

MOVE-STUDIE FAQs

Inhalte

Die MOVE-Studienzusammenfassung	1
1. Was ist die MOVE-Studie?	1
Palovaroten FAQs	1
2. Was ist Palovaroten?	1
3. Was ist ein Orphan-Status?	2
4. Was ist ein Fast-Track-Status?	2
5. Was ist ein Breakthrough-Therapy-Status?	2
FAQs zu Phase 2 und zur Natural History-Studie	3
6. Was ist die Natural History-Studie (NHS)?	3
7. Was waren die Phase-2-Studien?	3
8. Was ist eine angepasste Studie?	3
9. Was waren die vorläufigen Ergebnisse des Phase-2-Programms?	3
10. Sind diese Phase-2-Daten für eine Zulassung ausreichend?	4
Die FAQs zur MOVE-Studie	4
11. Was ist der zweck der bestätigenden Phase-3-MOVE-Studie, und was sind die klinischen Endpunkte?	4
12. Wie lange dauert die MOVE-Studie?	4
13. Wer kann an der MOVE-Studie teilnehmen?	4
14. Warum ist es notwendig, in einem Land zu leben, in dem sich ein Prüfzentrum für die MOVE-Studie befindet?	5
15. Wo befinden sich die Ziel-Prüfzentren für die MOVE-Studie?	5
16. Was passiert, wenn ein Teilnehmer, der in die MOVE-Studie eingeschlossen wird, Nebenwirkungen auf die Behandlung zeigt?	6
17. Warum wurde die Ganzkörper-Computertomographie (whole body computed tomography, WBCT) zur Messung der heterotopen Ossifikation (HO) in der MOVE-Studie gewählt?	6
18. Wie unterscheidet sich MOVE von den vorherigen Studien?	6
19. Können Teilnehmer, die am Phase-2-Programm teilgenommen haben, in die MOVE-Studie eingeschlossen werden?	7
20. Warum wird bei MOVE kein Placebo verwendet?	7
21. Wie lautet die Dosierung für Palovaroten in der MOVE-Studie und wie sieht dahingehend der Vergleich mit früheren Studien aus?	7
22. Wie komme ich zum klinischen Prüfzentrum - werden meine Reisekosten erstattet?	7
23. Können die Teilnehmer der MOVE-Studie ihre gewohnte Versorgung erhalten?	8
24. Gibt es potentielle Risiken der Verabreichung von Palovaroten an Kinder, die noch wachsen?	8
25. Gibt es eine andere Möglichkeit, mit Palovaroten behandelt zu werden, wenn ich mich nicht für die MOVE-Studie eigne?	8
26. Was ist mit der chirurgischen Exzisionsstudie?	8

Die MOVE-Studienzusammenfassung

1. Was ist die MOVE-Studie?

Die MOVE-Studie ist eine weltweite, multizentrische, offene, bestätigende, klinische Phase-3-Studie über Palovaroten bei Fibrodysplasia Ossificans Progressiva (FOP), in die ungefähr 80 Erwachsene und Kinder mit FOP im Alter von 4 Jahren oder älter aufgenommen werden sollen. Alle Teilnehmer werden Palovaroten (kein Placebo) täglich für 2 Jahre einnehmen, mit höheren Dosen in Zeiten von Schüben, um zu bestimmen, ob dieses Dosierungsregime von Palovaroten die Bildung von neuen heterotropen Ossifikationen relativ zu unbehandelten Personen reduziert. Die MOVE-Studie wird die Sicherheit und Wirksamkeit von Palovaroten bei FOP beurteilen und das Datenpaket zur Verwendung in globalen Zulassungsanträgen für nationale Zulassungen von Palovaroten zur Behandlung bei Kindern und Erwachsenen mit FOP vervollständigen.

Wir ermutigen Sie dazu, mit Ihrem Arzt und einem der Prüfarzte der MOVE-Studie hinsichtlich Ihres potenziellen Einschlusses in MOVE zu sprechen. Sie finden wichtige Informationen zur MOVE-Studie auch unter www.clinicaltrials.gov (NCT03312634).

