

Aktuelle Studien und Veröffentlichungen

Die Forschung zu DIPG und diffusen Mittelliniengliomen (DMG) entwickelt sich kontinuierlich weiter. Weltweit werden neue Medikamente, zielgerichtete Therapien und Kombinationstherapien in klinischen Studien untersucht.

Auf dieser Seite finden Sie eine Auswahl aktueller Studien, Studienplattformen und wissenschaftlicher Veröffentlichungen, die für Patienten mit DIPG bzw. DMG relevant sein können.

Die Auflistung erhebt keinen Anspruch auf Vollständigkeit. Studien können ihre Rekrutierung kurzfristig öffnen oder schließen und Ein- und Ausschlusskriterien können sich ändern. Wir bemühen uns, die Informationen regelmäßig zu aktualisieren.

Ob ein Kind für eine bestimmte Studie infrage kommt, hängt unter anderem vom Alter, dem Zeitpunkt der Erkrankung, bereits erfolgten Behandlungen, dem molekularen Profil des Tumors und dem Allgemeinzustand ab.

Der in einem Studienregister angegebene Status „Recruiting“ bedeutet außerdem nicht automatisch, dass an jedem beteiligten Zentrum aktuell Patienten aufgenommen werden oder eine Teilnahme für internationale Patienten möglich ist.

Stand: August 2026

Wo können aktuelle Studien gesucht werden?

ClinicalTrials.gov

ClinicalTrials.gov ist eines der wichtigsten internationalen Register für klinische Studien. Dort können Studien unter anderem nach Erkrankung, Wirkstoff, Studienphase, Rekrutierungsstatus und Standort gesucht werden.

Für die Suche können beispielsweise die Begriffe DIPG, Diffuse Midline Glioma, DMG oder H3 K27-altered verwendet werden.

Pediatric Neuro-Oncology Consortium – PNO

Das Pacific Pediatric Neuro-Oncology Consortium (PNO) ist ein internationales Forschungsnetzwerk, das klinische Studien zu kindlichen Hirntumoren durchführt. Dazu gehören auch mehrere Studien speziell für DIPG und diffuse Mittelliniengliome.

DIPG/DMG Center Zürich

Das DIPG/DMG Center am Universitäts-Kinderspital Zürich ist auf die Behandlung und Erforschung von DIPG und DMG spezialisiert und beteiligt sich an internationalen klinischen Studien.

Das Zentrum ist insbesondere für Familien aus Deutschland interessant, da dort auch internationale Patienten vorgestellt und mögliche Studien- oder Behandlungsoptionen geprüft werden können.

Ausgewählte aktuelle Studien

PNOC022 – Adaptive Kombinationstherapie bei DIPG/DMG

PNOC022 (NCT05009992) ist eine adaptive Plattformstudie für Kinder und junge Erwachsene mit DIPG und anderen diffusen Mittelliniengliomen.

Das Besondere an dieser Studie ist, dass Patienten in unterschiedlichen Phasen ihrer Erkrankung eingeschlossen werden können:

- bei Erstdiagnose
- nach Abschluss der ersten Strahlentherapie ohne Progression
- bei Progression
- sowie in weiteren definierten Kohorten

Durch das adaptive Studiendesign können unterschiedliche Kombinationen und Behandlungsstrategien untersucht und im Verlauf angepasst werden.

Eine zentrale Rolle spielt dabei Dordaviprone/ONC201, das abhängig von der jeweiligen Studienkohorte mit weiteren Wirkstoffen kombiniert wird.

PNOC022 wird an verschiedenen internationalen Zentren durchgeführt. Dazu gehört auch das DIPG/DMG Center Zürich.

ClinicalTrials.gov: NCT05009992 [Study Details](#) | [NCT05009992](#) | [Combination Therapy for the Treatment of Diffuse Midline Gliomas](#) | [ClinicalTrials.gov](#)

PNOC023 – ONC206

PNOC023 (NCT04732065) ist eine Phase-I- und Target-Validation-Studie mit ONC206.

ONC206 gehört wie Dordaviprone/ONC201 zur Wirkstoffgruppe der Imipridone, befindet sich jedoch noch in einer deutlich früheren klinischen Entwicklungsphase.

Untersucht werden Kinder und junge Erwachsene mit diffusem Mittelliniengliom sowie bestimmten anderen bösartigen Tumoren des zentralen Nervensystems.

Abhängig von der jeweiligen Studienkohorte können Patienten in unterschiedlichen Erkrankungssituationen eingeschlossen werden.

Da es sich um eine frühe klinische Studie handelt, stehen insbesondere Fragen zur Sicherheit, Verträglichkeit, geeigneten Dosierung, Pharmakokinetik und biologischen Wirkung von ONC206 im Mittelpunkt.

Aus dieser Studienphase kann noch nicht zuverlässig abgeleitet werden, ob ONC206 das Überleben von Kindern mit DIPG verlängert.

