

Exagamglogen (Sichelzellkrankheit bei Patientinnen und Patienten ≥ 12 Jahre)

Bewertung gemäß § 35a SGB V

A horizontal bar composed of 18 rectangular segments of varying shades of blue and grey. The text 'RECHERCHE NACH INDIKATIONSREGISTERN' is centered in white on a dark blue segment.

RECHERCHE NACH INDIKATIONSREGISTERN

Projekt: I23-02

Version: 1.0

Stand: 29.03.2023

IQWiG-Berichte – Nr. 1572

Impressum

Herausgeber

Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen

Thema

Exagamglogen (Sichelzellerkrankheit bei Patientinnen und Patienten \geq 12 Jahre) – Bewertung gemäß § 35a SGB V

Auftraggeber

Gemeinsamer Bundesausschuss

Datum des Auftrags

21.02.2023

Interne Projektnummer

I23-02

Anschrift des Herausgebers

Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen
Im Mediapark 8
50670 Köln

Tel.: +49 221 35685-0

Fax: +49 221 35685-1

E-Mail: berichte@iqwig.de

Internet: www.iqwig.de

ISSN: 1864-2500

Mitarbeiterinnen und Mitarbeiter des IQWiG

- Ulrike Lampert
- Elke Hausner
- Tatjana Hermanns
- Siw Waffenschmidt

Schlagwörter

Exagamglogen, Anämie – Sichelzellen, Adolescent, Register, Produktüberwachung nach Markteinführung, Informationsspeicherung und -Retrieval

Keywords

Exagamglogene, Anemia – Sickle Cell, Adolescent, Registries, Product Surveillance – Postmarketing, Information Storage and Retrieval

Inhaltsverzeichnis

| | Seite |
|---|--------------|
| Tabellenverzeichnis | iv |
| Abkürzungsverzeichnis..... | v |
| 1 Hintergrund..... | 1 |
| 2 Fragestellung..... | 2 |
| 3 Projektverlauf..... | 3 |
| 4 Methoden | 4 |
| 4.1 Kriterien für den Einschluss von Indikationsregistern | 4 |
| 4.2 Informationsbeschaffung..... | 4 |
| 4.2.1 Fokussierte Informationsbeschaffung..... | 4 |
| 4.2.2 Selektion relevanter Dokumente aus der Informationsbeschaffung..... | 5 |
| 4.3 Informationsbewertung..... | 5 |
| 5 Ergebnisse der Informationsbeschaffung..... | 6 |
| 6 Literatur | 9 |
| Anhang A Dokumentation der Informationsbeschaffung | 11 |
| Anhang B Suchstrategien | 13 |

Tabellenverzeichnis

| | Seite |
|--|--------------|
| Tabelle 1: Übersicht über die Kriterien für den Einschluss von Indikationsregistern..... | 4 |
| Tabelle 2: Ergebnisse der Recherche nach Indikationsregistern | 6 |
| Tabelle 3: Charakterisierung der Indikationsregister..... | 7 |
| Tabelle 4: Register ohne Zentrum in Deutschland..... | 8 |
| Tabelle 5: Dokumentation der Informationsbeschaffung..... | 11 |

Abkürzungsverzeichnis

| Abkürzung | Bedeutung |
|------------------|--|
| AbD | anwendungsbegleitende Datenerhebung |
| DRKS | Deutsches Register Klinischer Studien |
| DRST | Deutsche Register für Stammzelltransplantation |
| EBMT | European Society for Blood and Marrow Transplantation |
| EnCEPP | European Network of Centres for Pharmacoepidemiology and Pharmacovigilance |
| G-BA | Gemeinsamer Bundesausschuss |
| GSAV | Gesetz für mehr Sicherheit in der Arzneimittelversorgung |
| IQWiG | Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen |
| IRDiRC | International Rare Diseases Research Consortium |
| PRSZT | Pädiatisches Register für Stammzelltransplantation und Zelltherapie |