Palovaroten FAQs

2. Was ist Palovaroten?

Palovaroten ist ein Prüfpräparat, das von Clementia als oral verabreichte Behandlung gegen Fibrodysplasia ossificans progressiva (FOP) entwickelt wird. Personen mit FOP haben mutierte Rezeptoren im Pfad des knochenmorphogenetischen Proteins (bone morphogenetic protein, BMP), das überaktiv wird und Signale sendet, die eine Bildung von heterotropen Ossifikationen (HO) herbeiführen.

Palovaroten, ein Retinsäurerezeptor-Gamma-Agonist (RAR γ), ist dazu vorgesehen, einer HO bei FOP durch eine Unterbrechung dieser Signalwege (im BMP-Pfad), vorzubeugen. Präklinische Studien an Mausmodellen mit FOP haben gezeigt, dass Palovaroten sowohl die verletzungsinduzierte als auch die spontane HO blockiert und so die Mobilität aufrechterhält und das Skelettwachstum wiederherstellt. Die Phase-2-Dosisfindung für Palovaroten ist abgeschlossen. In vorläufigen Datenanalysen wurde bei Teilnehmern, die täglich Palovaroten erhielten und die Dosis während eines Schubes erhöhten, verglichen mit unbehandelten oder mit Placebo behandelten Personen eine 97%ige Reduktion neuer HO-Bildungen beobachtet. Die Phase-3-Studie MOVE wird durchgeführt, um diese Erkenntnisse zu bestätigen.

Palovaroten wurde bei über 800 Menschen, einschließlich gesunder Freiwilliger, Menschen mit Emphysemen und Personen mit FOP, untersucht. Übereinstimmend mit anderen Retinoiden wurden Nebenwirkungen, die die Haut und Schleimhäute (z.B. die Auskleidung Ihrer Nase und Ihres Mundes) betreffen, einschließlich trockener Haut, trockener Lippen, Juckreiz, Hautausschlag, Rötung, wunder Mund und Haarausfall, in höherem Umfang von Teilnehmern berichtet, die mit Palovaroten behandelt wurden, verglichen mit denen, die ein Placebo (eine Zuckertablette) erhielten. Generell erhöhte sich die Anzahl, Intensität und Dauer dieser Ereignisse an Schleimhäuten und Haut mit zunehmender

Palovaroten-Dosis. Die meisten dieser Ereignisse sind in ihrer Intensität leicht oder moderat und verschwinden oder verbessern sich nach der Behandlung mit Haut-Lubrikans, Lippenbalsam, Antihistaminika oder der Verringerung der Palovaroten-Dosis, wenn nötig.

Palovaroten hat von der US-amerikanischen Zulassungsbehörde (Food and Drug Administration, FDA) den Fast-Track- und Breakthrough-Therapy-Status und sowohl von der FDA als auch von der Europäischen Arzneimittelbehörde (European Medicines Agency, EMA) den Orphan-Status zur Behandlung von FOP erhalten.

3. Was ist ein Orphan-Status?

Der Orphan-Status von Palovaroten wurde von der US-amerikanischen Zulassungsbehörde (US Food and Drug Administration, FDA) und der Europäischen Arzneimittelbehörde (European Medicines Agency, EMA) in Anerkennung der Tatsache bewilligt, dass FOP eine seltene, stark schwächende Krankheit ist, der momentan wirksame Behandlungen fehlen.

Weitere Informationen zum US-Orphan-Status finden Sie unter <https://www.fda.gov/ForIndustry/DevelopingProductsforRareDiseasesConditions/HowtoapplyforOrphanProductDesignation/default.htm>.

Weitere Informatinen zum EMA-Orphan-Status finden Sie unter http://www.ema.europa.eu/ema/index.jsp?curl=pages/regulation/general/general_content_000029.jsp

4. Was ist ein Fast-Track-Status?

Die Fast-Track-Bezeichnung von Palovaroten wurde auf der Grundlage der Anerkennung der ernährungsphysiologischen Bedeutung der FOP durch die US-amerikanische Arzneimittelbehörde FDA und des möglichen Einsatzes von Palovaroten bei der Behandlung der Krankheit bewilligt.

