Estudio de fase 3, multicéntrico y abierto para evaluar la farmacocinética, la farmacodinamia, la eficacia y la seguridad de Ravulizumab en participantes pediátricos (de 2 a <18 años de edad) con Nefropatía primaria por Inmunoglobulina A (NIgA)

Estado	Tipo de Participantes	Rangos de Edad
Reclutando	Sujetos incapaces de otorgar consentimiento	Menores de 18 , Adolescentes (12-17 años) , Niños (2-11 años) , Lactantes y preescolar (28 días - 23 meses)
Género	**Fases**	**Participantes esperados**
Ambos	Fase III	18
Resultados	**Bajo nivel intervención**	**Enfermedad rara**
Sin resultados	No	Si
Cobertura geográfica	**Ámbitos del ensayo**	**Terapia avanzada**
Sin determinar	farmacocinética, farmacodinamica	NO

Información

Identificador
2024-520167-13-00 (CTIS)

Cod. Protocolo
ALXN1210-IgAN-325

Área terapéutica
·Equipos y técnicas terapéuticas, analíticas y diagnósticas [E] - Procedimientos quirúrgicos u operativos [E04]
·Enfermedades [C] - Hematología [C15]

Enfermedad investigada
Nefropatía por Inmunoglobulina A

Título Científico
Estudio de fase 3, multicéntrico y abierto para evaluar la farmacocinética, la farmacodinamia, la eficacia y la

seguridad de Ravulizumab en participantes pediátricos (de 2 a <18 años de edad) con Nefropatía primaria por Inmunoglobulina A (NIgA)

Justificación

No aportado

Objetivo Principal

Para evaluar la eficacia de ravulizumab en participantes pediátricos.

Variables de Evaluación Primaria

Cambio con respecto al inicio en la proteinuria según el CPCO en la semana 34

Momentos temporales de evaluación primaria

No aportado

Objetivo Secundario

Caracterizar la FC y la FD del tratamiento con ravulizumab, en participantes pediátricos para apoyar la extrapolación de la eficacia de la población adulta

Variables de Evaluación Secundaria

1. PK/PD parameters (at trough and peak) will be evaluated at Baseline and at different timepoints through Week 34 as follows: PK: Cmax and Ctrough (measured at end of dosing interval) PD: change in serum free C5 concentrations over time Change from Baseline in proteinuria based on UPCR at Week 10
Incidence of TEAEs, TESAEs, and AESIs over time.
Change from Baseline in vital signs, and laboratory assessments.
ADA incidence, ADA response categories, and titer, as well as NAb incidence for the duration of the study.

