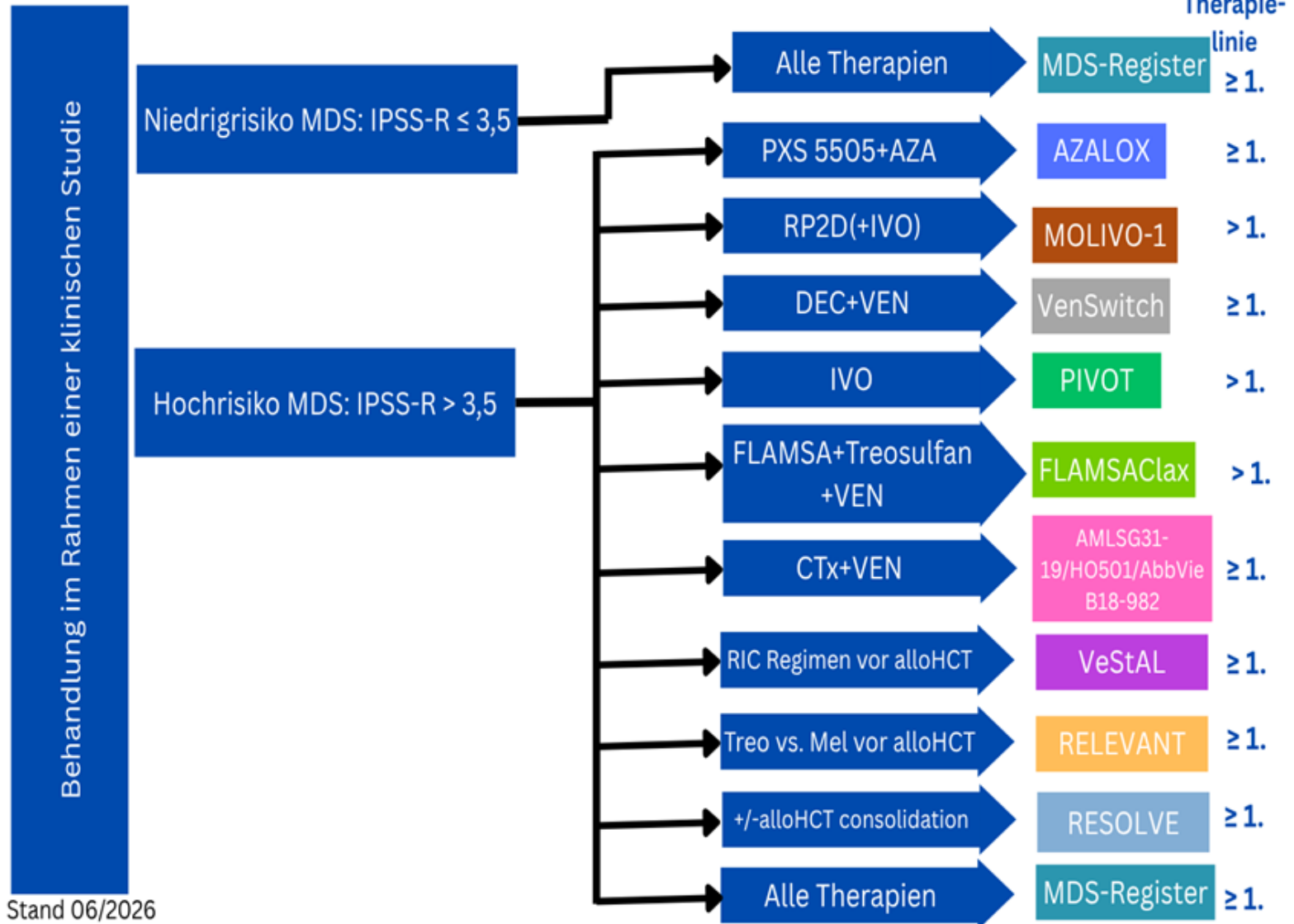




Investigator Initiated  
Trial (IIT)

Aktuell rekrutierende Studien  
für Erwachsene MDS-Patienten



**RELEVANT** ClinicalTrials.gov ID: NCT07025824

Randomized Evaluation of Treosulfan Versus Melphalan Conditioning Followed by PTCy in Patients With AML and MDS Undergoing Allogeneic Transplantation

