

CTC-A No.	eudraCTNo	Registration No.	Studienname	Betroffene SE	PI	Behandlungs- und Forschungszentrum	Art der Studie
23-328			The International PNH Interest Group PNH Registry	Paroxysmale nächtliche Hämoglobinurie (PNH)	Jens Panse	Hämato	External, International, Multi Centric
23-341			Histopathologische und molekulare Konsequenzen für Leber- und Lungengewebe bei AAT-Mangel	Alpha-1-Antitrypsin-Mangel	Mark Philipp Kühnel	Gastro	National Monozentrisch, Internal
23-351			A Randomized Double-blind Placebo-Controlled Phase 3 Study to Evaluate the Safety and Efficacy of Fazirsiran in the Treatment of Alpha-1 Antitrypsin Deficiency-Associated Liver Disease With METAVIR Stage F1 Fibrosis	Alpha-1-Antitrypsin-Mangel	Pavel Strnad	Gastro	International, Multizentrisch, External
23-366	2023-507677-18-00		A Phase 1 Clinical Trial to Evaluate the Safety, Tolerability, Pharmacokinetics, and Efficacy of TERN-701 in Participants with Chronic Myeloid Leukemia	CML	Martina Crysandt	Hämato	International, Multizentrisch, External
23-367	2019-001068-31		High-Risk Neuroblastoma Study 2 of SIOP-Europa-Neuroblastoma (SIOPEN)	Neuroblastom	Udo Kontny	Tumor	International, Multizentrisch, External
23-375			Venetoclax plus Azacitidin versus intensive Standardchemotherapie in der Behandlung von fitten Patienten mit neu diagnostizierter akuter myeloischer Leukämie (AML) und NPM1 Mutation (VINCENT)	AML	Martina Crysandt	Hämato	National Monozentrisch, Internal
23-376	2022-502503-30-00		International collaborative treatment protocol for infants under one year with KMT2A-rearranged acute lymphoblastic leukemia or mixed phenotype acute leukemia	ALL, MPAL	Udo Kontny	Tumor	International, Multizentrisch, External
23-378			Seltene Tumor-Erkrankungen in der Pädiatrie (STEP) 2.0 - Register zur Erfassung von seltenen Tumoren bei Kindern und Jugendlichen	Seltene Tumorerkrankungen	Udo Kontny	Tumor	National Monozentrisch, External
24-006			Combining Loncastuximab Tesirine and Eporitamb in Relapsed/Refractory Diffuse Large B-cell Lymphoma (DLBCL)	Diffuse großzellige B-Zell-Lymphom	Mareike Tometten	Hämato	External, International, Multi Centric
24-013	2020-002200-40		A multicenter rollover extension program (REP) to evaluate the long-term safety and tolerability of open label LNP023 in patients with primary IgA nephropathy who have completed study CLNP023X2203 or CLNP023A2301	Immunglobulin A-Nephropathie	Marcus Möller	Nephro	External, International, Multi Centric
24-034			A Long-Term Study of Elafibranor in Adult Participants with Primary Biliary Cholangitis	Primär biliäre Cholangitis	Christian Trautwein	Gastro	External, International, Multi Centric
24-051			Genauigkeit der Diagnose von Zytopenie/Polyzythämie und MDS/MPN aus peripherem Blut (PB) im Vergleich zu Knochenmark (BM)	MDS/MPN	Steffen Koschmieder	Hämato	External, International, Multi Centric
24-065	2023-506730-74-00		YCMB-LR - Prospektive internationale SIOPE/CONNECT Phase-III Studie zur Verbesserung des neurokognitiven Outcomes von jungen Kindern mit Niedrigrisiko Medulloblastom	Medulloblastom	Udo Kontny	Tumor	Internal, National, Multi Centric
24-072			NARSE – Nationales Register für Seltene Erkrankungen	Seltene Erkrankungen	Christopher Schippers	Geschäftsstelle	External, National, Multi Centric
