

## Editorial commentaar bij het artikel 'Nieuwe behandeling van sikkelcelziekte bij kinderen' in deze uitgave van het Nederlands Tijdschrift voor Hematologie.

In deze uitgave geven Peters en Heijboer een overzicht van de nieuwe ontwikkelingen in de behandeling en follow-up van kinderen met sikkelcelziekte.<sup>1</sup> In Nederland neemt deze patiëntengroep toe in grootte. Hoewel de overleving van deze kinderen sterk verbeterd is, is de mediane overleving toch slechts circa 40 jaar.<sup>2</sup> Zorgvuldige follow-up, zoals beschreven door Peters en Heijboer, toont aan dat circa 10% van de kinderen een klinisch manifest en zelfs 20-30% van de kinderen een asymptomatisch herseninfarct zal ontwikkelen. Bij afwezigheid van effectieve methoden van gentransfer, is allogene stamceltransplantatie momenteel de enige in potentie curatieve behandeling voor patiënten met sikkelcelziekte. Veelbelovende nieuwe ontwikkelingen op het gebied van stamceltransplantatie, zoals 'reduced-intensity conditioning', kunnen van belang zijn voor de behandeling van kinderen met niet-maligne ziekten zoals sikkelcelziekte. De langetermijntoxiciteit van deze behandeling is wellicht minder dan na 'klassieke' conditionering. In het algemeen zijn complicaties als 'graft versus host'-ziekte, orgaanschade en afstoting geringer bij patiënten met minder preëxistente toxiciteit en minder transfusies voorafgaand aan een stamceltransplantatie. Indien kinderen met sikkelcelziekte met een verhoogde kans op falen van conservatieve therapie vroegtijdig geïdentificeerd kunnen worden, kan in deze groep de rol van stamceltransplantatie in een vroeg, en dus relatief veilig, stadium van de ziekte onderzocht worden. De uitdaging voor de komende jaren zal zijn om technieken te ontwikkelen en implementeren zodat deze groep patiënten vroeg geïdentificeerd wordt.

*Prof. dr. P.M. Hoogerbrugge, kinderhemato-oncoloog  
Namens de hoofdredactie*

### Referenties

1. Peters M en Heijboer H. Nieuwe behandeling van sikkelcelziekte bij kinderen. *Ned Tijdschr Hematol* 2004;1(4):156-162.
2. Yeager AM. *Blood Therapies. Medicine* 2004;2:40-7.