1 Hintergrund

Mit dem Gesetz für mehr Sicherheit in der Arzneimittelversorgung (GSAV) wurde 2019 die anwendungsbegleitende Datenerhebung (AbD) im Kontext der frühen Nutzenbewertung von Arzneimitteln in § 35a SGB V ergänzt [1]. AbDs können demnach vom Gemeinsamen Bundesausschuss (G-BA) für Arzneimittel für seltene Leiden (Orphan Drugs) sowie für Arzneimittel mit bedingter Zulassung oder Zulassung unter außergewöhnlichen Umständen beauftragt werden. Ziel einer AbD ist es, eine valide Quantifizierung des Zusatznutzens zu erreichen [2].

Bei der Beurteilung, ob eine AbD bei neuen Arzneimitteln erforderlich ist, wird vom G-BA auch die Realisierbarkeit und Angemessenheit einer Datenerhebung geprüft (5. Kapitel § 54 Absatz 2 Nummer 3 Verfahrensordnung des G-BA [3]). Eine systematische Recherche zu Registern im jeweiligen zu prüfenden Indikationsgebiet ergänzt die Informationsbeschaffung, sodass eine möglichst umfassende Grundlage für die Entscheidungsfindung des G-BA hinsichtlich der Realisierbarkeit und Angemessenheit einer Datenerhebung ermöglicht wird.

1-mal pro Monat wählt der G-BA ein Indikationsgebiet für die systematische Recherche zu Registern aus und beauftragt das Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG). Die Verantwortung für das Rechercheergebnis liegt ausschließlich beim IQWiG.

Begriffsdefinition

Ein Register im medizinisch-wissenschaftlichen Bereich ist ein organisiertes System, in welchem prospektiv standardisiert Beobachtungsdaten zu einer festgelegten Population definiert über eine bestimmte Fragestellung erhoben werden [4-7]. Es können krankheitsbezogene Register oder prozedur- oder produktspezifische Register unterschieden werden [7]. Oftmals wird insbesondere im englischsprachigen Bereich der Begriff „register“ bzw. „registry“ benutzt. Dieser Begriff ist allerdings oftmals irreführend, da beispielsweise auch Studienregister wie ClinicalTrials.gov als „registry“ bzw. „study registry“ bezeichnet werden. Im Folgenden wird zur Klarstellung der Begriff „Indikationsregister“ benutzt. Darunter werden aber beispielsweise auch prozedur- oder produktspezifische Register (z. B. das EBMT Patient Registry) verstanden, die als Quasi-Indikationsregister (durch Öffnung für alle Prozeduren) unter den Indikationsregistern zu subsummieren sind. Falls aber beispielsweise keine geeigneten Register in einer bestimmten Indikation gefunden werden, können in Ausnahmefällen aber auch reine prozedur- oder produktspezifische Register aufgeführt werden.

2 Fragestellung

Das Ziel der vorliegenden Untersuchung ist die Durchführung und Aufarbeitung einer systematischen Recherche nach Indikationsregistern im Indikationsgebiet Sichelzellkrankheit bei Patientinnen und Patienten ≥ 12 Jahre.

3 Projektverlauf

Im Rahmen der Vorbereitung der Beratung zur Beurteilung der Erforderlichkeit einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung (Kandidatenauswahl) hat der G-BA am 21.02.2023 das IQWiG mit einer systematischen Recherche zu Registern im Indikationsgebiet Sichelzellkrankheit bei Patientinnen und Patienten ≥ 12 Jahre beauftragt.

Auf Basis einer internen Projektskizze wurde eine Recherche nach Indikationsregistern erstellt. Dieser Bericht wurde an den G-BA übermittelt und mit dem Beschluss des G-BA auf der Website des IQWiG veröffentlicht.

4 Methoden

4.1 Kriterien für den Einschluss von Indikationsregistern

In der folgenden Tabelle 1 sind die Kriterien aufgelistet, die Indikationsregister erfüllen mussten, um in die Bewertung eingeschlossen zu werden.

