



Sparsentan vid IgA nefropati

Tidig bedömningsrapport 2023-02-13

Läkemedlet	
Substans (läkemedel)	Sparsentan <i>alias</i> RE-021, DARA
Nyhetsbeskrivning	Ny substans
Klassificering	ATC-kod: inte tilldelat än (skulle kunna vara C02)
Företag	CSL Vifor; Travere Therapeutics;
Indikation, förväntad	IgA-nefropati/ nefrit (IgAN) (Bergers disease)
Verkningsmekanism	Angiotensin II receptorantagonist (subtyp1) och endotelinreceptorantagonist (typ A).
Dosering, förväntad	Måldos på 400 mg en gång dagligen
Administreringsätt	Peroralt, kapsel, tablett
Regulatorisk information	Tidpunkt för ansökan EMA: 2022–08 Tidpunkt för förväntat godkännande: 2023–09 PRIME: <input type="checkbox"/> Särsläkemedelsstatus EU: <input checked="" type="checkbox"/> Accelerated assessment: <input type="checkbox"/> Godkänt på andra marknader: Nej <input checked="" type="checkbox"/> Ja <input type="checkbox"/> Var?
Berörd vårdverksamhet	Njurmedicin
Försäljningsätt	Recept <input checked="" type="checkbox"/> Rekvisition <input type="checkbox"/> Smittskydd recept <input type="checkbox"/>
Resurspåverkan	
Läkemedelskostnad	Uppgifter saknas.
Behov av specifik diagnostika	Ja <input type="checkbox"/> Nej <input checked="" type="checkbox"/>
Annan påverkan	Behandlingen borde kunna ges inom befintlig organisation. Peroral administrering.
Sjukdomen	
Förekomst	Den globala incidensen är cirka 2,5/100 000/år för vuxna [2]. Prevalensen varierar geografiskt. Den kaukasiska befolkningen har en fem gånger högre risk och den asiatisk-amerikanska en 15-faldigt ökad risk att utveckla en behandlingskrävande njursvikt på grund av IgAN jämfört med afro-amerikaner [3]. Ärftlighet kan predisponera för utveckling av IgAN. Eftersom diagnos kräver njurbiopsi är det svårt att uppskatta den verkliga förekomsten av IgAN. I Sverige, där njurbiopsifrekvensen är runt 12–14 fall/100 000 person/år visade 55 procent av biopsierna en diagnos av glomerulonefrit och av dessa 33 procent specifikt IgAN [4,5]. Utifrån befintliga data och svenskt njurregister uppskattas prevalensen som 400 till 500 patienter/miljon invånare och incidens ca 25/miljon invånare/år i Sverige. Av dessa uppskattas det att prevalensen för patienten som uppfyller CKD1-4 samt proteinuri >0,75-1g/dag är ca 25/miljon och incidensen ca 8/miljon i Sverige [6].
Sjukdomens svårighetsgrad	IgAN utgör majoriteten av alla glomerulonefrit. Symtom och klinik är initialt diskreta. Den kliniska bilden vid debuten utgörs av mikro- eller