Hintergrund: Treosulfan+Fludarabine vs. Melphalan+Fludarabine vor alloHCT bei HR-MDS

Einschlusskriterien: Erhöhtes Risiko für behandlungsbedingte Toxizitäten aufgrund von Alter (≥ 50 Jahren), HCT-CI > 2, MDS, 2. alloHCT mind. 12 Monate nach der ersten

Ausschlusskriterien: APL, Behandlung mit Mel o. Treo o. alloHCT innerhalb der letzten 12 Monate

**PIVOT** EUCT no: 2023-509055-14-00

Prospective Evaluation of Ivosidenib Maintenance Following Allogeneic Stem Cell Transplantation (alloSCT) In Patients with Acute Myeloid Leukemia (AML) or High-Risk Myelodysplastic Neoplasia (HR-MDS) with IDH1 Mutation

Hintergrund: Phase II, einarmig, open-label, Wirksamkeit von IVO

Einschlusskriterien: IDH1-Mutation nach durchgeführter alloSCT innerhalb der letzten 100 Tage (CR, Cri, MLFS bis 28 d nach alloSCT)

Ausschlusskriterien: aktiv akute GvHD Grad III-IV gemäß Harris Kriterien

**MDS-Register**

Prospective and retrospective data collection on diagnosis, treatment and course of disease of myelodysplastic syndromes in adults

Hintergrund: Prospektive & retrospektive Datensammlung (Register)

Einschlusskriterien: MDS, MDS-MPD, AML (AML-MRC) gemäß WHO-Klassifikation, t-MDS, t-AML mit Blasten <30%, MDS-assoziiert: ICUS, CHIP & CHOP, Verfügbarkeit für follow-ups

Ausschlusskriterien: andere myeloische Neoplasien

**FLAMSAClax** ClinicalTrials.gov ID: NCT05807932

Venetoclax in Addition to Sequential Conditioning With Fludarabine / Amsacrine / Ara-C (FLAMSA) + Treosulfan for Allogeneic Blood Stem Cell Transplantation in Patients With MDS, CMML or sAML

Hintergrund: Phase I/II, Dosisfindung von VEN bei Fludarabin, Amsacrine and Ara-C + Treosulfan

Einschlusskriterien: vorbehandeltes MDS-HR gemäß WHO Klassifikation (revised version 2016)

Ausschlusskriterien: alloSCT, Blasten >30% (BM)

**VenSwitch** ClinicalTrials.gov ID: NCT06156579

Combination Salvage Therapy With Venetoclax and Decitabine in Relapsed/Refractory AML

Hintergrund: Phase II, open-label, einarmig, Wirksamkeit der Salvage-Therapie von VEN in Kombination mit DEC bei MDS EB-2

Einschlusskriterien: refraktäres MDS EB-2

Ausschlusskriterien: alloSCT

**AMLSG 33-22/MOLIVO-1** EUCT no: 2024-514051-15-00

To Investigate whether the combination of molidustat and an IDH1 inhibitor (ivosidenib) effectively inhibits leukaemia cells in patients with IDH1 mutated acute myeloid leukaemia (AML) or patients with IDH1 mutated myelodysplastic syndrome (MDS)

Hintergrund: Phase Ia/IIb, einarmig, open-label, Dosisfindung von RP2D, Effektivität von RP2D in Kombination mit IVO

Einschlusskriterien: IDH1-Mutation, refraktär/rezidierte MDS

Ausschlusskriterien: Blasten <5% (BM)

**RESOLVE** EUCT no: 2024-512503-39-00

TMRD registry and multicenter, randomized controlled pragmatic trial of standard intensity versus reduced intensity consolidation treatment in MRD-negative patients with AML or CLL

Hintergrund: Multicenter, open-label, randomisiert kontrolliert

Einschlusskriterien: MDS-IB2, geplante intensive Induktions-Chemotherapie

Ausschlusskriterien: APL

**AMLSG31-19/HO501/AbbVieB18-982** ClinicalTrials.gov ID: NCT06465953

Phase III Study of Induction and Consolidation Chemotherapy With Venetoclax in Patients With Newly Diagnosed AML or MDS-EB-2

Hintergrund: Phase III, dooppelt-verblindet, randomisierte, Placebo-kontrollierte Studie, CTx + VEN