Momentos temporales de evaluación secundaria

No aportado

Criterios de Inclusión

El/La participante debe tener ¿2 y <18 años inclusive en el momento de firmar el consentimiento o asentimiento informado. Los participantes que estén recibiendo SGLT2i, DEARA (p. ej., esparsentán), ARM, ARE o agonistas del GLP1-deben recibir una dosis estable y máxima permitida o tolerada durante ¿ 3 meses antes de la Selección sin cambios planificados en la dosis hasta la Semana 34. Peso corporal ¿10 kg en la selección. Uso de anticonceptivos y métodos de barrera, así como pruebas de embarazo, según sea apropiado para la edad y la actividad sexual de los participantes pediátricos o según lo exigido por las normativas locales, tal y como se describe en el protocolo. Para reducir el riesgo de infección meningocócica (N meningitidis), todos los participantes deben recibir la vacuna contra la infección meningocócica de los serogrupos A, C, W135 e Y (y B cuando esté disponible, por ejemplo en Estados Unidos, Europa, etc) en los 3 años y al menos 2 semanas anteriores a la primera dosis del tratamiento del estudio. Si la vacunación se produce <2 semanas desde la primera dosis del tratamiento del estudio, el participante recibirá antibióticos profilácticos durante al menos 2 semanas después de la vacunación inicial. Las vacunaciones deben seguir las directrices nacionales/locales. Debe haber recibido vacunación contra Haemophilus influenzae tipo b y Streptococcus pneumoniae, a menos que haya sido vacunado previamente de acuerdo con las directrices nacionales y locales vigentes de vacunación. Hombre o mujer (según sus órganos y funciones reproductivas asignadas por el complemento cromosómico) (FDA, 2020) asignado en el nacimiento, incluidas todas las identidades de género. El Investigador, o una persona designada por el Investigador, obtendrá el consentimiento informado por escrito del tutor legal de cada participante del estudio y el asentimiento del participante, cuando proceda, antes de que se lleve a cabo cualquier actividad específica del estudio. Todos los tutores legales deben estar plenamente informados, y los participantes deben ser informados en la mayor medida posible, sobre el estudio en el lenguaje y términos que sean capaces de comprender. El tutor legal o el cuidador principal deben ser capaces de mantener con precisión el registro del niño en casa, incluidos los elementos de salud general. Diagnóstico establecido del diagnóstico de NIgA primaria basado en una biopsia renal, con ¿ 50% de fibrosis intersticial y atrofia tubular, y ¿ 50% de esclerosis glomerular obtenida; en los 3 años anteriores a la Selección o durante el Periodo de Selección. Diagnóstico establecido de NIgAV basado en una biopsia renal con ¿ 50% de fibrosis intersticial y atrofia tubular, y ¿ 50% de esclerosis glomerular obtenida; en los 3 años anteriores a la Selección o durante el Periodo de Selección. Si reciben medicamentos inmunosupresores (p. ej., corticosteroides, ciclofosfamida, ICN, mizoribina o MMF) para el tratamiento de las manifestaciones renales de NIgAV, la medicación debe ser estable durante ¿1 mes antes de la selección. CPCO ¿1 g/g de la media de 3 recogidas de la primera orina de la mañana en el plazo de 1 semana durante el periodo de selección (se debe recoger en casa). TFGe ¿30 ml/min/1,73 m 2 durante la selección, calculada mediante la ecuación CKiD U25 (Cystatina C)(Pierce, 2021). Adhesión y cumplimiento terapéutico con la dosis estable (ajustada según el peso a discreción del IP) y máxima permitida o tolerada de iSRA (IECA o ARA) durante ¿3 meses antes de la selección sin cambios planificados en la dosis (ajustada según el peso a discreción del IP) durante la selección hasta la semana 106. Se pueden incluir participantes con intolerancia a los medicamentos iSRA

Criterios de Exclusión

Diagnóstico de glomerulonefritis progresiva rápida medida por la pérdida de TFGe ¿50 % durante un periodo de 3 meses antes de la selección y/o presentar > 50 % de semilunas en la biopsia renal antes de la selección. Criterios de presión arterial sistémica Si < 13 años de edad: presión arterial sistémica ¿ percentil 95 + 12¿mm¿Hg para sexo y talla, o ¿ 140/90¿mm¿Hg, lo que sea menor. Si ¿ 13 años de edad: presión arterial sistémica ¿ 140/90¿mm¿Hg Antecedentes de neoplasia maligna en los 5 años anteriores a la selección, excepto cáncer de piel no melanoma o carcinoma in situ de cuello uterino que se haya tratado sin signos de recidiva. Síndrome urémico hemolítico diagnosticado en cualquier momento antes de la selección. Hipersensibilidad a cualquiera de los ingredientes contenidos en el tratamiento del estudio, incluidas las proteínas murinas. Productos biológicos para el tratamiento de la NIgA o NIgAV en los 6 meses previos a la selección. Medicinas tradicionales chinas y medicamentos patentados chinos con propiedades inmunosupresoras sistémicas, incluidos, entre otros, Tripterygium wilfordii o medicamentos que contienen Tripterygium wilfordii para el tratamiento de la NIgA o la NIgAV en los 6 meses previos a la selección. Haber recibido un inhibidor del complemento ¿30 días o 5 semividas, lo que sea más largo, antes de la selección. Inclusión actual o participación pasada en cualquier otro estudio clínico en el que se haya administrado un tratamiento en investigación (p. ej., fármaco, vacuna, dispositivo invasivo) en las 5 vidas medias (si se conocen) antes de la firma del consentimiento en este estudio clínico. Estar embarazada, amamantando o tener la intención de concebir durante el estudio y dentro de los 8 meses posteriores a la última dosis del tratamiento del estudio. Imposibilidad de desplazarse a la clínica para visitas específicas durante el estudio o para cumplir los requisitos