Weitere Informationen zu den Fast-Track-Status finden Sie unter <https://www.fda.gov/ForPatients/Approvals/Fast/ucm405399.htm>.

5. Was ist ein Breakthrough-Therapy-Status?

Der Breakthrough-Therapy-Status wird bewilligt, wenn ein vorläufiger klinischer Beweis darauf hindeutet, dass das Medikament eine signifikante Verbesserung gegenüber der verfügbaren Therapie an einem klinisch signifikanten Endpunkt aufweisen kann. Der Status für Palovaroten wurde von der US FDA nach Bewertung der vorläufigen Phase-2-Daten erteilt. Die primäre Absicht des Breakthrough-Therapy-Status ist es, die Daten zu entwickeln, die benötigt werden, um die Zulassung so effizient wie möglich zu unterstützen. Weitere Informationen zum Breakthrough-Status finden Sie unter <https://www.fda.gov/ForPatients/Approvals/Fast/ucm405397.htm>.

FAQs zu Phase 2 und zur Natural History-Studie

6. Was ist die Natural History-Studie (NHS)?

Clementias NHS ist eine Beobachtungsstudie, die 114 FOP-Patienten weltweit einschließt. Die Teilnehmer werden für 3 Jahre jährlich beurteilt, wobei häufigere Besuche während eines Schubs stattfinden. Der Zweck der NHS besteht darin, die Beziehung zwischen der Bildung von neuem Knochen und klinischen Parametern der Körperfunktion und der Lebensqualität zu verstehen und den Krankheitsverlauf im Laufe der Zeit zu überwachen.

7. Was waren die Phase-2-Studien?

Clementias Phase-2-Studien waren interventionelle Studien, bei denen 4 Dosierungsschemata von Palovaroten an verschiedenen Endpunkten ausgewertet wurden. Die initiale Phase-2-Studie hatte ein angepasstes, doppelblindes, placebokontrolliertes Design. Teilnehmer, die die Phase-2-Studie beendeten, hatten die Möglichkeit, in eine Verlängerungsstudie aufgenommen zu werden: Teil A der Verlängerung setzte die Bewertung des initialen episodischen Dosisregimes fort, bei dem die Dosis von Palovaroten innerhalb von 7 Tagen nach einem Schub begonnen und 6 Wochen fortgesetzt wurde, und Teil B führte ein chronisches Dosisregime ein, in dem Palovaroten täglich eingenommen und dann zum Zeitpunkt von Schüben in höheren Dosen gegeben wurde.

8. Was ist eine angepasste Studie?

Die US-amerikanische Zulassungsbehörde stellt eine Definition in ihrem Branchenleitfaden, <https://www.fda.gov/downloads/drugs/guidances/ucm201790.pdf> bereit: „Eine angepasste klinische Design-Studie wird als eine Studie definiert, die eine prospektiv geplante Möglichkeit zur Änderung eines oder mehrerer spezifischer Aspekte des Studiendesigns und auf Hypothesen basierende Analyse von Daten (üblicherweise Zwischendaten) von Teilnehmern in der Studie umfasst.“

9. Was waren die vorläufigen Ergebnisse des Phase-2-Programms?

Die vollständige Analyse des Phase-2-Programms ist noch nicht abgeschlossen, und die Verlängerung von Teil B dauert noch an. Jedoch beobachteten wir aus den gepoolten Ergebnissen der episodischen 6-wöchigen Behandlung (10 mg für 2 Wochen, gefolgt von 5 mg für 4 Wochen) von 47 Schüben in den Phase-2- und Teil-A-Verlängerungsstudien, dass Palovaroten relativ zu unbehandelten Schüben aus der Placebogruppe in der Phase-2-Studie und Schüben aus der NHS, den Prozentsatz der Teilnehmer, die nach einem Schub eine heterotrope Ossifikation (HO) entwickelten, um ungefähr 45 % reduzierten und das Volumen einer HO bei denen, die eine HO bildeten, um ungefähr 75 % verringerten. Die vorläufige Datenanalyse aus der Teil-B-Verlängerungsstudie zeigt, dass ein chronisches Dosisregime von Palovaroten, mit erhöhter Dosierung zum Zeitpunkt eines Schubes bei der Unterdrückung von HO wirksamer ist und eine Verringerung des HO-Volumens um 97 % im Vergleich zu unbehandelten / mit Placebo behandelten Schüben zeigt. Es sind diese Daten, die die Bewertung dieses Dosisregimes in der bestätigenden, klinischen Phase-3-Studie unterstützen, die als MOVE-Studie bekannt ist.