	<p>makroskopisk hematuri, ibland albuminuri, varierande grad av progressiv njurskada och vanligen hypertoni. 30–40 procent av de patienter som har diagnostiserats med IgAN utvecklar en behandlingskrävande njursvikt inom loppet av 20 år. Det finns en systemisk variant av IgAN, IgA-vaskulit (tidigare kallad Henoch–Schönlein-purpura) som utöver njurengagemang ger inflammation i små blodkärl i hud och mag–tarmkanal. Idag saknas tillförlitliga prognostiska biomarkörer, men forskning pågår. Diagnos av IgAN kan endast ställas med njurbiopsi. Njurbiopsi ska graderas enligt Oxford MEST-C classification. Kända kliniska markörer som finns vid diagnostidpunkten och som medför en dålig prognos är hypertoni, proteinuri och nedsatt eGFR. Proteinuri kan dock inte skilja mellan akut och kroniskt förlopp av IgAN [7]. Det finns inga validerade prognostiska serum- eller urinbiomarkörer för IgAN förutom eGFR och proteinuri [8].</p>
<p>Nuvarande behandling</p>	<p>Behandlas barn <input checked="" type="checkbox"/> och/eller vuxna <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>Det finns i dagsläget ingen specifik behandling för primär IgAN. Läkemedel som blockerar renin-angiotensin-aldosteron systemet, Angiotensin Converting Enzyme inhibitor (ACE-hämmare) eller Angiotensin II receptorblockerare (ARB), används för att minska njurpåverkan. Det saknas svenska riktlinjer/rekommendationer.</p> <p>Behandlingsriktlinjer enligt KDIGO (Kidney Disease: Improving Global Outcomes) [8]:</p> <p>Riskstratifiering utifrån en klinisk bedömning och histologiskt data.</p> <ul style="list-style-type: none"> ● Konservativ behandling: <ul style="list-style-type: none"> -Blodtryckssänkande behandling. -RAAS-blockad: ACE-hämmare eller ARB för att reducera proteinuri och minska risk för utveckling av glomeruloskleros. Rekommenderas vid proteinuri överstigande > 0,5 g/dag. Höjning till maximal dos eftersträvas. -Livsstilsförändringar som viktminskning, rökstopp, fysisk aktivitet, salt restriktiv kost. -Adressera kardiovaskulära risker. ● Immunosuppressiv behandling: <ul style="list-style-type: none"> -Kortikosteroidbehandling i sex månader kan föreslås för patienter med hög risk för progredierande njursvikt (proteinuri > 0,75 – 1g/dag) trots maximalt tolererad dos av RAAS-blockad ≥90 dagar. För patienter med eGFR <30ml/min/1,73m² rekommenderas inte en immunosuppressiv behandling om sjukdomen är kroniskt progressiv och föreslås en maximal konservativ behandling. <p>Kombinationsterapi med kortikosteroider och cyklofosamid eller azatioprin rekommenderas endast till patienter med aggressiv och progressiv sjukdom (snabbt förlöpande njursvikt, njurbiopsi med »crescents«). Studier tyder på en viss förbättring i njuröverlevnad, men många biverkningar noterades [1]. Immunosuppressiva läkemedel i form av mykofenolsyra och rituximab har använts i aktiva svåra fall [7,9].</p>