Einschlusskriterien: MDS EB-2

Ausschlusskriterien: na

**AZALOX**  
DRKS-ID: DRKS00028761

Eine multizentrische offene Phase-Ib/II-Studie zur Bewertung der Sicherheit und vorläufigen Wirksamkeit von PXS 5505 zur pan-LOX/LOXL-Hemmung in Kombination mit Azacitidin bei Patienten mit MDS o. CMML

Hintergrund: PXS-5505 (Amsulostat) + AZA bei transfusionsabhängigen HR-MDS o. CMML

Einschlusskriterien: Transfusionsabhängigkeit in den letzten 16 Wochen, Hb<8 g/dl, ECOG ≤ 2

Ausschlusskriterien: vorherige Kombinationsbehandlung mit AZA und VEN

**VeStAL**  
ClinicalTrials.gov ID: NCT072140641

Safety and Feasibility of a Venetoclax-Augmented Treosulfan-Based Reduced Intensity Conditioning Before Allogeneic Stem Cell Transplantation in AML, MDS/AML and Higher Risk MDS

Hintergrund: intensitätsreduzierte Konditionierung (Venetoclax, Fludarabine, Treosulfan) vor alloHCT

Einschlusskriterien: HR-MDS, Eignung und geplante alloHCT, Karnofsky Performance Index ≥60%

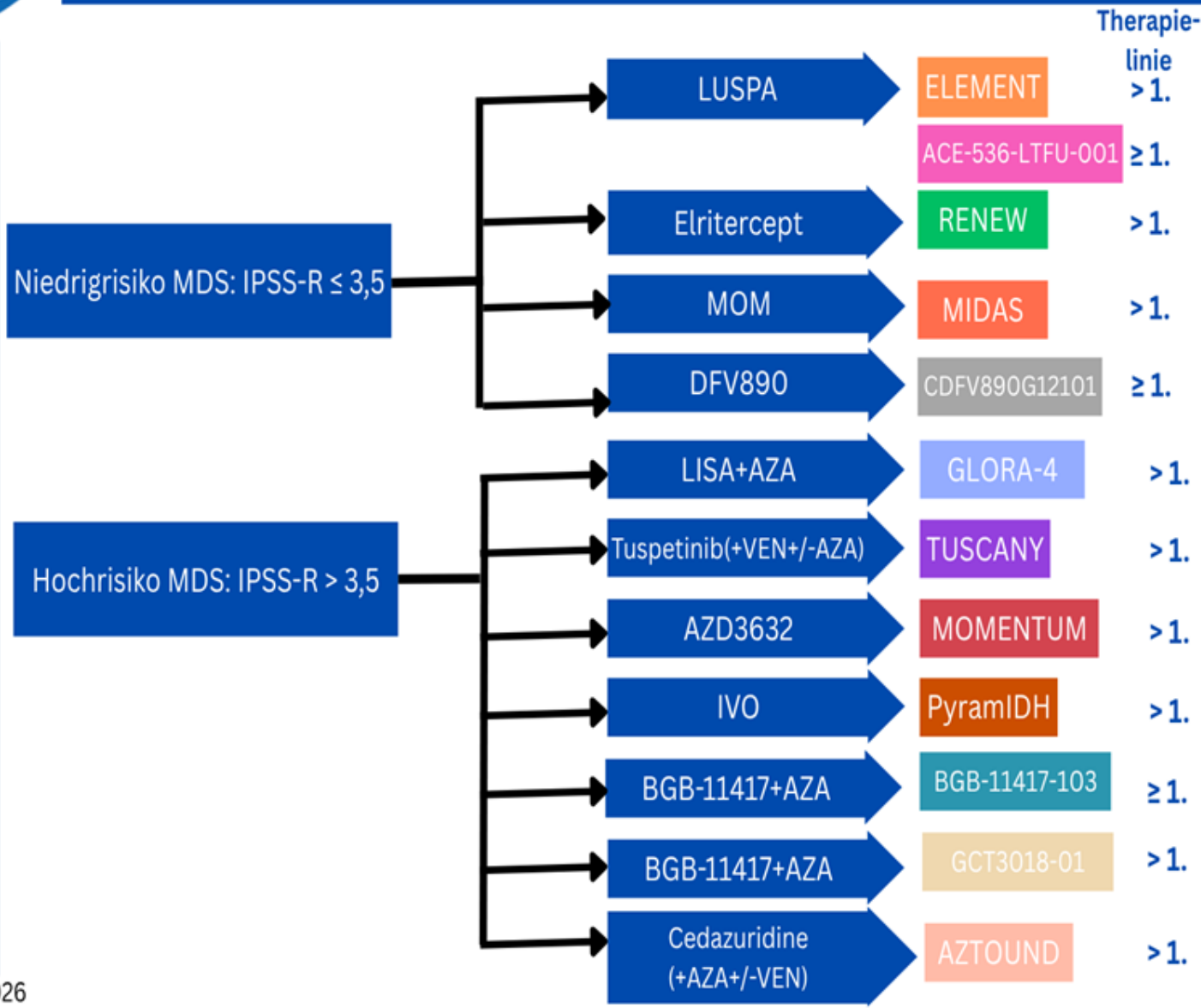
Ausschlusskriterien: vorherige HCT, APL, MDS/MPN