logísticos de la administración del tratamiento del estudio. Abuso o dependencia de drogas o alcohol en el año anterior a la selección que interfiera con la capacidad de participar en el estudio clínico. El participante, progenitor o tutor legal está implicado en la planificación o realización del estudio (esto se aplica tanto al personal del promotor como al del centro). Haber recibido inmunosupresión sistémica (p. ej., corticosteroides, ciclofosfamida, ICN, mizoribina o MMF) en los 3 meses previos a la selección o budesonida en los 6 meses previos a la selección para el tratamiento de la NIgA. Inmunosupresión sistémica recibida en los 3 meses previos a la selección para manifestaciones extrarrenales de IgAV. Cirugía urológica programada que se espera que afecte a la función renal en el intervalo de tiempo del estudio. Antecedentes de síntomas graves de IgAV (p. ej., incluidos, entre otros, orquitis, vasculitis cerebral, hemorragia pulmonar, hemorragia gastrointestinal) en el año anterior a la selección.¿ Inmunodeficiencia congénita. Antecedentes de infección recurrente inexplicable. Afecciones médicas o psicológicas conocidas, o factores de riesgo que, en opinión del investigador o el promotor, podrían interferir con la plena participación del participante en el estudio, presentar un riesgo adicional para el participante o confundir la evaluación del participante o el resultado del estudio. Antecedentes de infección por N meningitidis o infección no resuelta. Antecedentes conocidos de VIH, infección activa por hepatitis B o hepatitis C activa. Formas de NIgA secundarias no en el contexto de NIgA o NIgAV primarias (p. ej., debida a lupus eritematoso sistémico (LES), cirrosis o enfermedad celíaca). Infección sistémica activa bacteriana, vírica o micótica en los 14 días anteriores a la aleatorización. Diabetes mellitus no controlada, con hemoglobina glucosilada (HbA1c) >8,5 %. Enfermedad renal clínicamente significativa concomitante distinta de la NIgA o NIgAV. Remisión clínica de la NIgA/NIgAV o mejoría clínicamente significativa de la proteinuria en los últimos 6 meses. Antecedentes de trasplante renal o trasplante renal programado durante el período de evaluación del tratamiento. Antecedentes de trasplante de otro órgano sólido (corazón, pulmón, intestino delgado, páncreas o hígado) o de médula ósea; o trasplante programado durante el periodo de evaluación de evaluación primario o durante el periodo de extensión, excepto en el caso del trasplante de córnea. Esplenectomía o asplenia funcional. Participantes con síndrome nefrótico que reciben infusiones de albúmina o con lesión renal aguda requiriendo diálisis en los últimos 6 meses antes de la selección

Calendario

(Última actualización: 21/10/2026)

Autorización	Inicio de Ensayo	Inclusión Primer Paciente	Interrumpido	Reiniciado
09/06/2025	No aportado	30/06/2025	No aportado	No aportado

Fin de reclutamiento	Fin prematuro (España)	Fin prematuro (Global)	Fin del ensayo en España	Fin del ensayo global
No aportado	No aportado	No aportado	No aportado	No aportado