Tabelle 1: Übersicht über die Kriterien für den Einschluss von Indikationsregistern

| Einschlusskriterien | |
|---------------------|---|
| E1 | Indikationsregister dokumentiert Daten von Patientinnen und Patienten mit der relevanten Indikation |
| E2 | Indikationsregister enthält mindestens 1 Zentrum in Deutschland |
| E3 | Es sind bereits Patientinnen und Patienten in das Indikationsregister eingeschlossen und es ist noch nicht beendet. |

Register, die international angelegt sind, aber noch kein Zentrum in Deutschland eingeschlossen haben sowie geplante Patientenregister, werden genannt und ggf. knapp skizziert.

In erster Linie werden Methodendokumente dargestellt, die inhaltlich das Indikationsregister beschreiben. Übersichtsartikel wurden hinsichtlich Patientenregister gesichtet, aber nicht aufgeführt.

4.2 Informationsbeschaffung

Zur Identifizierung geeigneter Indikationsregister sowie Informationen zu Indikationsregistern wurde eine systematische Recherche in folgenden Informationsquellen durchgeführt:

4.2.1 Fokussierte Informationsbeschaffung

- bibliografische Datenbank
 - MEDLINE
- Studienregister
 - ClinicalTrials.gov
 - Deutsches Register Klinischer Studien (DRKS)

Darüber hinaus wurden weitere Informationsquellen herangezogen:

- Portale mit Angaben zu Indikationsregistern
 - Verzeichnis der medizinischen Register in Deutschland
 - Orphanet
 - European Network of Centres for Pharmacoepidemiology and Pharmacovigilance (EnCEPP)

- International Rare Diseases Research Consortium (IRDiRC)
- weitere indikationsspezifische Portale
- Befragung von Expertinnen und Experten zu Registern um Informationen zu vervollständigen oder offene Fragen zu klären
- gezielte Websuche

4.2.2 Selektion relevanter Dokumente aus der Informationsbeschaffung

Die Rechercheergebnisse aus den berücksichtigten Informationsquellen wurden von 1 Person gesichtet. Die identifizierten Dokumente wurden dann auf ihre Relevanz geprüft. Der gesamte Prozess wurde anschließend von einer 2. Person überprüft. Sofern in einem der genannten Selektionsschritte Diskrepanzen auftraten, wurden diese jeweils durch Diskussion zwischen den beiden aufgelöst.

4.3 Informationsbewertung

Datenextraktion

Alle für die Darstellung der Indikationsregister notwendigen Informationen wurden aus den eingeschlossenen Dokumenten in standardisierte Tabellen extrahiert.

In diesen Tabellen werden sowohl die identifizierten Indikationsregister mit den zugehörigen Dokumenten als auch deren Charakterisierung dargestellt.

5 Ergebnisse der Informationsbeschaffung

Durch die Suche wurden 2 Indikationsregister identifiziert (Tabelle 2). Die Charakterisierung der identifizierten Indikationsregister findet sich in Tabelle 3. Zudem wurde ein Indikationsregister ohne Zentrum in Deutschland identifiziert. Dieses wird in Tabelle 4 dargestellt.

Darüber hinaus erfüllen auch das Indikationsregister der European Society for Blood and Marrow Transplantation (EBMT) [8], sowie das Deutsche Register für Stammzelltransplantation (DRST) [9] und das Pädiatrische Register für Stammzelltransplantation und Zelltherapie (PRSZT) [10] grundsätzlich die Einschlusskriterien. Da es sich hier um Prozedurenregister handelt und diese die Therapieoptionen nicht vollständig abdecken, werden sie nicht weiter dargestellt.

Die Dokumentation der Informationsbeschaffung sowie die Suchstrategien für die Suchen in bibliografischen Datenbanken und Studienregistern finden sich in Anhang A und Anhang B.