Industry Sponsored  
Trial (IST)

# Aktuell rekrutierende Studien für Erwachsene MDS-Patienten

Behandlung im Rahmen einer klinischen Studie



Therapie-  
linie  
>1.  
≥1.  
>1.  
>1.  
>1.  
>1.  
≥1.  
>1.  
>1.  
≥1.  
>1.  
>1.

**ELEMENT**  
*A Study to Compare the Efficacy and Safety of Luspatercept in Participants With Myelodysplastic Syndrome (MDS) and Anemia Not Receiving Blood Transfusions*  
Hintergrund: Phase 3, randomisiert, Epo o. Luspatercept bei transfusionsabhängigen LR-MDS  
Einschlusskriterien: Hb-Wert ≤ 9.5 g/dL & naiv bzgl. ESA-Behandlung  
Ausschlusskriterien: sekundäres MDS

**RENEW**  
*The Efficacy and Safety of Elritercept in Adult Participants With Very Low, Low, or Intermediate Risk Myelodysplastic Syndromes (MDS) With Anemia*  
Hintergrund: Phase III, randomisierte, Placebo-kontrollierte Studie zur Bewertung der Wirksamkeit und Sicherheit von Elritercept  
Einschlusskriterien: transfusionsabhängig gemäß IWG 2018 & refraktär / rezidiert bzgl. ESA-Behandlung  
Ausschlusskriterien: vorherige HMA-, Luspatercept- o. Sotatercept-Behandlung, sekundäre MDS

**CDFV890G12101**  
*Dose Optimization and Expansion Study of DFV890 in Adult Patients With Myeloid Diseases*  
Hintergrund: Phase Ib, open-label, randomisiert, Optimierung der Zweifachdosierung und Dosiserweiterung  
Einschlusskriterien: refraktär auf ESA, LUSPA oder HMA oder Patienten mit del5q refraktär auf LEN, Blasten ≤ 10% (BM)  
Ausschlusskriterien: systemische antineoplastische Therapie

**ACE-536-LTFU-001**  
*A Phase 3b, Open-label, Single-arm, Rollover Study to Evaluate Long-term Safety in Subjects Who Have Participated in Other Luspatercept (ACE-536) Clinical Trials*  
Hintergrund: Phase IIIb, Evaluierung der Langzeit-Sicherheit  
Einschlusskriterien: Patienten aus der Interventions- o. Placebogruppe (cross-over)  
Ausschlusskriterien: eines oder mehrere Kriterien für den Abbruch der Studie - wie im übergeordneten Luspatercept-Protokoll festgelegt

**MIDAS**  
*A Study of Momelotinib in Participants With Low-risk Myelodysplastic Syndrome*  
Hintergrund: Phase II, randomisierte, open-label, Studie zur Bewertung der Wirksamkeit und Sicherheit von Momelotinib  
Einschlusskriterien: transfusionsabhängiges, Luspatercept oder ESA vorbehandeltes LR-MDS (IPSS-R ≤3.5)  
Ausschlusskriterien: vorherige HMA-, IMiDs oder andere immunsuppressive Therapie