10. Sind diese Phase-2-Daten für eine Zulassung ausreichend?

Die klinischen Phase-2-Studien waren nicht dazu bestimmt, Daten zu liefern, die für die Zulassung ausreichend wären. Vielmehr war es ein Dosisbereichs-Programm, das verschiedene Endpunkte bei FOP und verschiedene potentielle Dosen und Dosierungsregimes von Palovaroten bewertete. Dessen Zweck war es, Informationen für das Design einer Phase-3-Studie zu erbringen, die die Grundlage für weltweite Bewerbungen um eine Zulassung bilden würde. Das Phase-2-Programm erfüllte seine Ziele und lieferte zusammen mit der Natural History-Studie wichtige Informationen, die für das Design und Durchführung der MOVE-Studie, der bestätigenden klinischen Phase-3-Studie für Palovaroten bei FOP, notwendig sind.

Die FAQs zur MOVE-Studie

11. Was ist der zweck der bestätigenden Phase-3-MOVE-Studie, und was sind die klinischen Endpunkte?

Die MOVE-Studie ist eine weltweite, multizentrische, offene, bestätigende, klinische Phase-3-Studie bei ungefähr 80 Erwachsenen und Kindern mit FOP, die über 4 Jahre alt sind. Sie soll beurteilen, ob ein tägliches Dosisregime von Palovaroten in Kombination mit höheren Dosen in Zeiten von Schüben die Bildung von neuen heterotopen Ossifikationen (HO) relativ zum normalen Verlauf der Erkrankung reduziert.

Als eine bestätigende Studie wird die MOVE-Studie die Sicherheit und Wirksamkeit von Palovaroten bei FOP zu Informationszwecken für Bewerbungen um regulatorische Zulassung weltweit bewerten. Der primäre Endpunkt ist die jährliche Änderung des Volumen neuer HO, gemessen mit der Ganzkörper-Computertomographie (whole body computed tomography, WBCT). Die sekundären Endpunkte schließen den Anteil der Teilnehmer mit einer neuen HO, die Änderung der Anzahl der Körperregionen mit neuer HO verglichen zur Baseline, den Anteil der Teilnehmer, die Schübe berichten, und die Anzahl von Schüben pro Teilnehmer-Expositionsmonate ein.

Als offene Studie erhält jeder Teilnehmer Palovaroten über den gesamten Studienverlauf. Es gibt keine Placebogruppe. Die Ergebnisse für diese 80 Teilnehmer werden mit den Daten aus der Clementias Natural History-Studie (NHS) verglichen.

Als eine weltweite, multizentrische Studie wird die MOVE-Studie an vielen Prüfzentren weltweit durchgeführt. Jedes Prüfzentrum muss alle relevanten Zulassungen von nationalen und lokalen Behörden einholen, damit die Prüfzentren zu verschiedenen Zeiten für den Einschluss geöffnet werden können. Bitte informieren Sie sich unter www.clinicaltrials.gov (NCT03312634) über Neuigkeiten an den Prüfzentren der MOVE-Studie.

12. Wie lange dauert die MOVE-Studie?

Die MOVE-Studie ist für zwei Behandlungsjahre konzipiert. Das heißt, dass eingeschlossene Teilnehmer zwei Jahre lang mit Palovaroten behandelt werden.

