

# MOVE 임상시험 자주 묻는 질문

## 목차

- MOVE 임상시험 요약 ..... 1
- 1. MOVE 임상시험이란 무엇입니까?..... 1
  - 팔로바로텐에 관해서 자주 묻는 질문(FAQ)..... 1
- 2. 팔로바로텐이란 무엇입니까?..... 1
- 3. 희귀의약품 지정이란 무엇입니까?..... 2
- 4. 신속심사 지정이란 무엇입니까?..... 2
- 5. 혁신치료제 지정이란 무엇입니까?..... 2
  - 제 2 상 임상시험 및 자연경과 연구에 관해서 자주 묻는 질문(FAQ) ..... 3
- 6. 자연경과 연구(Natural History Study, NHS)란 무엇입니까? ..... 3
- 7. 제 2 상 임상시험이란 무엇이었습니까?..... 3
- 8. 적응적 임상시험이란 무엇입니까?..... 3
- 9. 제 2 상 프로그램의 예비 결과는 어땠습니까? ..... 3
- 10. 이러한 제 2 상 자료가 규제 승인을 받기에 충분합니까? ..... 4
  - MOVE 임상시험에 관해서 자주 묻는 질문(FAQ)..... 4
- 11. 확증적 제 3 상 MOVE 임상시험의 목적과 임상 평가변수는 무엇입니까? ..... 4
- 12. MOVE 임상시험의 기간은 어떻게 됩니까?..... 4
- 13. MOVE 임상시험에 참여할 수 있는 사람은 누구입니까? ..... 5
- 14. MOVE 임상 시험기관이 있는 국가 내에 거주하는 것이 필요한 이유는 무엇입니까? ..... 5
- 15. 표적 MOVE 임상시험이란 무엇입니까?..... 5
- 16. MOVE 임상시험에 등록된 시험대상자가 치료에 대한 부작용을 경험한다면 어떻게 됩니까?..... 6
- 17. MOVE 임상시험에서 이소성 골화증(heterotopic ossification, HO)을 측정하기 위해 전신 전산화 단층촬영(whole body computed tomography, WBCT)을 선택한 이유는 무엇입니까?..... 6
- 18. MOVE 임상시험과 이전 시험들의 차이점은 무엇입니까?..... 6
- 19. 제 2 상 프로그램에 참여한 시험대상자가 MOVE 임상시험에 등록될 수 있습니까? ..... 7
- 20. MOVE 에서 위약을 사용하지 않는 이유는 무엇입니까?..... 7
- 21. MOVE 임상시험에서 사용되는 팔로바로텐 용량은 무엇이며 이전 시험들과는 어떻게 비교됩니까? ..... 7
- 22. 임상 시험기관에 어떻게 갑니까 - 교통비에 대한 환급을 받게 됩니까?..... 7
- 23. MOVE 임상시험의 참여자가 평소의 진료를 받을 수 있습니까? ..... 8
- 24. 여전히 성장 중인 소아에 대한 팔로바로텐 투여의 잠재적 위험이 있습니까?..... 8
- 25. MOVE 임상시험에 적합하지 않다면, 팔로바로텐 투여를 받을 다른 방법이 있습니까?..... 8
- 26. 외과적 절제 임상시험은 어떻습니까? ..... 8

## MOVE 임상시험 요약

### 1. MOVE 임상시험이란 무엇입니까?

MOVE 임상시험은 진행성 골화성 섬유이형성증(FOP)에 대한 팔로바로텐의 글로벌, 다기관, 공개, 제 3 상 확증적 임상시험으로, 진행성 골화성 섬유이형성증이 있는 약 80 명의 성인과 만 4 세 이상 소아를 등록할 것으로 예상됩니다. 모든 시험대상자는 급성악화 중에 보다 높은 용량으로 2 년간 매일 팔로바로텐을 복용하며(위약 없음), 이러한 팔로바로텐 투여 용법이 치료받지 않은 시험대상자와 비교하여 새로운 이소성 골화증 생성을 감소시키는지 여부를 판별할 것입니다. MOVE 임상시험은 진행성 골화성 섬유이형성증에서 팔로바로텐의 안전성 및 유효성을 평가하고 진행성 골화성 섬유이형성증이 있는 소아 및 성인의 치료제로 팔로바로텐의 국내 승인을 위한 전 세계 규제 신청에서 사용할 전체 자료를 완성하게 될 것입니다.

