



# 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



„Koordinierte  
Initiativen zum  
besseren Verständnis  
seltener  
Bluterkrankungen“

## Schwerpunkte

### Status der laufenden Projekte:

- **ATMAR (Austrian Thrombotic MicroAngiopathy Registry):** Projektplan wurde erstellt und von der Ethikkommission der MedUni Wien befürwortet. Biobank wurde etabliert. Laufend werden weitere Pat. rekrutiert. Projekte zur Auswertung laufen und wurden publiziert.
- **SAHARA (Structured Acquired Hemophilia A Registry Austria):** Projektplan wurde erstellt, die administrativen Arbeiten zur Umsetzung laufen.
- **Amyloidose-Studie:** Retrospektive multizentrische Beobachtungsstudie zur Erhebung realer Gesundheitsdaten über Patienten mit systemischer AL-Amyloidose in Europa. Nationale Kooperation: Aufbau des österr. Amyloidose-Registers: AiDA (Austrian InterDisciplinary Amyloidosis) Registry; Internationale Kooperation: Universitätsklinikum Heidelberg und Universitätsklinikum Essen: Verlauf der Patienten mit AL Amyloidose im Stadium MAYO IIIB unter Therapie mit Daratumumab.
- Ein **österreichisches Myelom-Register** soll flächendeckend Patienten mit multiplem Myelom (MM), deren Diagnose, Behandlung, Ansprechen, Krankheitsverlauf und Mortalität dokumentieren und damit die Qualitätskontrolle in Diagnostik und Therapie fördern.
- **Biobank Paraproteinämien:** 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 potenzieller neuer relevanter Biomarker durchzuführen, soll eine Biobank aufgebaut werden. Proben sollen in zeitlich genau definierten Abständen gesammelt, aufbereitet und aufbewahrt werden.
- **Clotting-Guide: Erstellung einer App und Website:** App, die zur Aus- und Fortbildung von Medizinstudierenden, Ärzten und sonstigem Personal im medizinischen Umfeld dienen soll. Clotting Guide geht von fiktiven Patienten aus, die eine klinisch

auffällige Neigung zu Blutungen haben (z. B. Neigung zu Hämatomen, postoperativen Nachblutungen, auffälligen Schleimhautblutungen, etc.) und führt durch die vorhandenen Gerinnungslaborbefunde zu einer wahrscheinlichen Diagnose. Die App ist hilfreich bei der Interpretation abnormer Gerinnungsbefunde und ist über Apple und Google App Stores gratis abrufbar. Außerdem wurde die Companion Website erstellt ([www.clotting-guide.online](http://www.clotting-guide.online)) und wird regelmäßig gewartet.

## Kooperationen

Med.Univ. Wien, Klinik f. Innere Med. 1; Med.Univ.Wien, Klinik f. Labormedizin; Univ. Klinik f. Klinische Pharmakologie; Univ. Klinik f. Notfallmedizin; Univ. Klinik für Blutgruppenserologie und Transfusionsmedizin; Pharmazeutische Industrie (Novo-Nordisk, Roche, Technoclone, Takeda, Sanofi/Ablynx); G&N LebensART – Ihr Rahmenmacher, Mag. Karin Graser; All About Apps; CPure  
**Internationale Vernetzungen:** Gesellschaft für Thrombose- und Hämostaseforschung; International Society on Thrombosis and Hemostasis, dem Inselspital Bern; Medizinische Hochschule Hannover; Universitätskliniken Heidelberg, Essen, Köln

## Referate

- ASH 2023, San Diego: Poster: Management of Immune Thrombotic Thrombocytopenic Purpura without Therapeutic Plasma Exchange: Analysis of Efficacy and Safety Data by Lucas Kühne, Paul Knöbl, Kathrin Eller, Paul T. Brinkkötter, Linus A. Völker

## Publikationen

- Emicizumab for the Treatment of Acquired Hemophilia A: Consensus Recommendations from the GTH-AHA Working Group. Pfrepper C, et al. Hamostaseologie. 2023 Dec 4. doi: 10.1055/a-2197-9738.

Alle Referate und Publikationen  
finden Sie auf unserer [Website](#):