Vetenskaplig dokumentation		
	PROTECT (NCT03762850) [3]	DUET (NCT01613118) [11,12]
Typ av studie	Fas III-studie. Multicenterstudie. Dubbelblind, randomiserad, parallellgrupp, aktiv kontroll studie med en öppen förlängningsperiod. Indikation: IgAN	Fas II-studie. Multicenterstudie. Dubbelblind, randomiserad, parallellgrupp, aktiv kontroll studie med en öppen förlängningsperiod. Indikation: fokal segmentell glomeruloskleros (FSGS)
Status	Pågående	- Del 1 (kontrollerad, dubbelblind): avslutad, resultat nedan. - Del 2 (öppen): pågående.
Antal patienter	Cirka 380 patienter i åldern ≥ 18 år kommer att inkluderas i studien globalt.	- 109 patienter, varav 23 barn ≥ 8 och ≤ 18 år. - Sparsentanarmen: 73 patienter, varav 13 barn, - Irbesartanarmen: 36 patienter, varav 10 barn,
Patientpopulation Inklusion, urval (för dubbelblindperioden)	<ul style="list-style-type: none"> • Biopsiverifierad primär IgAN • Proteinuri på $\geq 1\text{g/dag}$ vid screening • $\text{eGFR} \geq 30\text{mL/min/1,73m}^2$ vid screening • Stabil dos av ACE-hämmare och/eller ARB behandling • Systoliskt blodtryck $\leq 150\text{mmHg}$ och diastoliskt blodtryck $\leq 100\text{mmHg}$ vid screening • Villig att genomgå förändringar i ACE-hämmare, ARB och/eller antihypertensiv medicinering. • Accepterar preventivmedel <p>Inklusionskriterier för den öppna förlängningsperioden baserade på bedömningar vid besök under vecka 110:</p> <ul style="list-style-type: none"> • Genomfört deltagande i dubbelblindperioden inklusive vecka 114-besöket • Avbröt inte studiemedicinen permanent under den dubbelblinda perioden • Accepterar preventivmedel 	<ul style="list-style-type: none"> • Biopsiverifierad primär FSGS eller dokumentation av en genetisk mutation i ett podocytprotein associerat med sjukdomen • Urinprotein/kreatinin kvot $\geq 1,0\text{ g/g}$ • $\text{eGFR} > 30\text{mL/min/1,73m}^2$ • Genomsnittligt blodtryck i sittande $> 100/60\text{ mmHg}$ och $< 145/95$ hos patienter ≥ 18 år. Genomsnittligt blodtryck i sittande för patienter < 18 år bör vara $> 90/60\text{ mmHg}$ och < 95:e percentil för ålder, kön och längd • Om en patient tar immunosuppressiva läkemedel (förutom Rituximab eller cyklofosamid) skall dosen vara stabil utan korrektion. Rituximab och cyklofosamid får ej ha intagits inom 3 månader före randomisering. • I USA: patienter i åldern 8–75 år med skriftligt samtycke. • I EU: patienter i åldern 18–75 år med skriftligt samtycke.
Exklusion, urval (för dubbelblindperioden)	<ul style="list-style-type: none"> • Sekundär IgA-nefropati • Förekomst av cellulära halvmånar i $> 25\%$ av glomeruli vid njurbiopsi (om biopsi är tillgänglig inom 6 månader efter screening) • Kronisk njursjukdom utöver IgA-nefropati • Tidigare organtransplantationer med undantag för hornhinnetransplantationer • Behandling med systemiska immunosuppressiva läkemedel (inklusive kortikosteroider) > 2 veckor inom 3 månader från screening • Anamnes på hjärtsvikt eller oförklarad dyspné, ortopné, paroxysmal nattlig dyspné, ascites och/eller perifert ödem 	<ul style="list-style-type: none"> • Sekundär FSGS • Diabetes mellitus typ 1 eller okontrollerad typ 2 • Tidigare organtransplantation • Hjärtsvikt (NYHA klass II-IV) och/eller tidigare sjukhusvistelse för hjärtsvikt eller oförklarad dyspné, ascites eller perifert ödem • Kliniskt signifikant cerebrovaskulär sjukdom och/eller kranskärslsjukdom inom 6 månader före screening • Kliniskt signifikanta hjärtledningsfel • Lever- och gallsjukdom; ALAT och/eller ASAT > 2 gånger den övre normalgränsen vid screening • Patienter positiva för HIV, Hepatit B eller C (testning för patienter ≥ 18 år) • Tidigare malignitet förutom adekvat behandlad basalcells- eller skivepitelhudcancer under de senaste 5 åren



