- Ein österreichisches Myelom-Register soll flächendeckend in Österreich Patienten mit multiplem Myelom (MM), deren Diagnose, Behandlung, Ansprechen, Krankheitsverlauf und Mortalität dokumentieren und damit die Qualitätskontrolle in Diagnostik und Therapie fördern.
- Biobank Paraproteinämien: Paraproteinämien betreffen einen substantiellen Anteil der Bevölkerung; oftmals wird die Erkrankung behandlungswürdig. Obwohl einige prognostisch relevante Biomarker definiert sind, gibt es kaum prädiktive Marker, die für Diagnose, Behandlung und Prognose wertvoll sind. Um retrospektive, cross-sektionelle und prospektive Analysen potentieller neuer relevanter Biomarker durchzuführen, soll nunmehr eine Biobank aufgebaut werden. In deren Rahmen sollen Proben in zeitlich genau definierten Abständen gesammelt, aufbereitet und aufbewahrt werden.

*„Koordinierte Initiativen  
zum besseren  
Verständnis  
seltener Blut-  
erkrankungen“*



## Zusammenarbeit

Medizinische Universität Wien, Klinik für Innere Medizin 1;  
Medizinische Universität Wien, Klinik für Labormedizin; Pharma-  
zeutische Industrie, Firmen Novo-Nordisk, Roche, Technoclone  
und Ablynx/Sanofi; G&N LebensART – Ihr Rahmenmacher, Fr.  
Mag. Karin Graser

## Publikationen

- Intensiv News 2020: P. Knöbl. Neue Expertenempfehlungen zur intensivmedizinischen Therapie der thrombotisch-thrombopenischen Purpura
- Nephro Script 2020: P. Knöbl. Caplacizumab – ein HERCULES in der Therapie der thrombotisch-thrombopenischen Purpura?