ClinicalTrials.gov: NCT04732065 [Study Details](#) | [NCT04732065](#) | [ONC206 for Treatment of Newly Diagnosed, Recurrent Diffuse Midline Gliomas, and Other Recurrent Malignant CNS Tumors](#) | [ClinicalTrials.gov](#)

BIOMEDE 2.0

BIOMEDE 2.0 (NCT05476939) ist eine internationale, multizentrische Phase-III-Plattformstudie speziell für Patienten mit DIPG.

Die BIOMEDE-Studien verfolgen das Ziel, die Behandlung stärker an der Biologie des Tumors auszurichten und neue Medikamente systematisch miteinander zu vergleichen.

In BIOMEDE 2.0 wird unter anderem Dordaviprone/ONC201 mit Everolimus verglichen.

Die Studie ist für die DIPG-Forschung besonders relevant, weil sie speziell auf diese Patientengruppe ausgerichtet ist und unterschiedliche systemische Behandlungsstrategien in einem kontrollierten Studiendesign untersucht.

ClinicalTrials.gov: NCT05476939 [Study Details](#) | [NCT05476939](#) | [Biological Medicine for Diffuse Intrinsic Pontine Glioma \(DIPG\) Eradication 2.0](#) | [ClinicalTrials.gov](#)

ACT001

NCT06838676 ist eine Phase-II-Studie zur Untersuchung des Wirkstoffs ACT001 bei DIPG und H3K27-alterierten hochgradigen Gliomen.

ACT001 ist ein oral einzunehmender Wirkstoff, der verschiedene Signalwege beeinflusst, die am Wachstum und Überleben von Tumorzellen beteiligt sein können.

Die Studie untersucht ACT001 sowohl bei neu diagnostizierten als auch bei progressiven bzw. therapierefraktären Erkrankungen.

Da es sich weiterhin um eine experimentelle Therapie handelt, ist bislang nicht nachgewiesen, dass ACT001 das Überleben von Patienten mit DIPG verlängert.

ClinicalTrials.gov: NCT06838676 [Study Details](#) | [NCT06838676](#) | [ACT001 for the Treatment of Diffuse Intrinsic Pontine Gliomas and H3K27-altered High Grade Gliomas](#) | [ClinicalTrials.gov](#)

Zielgerichtete Therapie bei PDGFRA-Veränderungen – Avapritinib

Avapritinib ist ein zielgerichteter Tyrosinkinase-Inhibitor, der unter anderem den Rezeptor PDGFRA hemmt.

Veränderungen von PDGFRA kommen bei einem Teil der pädiatrischen hochgradigen Gliome und diffusen Mittelliniengliome vor.

2024 wurden präklinische und klinische Daten veröffentlicht, die zeigen, dass Avapritinib das zentrale Nervensystem erreichen kann und bei einzelnen Kindern und jungen Erwachsenen mit PDGFRA-veränderten hochgradigen Gliomen eine antitumorale Aktivität zeigte.

Avapritinib ist deshalb insbesondere für Patienten interessant, bei denen eine entsprechende PDGFRA-Veränderung im Tumor nachgewiesen wurde.

Dieser Ansatz verdeutlicht die zunehmende Bedeutung einer molekularen Untersuchung des Tumorgewebes: Zielgerichtete Medikamente können nur dann sinnvoll ausgewählt werden, wenn bekannt ist, welche molekularen Veränderungen im jeweiligen Tumor vorhanden sind.

Avapritinib ist nicht speziell für DIPG zugelassen. Ein Einsatz muss deshalb individuell mit einem erfahrenen kideronkologischen bzw. neuroonkologischen Zentrum besprochen werden.

Dordaviprone/ONC201 – Expanded Access für DIPG

Für Patienten, die Dordaviprone nicht innerhalb einer klinischen Studie erhalten können, bestehen unter bestimmten Voraussetzungen Möglichkeiten eines Zugangs außerhalb klinischer Studien.

Das registrierte Expanded-Access-Programm NCT04617002 enthält ausdrücklich einen eigenen Arm für Patienten mit DIPG.

Als DIPG werden dabei Tumoren mit pontinem Epizentrum und diffuser Beteiligung der Pons definiert.

Für diesen DIPG-Arm muss der H3K27M-Status nicht zwingend bekannt oder positiv sein.

Expanded Access bzw. Compassionate Use ist keine klinische Wirksamkeitsstudie. Ziel ist es, Patienten mit einer schweren oder lebensbedrohlichen Erkrankung unter bestimmten Voraussetzungen Zugang zu einem Medikament zu ermöglichen, wenn eine Behandlung innerhalb einer regulären klinischen Studie nicht möglich ist.

Welche Zugangsmöglichkeit aktuell für einen Patienten aus Deutschland besteht, muss individuell geprüft werden. Der entsprechende Antrag erfolgt grundsätzlich über den behandelnden Arzt.

Weitere Informationen zu Dordaviprone, der FDA-Zulassung, Zugangsmöglichkeiten und der Situation der Kostenübernahme in Deutschland finden Sie auf unserer Seite Dordaviprone (ONC201/Modeyso™).