Tabelle 2: Ergebnisse der Recherche nach Indikationsregistern

| | Verfügbare Dokumente | | |
|---|--|----------------------------|--------------------|
| | Vollpublikation (in Fachzeitschriften) | Eintrag in Studienregister | Sonstige Dokumente |
| Identifizierte Indikationsregister | | | |
| GPOH-Register Sichelzellkrankheit | ja [11] | ja [12] | ja [13] |
| RADeep | nein | nein | ja [14-16] |
| Register ohne Zentrum in Deutschland | | | |
| EHR | ja [17] | nein | ja [18] |
| EHR: European Haemoglobinopathy Registry; GPOH: Gesellschaft für Pädiatrische Onkologie und Hämatologie; RADeep: Rare Anaemia Disorders European Epidemiological Platform | | | |

Tabelle 3: Charakterisierung der Indikationsregister^a (mehreseitige Tabelle)

| Name | GPOH-Register Sichelzellkrankheit | RADeep |
|------------------------------|---|---|
| URL | https://www.sichelzellkrankheit.info/patientenregister/ | https://www.radeep.eu/ |
| Art des Registers | multizentrisches, nationales, klinisches und epidemiologisches Register | Europäisches Patientenregister für seltene Anämieerkrankungen, das Daten von neuen und bereits bestehenden Registern in der gesamten Europäischen Union sowie von einzelnen Gesundheitsdienstleistern sammelt. |
| initiiert bzw. betrieben von | GPOH-Konsortium Sichelzellkrankheit /Universitätsklinikum Heidelberg, Pädiatrische Hämatologie und Onkologie | Konsortium bestehend aus dem Universitätsklinikum Vall d'Hebrón (Spanien), dem Krankenhaus Hôpital Erasme (Belgien) und der Cyprus Institute of Neurology and Genetics (Zypern) |
| Sponsor / Finanzierung | GPOH-Konsortium Sichelzellkrankheit, Deutsche Kinderkrebsstiftung | RADeep wird aus öffentlichen Geldern sowie über die EuroBloodNet Association von privaten Geldern verschiedener Pharmaunternehmen (Bristol Myers Squibb, Novartis AG, Agios Pharmaceuticals Inc) kofinanziert. |
| Population | Alle Patienten, die in Deutschland wegen einer Sichelzellkrankheit behandelt werden. Als Sichelzellkrankheit im Sinne des Registers gelten die folgenden Syndrome: 1. Homozygote Sichelzellkrankheit (HbSS) 2. HbSC-Krankheit 3. Sichelzellkrankheit HbS/ β Thal 4. andere, seltene Sichelzellsyndromen wie HbS/OArab, HbS/HPFH, HbS/E, HbS/D Punjab, HbS/C Harlem, HbC/S Antilles, HbS/Quebec-CHORI, HbA/S Oman, HbA/Jamaica Plain | Patienten mit seltenen Anämieerkrankungen, darunter Sichelzellkrankheit und verwandte Krankheiten |
| Registerprotokoll | ja [13] | k. A. |
| Fragestellungen | Erfassung der Art, Komplikationen und Behandlung der Sichelzellkrankheit und Bereitstellung der Daten für wissenschaftliche Auswertung; Verbesserung der Versorgung von Sichelzellpatienten durch Anpassung der Behandlungsleitlinie auf Grundlage der Ergebnisse der Registerauswertung | Es zielt darauf ab, die diagnostischen Methoden, die Demografie, die Überlebensrate, die wichtigsten klinischen Merkmale und Behandlungen von Patientinnen und Patienten mit seltenen Anämieerkrankungen auf europäischer Ebene abzubilden. |
| Patientenzahlen | geplant: 500 (Aktuell: 982, davon 61 ausgeschieden oder verstorben) | 20 627 Patienten; 9413 Kinder (nur Sichelzellkrankheit, Stand: März 2023) |
| Umfang | aktuell: 40 Zentren in Deutschland | 15 Länder, 126 Zentren (nur Sichelzellkrankheit, Stand: März 2023) |

