

ISN TrialWatch

Aprile – Maggio – Giugno 2026

L'ISN-ACT (Advancing Clinical Trials) team presenta mensilmente questo riepilogo di studi randomizzati in nefrologia. I trials sono selezionati non solo per l'impatto clinico, ma anche per mostrare la diversità nella ricerca prodotta dalla comunità globale di nefrologia. Ogni studio è rivisto nel contesto e presenta un rischio di valutazione del bias. Ci auguriamo di poter migliorare la qualità dei trial, promuovendo un maggiore coinvolgimento scientifico in questo tipo di attività.

Chiave per la valutazione del rischio dei bias

- R Generazione di sequenza casuale
- A Occultamento delle assegnazioni
- BP Mascheramento dei partecipanti/personale
- BO Mascheramento dell'outcome
- CD Dati completi sui risultati
- CR Descrizione completa dei risultati
- B Nessuna altra fonte di bias

Alto rischio ●
 Incerto/non definito ●
 Basso rischio ●

Sei d'accordo sul nostro trial del mese?
 Inviaci la tua opinione!

@ISNeducation 

Vuoi sottoporre il tuo trial?
ISN-ACT Clinical Trials Toolkit
www.theisn.org/isn-act-toolkit

Ti piacerebbe fare una revisione? Entra nel
 ISN TrialWatch team. Contattaci
research@theisn.org

Accademia ISN: [Malattia renale cronica](#)

Un nuovo approccio alla malattia renale diabetica: terapia con cellule autologhe

Un trial clinico randomizzato sulla terapia con cellule renali autologhe nella malattia renale diabetica

Cizman et al., 2026 DOI: [10.2215/CJN.0000000969](https://doi.org/10.2215/CJN.0000000969)



Revisionato da Ahad Qayyum

Tradotto da Miriam Di Nunzio



Sintesi: Questo studio clinico randomizzato di fase 2, multicentrico e open-label (REGEN-007, NCT05018416), ha valutato se una terapia con cellule autologhe (rilparencel) fosse in grado di rallentare la progressione della malattia renale diabetica. Cinquantatré partecipanti provenienti da cinque centri sono stati randomizzati con rapporto 1:1 in due coorti. Tutti i partecipanti erano affetti da diabete mellito di tipo 1 o di tipo 2, con un filtrato glomerulare stimato (eGFR) compreso tra 20 e 50 mL/min/1,73 m² e un rapporto albumina/creatinina urinario (UACR) compreso tra 30 e 5000 mg/g. Il rilparencel è stato ottenuto da ciascun partecipante mediante biopsia renale percutanea, eseguita con guida radiologica, e successiva processazione del campione mediante digestione enzimatica, coltura cellulare *ex vivo* e centrifugazione, al fine di isolare cellule epiteliali renali. Nella coorte 1 sono state effettuate due iniezioni percutanee TC-guidate di rilparencel nella corticale renale, a distanza di tre mesi l'una dall'altra, una per ciascun rene. Nella coorte 2 è stata somministrata inizialmente una singola iniezione; una seconda iniezione veniva eseguita solo in presenza di una riduzione persistente dell'eGFR o di un aumento dell'UACR. I partecipanti sono stati seguiti per 18 mesi dall'ultima somministrazione.

L'endpoint primario di efficacia era rappresentato dalla variazione dello slope dell'eGFR tra il periodo precedente alle iniezioni e il periodo successivo all'ultima somministrazione. L'endpoint primario di sicurezza era costituito dalla percentuale di partecipanti che hanno sviluppato eventi avversi emergenti dal trattamento (treatment-emergent adverse events, TEAEs) correlati alla procedura o al rilparencel.

Nella coorte 1, lo slope dell'eGFR è migliorato da -5,84 a -1,27 mL/min/1,73 m²/anno (differenza 4,57; IC 95% 1,95-7,18). Analogamente, nella coorte 2, lo slope dell'eGFR è passato da -3,40 a -1,71 mL/min/1,73 m²/anno (differenza

1,70; IC 95% -0,24–3,63). L'effetto più marcato osservato nella coorte 1 è stato attribuito a una maggiore esposizione al rilparencel, poiché il 96% dei partecipanti ha ricevuto due iniezioni (intervallo mediano 4 mesi), rispetto al 60% della coorte 2 (intervallo mediano 11 mesi).

Su un totale di 87 iniezioni, eventi avversi emergenti dal trattamento (TEAEs) correlati alla procedura si sono verificati in 16 partecipanti, mentre eventi avversi correlati al rilparencel sono stati osservati in 6 partecipanti. Non sono stati riportati eventi avversi gravi correlati al prodotto né decessi correlati alla procedura o al rilparencel. È attualmente in corso uno studio di fase 3 controllato con procedura sham (NCT05099770).

Commento: Il rilparencel rappresenta un concetto realmente innovativo nel trattamento della malattia renale cronica (CKD). I quattro pilastri terapeutici attualmente consolidati per la malattia renale diabetica (blocco del RAS, SGLT2-inibitori, agonisti del recettore del GLP-1 e MRA non steroidei) agiscono principalmente modificando il microambiente in cui operano i nefroni, rallentando così la progressione della malattia. Il rilparencel, invece, mira ad aumentare il tessuto funzionale utilizzando cellule renali espanse del paziente stesso. Questo passaggio dal "proteggere" la funzione renale residua al "rigenerarla" rappresenta un contributo unico e innovativo che questo studio apporta agli approcci terapeutici esistenti. Inoltre, poiché il prodotto è autologo, evita l'immunogenicità che ha limitato i precedenti approcci allogenici e basati sulle cellule staminali. Ciò è particolarmente importante perché, nonostante l'ottimizzazione delle terapie attualmente disponibili, molti pazienti continuano a progredire verso l'insufficienza renale e rimangono poche nuove opzioni terapeutiche con meccanismi d'azione differenti.

Tuttavia, il disegno dello studio presenta importanti limitazioni. La valutazione dell'efficacia si basa su un confronto intra-paziente con lo slope storico dell'eGFR, piuttosto che con un gruppo di controllo. Le coorti, inoltre, non sono direttamente confrontabili e la popolazione, di piccole dimensioni e costituita prevalentemente da uomini di etnia caucasica, limita la generalizzabilità dei risultati. Sebbene il profilo di sicurezza sia rassicurante, i principali rischi sono correlati alla procedura. Lo studio di fase 3 controllato con procedura sham (NCT05099770), attualmente in corso, rappresenta pertanto il necessario passo successivo. I futuri studi dovranno inoltre chiarire il meccanismo alla base dell'effetto osservato, in particolare la mancanza di effetto sull'albuminuria, definire il dosaggio ottimale e identificare i pazienti che hanno maggiori probabilità di beneficiare del trattamento.

A cura di Neeru Agarwal, Megan Borkum, Mohamed Elrggal, Michele Provenzano e Anastasiia Zykova