

Veelgestelde vragen MOVE-onderzoek

Inhoud

Samenvatting MOVE-onderzoek	1
1. Wat is het MOVE-onderzoek?	1
Veelgestelde vragen over palovaroteen.....	1
2. Wat is palovaroteen?	1
3. Wat is een toewijzing als weesgeneesmiddel?.....	2
4. Wat is een Fast Track-toewijzing?	2
5. Wat is een Breakthrough Therapy-toewijzing?	2
Veelgestelde vragen over fase 2-onderzoek en onderzoek naar natuurlijke voorgeschiedenis.....	3
6. Wat houdt het onderzoek naar natuurlijke voorgeschiedenis (Natural History Study, NHS) in?	3
7. Wat hielden de fase 2-onderzoeken in?.....	3
8. Wat is een adaptief onderzoek?.....	3
9. Wat waren de verkennende resultaten van het fase 2-programma?	3
10. Zijn deze fase 2-gegevens toereikend voor goedkeuring door regelgevende instanties?.....	4
Veelgestelde vragen over het MOVE-onderzoek	4
11. Wat is de doelstelling van het bevestigende fase 3-onderzoek MOVE en wat zijn de klinische eindpunten?	4
12. Hoe lang duurt het MOVE-onderzoek?	5
13. Wie kan aan het MOVE-onderzoek deelnemen?	5
14. Waarom is het noodzakelijk om in een land met een MOVE-onderzoekscentrum gevestigd te zijn? ..	5
15. Waar zijn de voorziene MOVE-onderzoekscentra?	5
16. Wat gebeurt er als een proefpersoon in het MOVE-onderzoek bijwerkingen van de behandeling ervaart?	6
17. Waarom werd in het MOVE-onderzoek de computertomografie van het gehele lichaam (WBCT) verkozen boven het meten van heterotopie ossificatie (HO)?.....	6
18. In welke opzichten verschilt MOVE van eerdere onderzoeken?	6
19. Zijn proefpersonen die aan het fase 2-programma deelnamen in staat om deel te nemen aan het MOVE-onderzoek?	7
20. Waarom wordt er in MOVE geen placebo gebruikt?	7
21. Wat is de dosis palovaroteen in het MOVE-onderzoek en hoe verhoudt zich deze met andere onderzoeken?	8
22. Hoe kan ik naar het klinisch onderzoekscentrum reizen? Krijg ik mijn reiskosten vergoed?	8
23. Zullen deelnemers aan het MOVE-onderzoek in staat zijn om hun normale zorg te ontvangen?	8
24. Zijn er mogelijke risico's voor toediening van palovaroteen bij kinderen in de groei?.....	8
25. Als ik niet in aanmerking kom voor het MOVE-onderzoek, is er dan een andere manier om met palovaroteen te worden behandeld?.....	9

Samenvatting MOVE-onderzoek

1. *Wat is het MOVE-onderzoek?*

Het MOVE-onderzoek is een open-label-, bevestigend, klinisch fase 3-onderzoek in meerdere centra wereldwijd naar palovaroteen bij fibrodysplasia ossificans progressiva (FOP) waarin naar verwachting ongeveer 80 volwassenen en kinderen van 4 jaar en ouder met FOP zullen worden ingeschreven. Alle proefpersonen zullen gedurende twee jaar dagelijks palovaroteen innemen (geen placebo), aan hogere doses gedurende opvlamming, om te bepalen of dit dosisregime van palovaroteen de vorming van nieuwe heterotopie ossificatie vermindert in vergelijking met onbehandelde proefpersonen. In het MOVE-onderzoek zal de veiligheid en werkzaamheid van palovaroteen bij FOP worden geëvalueerd. Ook zal het gegevenspakket van palovaroteen als behandeling voor kinderen en volwassenen met FOP worden gecompleteerd voor nationale goedkeuringsaanvragen bij wereldwijde regelgevende instanties.

We stimuleren u met betrekking tot uw mogelijke inschrijving in MOVE contact op te nemen met uw arts en één van de artsen van het MOVE-onderzoek. Op www.clinicaltrials.gov (NCT 03312634) kunt u ook belangrijke informatie over het MOVE-onderzoek vinden.