13. Wer kann an der MOVE-Studie teilnehmen?

Die MOVE-Studie wird männliche oder weibliche Teilnehmer, die mindestens 4 Jahre alt sind, mindestens 10 kg wiegen und eine klinische FOP-Diagnose und die R206H ACVR1-Mutation aufweisen

und in einem Land mit einem Prüfzentrum für die MOVE-Studie leben, einschließen. Vier Wochen müssen seit dem Ende des letzten Schubes vor dem Einschluss verstrichen sein. Auch diejenigen im gebärfähigen Alter müssen bereit sein, bestimmte Kriterien einzuhalten, die Ihnen Ihr leitender Prüfarzt erklären wird. Weitere Ausschlusskriterien bezüglich der Anamnese, Medikamentenverwendung, Allergien und Laborwerte sind unter www.clinicaltrials.gov (NCT03312634) verfügbar. Teilnehmer, die an der NHS von Clementias teilnehmen und die die Einschlusskriterien erfüllen, können in die MOVE-Studie eingeschlossen werden.

14. Warum ist es notwendig, in einem Land zu leben, in dem sich ein Prüfzentrum für die MOVE-Studie befindet?

Als Prüfpräparat kann Palovaroten nur unter besonderer Genehmigung der nationalen Behörden in jedem Land an Menschen verabreicht werden. Die Teilnehmer müssen in einem Land leben, in dem die nationalen Behörden die klinische Studie genehmigt haben, in der die Verwendung von Palovaroten für FOP untersucht wird. Diese Genehmigung ist notwendig, um Palovaroten in ein Land zu importieren und Heimbewertungen innerhalb des Landes durchzuführen. Bitte schauen Sie auf www.clinicaltrials.gov (NCT03312634), um die aktuellsten Informationen zu klinischen Prüfzentren und Zulassungskriterien zu erhalten.

15. Wo befinden sich die Ziel-Prüfzentren für die MOVE-Studie?

Wir erwarten, dass die MOVE-Studie an 18 Prüfzentren in 14 Ländern weltweit durchgeführt wird. Jedes Prüfzentrum muss sich um nationale und lokale Genehmigungen bewerben. Der Antrags- und Genehmigungsprozess kann an manchen Stellen länger dauern, was dazu führt, dass einige Prüfzentren in die Studie aufgenommen werden, bevor andere Prüfzentren bereit sind. Sobald ein Prüfzentrum zum Einschluss bereit ist, aktualisiert Clementias die Liste auf www.clinicaltrials.gov (NCT03312634) und übermittelt diese Informationen an die Community.

Die spezifischen Länder, in denen Prüfzentren geplant sind, sind:

- Argentinien
- Australien
- Brasilien
- Kanada
- Frankreich
- Deutschland
- Italien
- Japan
- Russland
- Südafrika
- Spanien
- Schweden
- Vereinigtes Königreich
- Vereinigte Staaten

16. Was passiert, wenn ein Teilnehmer, der in die MOVE-Studie eingeschlossen wird, Nebenwirkungen auf die Behandlung zeigt?

Nebenwirkungen werden während der gesamten Studie überwacht. Jede Teilnehmer, der während der klinischen Studie Nebenwirkungen erleidet, wird vom Hauptprüfarzt und vom Personal des Prüfzentrums bewertet und entsprechend behandelt. Darüber hinaus können die Prüfarzte die Palovaroten-Dosis verringern oder die medikamentöse Behandlung vorübergehend oder dauerhaft beenden. Alle Teilnehmer haben die Möglichkeit, ihre Teilnahme jederzeit zu beenden.

Bekannte potenzielle Nebenwirkungen werden in der Einwilligungserklärung beschrieben, ein ausführliches Dokument, das während eines Treffens mit dem Prüfarzt, dem klinischen Studienpersonal und dem potenziellen Teilnehmer während der Einschlussbewertung besprochen wird. Dies ist eine Gelegenheit, alle Fragen bezüglich der MOVE-Studie zu diskutieren, einschließlich möglicher Gesundheitsrisiken.

17. Warum wurde die Ganzkörper-Computertomographie (whole body computed tomography, WBCT) zur Messung der heterotopen Ossifikation (HO) in der MOVE-Studie gewählt?