귀하의 MOVE 등록 가능성에 관해서는 담당 의사 및 MOVE 임상시험에 참여하는 임상시험 의사 중 한 명과 상의하실 것을 권장합니다. MOVE 임상시험에 대한 주요 정보는 [www.clinicaltrials.gov](http://www.clinicaltrials.gov)(NCT 03312634)에서도 찾아보실 수 있습니다.

## 팔로바로텐에 관해서 자주 묻는 질문(FAQ)

### 2. 팔로바로텐이란 무엇입니까?

팔로바로텐은 진행성 골화성 섬유이형성증(FOP)에 대한 경구 투여 치료제로 Clementia 에서 개발하고 있는 임상시험용 의약품입니다. 진행성 골화성 섬유이형성증 환자는 골형성 단백질(BMP) 경로에 돌연변이 수용체가 있어 과활동을 보이고 이소성 골화증(HO) 생성을 유발하는 신호를 보냅니다.

레티노산 수용체 감마 효현제(RAR $\gamma$ )인 팔로바로텐은 진행성 골화성 섬유이형성증에서 이러한 신호전달 체계를 방해함으로써(골형성 단백질 경로에서) 이소성 골화증을 막는 것으로 여겨집니다. 마우스 진행성 골화성 섬유이형성증 모델에 대한 전임상시험들에서, 팔로바로텐은 손상 유발성 및 자연성 이소성 골화증 둘 다 차단했고 운동성을 유지했으며 골격 성장을 정상화시킨 것으로 나타났습니다. 팔로바로텐에 대한 제 2 상 용량범위 확인 시험이 완료되었습니다. 예비 자료 분석에서는, 치료를 받지 않았거나 위약 투여를 받은 시험대상자들과 비교하여 매일 팔로바로텐 투여를 받았고 급성악화 중에 용량을 증량한 시험대상자들에 대해 새로운 이소성 골화증 생성의 97% 감소가 관찰되었습니다. 제 3 상 MOVE 임상시험은 이러한 결과를 확인하기 위해 수행되고 있습니다.

팔로바로텐은 건강한 자원자, 폐기종 환자, 진행성 골화성 섬유이형성증 환자를 비롯하여 800 명이 넘는 사람들을 대상으로 연구를 진행했습니다. 다른 레티노이드와 마찬가지로, 피부 건조, 입술 건조, 가려움증, 발진, 발적, 구강 궤양, 탈모 등의 피부 및 점막(예: 코 및 입 안의 내막)과 관련된 부작용이 위약(설탕 알약) 투여군에 비해 팔로바로텐 투여 시험대상자들에서 보다 높은 비율로

보고되었습니다. 일반적으로, 팔로바로텐 용량이 증가함에 따라 이러한 점막 및 피부 사례의 수, 강도, 기간이 증가했습니다. 이러한 사례의 대부분은 강도에서 경증 또는 중등도였고, 일반적으로 피부 연화제, 입술 보호제, 항히스타민제로 치료하거나 필요할 경우 팔로바로텐 용량을 감량한 후 해소되거나 개선되었습니다.

팔로바로텐은 미국 식품의약품청(FDA)으로부터 신속심사 및 혁신치료제 지정을 받았으며, FDA 및 유럽의약품청(EMA) 모두로부터 진행성 골화성 섬유이형성증 치료에 대한 희귀의약품 지정을 받았습니다.

### 3. 희귀의약품 지정이란 무엇입니까?

미국 식품의약품청(FDA) 및 유럽의약품청(EMA)은 진행성 골화성 섬유이형성증이 중증 장애를 초래하는 희귀 질환이며 현재 이 질환에 대한 효과적인 치료제가 부족하다는 점을 인정하여 팔로바로텐을 희귀의약품으로 지정했습니다.

미국 희귀의약품 지정에 대한 자세한 내용은 아래에서 확인하실 수 있습니다.

<https://www.fda.gov/ForIndustry/DevelopingProductsforRareDiseasesConditions/HowtoapplyforOrphanProductDesignation/default.htm>.

EMA 희귀의약품 지정에 대한 자세한 내용은 아래에서 확인하실 수 있습니다.