	<ul style="list-style-type: none"> • Kliniskt signifikant cerebrovaskulär sjukdom eller kranskärlssjukdom inom 6 månader från screening • Lever- och gallsjukdom eller förhöjda transaminaser (ALAT/ASAT) >2 gånger övre normalgräns vid screening • Malignitet i anamnesen utöver adekvat behandlad hudcancer (basalcells- eller skivepitelcellscancer) samt livmoderhalscancer under de senaste 2 åren • Hematokritvärde <27 % eller hemoglobinvärde <90 g/L vid screening • Kalium >5,5 mmol/L vid screening • Historik av alkohol- eller narkotikamissbruk • Tidigare allvarliga biverkningar eller allergisk reaktion på någon angiotensin II-antagonist, endotelinreceptorantagonist eller överkänslighet mot något av hjälpämnen i studieläkemedlen • Graviditet/amning eller planerar att bli gravid under studiens gång <p>Exklusionsskriterier för den öppna förlängningsperioden baserat på bedömningar under vecka 110 samt besök vid vecka 114:</p> <ul style="list-style-type: none"> • Progression till njursjukdom i slutstadiet (ESRD) som kräver njurersättningsterapi (RRT) • Utveckling av kontraindikationer, eventuella kriterier för avbrytande av studiemedicinering eller avbrott från studien, mellan vecka 110 och vecka 114 • eGFR ≤20 mL/min/1,73 m² vid vecka 110 	<ul style="list-style-type: none"> • Hemodynamiskt signifikant klaffsjukdom • Hematokritvärde <27% eller hemoglobin <90g/L • Kalium >5,5 mmol/L • För patienter >18 år <ul style="list-style-type: none"> - eGFR ≥60ml/min som har NT-proBNP ≥200 pg/ml (57,8 pmol/L). - eGFR 45–59,9 mL/min som har NT-proBNP ≥300 pg/ml eller NT-proBNP = 200–299 pg/ml samt onormal ejektionsfraktion (EF <55) och/eller diastolisk dysfunktion på ECHO - eGFR 30–44,9 som har NT-proBNP ≥400 pg/ml eller NT-proBNP = 200-399 pg/ml samt onormal ejektionsfraktion (EF <55) och/eller diastolisk dysfunktion på ECHO. • Patienter ≥18 år med BMI>40. Patienter <18 år med ett BMI i 99% percentilen plus 5 enheter • Kliniskt signifikanta avvikande laboratorievärden vid screening • Historik av drog- eller alkoholmissbruk under de senaste två åren • Historik av allergisk reaktion på någon angiotensin II-antagonist eller endotelinreceptorantagonist • Kvinnor som är gravida, ammar eller är i fertil ålder och inte accepterar adekvata preventivmedel • Tidigare exponering för Sparsentan eller PS433540
<p>Interventions-behandling</p>	<p>Sparsentan 200 mg dagligen. För patienter som tolererar 200 mg sker en dosökning efter 2 veckor till 400 mg/dygn och fortsatt behandling till vecka 110.</p> <p>Därefter en öppen förlängningsperiod på upp till 156 veckor, med en total varaktighet av upp till 270 veckor hos patienter med IgAN som har ihållande proteinuri och som fortfarande löper hög risk för sjukdomsprogression.</p>	<ul style="list-style-type: none"> • Sparsentan 200mg dagligen (n=13); • Sparsentan 400mg dagligen (n=26); • Sparsentan 800mg dagligen (n=34). <p>Initial behandlingstid 8 veckor. Patienter som vägde ≤ 50 kg fick hälften av sparsentan dosen under 8 veckors behandling. En pågående öppen förlängningsperiod.</p>
<p>Jämförelsearm /-ar</p>	<p>Irbesartan 150mg dagligen under de första 2 veckorna och därefter dosökning till 300 mg för de patienter som tolererar initial dos, behandlingen fortsätter till vecka 110.</p>	<p>Irbesartan 150 mg dagligen under den första veckan och därefter dosökning till 300 mg (8 veckor) för de patienter som tolererar initial dos (n=36). Patienter som vägde ≤ 50 kg fick 150 mg irbesartan dagligen under 8 veckors behandling.</p>



