

Fiche de synthèse – Congrès 2026

Congrès : ERA 2026, Glasgow

Auteur / rédacteur (Nom, prénom, fonction, établissement) : TEISSEYRE Maxime, PHC, CHU de Nice

Titre de la session ou de la présentation (Titre exact de la communication ou de la session Hot Topics) : Pegcetacoplan sustained clinical benefit in C3G and primary IC-MPGN through 1 year of therapy: Data from VALIANT/VALE.

Référence de la publication (si applicable) : résultats à 26 semaines publiés dans Trial of Pegcetacoplan in C3 Glomerulopathy and Immune-Complex MPGN. Fakhouri et al., N Engl J Med. 2025 Dec 4;393(22):2210-2220. doi: 10.1056/NEJMoa2501510 et article non publié pour les résultats à 52 semaines.

Lien vers l'article ou la présentation (si disponible) :
<https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/41337715/>

Résumé de la session / communication (Maximum une page)

Les glomérulopathies à dépôts de C3 (GNC3) et les glomérulonéphrites membrano-prolifératives à dépôts de complexes immuns (IC-MPGN) sont des maladies rénales rares liées à une dérégulation de l'activation du complément. Elles se caractérisent par des dépôts glomérulaires de C3 et une altération progressive de la fonction rénale, exposant les patients à un risque élevé d'évolution vers l'insuffisance rénale terminale.

Le pegcetacoplan est un inhibiteur du C3 et du C3b permettant un blocage proximal du complément. Dans l'étude VALIANT (phase III), ce traitement avait déjà montré une réduction significative de la protéinurie à 26 semaines par rapport au placebo (-68,1 % ; IC 95 % : 57,3 à 76,2). Les données présentées ici intègrent également l'étude d'extension ouverte VALE et évaluent l'efficacité et la tolérance du traitement après 52 semaines d'exposition.

Méthodes

VALIANT est un essai clinique de phase III, randomisé, en double aveugle, incluant des patients atteints de GNC3 ou d'IC-MPGN sur rein natif ou transplanté.

Après une phase contrôlée en double aveugle comparant le pegcetacoplan au placebo pendant 26 semaines, tous les patients ont reçu du pegcetacoplan en ouvert jusqu'à 52 semaines.

Résultats

Au total, 118 patients ont été analysés à 52 semaines. La réduction de protéinurie observée à la semaine 26 s'est maintenue dans le temps. La diminution moyenne de la protéinurie était de 63% à 52 semaines. Par ailleurs, un tiers des patients ont atteint une rémission complète de la protéinurie ($<0,5$ g/g).

La fonction rénale est restée stable au cours du suivi. La variation moyenne du débit de filtration glomérulaire estimé (DFGe) entre l'initiation du traitement et la semaine 52 était de $+0,1$ mL/min/ $1,73$ m².

Tolérance

Le profil de sécurité était globalement comparable à celui observé sous placebo durant la phase contrôlée. Aucun nouveau signal de sécurité n'a été identifié au cours du suivi prolongé.

Conclusion

L'analyse combinée des études VALIANT et VALE montre que l'inhibition proximale du complément par le pegcetacoplan induit une réduction rapide, importante et durable de la protéinurie chez les patients atteints de GNC3 et d'IC-MPGN primitives, associée à une stabilisation de la fonction rénale à un an.

Intérêt pour la communauté ORKiD / maladies rares rénales :

Ces résultats confirment qu'un ciblage proximal du complément par le pegcetacoplan peut modifier l'évolution biologique et fonctionnelle des GNC3 et IC-MPGN, deux maladies rares à haut risque d'insuffisance rénale terminale, en offrant une stratégie thérapeutique innovante susceptible de transformer leur prise en charge.