[http://www.ema.europa.eu/ema/index.jsp?curl=pages/regulation/general/general\\_content\\_000029.jsp](http://www.ema.europa.eu/ema/index.jsp?curl=pages/regulation/general/general_content_000029.jsp)

### 4. 신속심사 지정이란 무엇입니까?

미국 식품의약품청은 진행성 골화성 섬유이형성증의 심각한 특성과 팔로바로텐이 이 질환을 치료함에 있어 유익성을 제공할 수 있다는 가능성을 인정하여 팔로바로텐의 신속심사 지정을 허가했습니다.

신속심사 지정에 대한 자세한 내용은 아래에서 확인하실 수 있습니다.

<https://www.fda.gov/ForPatients/Approvals/Fast/ucm405399.htm>.

### 5. 혁신치료제 지정이란 무엇입니까?

혁신치료제는 예비 임상 증거에서 해당 약이 임상적으로 유의한 평가변수에 대해 시판 치료제보다 실질적인 개선을 보일 수 있는 것으로 나타날 때 부여됩니다. 미국 식품의약품청은 예비 제 2 상 자료를 평가한 후 팔로바로텐을 혁신치료제로 지정했습니다. 혁신치료제 지정의 일차적 의도는 가능한 한 효율적으로 승인을 뒷받침하는 데 필요한 자료를 개발하는 것입니다. 혁신치료제 지정에 대한 자세한 내용은 아래에서 확인하실 수 있습니다.

<https://www.fda.gov/ForPatients/Approvals/Fast/ucm405397.htm>.

## 제 2 상 임상시험 및 자연경과 연구에 관해서 자주 묻는 질문(FAQ)

### 6. 자연경과 연구(Natural History Study, NHS)란 무엇입니까?

Clementia의 자연경과 연구는 전 세계에서 114 명의 진행성 골화성 섬유이형성증 환자를 등록한 관찰 연구입니다. 대상자들은 3년간 연 1회 평가를 받으며, 급성악화 중에는 보다 빈번한 방문을 합니다. 자연경과 연구의 목적은 새로운 골 생성과 신체 기능 및 삶의 질 임상 척도 간의 관계를 이해하고 시간 경과에 따른 질병진행을 모니터링하는 것입니다.

### 7. 제2 상 임상시험이란 무엇이었습니까?

Clementia의 제 2 상 임상시험은 여러 평가변수에 대해 네 가지 팔로바로텐 투여 용법을 평가한 중재 임상시험들이었습니다. 최초 제 2 상 임상시험은 적응적, 이중눈가림, 위약대조 설계였습니다. 제 2 상 임상시험을 완료한 시험대상자는 연장 시험에 등록할 선택권을 가졌습니다. 연장 시험의 파트 A는 급성악화 후 7일 이내에 팔로바로텐 투여를 시작했고 6주간 지속한 초기 간헐 투여 용법에 대한 평가를 지속했으며, 파트 B는 팔로바로텐을 매일 투여한 후 급성악화 시점에 보다 높은 용량을 제공하는 만성 투여 용법을 도입했습니다.

### 8. 적응적 임상시험이란 무엇입니까?

미국 식품의약품청에서는 다음과 같은 산업 지침 문서에서 정의를 제공하고 있습니다: <https://www.fda.gov/downloads/drugs/guidances/ucm201790.pdf>: “적응적 설계의 임상시험은 시험에 참여하는 대상자들로부터 얻은 자료(보통 중간 자료)에 대한 분석을 근거로 명시된 시험 설계 및 가설의 측면 중 하나 이상을 수정할 기회를 전향적으로 계획하는 것을 포함하는 임상시험으로 정의된다.”

