

Уважаемые члены сообщества ФОП,

Я очень рада поделиться с Вами важными результатами 2 Фазы клинического исследования. В целом, наше исследование демонстрирует положительные тенденции по уменьшению костной ткани и снижению симптомов при использовании паловаротина, хотя эти наблюдения не достигли статистической значимости. У 40 участников плацебо-контролируемого исследования 2 Фазы по определению диапазона доз:

- Ни у одного из пациентов не понадобилось снижать дозу по причине непереносимости, и никого не было исключено из исследования.
- Получающие плацебо испытывали в 2,6 раза больший риск формирования гетеротопической оссификации (ГО), чем те, кто получал лечение паловаротином 10/5 мг. К тому же, у пациентов с новыми ГО, получавших лечение паловаротином, образовалось меньше ГО, чем в группе плацебо.
- Мы получили данные об облегчении боли, связанной с обострениями, по сообщениям пациентов, принимавших паловаротин, и о сокращении времени на разрешение обострений.

Вместе мы добились первой и, вероятно, самой трудной цели нашей программы разработки, которая должна определить, как мы можем определить влияние паловаротина, и как мы могли бы продемонстрировать эффективность паловаротина в 3 Фазе клинического исследования. Мы очень стремимся перейти к следующему шагу в нашей программе клинической разработки в надежде достичь нашей цели обеспечения терапии для людей, живущих с ФОП.

Начало клинического исследования 3 Фазы запланировано в 2017 году, и будет набирать пациентов по всему миру. В настоящее время мы планируем и проектируем особенности этого клинического исследования 3 Фазы, а также исследование хирургического иссечения, и будем встречаться с регуляторными органами, чтобы гарантировать, что дизайн этих исследований отвечает их ожиданиям.

В большинстве юрисдикций по всему миру спонсор, такой как компания «Клеменсия», обязан выполнить адекватные и хорошо контролируемые исследования, которые демонстрируют статистически значимое влияние препарата на то, как пациент «чувствует, выполняет функции или выживает». Это высокая планка для достижения даже тогда, когда обнаруживаются положительные тенденции, например, в нашей начальной 2 Фазе клинического исследования. Но мы полны решимости справиться с этой задачей.

Каждый из нас здесь, в компании «Клеменсия», продолжаем черпать вдохновение каждый день из Ваших историй, Вашей поддержки и Вашего мужества. Мы благодарим каждого из Вас, кто принимал участие в этом исследовании и других наших клинических исследованиях. Вы обеспечили ответы и надежду для всего сообщества ФОП на многие годы вперед. Вы наши герои. Мы также хотим поблагодарить все увлеченные клинические команды по всему миру, которые неустанно трудились, чтобы получить эти результаты.

Позвольте мне оставить Вас с этими словами неизвестного автора: «Что бы ты ни делал, держись за надежду. Мельчайшие нити скрутятся в неразрывную пуповину. Позвольте надежде стать Вашим якорем возможности того, что это не конец Вашей истории, что изменение приведет Вас к мирным берегам.»

Мои теплые пожелания,



Кларисса

Компания «Клеменсия» объявляет о важных результатах 2 Фазы клинического исследования паловаротина для лечения пациентов с Прогрессирующей Оссифицирующей Фибродисплазией.

МОНРЕАЛЬ, КАНАДА, 14 октября 2016 г. - Сегодня компания «Клеменсия Фармасьютикалз Инк.» объявила о важных результатах 2 Фазы клинического исследования паловаротина для лечения прогрессирующей оссифицирующей фибродисплазии (ФОП). ФОП представляет собой крайне редкое, тяжелое заболевание, при котором происходит накопление гетеротопической оссификации (ГО, внескелетная кость) в мышечных и мягких тканях, постепенно ограничивая движение путем блокировки суставов, приводящее к потере функции, физической инвалидизации и риску ранней смерти. Положительные тенденции были обнаружены у 40 пациентов в ходе плацебо-контролируемого исследования, включая связанное с паловаротином сокращение доли пациентов, у которых развились новые ГО, сокращение объема новых ГО, сокращение пациентов с болями при обострениях и сокращение времени на разрешение связанных с ФОП обострений, хотя ни одно из них не достигло статистической значимости. Паловаротин хорошо переносился всеми пациентами, завершившими 12-недельное исследование и включенными в открытое дополнительное исследование.