Tabelle 3: Charakterisierung der Indikationsregister^a (mehreseitige Tabelle)

| Name | GPOH-Register Sichelzellkrankheit | RADeep |
|--|---|--------|
| Start (bzw. Start der Rekrutierung) | 2015 (Start der Rekrutierung) | k. A. |
| Laufzeit / Studienende | keine zeitliche Beschränkung vorgesehen | k. A. |
| a. Angaben stammen aus den identifizierten Quellen GPOH: Gesellschaft für Pädiatrische Onkologie und Hämatologie; k. A.: keine Angabe; RADeep: Rare Anaemia Disorders European Epidemiological Platform | | |

Tabelle 4: Register ohne Zentrum in Deutschland^a

| Name | EHR |
|---|---|
| URL | https://www.sicklecellsociety.org/resource/european-haemoglobinopathy-registry/# |
| Art des Registers | multinational |
| initiiert bzw. betrieben von | National Health Service (United Kingdom) |
| Population | Patientinnen und Patienten mit Hämoglobinopathien, darunter Sichelzellanämie |
| Umfang | k. A. |
| Start (bzw. Start der Rekrutierung) | 2004 |
| Anmerkungen | Register ohne Zentrum in Deutschland |
| a. Angaben stammen aus den identifizierten Quellen EHR: European Haemoglobinopathy Registry; k. A.: keine Angabe | |

6 Literatur

1. Bundesministerium für Gesundheit. Gesetz für mehr Sicherheit in der Arzneimittelversorgung. Bundesgesetzblatt Teil I 2019; (30): 1202-1220.
2. SGB V Handbuch; Sozialgesetzbuch V; Krankenversicherung. Altötting: KKF; 2020.
3. Gemeinsamer Bundesausschuss. Verfahrensordnung des Gemeinsamen Bundesausschusses [online]. URL: <https://www.g-ba.de/informationen/richtlinien/42/>.
4. Agency for Healthcare Research and Quality. Registries for Evaluating Patient Outcomes: A User's Guide [online]. 2020 [Zugriff: 21.02.2023]. URL: <https://effectivehealthcare.ahrq.gov/sites/default/files/pdf/registries-evaluating-patient-outcomes-4th-edition.pdf>.
5. European Medicines Agency. Patient registries [online]. [Zugriff: 21.02.2023]. URL: <https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory/post-authorisation/patient-registries>.
6. Niemeyer A, Semler S, Veit C et al. Gutachten zur Weiterentwicklung medizinischer Register zur Verbesserung der Dateneinspeisung und -anschlussfähigkeit [online]. 2021 [Zugriff: 21.02.2023]. URL: https://www.bundesgesundheitsministerium.de/fileadmin/Dateien/5_Publikationen/Gesundheit/Berichte/REG-GUT-2021_Registergutachten_BQS-TMF-Gutachtenteam_2021-10-29.pdf.
7. Windeler J, Lauterberg J, Wieseler B et al. Patientenregister für die Nutzenbewertung; kein Ersatz für randomisierte Studien. Dtsch Arztebl 2017; 114(16): A783–A786.
8. European Society for Blood and Marrow Transplantation. The EBMT Patient Registry [online]. 2018 [Zugriff: 14.02.2022]. URL: <https://www.ebmt.org/ebmt-patient-registry>.
9. Zentrales Knochenmarkspenderregister Deutschland. DRST Deutsches Register für Stammzelltransplantation [online]. 2023 [Zugriff: 08.03.2022]. URL: <https://www.zkrd.de/glossarliste/drst-deutsches-register-fuer-stammzelltransplantation-german-registry-for-stem-cell-transplantation/>.
10. Medizinische Hochschule Hannover. Pädiatrisches Register für Stammzelltransplantationen und Zelltherapien [online]. 2023 [Zugriff: 21.02.2023]. URL: <https://www.mhh.de/kliniken-der-mhh/der-mhh/der-mhh/der-mhh/klinik-fuer-paediatriche-haematologie-und-onkologie/forschung-und-lehre/paediatisches-register-stammzelltransplantation>.
11. Kunz JB, Lobitz S, Grosse R et al. Sickle cell disease in Germany: Results from a national registry. Pediatr Blood Cancer 2020; 67(4): e28130. <https://dx.doi.org/10.1002/pbc.28130>.
12. University Hospital Heidelberg. Sickle-cell Disease Registry of the GPOH [online]. 2022 [Zugriff: 08.03.2023]. URL: <https://ClinicalTrials.gov/show/NCT03327428>.