### 9. 제2 상 프로그램의 예비 결과는 어땠습니까?

제 2 상 프로그램의 전체 분석은 완료되지 않았으며, 파트 B 연장이 여전히 진행 중입니다. 그러나, 제 2 상 및 파트 A 연장 시험들의 급성 악화 47 건에 대한 간헐적 6주 투여(2주간 10 mg 후 4주간 5 mg 투여)의 통합 결과로부터, 제 2 상 시험에서 치료받지 않은 위약군의 급성악화와 자연경과 연구의 급성악화를 비교했을 때 팔로바로텐 투여 시 이소성 골화증(HO)이 발생한 시험대상자의 백분율이 급성악화 후 약 45% 감소했으며 이소성 골화증이 생성된 시험대상자의 이소성 골화증 용적이 약 75% 감소한 것으로 관찰되었습니다. 파트 B 연장 시험의 예비 자료 분석에서는, 급성악화 시점에 용량을 증량한 팔로바로텐 만성 투여 용법이 이소성 골화증 억제에 있어 매우 효과적으로, 미치료군/위약 투여군의 급성악화와 비교했을 때 이소성 골화증 용적의 97% 감소를 보이는 것으로 나타나고 있습니다. MOVE 임상시험으로 알려진 확증적 제 3 상 임상시험에서 이 투여 용법을 평가하도록 뒷받침하는 것은 바로 이러한 자료입니다.

## 10. 이러한 제2 상 자료가 규제 승인을 받기에 충분합니까?

제 2 상 임상시험들은 규제 승인을 받기에 충분한 자료를 제공하기 위한 목적이 아니었습니다. 오히려 이는 진행성 골화성 섬유이형성증에서 다양한 평가변수와 팔로바로텐의 여러 잠재적 용량 및 투여 용법을 평가한 용량범위 확인 프로그램이었습니다. 그 목적은 전 세계 규제 승인을 위한 신청의 바탕이 될 제 3 상 임상시험의 설계를 위한 정보를 제공하는 것이었습니다. 제 2 상 프로그램은 그 목적을 충족시켰으며, 자연경과 연구와 더불어 진행성 골화성 섬유이형성증에 대한 팔로바로텐의 확증적 제 3 상 임상시험인 MOVE 임상시험의 설계 및 시행에 필요한 중요 정보를 제공했습니다.

## MOVE 임상시험에 관해서 자주 묻는 질문(FAQ)

### 11. 확증적 제3 상 MOVE 임상시험의 목적과 임상 평가변수는 무엇입니까?

MOVE 임상시험은 진행성 골화성 섬유이형성증이 있는 약 80 명의 성인과 만 4 세 이상 소아를 대상으로 한 글로벌, 다기관, 공개, 제 3 상 확증적 임상시험입니다. 이 시험은 팔로바로텐의 매일 투여 용법과 급성악화 시점에 보다 높은 용량을 결합했을 때 질병의 정상 경과와 비교하여 새로운 이소성 골화증(HO) 생성이 감소될 것인지 여부를 평가하도록 설계되었습니다.

확증적 시험으로서, MOVE 임상시험은 전 세계 규제 승인 신청을 위한 정보를 제공할 목적으로 진행성 골화성 섬유이형성증에 대한 팔로바로텐의 안전성 및 유효성을 평가할 것입니다. 일차 평가변수는 전신 전산화 단층촬영(WBCT)에 의해 측정된 바에 따른 새로운 이소성 골화증 용적의 연간 변화입니다. 이차 평가변수는 새로운 이소성 골화증이 있는 시험대상자의 비율, 새로운 이소성 골화증이 있는 신체 부위 수의 베이스라인 대비 변화, 급성악화를 보고하는 시험대상자의 비율, 시험대상자-개월 노출당 급성악화율 등입니다.

공개 시험으로서, 모든 시험대상자는 전체 시험 기간 동안 팔로바로텐 투여를 받을 것입니다. 위약군은 없습니다. 이러한 시험대상자 80 명에 대한 결과를 Clementia 의 자연경과 연구(NHS)에서 얻은 자료와 비교할 것입니다.

글로벌 다기관 시험으로서, MOVE 임상시험은 전 세계 여러 시험기관에서 수행될 것입니다. 각 시험기관은 여러 다른 시점에 등록을 위해 개방될 수 있도록 국내 및 현지 당국으로부터 모든 관련 승인을 획득해야 합니다. MOVE 임상 시험기관에 대한 최신 정보는 [www.clinicaltrials.gov](http://www.clinicaltrials.gov)(NCT 03312634)에서 확인하실 수 있습니다.

### 12. MOVE 임상시험의 기간은 어떻게 됩니까?

MOVE 임상시험은 2 년간의 투여를 위해 설계되었습니다. 즉, 등록된 시험대상자들은 2 년간 팔로바로텐 투여를 받을 것입니다.