Veelgestelde vragen over palovaroteen

2. *Wat is palovaroteen?*

Palovaroteen is een experimenteel geneesmiddel dat Clementia ontwikkelt als een oraal toegediende behandeling voor fibrodysplasia ossificans progressiva (FOP). Personen met FOP hebben een gemuteerde receptor in het signaalpad voor botmorfogenetisch eiwit (bone morphogenetic protein, BMP), dat overactief raakt en signalen verzendt waardoor de vorming van heterotopie ossificatie (HO) ontstaat.

Van palovaroteen, een retinoïnezuurreceptor gamma (retinoic acid receptor gamma, RAR γ)-antagonist, wordt aangenomen dat het door de verstoring van deze signalerende systemen (in het BMP-signalpad) HO voorkomt bij FOP. Preklinische onderzoeken in muismodellen met FOP toonden aan dat palovaroteen zowel letselgeïnduceerde als spontane HO blokkeerde, mobiliteit behield en skeletgroei herstelde. De bepaling van het dosisbereik voor palovaroteen is afgerond in fase 2. In verkennende gegevensanalyse werd 97% vermindering van de vorming van nieuwe HO waargenomen bij de proefpersonen die dagelijks palovaroteen ontvingen met verhoogde dosering tijdens een opvlamming, in vergelijking met onbehandelde of met placebo behandelde proefpersonen. Fase 3 van het MOVE-onderzoek wordt uitgevoerd om deze bevindingen te bevestigen.

Palovaroteen is onderzocht bij 800 mensen, waaronder gezonde vrijwilligers, mensen met emfyseem en mensen met FOP. Net als bij andere retinoïnen werden bijwerkingen in verband met de huid en slijmvliezen (bijv. de binnenkant van uw neus en mond), waaronder droge huid, droge lippen, jeuk, huiduitslag, roodheid, zweren in de mond en haarverlies, vaker gerapporteerd bij proefpersonen die

met palovaroteen werden behandeld dan bij hen die met placebo (een suikerpil) werden behandeld. Over het algemeen nam het aantal, de intensiteit en de duur van deze mucocutane en dermatologische voorvallen toe bij het verhogen van de dosis palovaroteen. De meeste voorvallen waren licht tot matig qua intensiteit en na behandeling met huidmiddelen, lippenbalsems, antihistaminen of, indien nodig, verlaging van de dosis palovaroteen werden deze over het algemeen opgelost of verbeterd.

Palovaroteen ontving Fast Track- en Breakthrough-toewijzing van de Amerikaanse Food And Drug Administration (FDA) en de toewijzing als weesgeneesmiddel voor de behandeling van FOP van zowel de FDA als het Europees Geneesmiddelenbureau (European Medicines Agency, EMA).

3. Wat is een toewijzing als weesgeneesmiddel?

Palovaroteen kreeg de toewijzing als weesgeneesmiddel van de Amerikaanse Food And Drug Administration (FDA) en het Europees Geneesmiddelenbureau (EMA) als erkenning dat FOP een zeldzame, ernstig invaliderende ziekte is waarvoor op dit moment effectieve behandelingen ontbreken.

Op kunt u meer informatie vinden over Amerikaanse toewijzingen voor weesgeneesmiddelen.

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

Op kunt u meer informatie vinden over toewijzingen voor weesgeneesmiddelen via het EMA.

http://www.ema.europa.eu/ema/index.jsp?curl=pages/regulation/general/general_content_000029.jsp

4. Wat is een Fast Track-toewijzing?

De Fast Track-toewijzing werd aan palovaroteen verleend op basis van de erkenning door de Amerikaanse Food And Drug Administration van de ernstige aard van FOP en de mogelijkheid dat palovaroteen positief kan bijdragen aan het behandelen van de ziekte.

Op kunt u meer informatie vinden over de Fast Track-toewijzingen.