<p>Resultat Primär utfallsvariabel</p>	<p>Det förelåg en statistisk signifikant effekt avseende den primära utfallsvariabeln vid interimanalys som visade på en medelsänkning av proteinuri med 49,8% från baslinjen efter 36 veckors behandling med sparsentan. Detta jämfört med aktiv kontroll (irbesartan) grupp där sänkningen motsvarade 15,1% (p <0,0001). I dessa grupper ingick totalt 404 patienter [10].</p>	<p>- Minskning i urinprotein/kreatinin kvot från baslinjen, efter 8 veckors behandling med sparsentan (sammanslagna data vid alla doser :200mg, 400mg, 800mg), var -44,8% (95%CI, -52,7% till -35,7%) jämfört med irbesartan på -18,5% (95%CI, -34,6% till 1,7%); p=0,006.</p> <p>- Minskning i urinprotein/kreatinin kvot från baslinjen, efter 8 veckors behandling med sparsentan (sammanslagna data vid doser 400mg och 800mg), var -47,4% (95% CI, -56,3% till -36,9%) jämfört med irbesartan på -19% (95%CI -38,0% till 5,9%); p=0,011.</p> <p>- Enskilda doser sparsentan uppvisade ingen statistisk signifikans gällande procentuell minskning i urinprotein/kreatinin kvot från baslinjen jämfört med irbesartan [11]:</p> <ul style="list-style-type: none"> • 200mg sparsentan -33,1% (95% CI, -49,3,3 till -11,6%) jämfört med irbesartan med -15% (95%CI, -41,8% till 24,2%); p=0,298 • 400mg sparsentan -52,7% (95% CI, -64,3 till -37,2%) jämfört med irbesartan med -28,1% (95%CI, -47,5% till -1,6%); p=0,056 • 800mg sparsentan -41,3% (95% CI, -54,4 till -24,4%) jämfört med irbesartan med -9,3% (95%CI, -45,3% till 50,3%); p=0,127
<p>Sekundär utfallsvariabel (urval)</p>	<p>Uppgifter saknas.</p>	<p>Andelen av patienter som går i partiell remission (definierad som urinprotein/kreatinin kvot ≤1,5g/g och minskning av urinprotein/kreatinin kvot >40% från baslinjen vecka 8) var 28% i sparsentangrupp och 9% i irbesartan grupp (p=0,04).</p>
<p>Säkerhet</p>	<p>Uppgifter saknas.</p>	<p>Allvarliga biverkningar (SAE): Sparsentan: 2,7% (2 patienter) Irbesartan: 2,8% (1 patient)</p> <p>Sparsentan: biverkningarna beskrivs som sinusbradykardi, synkope, apné, frånvaro av puls, abstinenssyndrom (n=1 på samtliga). Irbesartan: hypoalbuminemi 2,8% (n=1)</p> <p>Antal patienter som avbröt behandlingen pga. biverkningar: Sparsentan: 2,7% (n=2) Irbesartan: 2,8% (n=1)</p> <p>En patient behandlad med sparsentan utvecklade 2-faldigt ökade levervärden som gick tillbaka inom 4 veckor efter läkemedelsseponering.</p> <p>Vanligaste biverkningarna: <u>Huvudvärk:</u> sparsentan 19,2% (n=14), irbesartan 19,4% (n=7); <u>Hypotension/ortostatisk hypotension:</u> sparsentan 16,4% (n=12), irbesartan 8,3% (n=3);</p>



		<p><u>Yrsel</u>: sparsentan 13,7% (n=10), irbesartan 11,1% (n=4); <u>Ödem/perifär ödem</u>: sparsentan 12,3% (n=9), irbesartan 2,8% (n=1); <u>Illamående</u>: sparsentan 12,3% (n=9), irbesartan 8,3% (n=3); <u>Kräkning</u>: sparsentan 8,2% (n=6), irbesartan 2,8% (n=1); <u>Diarre</u>: sparsentan 8,2% (n=6), 2,8% (n=1); <u>Anemi</u>: sparsentan 4,1 % (n=3), irbesartan 0% (n=0);</p>
<p>Kommentar till den vetenskapliga dokumentationen</p>	<p>Tillgänglig interimanalys visar att behandling med sparsentan reducerar proteinuri (som är surrogatparameter) hos patienter med IgAN ≥18 år efter 36 veckors behandling. Däremot saknas dokumentation att sparsentan bromsar sjukdomstypiska försämringar eller förbättrar patienternas prognos på lång sikt. För närvarande saknas publicerade och detaljerade resultat samt rapporter från fas III-studien PROTECT, inte minst gällande säkerhetsprofilen. Interimanalysen presenterade inga nytillkomna signaler angående biverkningar och första resultat gällande definierade utfallsmått förväntas i andra halvåret av 2023 [10]. Gällande säkerheten hänvisar sponsorerna till en fas II-studie DUET på indikationen fokal segmentell glomeruloskleros (FSGS); det är dock svårt att utvärdera om dessa patientgrupper är jämförbara utifrån tillgänglig information (resultat se i tabellen ovan).</p> <p>DUPLEX (NCT03493685, fas III-studie), vars syfte är att utvärdera långtidseffekten och säkerheten med sparsentan på patienter med FSGS under en dubbelblindad uppföljningstid på 108 veckor och därefter en öppen förlängningsperiod på 156 veckor, har ännu inte publicerade resultat och förväntas första kvartalet 2023 (företagsmöte 2022-10-18).</p>	
<p>Pipeline</p>		
<p>Andra läkemedel med aktuell indikation</p>	<p>Nefecon (target-release formulation budenosid) studeras i en fas III-studie på vuxna med primär IgA-nefropati som behandlas med en stabil dos av RAAS-hämmare (ACE-hämmare eller ARB) [14].</p> <p>Iptakopan (LNP023) studeras i en fas III-studie på vuxna med primär IgA-nefropati för att utvärdera den långsiktiga säkerheten och tolerabiliteten av open-label iptakopan [15].</p> <p>Bardoxolonmetyl (RTA 402, CDD0-Me) studeras i en fas II-studie på vuxna [16].</p> <p>IONIS-FB-LRx, en antisenshämmare av komplementfaktor B (CFBmRNA), studeras i en fas II-studie hos vuxna med primär IgA-nefropati [17].</p>	
<p>Andra indikationer för läkemedlet</p>	<p>Enligt databasen AdisInsight 2022-08-29 studeras sparsentan på följande andra indikationer:</p> <ul style="list-style-type: none"> • Fokal segmentell glomeruloskleros (fas III-studie DUPLEX) • IgA vaskulit och Alports syndrom (fas II-studie) 	