13. GPOH-Konsortium Sichelzellkrankheit. Register Sichelzellkrankheit [online]. 2014 [Zugriff: 07.03.2023]. URL: <https://www.sichelzellkrankheit.info/app/download/8971045985/Studienprotokoll+mit+Informations+und+Einwilligungsschriften+17-12-2014....pdf?t=1528924355>.
14. EuroBloodNet. RAdEEP last press release is available! [online]. 2023 [Zugriff: 07.03.2023]. URL: <https://eurobloodnet.eu/news/409/radeep-last-press-release-is-available>.
15. Vall d'Hebron Research Institute, Hôpital ERASME, Cyprus Institute of Neurology and Genetics. RAdEEP [online]. [Zugriff: 03.03.2023]. URL: <https://www.radeepnetwork.eu/>.
16. Valle VG, Pereira MDMM, Kleanthous M et al. PB2285 Rare Anaemia Disorders European Epidemiological Platform. HemaSphere 2019; 3(S1): 1020-1021.
<https://dx.doi.org/10.1097/01.HS9.0000567608.96928.c9>.
17. Noori T, Ghazisaeedi M, Aliabad GM et al. International Comparison of Thalassemia Registries: Challenges and Opportunities. Acta Inform Med 2019; 27(1): 58-63.
<https://dx.doi.org/10.5455/aim.2019.27.58-63>.
18. Sickle Cell Society. European Haemoglobinopathy Registry, [online]. 2022 [Zugriff: 06.03.2023]. URL: <https://www.sicklecellsociety.org/resource/european-haemoglobinopathy-registry/>.

Anhang A Dokumentation der Informationsbeschaffung

Tabelle 5: Dokumentation der Informationsbeschaffung (mehrseitige Tabelle)

| Quelle | Suchdatum | Vorgehen |
|--|------------|---|
| Übersichten von Registern | | |
| Verzeichnis der medizinischen Register in Deutschland https://registersuche.bqs.de | 13.03.2023 | Suchbegriffe: Sichelzell, Anämie |
| Orphanet https://www.orpha.net/ | 23.02.2023 | Suche unter Forschungsergebnisse und Register / Biobank: Suchbegriffe: sickle cell disease, Sichelzellkrankheit, Sichelzellenanämie |
| EnCEPP http://www.encepp.eu | 27.02.2023 | Type of resource: data source Suchbegriffe: sickle cell |
| IRDiRC https://irdirc.org/ | 27.02.2023 | IRDiRC Regonized Resources: Browsen der Website Suchbegriff: sickle cell |
| Weitere indikationsspezifische Portale | | |
| GPOH https://www.gpoh.de | 23.02.2023 | Browsen der Website |
| Sickle Cell Society https://www.sicklecellsociety.org | 23.02.2023 | Browsen der Website |
| EHA https://ehaweb.org | 27.02.2023 | Browsen der Website |
| Ausgewählte Websites | | |
| Google https://www.google.de/ | 23.02.2023 | Suchbegriffe: Sickle cell disease AND registry; sichelzell AND register |
| Bibliografische Datenbanken | | |
| MEDLINE | 27.02.2023 | Suchstrategie siehe Anhang |
| Studienregister | | |
| ClinicalTrials.gov | 27.02.2023 | Suchstrategie siehe Anhang |
| Deutsches Register Klinischer Studien | 27.02.2023 | Suchstrategie siehe Anhang |