Promotor

Alexion Pharmaceuticals Inc. United States

121 Seaport Boulevard

Contact Person

European Clinical Trial Information

353874162507

clinicaltrials.eu@alexion.com

Monetary support: N/A

Tipo de promotor: Comercial

Ceim

CEIm Fundacio Sant Joan de Deu

Santa Rosa, 39-57, 3a planta 08950 Esplugues de Llobregat

frecerca.ceic@sjd.es

Centros

Activo (04/07/2025)

Hospital Sant Joan De Deu Barcelona

Esplugues De Llobregat

BARCELONA

Pediatric Nephrology

Activo (26/06/2025)

Hospital Universitari Vall D Hebron

Barcelona

BARCELONA

Pediatric Nephrology

No iniciado (--/--/----)

Hospital Universitario Torrecardenas

Almeria

ALMERÍA

Pediatrics

Activo (17/06/2025)

University Hospital Virgen Del Rocio S.L.

Sevilla

SEVILLA

Nephrology

Medicamentos

Ultomiris 1,100 mg/11 mL concentrate for solution for infusion

SOLUTION FOR INFUSION

INTRAVENOUS

Código ATC: L04AJ02 - RAVULIZUMAB

Principios Activos: N/A

Experimental

Sin resultados

A Phase 3, Open-Label, Multicenter Study to Evaluate the Pharmacokinetics, Pharmacodynamics, Efficacy, and Safety of Ravulizumab in Pediatric Participants (2 to < 18 years of age) with Primary Immunoglobulin A Nephropathy (IgAN)

State	Type of participants	Age Ranges
Recruiting	Incapable subjects of giving consent	Less than 18 , Teens (12-17 years) , Children (2-11 years) , Infants and preschool (28 days - 23 months)
Gender	**Phases**	**Expected Participants**
Both	Phase III	18
Results	**Low level of intervention**	**Rare disease**
No results	No	Yes
Geographic coverage	**Areas of the study**	**Advanced therapy**
Undetermined	pharmacokinetics, pharmacodynamics	NO

Information

Identifier
2024-520167-13-00 (CTIS)

Protocol Code
ALXN1210-IgAN-325

Therapeutic area
·Analytical, Diagnostic and Therapeutic Techniques and Equipment [E] - Surgical Procedures, Operative [E04]
·Diseases [C] - Hemic and Lymphatic Diseases [C15]

Investigated Disease
Immunoglobulin A Nephropathy

Scientific Title
A Phase 3, Open-Label, Single-Arm, Multicenter Study to Evaluate the Pharmacokinetics, Pharmacodynamics,

Efficacy, and Safety of Ravulizumab in Pediatric Participants (2 to < 18 years of age) with Primary Immunoglobulin A Nephropathy (IgAN)

Rationale

Not provided

Main Objective

To assess the efficacy of ravulizumab IV in pediatric participants

Primary Endpoints

Change from Baseline in proteinuria based on UPCR at Week 34.

Temporary moments of secondary assessment

Not provided

Secondary Objective

To characterize the PK and PD of treatment with ravulizumab IV in pediatric participants to support the extrapolation of efficacy from the adult population

Secondary Endpoints

1. PK/PD parameters (at trough and peak) will be evaluated at Baseline and at different timepoints through Week 34 as follows: PK: Cmax and Ctrough (measured at end of dosing interval) PD: change in serum free C5 concentrations over time Change from Baseline in proteinuria based on UPCR at Week 10
Incidence of TEAEs, TESAEs, and AESIs over time.
Change from Baseline in vital signs, and laboratory assessments.
ADA incidence, ADA response categories, and titer, as well as NAb incidence for the duration of the study.