- Hypertension (sparsentan genomgick fas II-utveckling i USA för behandling av högt blodtryck, men företaget stoppade ytterligare utveckling i avvaktan på ytterligare finansiering)

Övrigt

Företaget har ansökt om godkännande i USA (FDA) för sparsentan vid IgA-nefropati i maj 2022. Företaget har tilldelats en prioriterad evaluering (Priority Review) av FDA för NDA (new drug application). Datumet för PDUFA (Prescription Drug User Fee Act) har nyligen skjutits upp med tre månader eftersom FDA har efterfrågat en uppdaterad riskutvärdering (REMS) gällande levermonitorering baserad på tidigare godkända produkter inom endotelinreceptorantagonister [18].

Författare

Författarna har lämnat jävsdeklaration.

Armida Pravdinske, specialistläkare i vuxenpsykiatri, ST-läkare Klinisk Farmakologi Lund, Region Skåne.
Arne Reimers, PhD, överläkare Klinisk Farmakologi Lund, Region Skåne.

Referenser

1. Rodrigues JC, Haas M, Reich HN. IgA Nephropathy. Clin J Am Soc Nephrol. 2017 Apr 3;12(4):677-686. doi: 10.2215/CJN.07420716. Epub 2017 Feb 3.
2. Kiryluk K et al. Geographic differences in genetic susceptibility to IgA nephropathy: GWAS replication study and geospatial risk analysis. PLoS Genet. 2012;8(6)
3. Clinical Trials. NCT03762850. A Study of the Effect and Safety of Sparsentan in the Treatment of Patients With IgA Nephropathy (PROTECT); (cited 2022-10-17); Available from: [A Study of the Effect and Safety of Sparsentan in the Treatment of Patients With IgA Nephropathy - Full Text View - ClinicalTrials.gov](#)
4. Ebbestad R, Sanaei Nurmi M, Lundberg S. Long-Term Outcomes of Patients with IgA Nephropathy Categorized by the International IgAN Risk Prediction Tool and by the Degree of Hematuria at Diagnosis. Nephron. 2022 Jun 7:1-11.
5. [Svenskt Njurregister Årsrapport 2020.pdf \(medscinet.net\)](#)
6. Lundberg S., personlig kommunikation per mejl. Med.dr. överläkare. Danderyds sjukhus, Njurmedicinska kliniken. Region Stockholm. 2022-10-24.
7. [Patienter med IgA-nefropati utvecklar ofta terminal njursvikt - Läkartidningen \(lakartidningen.se\)](#)
8. Kidney Disease: Improving Global Outcomes (KDIGO) Glomerular Diseases Work Group. KDIGO 2021 Clinical Practice Guideline for the Management of Glomerular Diseases. Kidney Int. 2021 Oct;100(4S): S1-S276.
9. Du B, Jia Y, Zhou W, Min X, Miao L, Cui W. Efficacy and safety of mycophenolate mofetil in patients with IgA nephropathy: an update meta-analysis. BMC Nephrol. 2017 Jul 19;
10. Traver Therapeutics. Press release 2022-03-21. Available from: [Traver Therapeutics Submits New Drug Application for Sparsentan for the Treatment of IgA Nephropathy | Traver Therapeutics, Inc.](#)
11. Clinical Trials. NCT01613118. Randomized, Double-Blind, Safety and Efficacy Study of RE-021 (Sparsentan) in Focal Segmental Glomerulosclerosis (DUET); (cited 2022-10-26); Available from: [Randomized, Double-Blind, Safety and Efficacy Study of RE-021 \(Sparsentan\) in Focal Segmental Glomerulosclerosis - Full Text View - ClinicalTrials.gov](#)
12. Trachtman H, Nelson P, Adler et al; DUET Study Group. DUET: A Phase 2 Study Evaluating the Efficacy and Safety of Sparsentan in Patients with FSGS. J Am Soc Nephrol. 2018 Nov;29(11):2745-2754.
13. [ASN.2018010091SupplementaryData1.pdf](#)