Tabelle 5: Dokumentation der Informationsbeschaffung (mehrseitige Tabelle)

| Quelle | Suchdatum | Vorgehen |
|---|------------|---|
| Expertenbefragung | | |
| EHA | 28.02.2023 | Die Kontaktaufnahme hatte zum Ziel, Hinweise auf weitere relevante Register zu erhalten. Jedoch stand bis zur Finalisierung des vorliegenden Berichtes noch eine Antwort aus. |
| EHR | 09.03.2023 | Die Kontaktaufnahme hatte zum Ziel, offene Fragen zur Charakterisierung des Registers zu klären und Hinweise auf weitere relevante Register zu erhalten. Jedoch stand bis zur Finalisierung des vorliegenden Berichtes noch eine Antwort aus. |
| GPOH-Register Sichelzellerkrankheit | 03.03.2023 | Die Kontaktaufnahme hatte zum Ziel, offene Fragen zur Charakterisierung des Registers zu klären und Hinweise auf weitere relevante Register zu erhalten. |
| PETER | 02.03.2023 | Die Kontaktaufnahme hatte zum Ziel, offene Fragen zur Charakterisierung des Registers zu klären und Hinweise auf weitere relevante Register zu erhalten. Ein Protokoll zum Register wurde übermittelt (Stand: November 2022) |
| RADeep | 03.03.2023 | Die Kontaktaufnahme hatte zum Ziel, offene Fragen zur Charakterisierung des Registers zu klären und Hinweise auf weitere relevante Register zu erhalten. |
| EHR: European Haemoglobinopathy Registry; EHA: European Hematology Association; ;EnCEPP: European Network of Centres for Pharmacoepidemiology and Pharmacovigilance ; GPOH: Gesellschaft für Pädiatrische Onkologie und Hämatologie; IRDiRC: International Rare Diseases Research Consortium; PETER: Paediatric Transplantation European Registry; RADeep: Rare Anaemia Disorders European Epidemiological Platform | | |

Anhang B Suchstrategien

Bibliografische Datenbanken

1. MEDLINE

Suchoberfläche: Ovid

- Ovid MEDLINE(R) ALL 1946 to February 23, 2023

| # | Searches |
|----|---|
| 1 | exp Anemia, Sickle Cell/ |
| 2 | sickle cell*.ti,ab. |
| 3 | 1 or 2 |
| 4 | *Registries/ |
| 5 | (registry or registries).ti,ab. |
| 6 | or/4-5 |
| 7 | and/3,6 |
| 8 | remove duplicates from 7 |
| 9 | (animals/ not humans/) or comment/ or editorial/ or exp review/ or meta analysis/ or consensus/ or exp guideline/ |
| 10 | hi.fs. or case report.mp. |
| 11 | 9 or 10 |
| 12 | ((Surveillance, Epidemiology and End Results) or SEER).ti,ab. |
| 13 | 8 not (11 or 12) |
| 14 | Cochrane database of systematic reviews.jn. |
| 15 | (search or MEDLINE or systematic review).tw. |
| 16 | meta analysis.pt. |
| 17 | 14 or 15 or 16 |
| 18 | 8 and 17 |
| 19 | 13 or 18 |

Studienregister

1. *ClinicalTrials.gov*

Anbieter: U.S. National Institutes of Health

- URL: <http://www.clinicaltrials.gov>
- Eingabeoberfläche: Expert Search

| Suchstrategie |
|---|
| AREA[PatientRegistry] EXPAND[Term] COVER[FullMatch] "Yes" AND AREA[StudyType] EXPAND[Term] COVER[FullMatch] "Observational" AND AREA[ConditionSearch] sickle cell |

2. DRKS

Anbieter: Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte

- URL: <https://www.clinicaltrialsregister.eu/ctr-search/search>
- Eingabeoberfläche: Basic Search

| |
|----------------------|
| Suchstrategie |
| Sichelzellkrankheit |
| D57 |