24-091			PELIKAN – Partizipative Entscheidungsfindung in seltenen hämatologischen und onkologischen Erkrankungen; Verbesserung der Versorgung von Patient:innen mit seltenen hämatologischen Erkrankungen durch Stärkung des Patient:innen-Empowerments, Steigerung der Patient:innenzufriedenheit sowie Erhöhung der Therapieadhärenz: Evaluation einer entitätenbezogenen, sektorenübergreifenden Implementierung von Shared Decision Making (SDM)	Seltene hämatologische und onkologische Erkrankungen	Deborah Christen	Hämato	Internal, National, Multi Centric
24-098			Epilepsy: Diagnosis of potential LGS – A retrospective analysis (EpiDIAL)	Lennox-Gastaut-Syndrom (LGS)	Andrea Maier	Neuro	External, National, Mono Centric
24-100	2023-507851-31		A Phase 3, Double-Blind, Randomized, Placebo-Controlled Study to Evaluate the Efficacy and Safety of Ravulizumab in Adult Participants with Immunglobulin A Nephropathy (IgAN) – I CAN	Immunglobulin A-Nephropathie	Marcus Möller	Nephro	External, International, Multi Centric
24-147			Prospective Observational Study on the Natural History of Alpha-1 Antitrypsin Deficiency and Associated Liver Disease	Alpha-1-Antitrypsin-Mangel	Pavel Strnad	Gastro	External, International, Multi Centric
24-174	2023-510279-80-00		A Phase 2, Randomized, Double-Blind, Placebo-Controlled Study to Assess the Efficacy and Safety of Barzolvolimab in Patients with Prurigo Nodularis	Prurigo Nodularis	Amir Yazdi	Dermato	External, International, Multi Centric
24-203			Real World Experience of IgAN Patients Treated with Sparsentan Under an Early Access Program	Immunglobulin A-Nephropathie	Claudia Seikrit	Nephro	External, International, Multi Centric
24-206			A Phase 3, Randomized, Active-Comparator-Controlled Clinical Study to Evaluate the Safety and Efficacy of Bomedemstat versus Hydroxyurea in Participants with previously untreated essential thrombocythemia	Essentielle Thrombozythämie (ET)	Steffen Koschmieder	Hämato	External, International, Multi Centric
24-212	2022-501187-18-00		A Randomized, Open-label, Phase 3 Study of Acalabrutinib in Combination with Rituximab and Reduced Dose CHOP (R-miniCHOP) in OldEr Adults with Untreated Diffuse Large B-Cell Lymphoma	Diffuses großzelliges B-Zell-Lymphom	Mareike Tometten	Hämato	External, National, Multi Centric
24-214			Retrospektive Untersuchung der Auswirkungen von Nintedanib auf das hämatopoetische System von Patienten mit idiopathischer pulmonaler Fibrose (IPF) und progressiver pulmonaler Fibrose	Idiopathische Lungenfibrose (IPF)	Steffen Koschmieder	Hämato	Internal, National, Mono Centric
24-219			German prospective registry for patients with chronic myeloid leukemia (CML) previously treated with ≥2 TKIs switched to another TKI (ASCiminib or ANY ATP-competitive TKI)	Chronische myeloische Leukämie (CML)	Martina Crysandt	Hämato	External, National, Multi Centric
24-225			Retrospektive Analyse IFI bei AML unter VEN/AZA	Akute Myeloische Leukämie (AML)	Gerda Silling	Hämato	External, National, Multi Centric
24-247			ALL-BFM-Register zur Erfassung von Daten von Kindern und Jugendlichen mit akuter lymphoblastischer Leukämie	Akute Lymphatische Leukämie (ALL)	Udo Kontny	Hämato / Tumor	External, National, Multi Centric

24-264		Selective Treatment of Oral Povorocitinib in Prurigo Nodularis Study 1 (STOP-PN2) - A Phase 3, Randomized, Double-Blind, Placebo-Controlled, Efficacy and Safety Study of Povorocitinib in Participants With Prurigo Nodularis	Prurigo Nodularis	Amir Yazdi	Dermato	External, International, Multi Centric
24-287		Untersuchung von Patientenblut und Gewebe zur Genom-Analyse bei Vorliegen seltener angeborener Erkrankungen mit Gefäßbeteiligung	Seltener angeborene Erkrankungen mit Gefäßbeteiligung	Alexander Gombert		Internal, National, Mono Centric