«Результаты этого знакового клинического исследования обнадеживают и отражают то, что наблюдалось в отчетах предыдущих исследований на животных с паловаротином» - сказал главный исследователь Фредерик Каплан, доктор медицины, профессор ортопедической молекулярной медицины Исаака и Розы Нассау и руководитель отдела молекулярной ортопедическими медицины в Медицинской Школе Перельмана при Университете Пенсильвании. «Это исследование значительно расширило наши знания о ФОП и является значительным шагом вперед для всего сообщества ФОП.»

12-недельное 2 Фазы исследование рандомизированных пациентов в трех группах дозирования: 10 мг паловаротина в течение 2 недель с последующим приемом 5 мг в течение 4 недель (10/5), 5 мг в течение 2 недель с последующим приемом 2,5 мг в течение 4 недель (5/2,5) или плацебо. Лечение начиналось в течение 7 дней с момента обострения с исходными оценками, в конце лечения (6 недель) и после 6-недельного наблюдательного периода (12 недель). У пациентов, получавших плацебо, был в 2,6 раза выше риск образования ГО, чем при лечении паловаротином 10/5 мг, в то же время у тех, кто получал режим паловаротина с новыми ГО, ГО образовывались меньше, чем на плацебо. Пациенты с режимом 10/5 сообщали о более выраженном улучшении при болях во время обострений и снижении продолжительности общих симптомов обострений. Несмотря на то, что наблюдалось увеличение дозозависимой частоты возникновения нежелательных явлений со стороны кожи и слизистых оболочек, не требовалось снижения дозы препарата по причине непереносимости, и не было прекращений участия в исследовании.

Полные результаты 2 Фазы исследования ожидаются к публикации в следующем году. Компания «Клеменсия» продолжает накапливать важные данные в ходе дополнительного исследования 2 Фазы и в продолжающемся наблюдательном исследовании Естественной Истории. Данные этих исследований будут использоваться при разработке 3 Фазы регистрационного исследования, которое планируется начаться в 2017 году. «Тот факт, что пациенты были способны переносить паловаротин без прекращений по причине безопасности в дозе 10 мг, вдохновил нас внедрить более высокие дозы в открытом дополнительном исследовании 2 Фазы и увеличить количество дней дозирования» - сообщила Донна Гроган, доктор медицины, директор по маркетингу компании «Клеменсия». Дополнительное исследование также представило хроническую суточную дозу на основе новых исследований, проведенных учеными университета Пенсильвании и детской больницы Филадельфии (СНОР), и результатов завершеного исследования 2 Фазы.

Многие годы лабораторных исследований открыли дорогу для этого клинического исследования. Ведущий исследователь, Маурицио Пачифичи, кандидат философских наук, директор исследований в ортопедии в СНОР, и его сотрудники впервые показали, что препарат вызывает мощный биологический эффект у моделей трансгенных мышей ФОР человека и заметно тормозит ГО. «Эти результаты послужили основой и обоснованием для тестирования паловаротина для предупреждения ГО у пациентов с ФОР в этом исследовании» - сказал Пачифичи.

«Мы хотели бы поблагодарить наших пациентов, их родственников, исследователей и их научные команды» - сказала генеральный директор компании «Клеменсия», Кларисса Дежардин. «Разработка потенциального лечения ФОР является нашей страстью и нашей целью, и мы будем продолжать продвигаться вперед так стремительно и решительно, как это возможно, чтобы доставить столь необходимую потенциальную терапию для всех ФОР пациентов.»

Дополнительную информацию о паловаротине и клинической программе компании «Клеменсия» можно найти на clementiapharma.com

Примечание редактора: Каплан заявляет об отсутствии раскрытия финансовой информации, который является Глобальным Главным Исследователем 2 Фазы исследования компании «Клеменсия».