14. Clinical Trials. NCT03643965. Efficacy and Safety of Nefecon in Patients With Primary IgA (Immunoglobulin A) Nephropathy (Nefigard); (cited 2022-10-17); Available from: [Efficacy and Safety of Nefecon in Patients With Primary IgA \(Immunoglobulin A\) Nephropathy - Full Text View - ClinicalTrials.gov](#)
15. Clinical Trials. NCT04557462. A Rollover Extension Program (REP) to Evaluate the Long-term Safety and Tolerability of Open Label Iptacopan/LNP023 in Participants With Primary IgA Nephropathy; (cited 2022-10-17). Available from: [A Rollover Extension Program \(REP\) to Evaluate the Long-term Safety and Tolerability of Open Label Iptacopan/LNP023 in Participants With Primary IgA Nephropathy - Full Text View - ClinicalTrials.gov](#)
16. Clinical Trials. NCT03366337. A Phase 2 Trial of the Safety and Efficacy of Bardoxolone Methyl in Patients With Rare Chronic Kidney Diseases - PHOENIX (PHOENIX); (cited 2022-10-17); Available from: [A Phase 2 Trial of the Safety and Efficacy of Bardoxolone Methyl in Patients With Rare Chronic Kidney Diseases - PHOENIX - Study Results - ClinicalTrials.gov](#)
17. Clinical Trials. NCT04014335. A Study to Evaluate the Effectiveness and Safety of IONIS-FB-LRx, an Antisense Inhibitor of Complement Factor B, in Adult Participants With Primary IgA Nephropathy; (cited 2022-10-17). Available from: [A Study to Evaluate the Effectiveness and Safety of IONIS-FB-LRx, an Antisense Inhibitor of Complement Factor B, in Adult Participants With Primary IgA Nephropathy - Full Text View - ClinicalTrials.gov](#)
18. Travere Therapeutics. Press release 2022-10-13. Available from: [Travere Therapeutics Provides Regulatory Update on its Sparsentan Program for IgA Nephropathy | Travere Therapeutics, Inc.](#)

Om rapporten

Denna bedömningsrapport är utformad för att ge en bild av ett kommande läkemedels eller ny indikations potentiella värde och dess sannolika konsekvens för sjukvården. Rapporten är inte en läkemedelsvärdering utan ett tidigt underlag ämnat för regionernas förberedelser. Informationen om ett nytt läkemedel är vanligen begränsad innan det godkänts och slutsatserna som dras i denna rapport är preliminära. Rapporten gäller vid den tidpunkt den skrevs och revideras inte.

Den tidiga bedömningsrapporten tas fram av de 4 regionerna (VGR, RÖ, RS, Region Stockholm) på uppdrag av Sveriges kommuner och regioner (SKR). Bedömningsrapporten är främst avsedd för läkemedelsstrategiskt arbete i SKR och regionerna men även TLV har tillgång till rapporterna. I de fall rapporten berör ett cancerläkemedel förmedlas den också vidare till NAC och RCC:s vårdprogramsgrupp.

Rapporten skickas efter färdigställande till berört läkemedelsföretag för kännedom. Kontaktperson är koordinatör Johanna Glad (johanna.glad@skane.se), Region Skåne.