

Machbarkeitsbewertung von Myelofibrose in Europa (Deutschland und Frankreich)

Studienbeschreibung

Hintergrund	Myelofibrose (MF) ist eine seltene, chronische myeloproliferative Neoplasie, die durch eine fortschreitende Fibrosierung des Knochenmarks, extramedulläre Hämatopoese sowie eine ausgeprägte Splenomegalie gekennzeichnet ist. Sie kann primär (PMF) oder sekundär aus einer Polycythaemia vera (Post-PV-MF) bzw. einer essenziellen Thrombozythämie (Post-ET-MF) hervorgehen.^[1,2] MF betrifft überwiegend ältere Patienten, das mediane Erkrankungsalter bei PMF liegt bei ca. 65 Jahren. Die jährliche Inzidenz beträgt etwa 0,5 bis 1,5 pro 100.000 Einwohner, wobei Deutschland mit 1,2 bis 1,8 pro 100.000 die höchste Prävalenz unter den EU-Ländern aufweist.^[3,4] Etwa 90 % der Patienten weisen eine Treibermutation in JAK2, CALR oder MPL auf, die zur konstitutiven Aktivierung des JAK-STAT-Signalwegs führt.^[5] JAK-Inhibitoren (JAKi) sind heute aus der medikamentösen MF-Therapie nicht mehr wegzudenken. Ruxolitinib (JAK1/2-Inhibitor) stellt den etablierten Erstlinienstandard dar, weitere JAKi stehen inzwischen für vorbehandelte Patienten sowie spezifische Subgruppen zur Verfügung. Kurativ wirksam bleibt jedoch allein die allogene Stammzelltransplantation.^[6,7] Dennoch fehlen bislang belastbare Real-World-Daten zur hämatologischen Versorgungsrealität von MF-Patienten in Deutschland und Frankreich. Die vorliegende Machbarkeitsstudie soll die Grundlagen für einen strukturierten TherapyMonitor schaffen, mit Blick auf Zentrumsrepräsentativität, Datenverfügbarkeit sowie die Qualität versorgungsrelevanter Parameter im klinischen Alltag. References [1] Passamonti F, Mora B. Myelofibrosis. Blood. 2023;141(16):1954–1970. doi:10.1182/blood.2022017423 [2] Tefferi A. Primary myelofibrosis: 2023 update on diagnosis, risk-stratification, and management. Am J Hematol. 2023;98(5):801–821. doi:10.1002/ajh.26857 [3] Slowley A, et al. Myelofibrosis and anemia: A German claims data analysis to describe epidemiology and current treatment. Eur J Haematol. 2024. doi:10.1111/ejh.14284 [4] Merker L, Plundrich D, Müller N, et al. Epidemiology and institutional treatment distribution of patients with myelofibrosis in Germany: Insights from a real-world evidence study. ISPOR Europe 2025; Glasgow, Scotland. [5] Leong DP, et al. Biological drivers of clinical phenotype in myelofibrosis. Leukemia. 2023;37:255–264. doi:10.1038/s41375-022-01767-y [6] Harrison CN, et al. JAK inhibitor selection in challenging scenarios of myelofibrosis: a review. Haematologica. 2025. doi:10.3324/haematol.2024.286969 [7] Mughal TI, et al. Management of splenomegaly in patients with myelofibrosis in the era of JAK inhibitors: a comprehensive review. Front Oncol. 2026. doi:10.3389/fonc.2026.1851781
Zielsetzung	Ziel ist es: • Eine vorläufige Bewertung durchzuführen, um die Machbarkeit einer potenziellen Studie mit einem TherapieMonitor 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 und

	Frankreich) MF behandeln, um eine repräsentative Stichprobe von Betroffenen sowie Institutionen zu ermöglichen. • Datenquellen zu identifizieren und vertraglich einzubinden, definiert als relevante Einrichtungen, die MF behandeln, insbesondere innerhalb der Zielsubpopulation, um die Durchführbarkeit von Aktenanalysen (Chart Reviews) zu beurteilen.
Methodik	In dieser Projektphase wird eine umfassende Analyse der onkologischen Versorgungsstrukturen in den ausgewählten Ländern (Frankreich und Deutschland) durchgeführt, um einen repräsentativen Stichprobenrahmen zu entwickeln. Dies umfasst die Identifikation der Einrichtungen, die an der Behandlung von Patienten mit MF beteiligt sind. Darüber hinaus soll die Machbarkeitsbewertung ein besseres Verständnis der folgenden Aspekte ermöglichen: • Präsenz einer PMF oder SMF-Diagnose • „Standard 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 vier wesentliche Versorgungssektoren hinweg: • Universitätskliniken • Nicht-universitäre Krankenhäuser • Medizinische Versorgungszentren (MVZ) • Niedergelassene Onkologen (Praxis) 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 ab September 2026 geplant.
Studienzeitraum	Aggregierte Daten aus Fällen mit MF werden für den Zeitraum vom 1. Januar 2025 bis zum 31. Dezember 2025 erhoben.