О Прогрессирующей Оссефицирующей Фибродисплазии (ФОР)

ФОР представляет собой редкую, тяжелую инвалидизирующую врожденную миопатию, которая характеризуется гетеротопической оссификацией (ГО) мышц и мягких тканей. Гетеротопическая оссификация костей, которая образуется за пределами нормального скелета и при ФОР постепенно ограничивает движение, блокируя суставы, приводит к общей потере функции, инвалидности и риску ранней смерти. Практически все новорожденные с ФОР имеют признак мальформацию ступни, при которой большие пальцы укорачиваются и загибаются внутрь. ФОР возникает по причине мутации в гене ACVR1, в результате

повышенной активности BMP рецептора I типа или рецептора ALK2, участвующих в костном морфогенетическом направлении (BMP), ключевом направлении контроля роста костей и развития. В настоящее время нет одобренного лечения ФОП.

О Паловаротине

Паловаротин является агонистом гамма-рецепторов ретиноевой кислоты (RAR γ), проходящий исследование в качестве лечения ФОП. Доклинические исследования на мышинных моделях ФОП показали, что паловаротин блокировал обе индуцированные травмой и спонтанные гетеротопические оссификации, сохраняя подвижность и восстанавливая рост скелета. Паловаротин получил Ускоренный Курс одобрения от Управления по контролю качества пищевых продуктов и лекарственных средств США (FDA) и одобрения орфанных препаратов для лечения ФОП одновременно от FDA и Европейского Агентства по лекарственным средствам (EMA).

О компании «Клименсия фармасьютикалз Инк.»

Компания «Клименсия» является клинической стадией биофармацевтической компании стремится предоставлять лечение людям, у кого его нет. Компания развивает своего лидирующего кандидата паловаротина, инновационного RAR γ агониста, для лечения прогрессирующей оссифицирующей фибродисплазии (ФОП) и других заболеваний. Для получения более подробной информации, пожалуйста, обратитесь на www.clementiapharma.com

ИТОГОВЫЕ Проактивные Часто Задаваемые Вопросы, План коммуникации важных результатов 2 Фазы для размещения на <http://clementiapharma.com/clinical-trials/>

Компания «Клименсия» сообщила о важных результатах своего клинического исследования 2 Фазы паловаротина при прогрессирующей оссифицирующей фибродисплазии.

Мы хотим поблагодарить пациентов с ФОП и медицинское сообщество, без которых наша программа 2 Фазы не могла бы быть успешной. Исследователи, их команда клинических исследователей и пациенты, семьи и ухаживающие лица обеспечили руководство, поддержку, приверженность и участие на протяжении всей программы. Мы включили 40 пациентов во 2 Фазу исследования и примерно 100 в исследование естественной истории, и оба исследования принесли знания, которые способствуют достижению целей сообщества ФОП в понимании заболевания и для разработки методов лечения.

1. Какова была цель 2 Фазы исследования компании «Клименсия»?

Ответ. Целью клинической программы ФОП является разработка доказательств для поддержки регистрации одобрения паловаротина для лечения пациентов с ФОП. Целью нашей 2 Фазы была разработка 3 Фазы регистрационного исследования с помощью проверки гипотезы: действительно ли препарат предупреждает гетеротопическую оссификацию (ГО) после обострения, в какой дозе(-ах) и с какими побочными эффектами.

2. Какие выводы Вы сделали из Вашего исследования 2 Фазы?

Ответ. Мы наблюдали ряд положительных тенденций, хотя они и не достигли статистической значимости в данном исследовании.

- Мы отметили, что ни у кого из 40 участников плацебо-контролируемого исследования 2 Фазы по определению диапазона доз не потребовалось снижения дозы препарата в связи с непереносимостью, и никого не было исключено из исследования.
- Мы отметили, что получающие плацебо испытывали в 2,6 раза больший риск формирования ГО, чем те, кто получал лечение паловаротином 10/5 мг. К тому же, у пациентов с новыми ГО, получавших лечение паловаротином, образовалось меньше ГО, чем в группе плацебо.
- Мы получили данные об облегчении боли, связанной с обострениями, по сообщениям пациентов, принимавших паловаротин, и о сокращении времени на разрешение обострений.

3. Каие следующие этапы Вашей клинической программы ФОП?

Ответ.

- Мы разрабатываем и планируем запустить 3 Фазу регистрационного исследования и исследование хирургического иссечения как можно быстрее в 2017 году.
- Мы будем и впредь продолжать сотрудничество со всеми заинтересованными сторонами, включая пациентов, врачей, а также регуляторными органами для нашей цели обеспечения столь необходимой потенциальной терапией всех ФОП пациентов.