Die aus der Clementias Natural History-Studie gewonnenen Informationen demonstrierten, dass die Ganzkörper-Computertomographie (whole body computed tomography, WBCT) eine sensitive, bildgebende Art und Weise ist, die das Vorhandensein und die Menge bestehender und neuer HO dokumentieren kann. Durch die Verwendung dieser Modalität in regelmäßigen Abständen verringert sich die Belastung für die Studienteilnehmer, da sie zum Zeitpunkt eines Schubes nicht zum klinischen Prüfzentrum reisen müssen.

18. Wie unterscheidet sich MOVE von den vorherigen Studien?

Die MOVE-Studie ist eine bestätigende, klinische Phase-3-Studie, die auf der Grundlage von Informationen aus Clementias Phase-2- und Natural History-Studien entwickelt wurde. Ihr Ziel ist es zu bestimmen, ob Palovaroten eine neue heterotope Ossifikation (HO) sicher verhindern und/oder minimieren kann. Die MOVE-Studie enthält die folgenden Änderungen im Vergleich zum Phase-2-Programm:

- Die MOVE-Studie erfordert keine Placebo-Gruppe: Alle Patienten werden mit Palovaroten behandelt.
- Die MOVE-Studie verwendet eine chronische Dosierung von Palovaroten mit erhöhter Dosierung zum Zeitpunkt eines Schubes bei allen Teilnehmern, sowohl bei Kindern als auch bei Erwachsenen: Dieses Dosisregime bot die beste Wirksamkeit im Phase-2-Programm.
- In die MOVE-Studie werden Teilnehmer in ihrem gewohnten Gesundheitszustand aufgenommen und nicht zum Zeitpunkt eines Schubes.
- Die MOVE-Studie erfordert keinen Besuch im klinischen Prüfzentrum zum Zeitpunkt eines Schubes.
- Die MOVE-Studie nutzt weltweit mehr klinische Prüfzentren als bisherige Studien und nur Patienten, die in einem Land leben, das über ein klinisches Prüfzentrum der MOVE-Studie verfügt, sind geeignet.

19. Können Teilnehmer, die am Phase-2-Programm teilgenommen haben, in die MOVE-Studie eingeschlossen werden?

Nein, der Einschluss in die MOVE-Studie ist auf Personen beschränkt, die bisher nicht an einer der Studien zur Palovaroten-Behandlung teilgenommen haben. Die laufende, offene Phase-2-Studie wird jedoch so geändert, dass alle Teilnehmer (einschließlich Kinder) das chronische/Schub-Dosisregime erhalten können und nicht mehr zum Zeitpunkt des Schubes zum klinischen Prüfzentrum reisen müssen, und die Wirksamkeit wird durch Ganzkörper-CT-Scans bestimmt.

Teilnehmer, die an Clementias Natural History-Studie teilnehmen und die und die Einschlusskriterien erfüllen, können an der MOVE-Studie teilnehmen.

20. Warum wird bei MOVE kein Placebo verwendet?

Alle Teilnehmer der MOVE-Studie werden Palovaroten erhalten. Placebo wird in der MOVE-Studie nicht angewendet. Gute wissenschaftliche und medizinische Forschung erfordert eine Kontrollgruppe zum Vergleich mit der aktiven Behandlungsgruppe. Dies wird oft durch die Verwendung einer Placebo-Kontrollgruppe erreicht. In bestimmten Situationen erlauben die Regulierungsbehörden jedoch die Verwendung von Daten aus anderen Quellen anstelle einer Placebo-Kontrolle. In Anbetracht der schwerwiegenden und verheerenden Auswirkungen von HO für Personen mit FOP und Clementias bestehender, gut konzipierter und umfassender Natural History-Studie (NHS), die wichtige Informationen über den natürlichen Verlauf von FOP bei unbehandelten Teilnehmern lieferten, stellten die zuständigen Regulierungsbehörden fest, dass Daten von Clementias NHS als geeignete Kontrolle für die MOVE-Studie dienen können.

21. Wie lautet die Dosierung für Palovaroten in der MOVE-Studie und wie sieht dahingehend der Vergleich mit früheren Studien aus?

