

Ensayos clínicos en enfermedades renales hereditarias activos en España



DRA. GEMA ARICETA

Jefa del Servicio de Nefrología
Pediátrica. Hospital
Universitario Vall d'Hebron.
Barcelona

DRA. ROSER TORRA

Enfermedades Renales
Hereditarias. Fundació Puigvert.
Barcelona

En los últimos años el número de fármacos en desarrollo para enfermedades renales hereditarias ha crecido exponencialmente. Aunque es alentador, hemos de ser conscientes que no todos ellos llegarán hasta el final. Pero nos complace compartir los ensayos clínicos activos en estos momentos. Cada ensayo tiene unos criterios de inclusión muy estrictos. Esto quiere decir que solo algunos pacientes con esa enfermedad determinada los cumplirán. Si usted padece alguna de estas enfermedades y desea participar en un ensayo clínico debe contactar con su médico para que verifique si cumple criterios y si es así le dirá en qué centros se realizan. Hay que saber que en los ensayos clínicos hay pacientes que toman el fármaco de estudio y otros toman placebo. El objetivo es comparar qué ocurre en unos y otros para valorar la eficacia y seguridad del fármaco. Hay que tener en cuenta que cuando se llega a fases de incluir pacientes, el fármaco ha sido ya probado en sujetos sanos, por lo que el aspecto de la seguridad está razonablemente garantizado.

SÍNDROME DE ALPORT

HERA. Estudio de fase 2, aleatorizado, doble ciego, controlado con placebo para evaluar la seguridad, eficacia, farmacodinámica y farmacocinética de Lademirsen (SAR339375) en inyección subcutánea administrada cada semana en pacientes con Síndrome de Alport.

SÍNDROME HEMOLÍTICO URÉMICO ATÍPICO

ALXN1210-TMA-315. Se trata de un ensayo fase 3, aleatorizado y doble ciego, para valorar el uso de Ravulizumab (anti-C5) en pacientes adultos con microangiopatías trombóticas consideradas secundarias:

- Causa autoinmune
- Infección
- Trasplante órgano sólido
- Fármacos
- HTA maligna

COMMUTE (Crovalimab). Ensayo de fase 3, multicéntrico y de brazo único para valorar el uso de Crovalimab (anti-C5) en pacientes adultos y adolescentes con aHUS (síndrome hemolítico urémico atípico).

HIPOXALURIA PRIMARIA

DCR-PHXC-301: Un estudio abierto para evaluar la seguridad y eficacia a largo plazo de la solución DCR-PHXC para inyección (uso subcutáneo) en pacientes con Hiperoxaluria primaria.

DCR-PHXC-204: Estudio abierto de fase 2 para evaluar la seguridad y eficacia de DCR-PHXC en pacientes con Hiperoxaluria primaria tipo 1 o 2 y deterioro renal grave, con o sin diálisis.

DCR-PHXC-203: Estudio multicéntrico abierto de fase 2 para evaluar la seguridad, farmacocinética y eficacia de Nedosiran en pacientes pediátricos desde el nacimiento hasta los 5 años de edad con Hiperoxaluria primaria y función renal relativamente intacta.

POLIQUISTOSIS RENAL AUTOSÓMICA DOMINANTE

FALCON. Ensayo en fase 3 para valorar la eficacia y seguridad de la Bardoxolona metil en pacientes con enfermedad renal poliquística Autosómica Dominante.

POLIQUISTOSIS RENAL AUTOSÓMICA DOMINANTE

El ensayo **STAGE-PKD** estudiaba la eficacia y seguridad de Venglustat en la Poliquistosis Renal Autosómica Dominante. Se interrumpió en junio de 2021 por evidencia de falta de eficacia.

POLIQUISTOSIS RENAL AUTOSÓMICA DOMINANTE

GLPG2737-CL-203. Estudio multicéntrico, exploratorio, aleatorizado, doble ciego y controlado con placebo para evaluar la eficacia, la seguridad, la tolerabilidad y la farmacocinética de GLPG2737 administrado por vía oral durante 52 semanas en sujetos con Poliquistosis Renal Autosómica Dominante (PQRAD).

ENFERMEDAD DE FABRY

Estudio MODIFY. Estudio multicéntrico, doble ciego, aleatorizado, controlado con placebo y de grupos paralelos para determinar la eficacia y la seguridad de Lucerastat en monoterapia oral en adultos con enfermedad de Fabry.