ClinicalTrials.gov: NCT04617002 [Erweiterter Zugang](#) | [Jazz Pharmaceuticals](#)

ACTION-Studie – nicht für klassisches DIPG

Die internationale Phase-III-Studie ACTION (NCT05580562) untersucht Dordaviprone/ONC201 nach Abschluss der ersten Strahlentherapie bei neu diagnostizierten H3K27M-mutierten diffusen Gliomen.

Für Familien mit DIPG ist eine Einschränkung entscheidend:

Patienten mit klassischem DIPG sind von der ACTION-Studie ausdrücklich ausgeschlossen.

Als klassisches DIPG gelten in diesem Zusammenhang Tumoren mit einem pontinen Epizentrum und diffuser Beteiligung der Pons.

Die ACTION-Studie sollte deshalb bei der Suche nach einer Behandlungsmöglichkeit für ein Kind mit klassischem DIPG nicht als verfügbare DIPG-Studie verstanden werden.

Ihre Ergebnisse sind dennoch wissenschaftlich relevant, weil die Studie wichtige Erkenntnisse darüber liefern soll, ob Dordaviprone nach der ersten Strahlentherapie das progressionsfreie und das Gesamtüberleben bei anderen H3K27M-mutierten diffusen Gliomen verbessern kann.

ClinicalTrials.gov: NCT05580562 [Studiendetails](#) | [NCT05580562](#) | [ONC201 in H3 K27M-mutiertem diffusem Gliom nach Strahlentherapie \(die ACTION-Studie\)](#) | [ClinicalTrials.gov](#)

Wissenschaftliche Veröffentlichungen

Neben klinischen Studien werden regelmäßig Ergebnisse aus abgeschlossenen Studien sowie präklinischen und translationalen Forschungsprojekten veröffentlicht.

Solche Veröffentlichungen können wichtige Hinweise auf neue Behandlungsansätze geben. Sie bedeuten jedoch nicht automatisch, dass eine darin beschriebene Therapie bereits als reguläre Behandlung verfügbar oder ihre Wirksamkeit ausreichend nachgewiesen ist.

Dordaviprone / ONC201

Publizierte klinische Daten zeigen, dass ein Teil der Patienten mit H3K27M-mutierten diffusen Mittelliniengliomen auf Dordaviprone ansprechen kann.

Im August 2025 erhielt Dordaviprone in den USA eine beschleunigte FDA-Zulassung für Erwachsene und Kinder ab einem Jahr mit progressivem H3K27M-mutiertem diffusem Mittelliniengliom.

Für DIPG ist dabei wichtig: Patienten mit klassischem DIPG waren aus der zentralen Wirksamkeitsanalyse, die der FDA-Zulassung zugrunde lag, ausgeschlossen.

Ausführliche Informationen dazu finden Sie auf unserer Seite Dordaviprone (ONC201/Modeyso™).

Avapritinib / PDGFRA

Die veröffentlichten Daten zu Avapritinib bei PDGFRA-veränderten pädiatrischen hochgradigen Gliomen zeigen, wie wichtig die molekulare Charakterisierung eines Tumors für die Entwicklung neuer Therapieansätze geworden ist.

Bei einzelnen Patienten mit entsprechenden PDGFRA-Veränderungen wurden klinische Reaktionen beobachtet. Weitere Untersuchungen sind notwendig, um zu bestimmen, welche Patienten am ehesten von einer solchen Behandlung profitieren und welchen Einfluss die Therapie auf den Krankheitsverlauf hat.

Unterstützung bei der Studiensuche

Die Suche nach einer geeigneten klinischen Studie ist bei DIPG kompliziert. Nicht jede Studie passt zu jedem Kind und nicht jede Studie ist zu jedem Zeitpunkt der Erkrankung zugänglich.

Entscheidend können unter anderem sein:

- Alter und Gewicht des Kindes
- Zeitpunkt seit Diagnose und Strahlentherapie
- neu diagnostizierte oder fortgeschrittene Erkrankung
- bereits erfolgte Behandlungen
- molekulare Eigenschaften des Tumors
- vorhandenes Tumormaterial
- Allgemeinzustand des Kindes
- vorherige Behandlung mit bestimmten experimentellen Medikamenten
- notwendige Untersuchungen oder Eingriffe
- Rekrutierungsstatus des jeweiligen Studienzentrums
- Aufnahme internationaler Patienten

Gerade der letzte Punkt ist wichtig: Der Status „Recruiting“ in einem Studienregister bedeutet nicht automatisch, dass ein Zentrum aktuell internationale Patienten aufnimmt.

Wenn Sie Unterstützung bei der Suche nach einer geeigneten Studie, bei der Einordnung der Voraussetzungen oder bei der Kontaktaufnahme mit einem Studienzentrum benötigen, können Sie sich gerne an uns wenden.

Bitte beachten Sie: Informationen zu klinischen Studien können sich kurzfristig ändern. Maßgeblich sind immer die aktuellen Ein- und Ausschlusskriterien des jeweiligen Studienprotokolls und die individuelle Prüfung durch das Studienzentrum.