Unser Phase-2-Programm wurde entwickelt, um Informationen über das optimale Palovaroten-Dosisregime zu erbringen, das dann in der MOVE-Studie, der klinischen, bestätigenden Phase-3-Studie für Palovaroten bei FOP, weiter bewertet wird. Wir untersuchten 4 verschiedene Palovaroten-Dosisregimes, die nur Schübe und chronische/Schub-Dosierungsschemata einschlossen. Die bisherigen Ergebnisse der Phase-2-Studie haben gezeigt, dass Palovaroten bei chronischer Dosierung von 5 mg einmal täglich, mit einer Dosiserhöhung auf 20 mg einmal täglich für 4 Wochen gefolgt von 10 mg einmal täglich für 8 Wochen, die optimale Dosierung für die Vermeidung oder Minimierung neuer heterotoper Ossifikationen relativ zu unbehandelten Teilnehmern liefert. Die Dosis ist bei Kindern, die noch wachsen, an das Gewicht angepasst.

22. Wie komme ich zum klinischen Prüfzentrum - werden meine Reisekosten erstattet?

Clementia hat einen Reisevermittler eingestellt, der auf die Unterstützung bei klinischen Studien spezialisiert ist. Alle angemessenen Kosten, die mit der Teilnahme an dieser Studie verbunden sind, werden von Clementia bezahlt, einschließlich Reisen und Unterkunft für Sie und einen Betreuer. Die Reise zum Prüfzentrum findet vermutlich einmal alle 6 Monate für Untersuchungen und Bewertungen statt, wobei die Hausbesuche zwischen Klinikbesuchen durchgeführt werden.

23. Können die Teilnehmer der MOVE-Studie ihre gewohnte Versorgung erhalten?

Ja, obwohl das klinische Studienprotokoll aufgrund möglicher Interaktionen mit Palovaroten einige Medikamente nicht erlaubt, ist es zulässig, FOP-Standardbehandlungen wie Prednison, nicht-steroidale entzündungshemmende Medikamente und Sauerstoff zu verwenden. Das Personal der klinischen Studie wird diese Informationen während des Screening-Prozesses mit Ihnen besprechen.

Da Haut- und Schleimhautreaktionen die häufigsten Nebenwirkungen sind, die mit der Behandlung mit Palovaroten verbunden sind, wird jedem Teilnehmer zu Beginn der Studienbehandlung ein spezielles Merkblatt zur Beschreibung der empfohlenen Behandlung und Maßnahmen zur Prävention oder Minimierung dieser Nebenwirkungen zur Verfügung gestellt.

24. Gibt es potentielle Risiken der Verabreichung von Palovaroten an Kinder, die noch wachsen?

Der Prozess, durch den Palovaroten eine heterotope Ossifikation verhindert, kann sich auch auf lange Knochen von wachsenden Kindern auswirken. Die Überwachung der Wachstumsplatte und des linearen Wachstums bei Kindern zeigten bisher keine behandlungsbedingten Effekte von Palovaroten nach einer schubbasierten Dosierung. Da Palovaroten täglich allen Teilnehmern, die in der MOVE-Studie eingeschlossen sind, verabreicht wird, mit höheren Dosen während eines Schubes, wird bei allen Teilnehmern im Alter von unter 18 Jahren, die noch wachsen, alle 6 Monate Röntgenaufnahmen des Knies und des Handgelenks angefertigt, um mögliche behandlungsbedingte Auswirkungen zu überwachen.

25. Gibt es eine andere Möglichkeit, mit Palovaroten behandelt zu werden, wenn ich mich nicht für die MOVE-Studie eigne?

Der einzige Weg, Palovaroten zu erhalten, ist derzeit die MOVE-Studie. Wir bewerten Möglichkeiten, Palovaroten außerhalb einer klinischen Studie herzustellen und lassen es die Community wissen, wann und unter welchen Umständen dies geschieht.

26. Was ist mit der chirurgischen Exzisionsstudie?

Clementia hat eine Expertengruppe einberufen, die bei der Planung und Durchführung der chirurgischen Exzisionsstudie, der REMOVE-Studie, beraten wird. Diese Studie befindet sich noch in der Planungsphase, und weitere Informationen werden künftig zur Verfügung gestellt.