### 13. MOVE 임상시험에 참여할 수 있는 사람은 누구입니까?

MOVE 임상시험은 R206H ACVR1 돌연변이인 진행성 골화성 섬유이형성증의 임상 진단이 있고 MOVE 임상 시험기관이 있는 국가에 거주하는 만 4 세 이상, 체중 10 kg 이상의 남녀 시험대상자를 등록할 것입니다. 등록 전에 마지막 급성악화 종료 이후 4 주가 경과했어야 합니다. 또한, 가임 시험대상자는 시험책임자가 설명하는 특정 기준을 준수할 의향이 있어야 합니다. 병력, 약물 사용, 알레르기, 실험실 검사값에 관한 추가 제외 기준은 [www.clinicaltrials.gov](http://www.clinicaltrials.gov)(NCT 03312634)에서 찾아보실 수 있습니다. Clementia 의 자연경과 연구에 참여하고 있으며 등록 기준에 부합하는 시험대상자는 MOVE 임상시험에 등록될 수 있습니다.

### 14. MOVE 임상 시험기관이 있는 국가 내에 거주하는 것이 필요한 이유는 무엇입니까?

임상시험용 의약품인 팔로바로텐은 각 국가 내의 국내 당국에 의한 특별 허가를 통해서만 인간 시험대상자에게 투여될 수 있습니다. 참여자는 국내 당국에서 진행성 골화성 섬유이형성증에 대한 팔로바로텐의 사용을 연구하는 임상시험을 승인한 국가에 거주해야 합니다. 이러한 허가는 해당 국가로 팔로바로텐을 수입하고 그 국가 내에서 자택 평가를 수행하기 위해 필요합니다. 임상 시험기관 및 적합성 기준에 대한 가장 최신 정보는 [www.clinicaltrials.gov](http://www.clinicaltrials.gov)(NCT 03312634)를 참조하십시오.

### 15. 표적 MOVE 임상시험이란 무엇입니까?

MOVE 임상시험은 전 세계 14 개국의 18 개 시험기관에서 수행될 것으로 예상됩니다. 각 시험기관은 국내 및 현지 승인을 신청해야 합니다. 일부 지역에서는 신청 및 승인 절차에 시간이 더 소요될 수 있으며, 이로 인해 일부 시험기관은 다른 시험기관이 준비가 되기 전에 시험 등록이 가능해질 수도 있습니다. Clementia 는 등록 준비가 된 시험기관에 대한 목록을 [www.clinicaltrials.gov](http://www.clinicaltrials.gov)(NCT 03312634)에 업데이트하고 이 정보를 해당 단체에 알릴 것입니다.

시험기관이 계획되어 있는 특정 국가는 다음과 같습니다.

- 아르헨티나
- 호주
- 브라질
- 캐나다
- 프랑스
- 독일
- 이탈리아
- 일본
- 러시아
- 남아프리카 공화국
- 스페인
- 스웨덴

- 영국
- 미국
- 네덜란드
- 한국

**16. MOVE 임상시험에 등록된 시험대상자가 치료에 대한 부작용을 경험한다면 어떻게 됩니까?**

전체 시험 기간 동안 부작용을 모니터링합니다. 임상시험 기간 동안 부작용을 경험하는 모든 시험대상자는 시험책임자 및 시험기관 연구진의 평가를 받고 적절한 치료를 받을 것입니다. 또한, 임상시험 의사가 팔로바로텐의 용량을 감량하거나 시험약 투여를 일시적 또는 영구적으로 중단할 수도 있습니다. 모든 시험대상자는 언제라도 참여를 중단할 선택권을 가집니다.

알려진 잠재적 부작용은 동의서에 설명되어 있으며, 동의서는 등록 평가 기간 동안 임상시험 의사, 임상 연구진, 잠재적 시험대상자의 모임 중에 논의되는 상세한 문서입니다. 시험대상자 동의는 잠재적 건강 위험을 비롯하여 MOVE 임상시험에 관해 궁금한 사항을 상의할 수 있는 기회입니다.