Temporary moments of secondary assessment

Not provided

Inclusion criteria

Participant must be 2 to < 18 years of age inclusive, at the time of signing the informed consent or assent. Participants who are receiving SGLT2i, DEARA (eg, sparsentan), MRA, ERA, or GLP-1 agonists must be on a stable and maximum allowed or tolerated dose for 3 months prior to Screening with no planned change in dose through Week 34. Body weight 10 kg at Screening. Contraceptive and barrier use as well as pregnancy testing as appropriate for the age and sexual activity of pediatric participants and/or as required by local regulations as outlined in the protocol. To reduce the risk of meningococcal infection (N meningitidis), all participants must be vaccinated against meningococcal infection from serogroups A, C, W135, and Y (and serogroup B, where available eg, United States, Europe, etc) within 3 years and at least 2 weeks prior to the first dose of study intervention. If vaccination occurs < 2 weeks from the first dose of study intervention, the participant will receive prophylactic antibiotics for at least 2 weeks after initial vaccination. Vaccinations must follow national/local guidelines. Must have received vaccination against Haemophilus influenzae type b and Streptococcus pneumoniae unless previously vaccinated according to current national and local vaccination guidelines. Male or female (according to their reproductive organs and functions assigned by chromosomal complement) (FDA, 2020) assigned at birth, inclusive of all gender identities. The Investigator, or a person designated by the Investigator, will obtain written informed consent from each study participants legal guardian and the participants assent, when applicable, before any study-specific activity is performed. All legal guardians should be fully informed, and participants should be informed to the fullest extent possible, about the study in language and terms they are able to understand. Legal guardian or primary caregiver must be able to accurately maintain the childs take-home record, including items of general health. Established diagnosis of primary IgAN diagnosis based on kidney biopsy with 50% interstitial fibrosis and tubular atrophy, and 50% glomerular sclerosis obtained within 3 years prior to Screening or during the Screening Period. Established diagnosis of IgAVN based on kidney biopsy with 50% interstitial fibrosis and tubular atrophy, and 50% glomerular sclerosis obtained within 3 years prior to Screening or during the Screening Period. If receiving immunosuppressive medications (eg, corticosteroid, cyclophosphamide, CNIs, mizoribine, or MMF) for the treatment of the renal manifestations of IgAVN, the medication must be stable for 1 month prior to Screening. UPCR 1 g/g from the mean of 3 FMVs collected within 1 week during the Screening Period (should be collected at home). eGFR 30 mL/min/1.73 m2 during Screening as calculated by the CKiD U25 (Cystatin C) equation (Pierce, 2021). Adherence to and compliance with stable (weight-adjusted per PI's discretion) and maximum allowed or tolerated RASI (ACEI and/or ARB) dose for 3 months prior to Screening with no planned change in dose (weight-adjusted per PI's discretion) during Screening through Week 106. Participants with intolerance to RASI medications may be included.

Exclusion criteria

Diagnosis of rapidly progressive glomerulonephritis as measured by eGFR loss 50% over a period of 3 months and/or have > 50% crescents on the kidney biopsy prior to Screening. Systemic BP Criteria If < 13 years of age: Systemic BP 95th percentile + 12 mm Hg for sex and height or 140/90 mm Hg, whichever is lower. If 13 years of age: Systemic BP 140/90 mm Hg. History of malignancy within 5 years of Screening, except for nonmelanoma skin cancer or carcinoma in situ of the cervix that has been treated with no evidence of recurrence. Hemolytic uremic syndrome diagnosed any time prior to Screening. Hypersensitivity to any ingredient contained in the study intervention, including murine proteins. Received biologics for the treatment of IgAN or IgAVN within 6 months prior to Screening. Traditional Chinese medicines and Chinese proprietary medicines with systemic immunosuppressive properties including but not limited to Tripterygium wilfordii or Tripterygium wilfordii-containing medicines for the treatment of IgAN or IgAVN within 6 months prior to Screening. Received a complement inhibitor 30 days or 5 half-lives, whichever is longer, prior to Screening. Current enrollment or past participation in any other clinical study in which an investigational intervention (eg, drug, vaccine, invasive device) was administered within 5 half-lives (if known) days before signing of consent in this clinical study. Pregnant, breastfeeding, or intending to conceive during the study and within 8 months after the last dose of the study intervention. Inability to travel to the clinic for specified visits during the study or fulfill the logistical requirements of study intervention administration. Drug or alcohol abuse or dependence within 1 year prior to Screening that interferes with ability to participate in the clinical study. Participant, parent, or legal guardian is involved in the planning and/or conduct of the study (applies to both Sponsor personnel and/or site personnel). Received systemic immunosuppression (eg, corticosteroid, cyclophosphamide, CNIs, mizoribine, or MMF),) within 3 months prior to Screening or budesonide within 6 months prior to Screening for the treatment of IgAN. Received systemic immunosuppression within 3 months prior to Screening for extrarenal manifestations of IgAV. Planned urological surgery expected to influence kidney function within the study time frame. History of severe IgAV symptoms (eg, including but not limited to orchitis, cerebral vasculitis, pulmonary hemorrhage,