**PyramIDH**  
*Ivosidenib (IVO) Monotherapy and Azacitidine (AZA) Monotherapy in Patients With Hypomethylating Agent (HMA) Naive Myelodysplastic Syndromes (MDS) With an IDH1 Mutation*  
Hintergrund: Phase III, randomisierte, nicht vergleichende Zwei-Arm-Studie zur Monotherapie mit Ivosidenib oder AZA  
Einschlusskriterien: IDH1 R132 Mutation, HMA-naives MDS  
Ausschlusskriterien: SCT, vorherige HMA-, Luspatercept-, Imetelstat-, Lenalidomide-Behandlung & Bcl-2 Inhibitor basierte Regime

**AZTOUND**  
**ClinicalTrials.gov ID: NCT04256317**  
*A Multi-phase Study of ASTX030 (Azacitidine and Cedazuridine) in Myeloid Neoplasm Alone or in Combination With Venetoclax in AML*  
Hintergrund: Phase I, II & III, open-label cross-over, randomisiert, Mono- & Kombinationstherapie  
Einschlusskriterien: refraktäre Anämie, HR, ECOG <1, kein GVHD, allo SZT  
Ausschlusskriterien: extramedulläre Beteiligung, Überempfindlichkeit gegen Cedazuridin oder Azacitidin

**GCT3018-01**  
**ClinicalTrials.gov ID: NCT07384715**  
*An Open-Label, Multicenter, First-in-Human Trial of GEN3018 in Participants With Relapsed or Refractory Acute Myeloid Leukemia or Higher-Risk Myelodysplastic Syndrome*  
Hintergrund: Phase I, II & III, open-label cross-over, randomisiert, Mono- & Kombinationstherapie  
Einschlusskriterien: HR, refraktär o. rezidiert auf HMA, Blasten (BM) ≥ 5%, ECOG ≤ 2  
Ausschlusskriterien: APL, HSCT innerhalb der letzten 3 Monate

**BGB-11417-103**  
**ClinicalTrials.gov ID: NCT04771130**  
*A Phase 1b/2, Open-Label, Dose Finding, and Expansion Study of the Bcl-2 Inhibitor BGB-11417 in Patients With Myeloid Malignancies*  
Hintergrund: Phase Ib/II, open-label, RP2D  
Einschlusskriterien: MDS o. MDS/MPN, ECOG <2  
Ausschlusskriterien: vorherige Therapie mit einem B-Zell-Lymphom-2-Inhibitor

**GLORA-4**  
**EUCT no: 2024-517247-31-00**  
*A Global Multicenter, Double-blind, Randomized, Registrational Phase 3 Study of Lisaftoclax (APG-2575) in Combination with Azacitidine (AZA) in Patients with Newly Diagnosed Higher Risk Myelodysplastic Syndrome (MDS)*  
Hintergrund: Phase III, Placebo-kontrolliert, randomisiert, Studie zur Bewertung der Wirksamkeit und Sicherheit von LISA & AZA  
Einschlusskriterien: neu diagnostiziertes MDS (HR)  
Ausschlusskriterien: HSCT

**MOMENTUM**  
**ClinicalTrials.gov ID: NCT07155226**  
*Study of AZD3632 Monotherapy or in Combination With Anticancer Agents in Participants With Advanced Haematologic Malignancies With KMT2Ar, NPM1m, or Other Genotypes*  
Hintergrund: Phase I/II, Open-label, Studie zur Bewertung der Wirksamkeit und Sicherheit von AZD3632  
Einschlusskriterien: Rezidierte o. refraktäre HR-MDS nach HMA, Blasten im KM ≥ 5%  
Ausschlusskriterien: hohe Kalium- o. Magnesiumwerte

