

Exagamglogen (β -Thalassämie 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: I23-03

Version: 1.0

Stand: 28.03.2023

IQWiG-Berichte – Nr. 1599

Impressum

Herausgeber

Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen

Thema

Exagamglogen (β-Thalassämie bei Patientinnen und Patienten ≥ 12 Jahre) – Bewertung
gemäß § 35a SGB V

Auftraggeber

Gemeinsamer Bundesausschuss

Datum des Auftrags

21.02.2023

Interne Projektnummer

I23-03

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

- Annika Orland
- Elke Hausner
- Tatjana Hermanns
- Siw Waffenschmidt

Schlagwörter

Exagamglogen, Beta-Thalassämie, Adolescent, Register, Produktüberwachung nach Markteinführung, Informationsspeicherung und -Retrieval

Keywords

Exagamglogene, Beta-Thalassemia, 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 / Geplante Indikationsregister	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	Pädiatrische 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 β -Thalassämie 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 β -Thalassämie 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)
- 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 1 geplantes Indikationsregister sowie 1 Indikationsregister ohne Zentrum in Deutschland identifiziert. Diese werden 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			
Register für seltene Anämien ^a	nein	nein	ja [11-13]
RADeep	nein	nein	ja [14-16]
Register ohne Zentrum in Deutschland			
EHR	ja [17]	nein	ja [18]
Geplante Indikationsregister			
TIF's e-Registry	ja [19]	nein	ja [20]
a. Kooperation des Registers mit RADeep geplant (Stand Februar 2021) EHR: European Haemoglobinopathy Registry; RADeep: Rare Anaemia Disorders European Epidemiological Platform; TIF's: Thalassaemia International Federation's			

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

Name	Register für seltene Anämien	RADeep
URL	https://www.kitz-heidelberg.de/klinische-studien/nicht-maligne-blutkrankheiten	https://www.radeep.eu/
Art des Registers	multizentrisches, retro- und prospektives, nicht-interventionelles Register, Aufbau einer Biobank	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	Universitätsklinikum Heidelberg	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	Dietmar Hopp Stiftung (Projektmittel bis 2021, Stand Februar 2021)	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 Patientinnen und Patienten, die in Deutschland aufgrund einer seltenen oder ungeklärten, behandlungsbedürftigen Anämie betreut werden; darunter β -Thalassaemia major und intermedia	Patienten mit seltenen Anämieerkrankungen, darunter - Thalassämie und verwandte Krankheiten
Registerprotokoll	ja [11]	k. A.
Fragestellungen	<ul style="list-style-type: none"> ▪ Erfassung der Epidemiologie sowie des klinischen und hämatologischen Phänotyps ▪ Dokumentation der Behandlung und der auftretenden Komplikationen ▪ Verbesserung der Versorgung durch Beratung von Ärzten, die Patienten mit seltenen Anämien behandeln und durch Anpassung der Behandlungsleitlinien auf Grundlage der Ergebnisse der Registerauswertung ▪ Identifikation der Ursachen seltener und noch ungeklärter Anämien ▪ Aufbau einer Biobank ▪ Bereitstellung der Daten zur wissenschaftlichen Auswertung und als Entscheidungshilfe bei gesundheitspolitischen Entscheidungen 	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.

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

Name	Register für seltene Anämien	RADeep
Patientenzahlen	geplant: 150 Patienten/Jahr, insgesamt 300 Patienten (alle Indikationen, Stand: Februar 2021)	8409 Patientinnen und Patienten; 2135 Kinder (für alle Thalassämien, Stand: März 2023)
Umfang	k. A.	15 Länder, 126 Zentren (für alle Thalassämien, Stand: März 2023)
Start (bzw. Start der Rekrutierung)	2019	k. A.
Laufzeit / Studienende	k. A.	k. A.
a. Angaben stammen aus den identifizierten Quellen		
k. A.: keine Angabe; RADeep: Rare Anaemia Disorders European Epidemiological Platform		

Tabelle 4: Register ohne Zentrum in Deutschland / Geplante Indikationsregister^a

Name	EHR	TIF's e-Registry
URL	https://www.sicklecellsociety.org/resources/european-haemoglobinopathy-registry/	k. A.
Art des Registers	multinational	elektronische, webbasierte Plattform zur Erstellung eines globalen Thalassämie-Registers
initiiert bzw. betrieben von	National Health Service (United Kingdom)	Thalassaemia International Federation, mit finanzieller Unterstützung des Unternehmens Celegene Corporation
Population	Patientinnen und Patienten mit Hämoglobinopathien, darunter β -Thalassämie	Patientinnen und Patienten mit Thalassämien
Umfang	k. A.	In der Pilotphase bislang 3 Zentren (Zypern, Griechenland, Bulgarien)
Start (bzw. Start der Rekrutierung)	2004	Pilotphase ist gestartet (Stand: August 2022)
Anmerkungen	Register ohne Zentrum in Deutschland:	Geplantes Indikationsregister:
a. Angaben stammen aus den identifizierten Quellen		
EHR: European Haemoglobinopathy Registry; k. A.: keine Angabe; TIF's: Thalassaemia International Federation's		