gastrointestinal bleeding) within 1 year before Screening. Congenital immunodeficiency. History of unexplained, recurrent infection. Known medical or psychological condition(s), including substance abuse, or risk factor that, in the opinion of the Investigator, might interfere with the participants full participation in the study, pose any additional risk for the participant, or confound the assessment of the participant or outcome of the study. History of or unresolved N meningitidis infection. Known history of HIV, active hepatitis B infection, or active hepatitis C infection. Secondary forms of IgAN not in the context of primary IgAN or IgAV (eg, due to systemic lupus erythematosus, cirrhosis, or celiac disease). Active systemic bacterial, viral, or fungal infection within 14 days prior to enrollment. Uncontrolled diabetes mellitus with HbA1c > 8.5%. Concomitant clinically significant renal disease other than IgAN or IgAVN. Clinical remission of IgAN/IgAVN or clinically significant improvement in proteinuria within the last 6 months. History of kidney transplant or planned kidney transplant during the Primary Evaluation Period. History of other solid organ (heart, lung, small bowel, pancreas, or liver) or bone marrow transplant; or planned transplant during the Primary Evaluation Period or Extension Period, except for corneal transplant. Splenectomy or functional asplenia. Participants with nephrotic syndrome receiving albumin infusions or with acute kidney injury requiring dialysis within the last 6 months prior to Screening.

Calendar

(Last Update: 21/10/2026)

Authorization	Start of Trial	First patient inclusion	Halted	Restarted
09/06/2025	Not aported	30/06/2025	Not aported	Not aported

End of recruitment	Premature end (Spain)	Premature End (Global)	Trial end (Spain)	Trial end (Global)
Not aported	Not aported	Not aported	Not aported	Not aported

Sponsor

Alexion Pharmaceuticals Inc. United States

121 Seaport Boulevard

Contact Person

European Clinical Trial Information

353874162507

clinicaltrials.eu@alexion.com

Monetary support: N/A

Sponsor type: Commercial

Ceim

CEIm Fundacio Sant Joan de Deu

Santa Rosa, 39-57, 3a planta 08950 Esplugues de Llobregat

frecerca.ceic@sjd.es

Sites

Active (04/07/2025)

Hospital Sant Joan De Deu Barcelona

Esplugues De Llobregat

BARCELONA

Pediatric Nephrology

Active (26/06/2025)

Hospital Universitari Vall D Hebron

Barcelona

BARCELONA

Pediatric Nephrology

not initialized (--/--/----)

Hospital Universitario Torrecardenas

Almeria

ALMERÍA

Pediatrics

Active (17/06/2025)

University Hospital Virgen Del Rocio S.L.

Sevilla

SEVILLA

Nephrology

Medication

Ultomiris 1,100 mg/11 mL concentrate for solution for infusion

SOLUTION FOR INFUSION

INTRAVENOUS

ATC code: L04AJ02 - RAVULIZUMAB

Active Principles: N/A

Experimental

No results