**17. MOVE 임상시험에서 이소성 골화증(heterotopic ossification, HO)을 측정하기 위해 전신 전산화 단층촬영(whole body computed tomography, WBCT)을 선택한 이유는 무엇입니까?**

Clementia 의 자연경과 연구로부터 얻은 정보에서, 전신 전산화 단층촬영(WBCT)은 기존 및 새로운 이소성 골화증의 존재 및 양을 문서화할 수 있는 민감한 영상 기법인 것으로 나타났습니다. 이 기법을 주기적으로 사용하면, 급성악화 시점에 임상 시험기관에 내원해야 할 필요가 없으므로 시험대상자의 부담이 줄어듭니다.

**18. MOVE 임상시험과 이전 시험들의 차이점은 무엇입니까?**

MOVE 임상시험은 Clementia 의 제 2 상 임상시험 및 자연경과 연구로부터 얻은 정보를 바탕으로 개발된 확증적 제 3 상 임상시험입니다. 그 목표는 팔로바로텐이 새로운 이소성 골화증(HO)을 안전하게 예방 및/또는 최소화할 수 있는지 여부를 판별하는 것입니다. MOVE 임상시험은 제 2 상 프로그램과 비교하여 다음과 같은 변화를 포함합니다.

- MOVE 임상시험에는 위약군이 요구되지 않으며, 모든 시험대상자는 팔로바로텐 투여를 받을 것입니다.
- MOVE 임상시험에서는 소아 및 성인 시험대상자 모두 만성적으로 팔로바로텐을 투여한 후 급성악화 시점에 용량을 증량하게 되었으며, 이러한 투여 용법은 제 2 상 프로그램에서 최상의 유효성을 제공했습니다.
- MOVE 임상시험은 급성악화 시점이 아니라 평소의 건강 상태로 시험대상자를 등록합니다.
- MOVE 임상시험에서는 급성악화 시점에 임상 시험기관 방문이 요구되지 않습니다.
- MOVE 임상시험은 이전의 임상시험들보다 전 세계에서 더 많은 임상 시험기관을 이용하고 있으며 MOVE 임상 시험기관에 있는 국가에 거주하는 환자들만 참여에 적합합니다.

### 19. 제 2 상 프로그램에 참여한 시험대상자가 MOVE 임상시험에 등록될 수 있습니까?

그렇지 않습니다. MOVE 임상시험으로의 등록은 이전에 팔로바로텐 투여 임상시험 중 하나에 참여하지 않은 시험대상자로 제한됩니다. 그러나, 모든 시험대상자(소아 포함)가 만성/급성악화 투여 용법을 투여받을 수 있고 전신 CT 스캔에 의해 결정되는 유효성으로 급성악화 시점에 더 이상 임상 시험기관에 내원할 필요가 없도록 하기 위해 진행 중인 제 2 상 공개 임상시험을 개정하고 있습니다.

Clementia 의 자연경과 연구에 참여하고 있고 등록 기준에 부합하는 시험대상자는 MOVE 임상시험에 참여할 수 있습니다.

### 20. MOVE 에서 위약을 사용하지 않는 이유는 무엇입니까?

MOVE 임상시험의 모든 시험대상자는 팔로바로텐 투여를 받을 것입니다. MOVE 임상시험에서는 위약을 사용하지 않습니다. 우수한 과학 및 의학 연구를 위해서는 활성 투여군과의 비교를 위해 대조군이 필요합니다. 이는 흔히 위약 대조군을 사용하여 이루어집니다. 그러나, 규제당국은 특정 상황에서 위약 대조 대신 다른 출처의 자료를 사용하도록 허용합니다. 진행성 골화성 섬유이형성증 대상자에게 있어 이소성 골화증의 중대하고 파괴적인 효과와 치료받지 않은 대상자들에서 진행성 골화성 섬유이형성증의 자연경과에 대한 중요 정보를 제공한 Clementia 의 기존의 우수한 설계를 가진 포괄적 자연경과 연구(NHS)를 감안하여, 관련 규제당국에서는 Clementia 의 자연경과 연구에 참여한 시험대상자들로부터 얻은 자료를 MOVE 임상시험을 위한 적절한 대조 자료로 사용할 수 있다는 결정을 내렸습니다.