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-paediatriische-haematologie-und-onkologie/forschung-und-lehre/paediatisches-register-stammzelltransplantation>.
11. KITZ Hopp-Kindertumorzentrum Heidelberg. Register für Seltene Anämien - Registerprotokoll [online]. 2021 [Zugriff: 03.03.2023]. URL: https://www.kitz-heidelberg.de/fileadmin/media/kitz/PDFs/aerzte-fachkreise/Haematologie/Registerprotokoll_Seltene_Anaemien_Version_2.1_final.pdf.

12. KITZ Hopp-Kindertumorzentrum Heidelberg. Register für seltene Anämien [online]. URL: <https://www.kitz-heidelberg.de/klinische-studien/register/register-fuer-seltene-anaemien>.
13. Gesellschaft für Pädiatrische Onkologie und Hämatologie. Register für seltene Anämien [online]. [Zugriff: 03.03.2023]. URL: <https://www.gpoh.de/studienportal/studien-und-register-der-gpoh-haematologie/register-fuer-seltene-anaemien/>.
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. Sick Cell Society. European Haemoglobinopathy Registry [online]. [Zugriff: 06.03.2023]. URL: <https://www.sicklecellsociety.org/resource/european-haemoglobinopathy-registry/>.
19. Farmakis D, Angastiniotis M, El Ghouli MM et al. Thalassaemia Registries: A Call for Action. A Position Statement from the Thalassaemia International Federation. Hemoglobin 2022; 46(4): 225-232. <https://dx.doi.org/10.1080/03630269.2022.2099285>.
20. Thalassaemia International Federation. TIF's e-registry for patients with thalassaemia is ready for piloting [online]. [Zugriff: 07.03.2023]. URL: <https://thalassaemia.org.cy/news/tifs-electronic-health-record-for-patients-with-thalassaemia-is-ready-for-piloting/>.

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: Thalassämie, Anämie
Orphanet https://www.orpha.net/	23.02.2023	Suche unter Forschungsergebnisse und Register / Biobank: Suchbegriff: Beta-Thalassämie (ORPHA:848)
EnCEPP http://www.encepp.eu	23.02.2023	Type of resource: data source Suchbegriff: thalassemia
IRDiRC https://irdirc.org/	23.02.2023	IRDiRC Recognized Resources: Suchbegriff: thalassemia
Ausgewählte Websites		
Google https://www.google.de/	03.03.2023	thalassämie AND register, thalassemia AND register, thalassemia AND registry
Bibliografische Datenbanken		
MEDLINE	24.02.2023	Suchstrategie siehe Anhang
Studienregister		
ClinicalTrials.gov	24.02.2023	Suchstrategie siehe Anhang
Deutsches Register Klinischer Studien	28.02.2023	Suchstrategie siehe Anhang
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.
TIF	09.03.2023	Die Kontaktaufnahme hatte zum Ziel, Hinweise auf weitere relevante Register zu erhalten. Jedoch stand bis zur Finalisierung des vorliegenden Berichtes noch eine Antwort aus.

Tabelle 5: Dokumentation der Informationsbeschaffung (mehrseitige Tabelle)

Quelle	Suchdatum	Vorgehen
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.
Register für seltene Anämien	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 Thalassemia/
2	Thalassemia*.ti,ab.
3	1 or 2
4	Registries/
5	(register or registry or registries).ti,ab.
6	or/4-5
7	and/3,6
8	(animals/ not humans/) or comment/ or editorial/ or exp review/ or meta analysis/ or consensus/ or exp guideline/
9	hi.fs. or case report.mp.
10	8 or 9
11	((Surveillance, Epidemiology and End Results) or SEER).ti,ab.
12	7 not (10 or 11)
13	Cochrane database of systematic reviews.jn.
14	(search or MEDLINE or systematic review).tw.
15	meta analysis.pt.
16	13 or 14 or 15
17	7 and 16
18	12 or 17

Studienregister

1. *ClinicalTrials.gov*

Anbieter: U.S. National Institutes of Health

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

Suchstrategie
thalassemia AND AREA[StudyType] EXPAND[Term] COVER[FullMatch] "Observational" AND AREA[PatientRegistry] EXPAND[Term] COVER[FullMatch] "Yes"

2. DRKS

Anbieter: Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte

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

Suchstrategie
thalassämie
D56