24-291		Retrospektiven Studie zur Erhebung klinischer Daten zu Omvalexolone bei der Friedreich Ataxie	Friedreich Ataxie	Kathrin Reetz	Neuro	National, Multi Centric
24-321		A Phase 3, Randomized, Double-Blind, Placebo-Controlled Study of Axatilimab and corticosteroids as Initial Treatment for Chronic Graft-Versus-Host Disease	Graft-versus-Host Erkrankung	Edgar Jost	Hämato	/
24-343		A Phase 3, Randomized, Double-Blind, Placebo-Controlled Study of Povetacicept in Adults with Immunoglobulin A Nephropathy	Immunglobulin A-Nephropathie	Claudia Seikrit	Nephro	External, International, Multi Centric
24-350		The myeloproliferative neoplasms (MPN) Childhood Registry and Biobank	Myeloproliferative Neoplasien (MPN)	Udo Kontrny	Hämato	External, National, Multi Centric
24-356		Wirksamkeit, Sicherheit und Verträglichkeit einer ultra-hochkalorischen, fettreichen Ernährung (UFD) bei Amyotropher Lateralsklerose (LIPCAL-ALS II)	Amyotrophe Lateralsklerose (ALS)	Robert Brunkhorst	Neuro	External, National, Multi Centric
24-367		A PHASE 3B, DOUBLE-BLIND, RANDOMIZED, PARALLEL-GROUP, PLACEBO-CONTROLLED, MULTICENTER STUDY TO CONFIRM THE EFFICACY AND SAFETY OF GLEPAGLUTIDE 10 MG TWICE-WEEKLY, FOLLOWED BY A LONG-TERM, OPEN-LABEL SAFETY EVALUATION IN PATIENTS WITH SHORT BOWEL SYNDROME-INTestinal FAILURE (SBS-IF)	Kurzdarmsyndrom	Martin Wolfgang von Websky	Gastro	External, International, Multi Centric
24-381		Bestimmung der Genexpression in humanen inflammatorischen Myopathien sowie Kontrollen	Inflammatorische Myopathien	Juliane Bremer	Neuro	Internal, National, Mono Centric
24-390		Lupusregister	Lupus	Thomas Rauen	Nephro	External, National, Multi Centric
24-391		A Phase 2, randomized, open-label, controlled study to evaluate the efficacy and safety of rapcabtagene autoleuceel versus comparator in participants with severe refractory idiopathic inflammatory myopathies	Idiopathische entzündliche Myopathien	Thomas Rauen	Nephro	External, International, Multi Centric
24-394		A Phase 2/3 Multi-Center, Randomized, Double Blind, Placebo-Controlled Study to Evaluate the Efficacy, Safety, and Tolerability of DNTH103 in Adults with Chronic Inflammatory Demyelinating Polyneuropathy	Chronische inflammatorische demyelinisierende Polyneuropathie (CIDP)	Robert Brunkhorst	Neuro	External, International, Multi Centric
24-398		An observational, multinational, post-marketing registry of omaveloxolone treated patients with Friedreich's ataxia	Friedreich Ataxie	Kathrin Reetz	Neuro	External, International, Multi Centric
24-399		A Phase 3, Multi-center, Randomized Withdrawal and Long-Term Extension Study of Amprelosetine for the Treatment of Symptomatic Neurogenic Orthostatic Hypotension in Participants with Multiple System Atrophy	Multisystematrophie (MSA)	Andrea Maier	Neuro	External, International, Multi Centric
24-406		Multizentrisches, interdisziplinäres nationales VEXAS Register mit begleitender Biomaterialsammlung	VEXAS-Syndrom	Ingo Kurth	Syndromal	External, National, Multi Centric
24-408		A Global Multicenter, Open Label, Randomized, Phase 3 Registrational Study of Olverembatinib (HQP1351) in Patients with Chronic Phase Chronic Myeloid Leukemia	Chronische myeloische Leukämie (CML)	Tim Brümmendorf	Hämato	External, International, Multi Centric
24-409		Phase 2 Studie zur Evaluierung einer haploidenten α/β T-Zell depletierten Stammzelltransplantation bei Patienten mit Sichelzellerkrankung ohne verfügbaren Geschwisterspender (T-Haplo-HSCT for SCD)	Sichelzellen-erkrankung	Edgar Jost	Hämato	External, National, Multi Centric