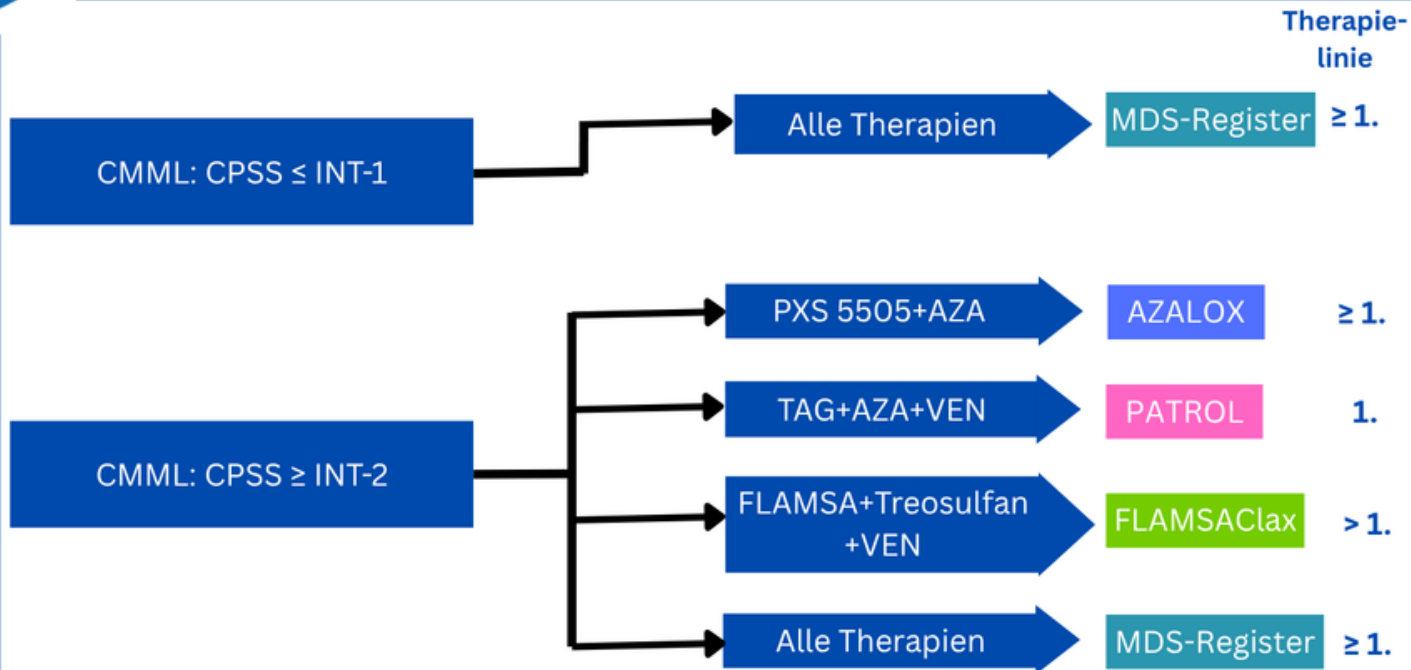
**TUSCANY**  
**ClinicalTrials.gov ID: NCT03850574**  
*A Phase 1/2 Open Label, Multicenter, Dose Escalation and Expansion Study of the Safety, Tolerability, Pharmacokinetics and Pharmacodynamics of HM43239 in Patients With Relapsed or Refractory Acute Myeloid Leukemia (AML)*  
Hintergrund: Phase I/II, open-label, Studie zur Bewertung der Wirksamkeit und Sicherheit von HM43239  
Einschlusskriterien: MDS-IB2, Blasten ≥ 10% BM, rezidiert/refraktär auf eine vorherige Therapie, ECOG ≤ 2  
Ausschlusskriterien: HSCT innerhalb der letzten 2 Monate, klinisch signifikante GVHD



Behandlung im Rahmen einer klinischen Studie

Investigator Initiated  
Trial (IIT)

