






全球临床试验焦点

ISN-ACT (临床试验前沿) 团队每月提供肾脏病学的随机临床试验集锦。针对这些试验的选择不仅考虑到了它们的影响力,同时也为了要展示全球肾脏病学界的研究多样性。每项试验都被赋予了短评并评估了偏倚风险。我们希望借此推动并提高临床试验的质量,并促进更多的人参与临床试验的研究活动。


您赞同我们的月度最佳推荐临床试验选择吗? 告诉我们您的想法!

@ISNeducation



-  偏倚风险评估指标
-  随机序列产生
-  分配隐藏
-  受试者和研究人员的盲法
-  结果评价的盲法
-  完整的结果数据
-  完整的结果报告
- 无其他偏倚

高风险 

风险不明/未描述 

低风险 

想开启您自己的临床试验?

ISN-ACT 临床试验工具包

www.theisn.org/isn-act-toolkit

想写出您自己的评论?

加入 **GTF 团队**

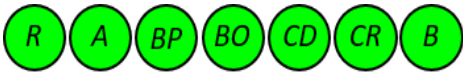
联系我们 research@theisn.org

月度最佳推荐临床试验研究

Cemdisiran 治疗 IgA 肾病中补体介导的炎症: 一种新疗法?

Cemdisiran 治疗成人 IgA 肾病的 2 期临床试验: 一项随机对照试验

[Barratt, J et al., Clin J Am Soc Nephrol 2024/ Apr 1;19\(4\):452-462.](#)



Reviewed by Megan Borkum (Megan Borkum 评议)

Translated by Professor Lili Zhou, Mingsheng Zhu (周丽丽, 朱明胜翻译)



ISN Academy: [肾小球疾病](#)

摘要: Cemdisiran 是一种小干扰 RNA 分子,通过抑制肝脏中 C5 的产生,阻断终末补体途径的激活以及随后的炎症和组织损伤。这项为期 36 周的 2 期双盲研究比较了 Cemdisiran(每 4 周皮下注射 600mg)和安慰剂在经活检证实的原发性 IgA 肾病(IgAN)中的疗效。31 名接受稳定剂量肾素-血管紧张素系统抑制剂治疗(ACEi 或 ARB 治疗 3 个月)的成人受试者,近期无使用类固醇或其他免疫抑制, eGFR \geq 30ml/min/1.73m², 蛋白尿 \geq 1 g/天,这些参与者按 2:1 的比例随机分组(Cemdisiran, n= 22 vs 安慰剂, n= 9)。两组参与者(Cemdisiran vs 安慰剂组)在基线人口统计学和疾病特征方面相似,包括平均年龄(41 vs 38 岁)、中位 eGFR (68 vs 47ml/min/1.73m²)、平均 24 小时尿蛋白/肌酐比(UPCR) (2.0 vs 1.6g/g)和 MEST-C 评分。大多数患者为男性和亚洲人。治疗组的血压都得到了很好的控制。在第 32 周结束时,与安慰剂相比,Cemdisiran 治疗组参与者的主要终点 24 小时 UPCR 基线变化平均降低 37.4% (90% CI: -61.0, 0.5)。与基线相比,第 32 周 24 小时尿液总蛋白(次要终点)的变化平均减少 36.2% (90% CI: -61.6, 6.0)。此外,22.7%的 Cemdisiran 治疗组参与者(安慰剂组为 0%)在第 32 周时 24 小时尿蛋白下降超过 50%。尿样数据也与 24 小时 UPCR 数据一致,显示在第 8 周出现的初步治疗效果并随着时间推移而维持。这发生在第 4 周开始的血清 C5 水平下降之前(这表明肾小球补体激活减少)。该药物具有可接受的安全性,包括没有被封装的生物体感染。Cemdisiran 组的不良事件包括注射部位反应(41% vs 22%安慰剂组),这些反应大多是轻微和短暂的,以及轻度非治疗相关的外周水肿(14% vs 11%安慰剂组)。没有不良事件导致治疗或研究中止。

点评: IgAN 仍然是全世界原发性肾小球疾病最常见的病因。对了解 IgAN 发病机制取得的新进展,导致了针对疾病特异性途径的多项临床试验,以预防肾衰竭,同时最大限度地减少治疗的全身副作用。这种多管齐下

的治疗方法包括:减少致病性 IgA 的产生,减轻持续的肾单位损失,及时减少肾小球炎症和阻止促纤维化信号。没有一种药物可以实现所有这些目标,然而,现有的治疗策略正在不断迅速发展。这些充满希望的数据支持了对 Cemdisiran 作为一种潜在的补体途径抑制剂减少 IgAN 炎症的进一步评估。然而,这项研究的局限性包括参与者人数少和治疗时间短,在解释安全性数据和疗效终点时需要考虑到这一点。目前尚不清楚是否计划在 IgAN 中进行 Cemdisiran 的 III 期研究。

Neeru Agarwal, Megan Borkum, Michele Provenzano, and Anastasiia Zykova 编辑