

## Paper of the Quarter – QII/2025 – NEOCYST

### A risk score to predict kidney survival in patients with autosomal recessive polycystic kidney disease at the age of two months

Kidney Int. 2025 May. [>>Pubmed-Link<<](#)

Kathrin Burgmaier, Samuel Kilian, Klaus Arbeiter, Bahriye Atmis, Olivia Boyer, Anja Buescher, Ismail Dursun, Florian Erger, Marc Fila, Matthias Galiano, Ibrahim Gokce, Karsten Haeffner, Dieter Haffner, Nakysa Hooman, Guenter Klaus, Jens König, Bärbel Lange-Sperandio, Matko Marlais, Laura Massella, Djalila Mekahli, Monika Miklaszewska, Gordana Miloševski-Lomić, Lukasz Obrycki, Bruno Ranchin, Barbara Seitz, Stella Stabouli, Yilmaz Tabel, Katarzyna Taranta-Janusz, Lutz Thorsten Weber, Marcus Weitz, Elke Wühl, Alev Yilmaz, Jörg Dötsch, Franz Schaefer, Max Christoph Liebau; ARegPKD consortium

---

#### *Einleitung*

Die autosomal-rezessive polyzystische Nierenerkrankung (ARPKD) ist eine seltene und schwerwiegende Erbkrankheit, die sowohl die Nieren als auch die Leber betrifft. Da sie so selten auftritt und individuell stark variieren kann, war es bisher schwierig, klinische Studien zur Erprobung neuer Behandlungsmethoden durchzuführen. Das Verständnis des typischen Krankheitsverlaufs und der Frage, ob es Patientengruppen mit einem besonderen Risiko für einen schnellen Krankheitsverlauf gibt, ist ein wichtiger erster Schritt zur Entwicklung besserer Therapien.

#### *Methoden*

In dieser Studie begleiteten Forscher eine große Gruppe von bis zu 658 Patienten mit ARPKD. Sie verfolgten sorgfältig, wie sich deren Nierenfunktion im Laufe der Zeit veränderte, und suchten nach Anzeichen, die vorhersagen konnten, bei welchen Kindern ein schnellerer Rückgang der Nierenfunktion wahrscheinlicher ist. Sie nutzten diese Informationen, um ein Tool zu entwickeln, mit dem Ärzte abschätzen können, ob ein Kind zu einer Patientengruppe mit hohem oder niedrigem Risiko für ein frühes Nierenversagen gehört.

#### *Ergebnisse*

Die Forscher fanden heraus, dass etwa die Hälfte aller Patienten mit ARPKD bis zum Alter von 20 Jahren ein Nierenversagen erleidet. Im Durchschnitt nahm die Nierenfunktion im Laufe der Kindheit und Jugend stetig ab, wobei die Rate je nach individuellen Faktoren variierte. Die Forscher entwickelten außerdem ein einfaches Bewertungssystem zur Vorhersage der Risikogruppe für Nierenversagen, das auf fünf Schlüsselinformationen basiert:

1. Wie früh Probleme mit niedrigem Fruchtwasserspiegel während der Schwangerschaft festgestellt wurden
2. Wie früh das Baby geboren wurde
3. Die Art der festgestellten genetischen Veränderungen
4. Der Kreatininspiegel im Blut des Babys (ein Marker für die Nierenfunktion) im Alter von zwei Monaten
5. Ob das Baby im Alter von zwei Monaten Bluthochdruck hatte

Dieser Score war besonders hilfreich, um Kinder zu identifizieren, bei denen **kein** Risiko für frühes Nierenversagen bestand, sowie diejenigen, die möglicherweise eine sorgfältigere Überwachung oder zukünftige Behandlung benötigen.

#### *Fazit*

Diese umfangreiche Studie liefert wichtige neue Erkenntnisse zum Verlauf von ARPKD und bietet ein einfaches Instrument zur Vorhersage des Risikos für frühes Nierenversagen. Diese Informationen können zukünftige Behandlungsstrategien leiten und Ärzten helfen, zu erkennen, welche Kinder am meisten von neuen Therapien profitieren könnten, sobald diese verfügbar sind.

---

**Autor:** Max Liebau

**Kontakt:** [max.liebau@uk-koeln.de](mailto:max.liebau@uk-koeln.de)

## Paper of the Quarter – QII/2025 – NEOCYST

### A risk score to predict kidney survival in patients with autosomal recessive polycystic kidney disease at the age of two months

Kidney Int. 2025 May. [>>Pubmed-Link<<](#)

Kathrin Burgmaier, Samuel Kilian, Klaus Arbeiter, Bahriye Atmis, Olivia Boyer, Anja Buescher, Ismail Dursun, Florian Erger, Marc Fila, Matthias Galiano, Ibrahim Gokce, Karsten Haeffner, Dieter Haffner, Nakysa Hooman, Guenter Klaus, Jens König, Bärbel Lange-Sperandio, Matko Marlais, Laura Massella, Djalila Mekahli, Monika Miklaszewska, Gordana Miloševski-Lomić, Lukasz Obrycki, Bruno Ranchin, Barbara Seitz, Stella Stabouli, Yilmaz Tabel, Katarzyna Taranta-Janusz, Lutz Thorsten Weber, Marcus Weitz, Elke Wühl, Alev Yilmaz, Jörg Dötsch, Franz Schaefer, Max Christoph Liebau; ARegPKD consortium

---

#### *Introduction*

Autosomal recessive polycystic kidney disease (ARPKD) is a rare and serious inherited condition that affects both the kidneys and the liver. Because it is so uncommon and can vary widely from person to person, it has been difficult to run clinical trials to test new treatments. Understanding how the disease typically progresses and if there are groups of patients at special risk of rapid disease progression is an important first step toward finding better therapies.

#### *Methods*

In this study, researchers followed a large group of up to 658 patients with ARPKD. They carefully tracked how their kidney function changed over time and looked for signs that could predict which children were more likely to experience faster kidney decline or kidney function. They used this information to develop tool that could help doctors to estimate if a child belongs to a group of patients at high-risk or low-risk for early kidney failure.

#### *Results*

The researchers found that about half of all patients with ARPKD reach kidney failure by the age of 20. On average, kidney function declined steadily throughout childhood and adolescence, though the rate varied depending on individual factors. The researchers also created a simple scoring system to predict the risk group of kidney failure, using five key pieces of information:

1. How early problems with low amniotic fluid were seen during pregnancy
2. How early the baby was born
3. The type of genetic changes found
4. The baby's blood creatinine level (a marker of kidney function) at two months of age
5. Whether the baby had high blood pressure at two months of age

This score was especially helpful in identifying children who were **not** at risk of early kidney failure, as well as those who might need more careful monitoring or future treatment.

#### *Conclusion*

This large study provides important new insights into how ARPKD progresses and offers a simple tool to help predict the risk of early kidney failure. This information may guide future treatment strategies and help doctors identify which children could benefit most from new therapies as they become available.

---

**Author:** Max Liebau

**Contact:** [max.liebau@uk-koeln.de](mailto:max.liebau@uk-koeln.de)