

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 subsumieren 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. Sickle 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 Ghoull 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 (mehreseitige 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 |