### 21. MOVE 임상시험에서 사용되는 팔로바로텐 용량은 무엇이며 이전 시험들과는 어떻게 비교됩니까?

Clementia 의 제 2 상 프로그램은 진행성 골화성 섬유이형성증에 대한 팔로바로텐의 확증적 제 3 상 임상시험인 MOVE 임상시험에서 추가적으로 평가할 최적의 팔로바로텐 투여 용법 정보를 제공하도록 설계되었습니다. 급성악화만을 포함한 투여 용법 및 만성/급성악화 투여 일정을 포함한 네 가지 다른 팔로바로텐 투여 용법을 연구했습니다. 현재까지의 제 2 상 결과에서, 1 일 1 회 5 mg 으로 만성 투여하고 악화 활성 중에는 4 주간 1 일 1 회 20 mg 으로 용량을 증량한 후 8 주간 1 일 1 회 10 mg 으로 투여한 팔로바로텐은 치료받지 않은 시험대상자와 비교하여 새로운 이소성 골화증의 예방 또는 최소화를 위한 최적 용량을 제공하는 것으로 나타났습니다. 여전히 성장 중의 소아에 대해서는 체중에 대해 용량을 보정합니다.

### 22. 임상 시험기관에 어떻게 갑니까- 교통비에 대한 환급을 받게 됩니까?

Clementia 는 임상시험 지원을 전문으로 하는 여행사를 고용했습니다. Clementia 에서는 귀하 및 보호자의 교통비 및 숙박비를 비롯하여 본 임상시험 참여와 관련한 모든 합당한 비용을 지급할 것입니다. 시험기관 방문은 검진 및 평가를 위해 6 개월마다 한 번 실시할 것으로 예상되며, 병원 방문 사이에는 자택 평가를 실시하게 됩니다.



**23. MOVE 임상시험의 참여자가 평소의 진료를 받을 수 있습니까?**

그렇습니다. 비록 임상시험 계획서에서는 팔로바로텐과의 상호작용 가능성으로 인해 일부 약물이 허용되지 않지만, 예를 들어 프레드니손, 비스테로이드성 항염제, 산소와 같은 진행성 골화성 섬유이형성증의 표준치료제를 사용하는 것은 허용됩니다. 임상시험 직원은 스크리닝 과정 동안 이러한 정보에 대해 귀하와 상의할 것입니다.

피부 및 점막 반응이 팔로바로텐 치료와 연관된 가장 흔한 부작용이므로, 시험치료 시작 시 이러한 부작용을 예방하거나 최소화하기 위해 취할 수 있는 권장 치료 및 조치를 설명하는 구체적인 설명서가 각 시험대상자에게 제공될 것입니다.

**24. 여전히 성장 중인 소아에 대한 팔로바로텐 투여의 잠재적 위험이 있습니까?**

팔로바로텐이 이소성 골화증을 예방하는 과정은 성장 중인 소아의 장골에도 영향을 미칠 수 있습니다. 소아의 성장판 및 선형 성장을 모니터링한 결과, 현재까지 급성악화 기반 투여 후 팔로바로텐의 투여 관련 영향은 보이지 않았습니다. MOVE 임상시험에 등록된 모든 시험대상자에게 팔로바로텐은 매일 투여되고 급성악화 중에는 보다 높은 용량으로 투여될 것이므로, 여전히 성장 중인 만 18 세 미만의 모든 시험대상자는 잠재적 투여 관련 영향을 모니터링하기 위해 6 개월마다 무릎 및 손/손목의 X 선 검사를 실시할 것입니다.

**25. MOVE 임상시험에 적합하지 않다면, 팔로바로텐 투여를 받을 다른 방법이 있습니까?**

현재로서는, 팔로바로텐 투여를 받을 유일한 방법은 MOVE 임상시험의 시험대상자가 되는 것입니다. 임상시험 범위 외에서 팔로바로텐을 이용할 수 있도록 만들 선택안을 평가하고 있으며 이러한 일이 가능해지면 그러한 상황에 대한 설명과 함께 해당 단체에 알릴 것입니다.

**26. 외과적 절제 임상시험은 어떻습니까?**

Clementia 는 REMOVE 임상시험이라 부르는 외과적 절제 임상시험의 설계 및 수행을 위한 자문을 제공하는 전문가 패널을 소집했습니다. 이 임상시험은 여전히 계획 단계에 있으며 향후 추가 정보가 제공될 것입니다.