Aktuell rekrutierende Studien  
für Erwachsene CMML-Patienten

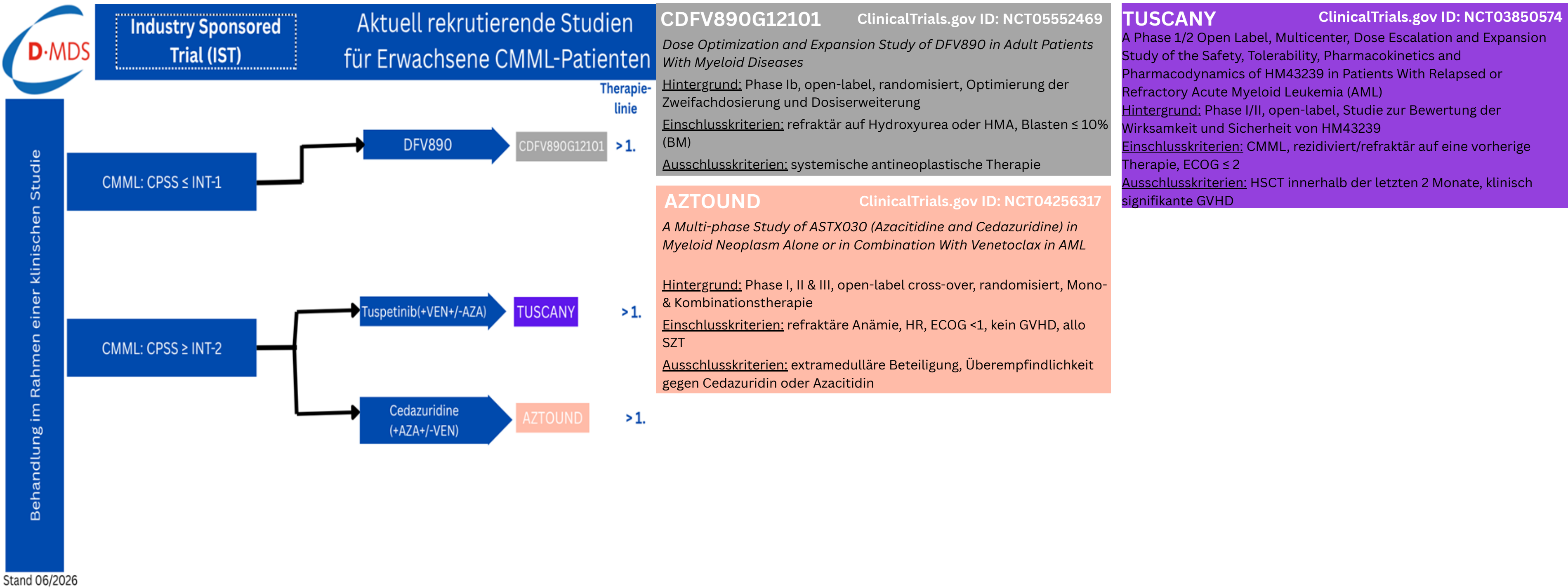


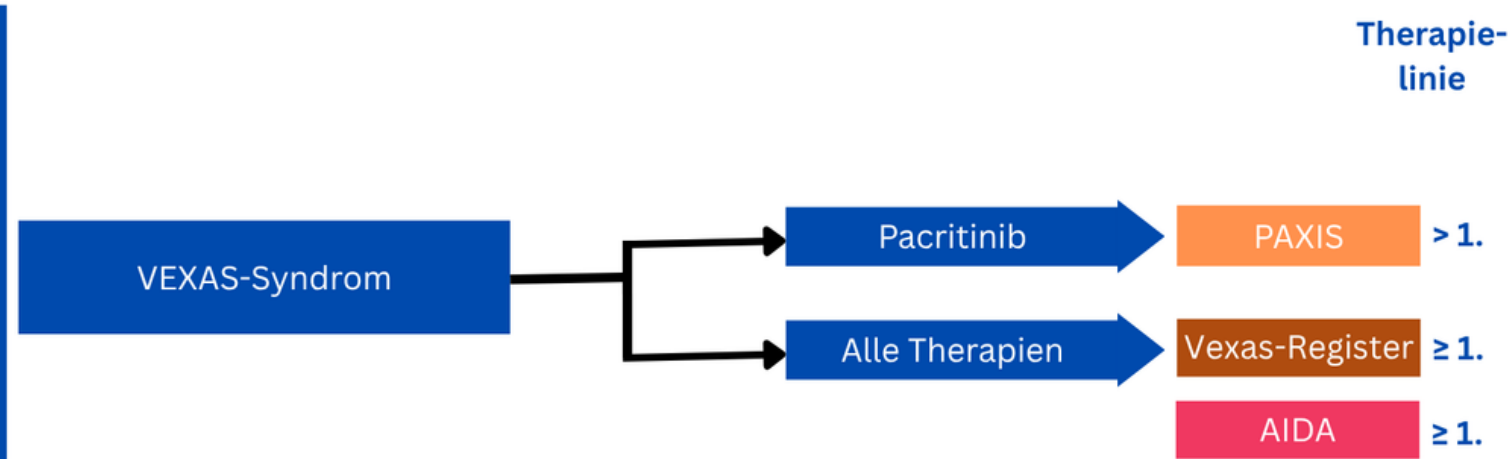
**MDS-Register**  
*Prospective and retrospective data collection on diagnosis, treatment and course of disease of myelodysplastic syndromes in adults*  
Hintergrund: Prospektive & retrospektive Datensammlung (Register)  
Einschlusskriterien: MDS, MDS-MPD, AML (AML-MRC) gemäß WHO-Klassifikation, t-MDS, t-AML mit Blasten <30%, MDS-assoziiert: ICUS, CHIP & CHOP, Verfügbarkeit für follow-ups  
Ausschlusskriterien: andere myeloische Neoplasien

