

Machbarkeitsbewertung zu pädiatrischen niedriggradigen Gliomen (pLGG) in Europa (Deutschland, Frankreich, Niederlande, Vereinigtes Königreich)

Studienbeschreibung

Hintergrund	Die jährliche Inzidenz von pLGG beträgt etwa 4 Fälle pro 100.000 Kinder und macht 30–40 % aller pädiatrischen ZNS-Tumoren aus. Damit zählt pLGG zu den häufigsten Hirntumoren im Kindesalter. Obwohl das Gesamtüberleben im Allgemeinen günstig ist, bieten die derzeitigen Behandlungsoptionen, einschließlich Chemotherapie und Off-Label-Einsatz zielgerichteter Therapeutika, für viele Betroffene nur einen begrenzten Nutzen und sind zudem mit erheblicher Toxizität verbunden. Ein wesentlicher Anteil der pLGG-Tumoren wird durch molekulare Alterationen verursacht, was Chancen für verbesserte Behandlungsergebnisse mittels zielgerichteter therapeutischer Ansätze eröffnet. Dennoch ist die vergleichende Evidenz aus der Versorgungspraxis über verschiedene Regionen hinweg begrenzt, was gesundheitstechnologische Bewertungen und den Zugang zu neuen Therapien beeinflussen kann. Um diese Evidenzlücken zu adressieren, wird die Möglichkeit der Entwicklung einer externen Kontrollarm-Studie geprüft.
Zielsetzung	Ziel ist es: • Eine vorläufige Bewertung durchzuführen, um die Machbarkeit einer potenziellen Studie mit einem externen Kontrollarm zu bestimmen, mit besonderem Fokus auf die Verfügbarkeit und Qualität relevanter Datenquellen. • Aggregierte Daten zur Epidemiologie und Versorgungsstruktur der Zielpopulationen aus Primärquellen zu erheben, definiert als relevante Einrichtungen, die in ausgewählten Ländern (Deutschland, Frankreich, die Niederlande und das Vereinigte Königreich) pLGG behandeln, um eine repräsentative Stichprobe von Betroffenen sowie Institutionen zu ermöglichen. • Datenquellen zu identifizieren und vertraglich einzubinden, definiert als relevante Einrichtungen, die pLGG behandeln – insbesondere innerhalb der Zielsubpopulation –, um die Durchführbarkeit von Aktenanalysen (Chart Reviews) zu beurteilen.
Methodik	In der ersten Projektphase wird eine umfassende Analyse der onkologischen Versorgungsstrukturen in den ausgewählten Ländern (Frankreich, Deutschland, die Niederlande und das Vereinigte Königreich) durchgeführt,

	um einen repräsentativen Stichprobenrahmen zu entwickeln. Dies umfasst die Identifikation der Einrichtungen, die an der Behandlung von Personen mit pLGG beteiligt sind. Darüber hinaus soll die Machbarkeitsbewertung ein besseres Verständnis der folgenden Aspekte ermöglichen: • Präsenz einer pLGG-Population • Standards of Care und Behandlungspfade • Zugang zu relevanten Patientendaten • Interesse und Kapazität der Zentren zur Teilnahme • Geschätzte Gesamtstichprobengröße und länderspezifische Rekrutierungsziele Dieser Prozess führt zu einer stratifizierten Liste onkologischer Zentren über drei wesentliche Versorgungssektoren hinweg: • Universitätskliniken • Nicht-universitäre Krankenhäuser • Niedergelassene Onkologen Diese Stratifizierung bildet die Grundlage für eine repräsentative Stichprobe und ermöglicht die Extrapolation von Prävalenz- und Inzidenzdaten innerhalb der Zielpopulation.
Zeitraum der Datenerhebung	Der Beginn der Datenerhebungsphase ist für März 2026 geplant und soll spätestens bis Ende April 2026 abgeschlossen sein.
Studienzeitraum	Aggregierte Daten aus Fällen mit pLGG werden für den Zeitraum vom 1. Januar 2017 bis zum 31. Dezember 2025 erhoben.