**AZALOX** **DRKS-ID: DRKS00028761**  
*Eine multizentrische offene Phase-Ib/II-Studie zur Bewertung der Sicherheit und vorläufigen Wirksamkeit von PXS 5505 zur pan-LOX/LOXL-Hemmung in Kombination mit Azacitidin bei Patienten mit MDS o. CMML*  
Hintergrund: PXS-5505 (Amsulostat) + AZA bei transfusionsabhängigen HR-MDS o. CMML  
Einschlusskriterien: Transfusionsabhängigkeit in den letzten 16 Wochen, Hb<8 g/dl, ECOG ≤ 2  
Ausschlusskriterien: vorherige Kombinationsbehandlung mit AZA und VEN

**FLAMSAClax** **ClinicalTrials.gov ID: NCT05807932**  
*Venetoclax in Addition to Sequential Conditioning With Fludarabine / Amsacrine / Ara-C (FLAMSA) + Treosulfan for Allogeneic Blood Stem Cell Transplantation in Patients With MDS, CMML or sAML*  
Hintergrund: Phase I/II, Dosisfindung von VEN bei Fludarabin, Amsacrine and Ara-C + Treosulfan  
Einschlusskriterien: vorbehandeltes MDS-HR gemäß WHO Klassifikation (revised version 2016)  
Ausschlusskriterien: alloSCT, Blasten >30% (BM)

**PATROL** **EUCT Number: 2024-511102-22**  
*A Phase II study of Azacitidine (AZA) combined with Venetoclax (VEN) and Tagraxofusp (TAG) in patients with higher higher-risk CMML*  
Hintergrund: Phase II, Kombination des SOC-Wirkstoffs AZA in Verbindung mit VEN und TAG bei CMML  
Einschlusskriterien: Behandlung mit AZA gemäß der Standardtherapie  
Ausschlusskriterien: CMML mit t (5 ;12) o. PDGFRB-Rearrangement, das mit Imatinib behandelt werden kann, Blasten in KM o. peripheres Blut ≥20%, ZNS-Beteiligung





## PAXIS

ClinicalTrials.gov ID: NCT06782373

*A Study to Assess the Effectiveness and Safety of Pacritinib in Patients With VEXAS Syndrome*

Hintergrund: Bewertung der Wirksamkeit und Sicherheit von Pacritinib bei Patienten mit VEXAS-Syndrom

Einschlusskriterien: Bestätigte Diagnose des VEXAS-Syndroms (molekulargenetischer Nachweis einer UBA1-Mutation), aktuell laufende GC-Therapie, Beteiligung mind. eines der Organsysteme

Ausschlusskriterien: allo-SZT, ≥9 RBC-Transfusionen innerhalb der letzten 90 Tage, MDS - das eine antineoplastische Behandlung erfordert o. HR-MDS

## Vexas-Register

ClinicalTrials.gov ID: NCT06377462

*Multizentrisches nationales VEXAS-Register und begleitender Biomaterial-Sammlung*

Hintergrund: Systematische Datenerfassung zu Verlauf und Therapie

Einschlusskriterien: Bestätigte Diagnose des VEXAS-Syndroms (molekulargenetischer Nachweis einer UBA1-Mutation)

Ausschlusskriterien: Patient:innen mit Komorbiditäten und einer nicht-kurativ intendierten Therapie

## AIDA

ClinicalTrials.gov ID: NCT05200715

*Multizentrisches internationales VEXAS-Register im Rahmen der AutoInflammatory Disease Alliance Registry*

Hintergrund: Systematische Datenerfassung zu Verlauf und Therapie

Einschlusskriterien: Bestätigte Diagnose des VEXAS-Syndroms (molekulargenetischer Nachweis einer UBA1-Mutation)

Ausschlusskriterien: nicht einwilligungsfähig bzw. keine Einwilligungserklärung vorhanden

Investigator  
Initiated Trial  
(IIT)

Industry  
Sponsored Trial  
(IST)