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

5. Wat is een Breakthrough Therapy-toewijzing?

De Breakthrough Therapy-toewijzing wordt toegekend als verkennend klinisch bewijs aantoont dat het geneesmiddel voor een klinisch significant eindpunt substantiële verbetering kan laten zien ten opzichte van beschikbare behandelingen. De toewijzing werd door de Amerikaanse FDA aan palovaroteen toegekend na evaluatie van verkennende fase 2-gegevens. De primaire intentie van Breakthrough Therapy-toewijzing is de ontwikkeling van gegevens die nodig zijn om het verkrijgen van goedkeuring zo efficiënt mogelijk te ondersteunen. Op kunt u meer informatie vinden over de Breakthrough-toewijzing.

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

Veelgestelde vragen over fase 2-onderzoek en onderzoek naar natuurlijke voorgeschiedenis

6. *Wat houdt het onderzoek naar natuurlijke voorgeschiedenis (Natural History Study, NHS) in?*

Clementia's NHS is een observationeel onderzoek waarin wereldwijd 114 patiënten met FOP werden ingeschreven. De proefpersonen werden gedurende drie jaar jaarlijks geëvalueerd, met frequentere bezoeken tijdens een opvlamming. Het doel van het NHS is het begrijpen van het verband tussen nieuwe beenvorming en klinische metingen van lichamelijk functioneren en kwaliteit van leven, en het volgen van de ziekteprogressie na verloop van tijd.

7. *Wat hielden de fase 2-onderzoeken in?*

Clementia's fase 2-onderzoeken waren interventionele onderzoeken waarin vier dosisregimes van palovaroteen werden geëvalueerd op verschillende eindpunten. Het initiële fase 2-onderzoek had een adaptieve, dubbelblinde, placebogecontroleerde opzet. Proefpersonen die het fase 2-onderzoek voltooiden, kregen de optie om aan een uitbreidingsonderzoek deel te nemen: in deel A van de uitbreiding werd de evaluatie van het initiële episodische dosisregime voortgezet, waarin de dosering van palovaroteen binnen zeven dagen na een opvlamming van start ging en gedurende 6 weken werd voortgezet; in deel B werd een chronisch dosisregime geïntroduceerd waarin dagelijks palovaroteen werd ingenomen en op het moment van opvlamming de dosis werd verhoogd.

8. *Wat is een adaptief onderzoek?*

De Amerikaanse Food And Drug Administration geeft op een definitie in de richtlijnendocumentatie voor de bedrijfstak <https://www.fda.gov/downloads/drugs/guidances/ucm201790.pdf>: "Een klinisch onderzoek met adaptieve opzet wordt gedefinieerd als een onderzoek waarin een prospectief geplande mogelijkheid geboden wordt tot aanpassing van één of meer specifieke aspecten van de onderzoeksopzet en de hypothesen, op basis van analyse van gegevens (veelal tussentijdse gegevens) van proefpersonen in het onderzoek."

9. *Wat waren de verkennende resultaten van het fase 2-programma?*

De volledige analyse van het fase 2-programma is nog niet afgerond en deel B van het uitbreidingsonderzoek is nog gaande. We hebben in de samengevoegde resultaten van episodische, 6 weken durende behandeling (10 mg gedurende 2 weken gevolgd door 5 mg gedurende 4 weken) van 47 opvlammingen in het fase 2-onderzoek en deel A van het uitbreidingsonderzoek echter waargenomen dat het percentage proefpersonen dat heterotopie ossificatie (HO) ontwikkelde na een opvlamming met ongeveer 45% afnam en dat bij de patiënten die HO vormden het HO-volume met ongeveer 75% afnam met palovaroteen in vergelijking met onbehandelde opvlammingen uit de placebogroep in het fase 2-onderzoek en opvlammingen uit het NHS. Analyse van verkennende gegevens uit deel B van het uitbreidingsonderzoek geeft aan dat een chronisch dosisregime van palovaroteen met toenemende doses op het moment van opvlamming effectiever is bij het onderdrukken van HO, waarbij een afname van 97% in HO-volume wordt aangetoond in vergelijking met onbehandelde/met placebo behandelde

opvlammingen. Precies deze gegevens ondersteunen de evaluatie van dit dosisregime in het bevestigende, klinische fase 3-onderzoek dat als MOVE-onderzoek bekendstaat.

10. Zijn deze fase 2-gegevens toereikend voor goedkeuring door regelgevende instanties?

Het klinisch fase 2-onderzoek was niet bedoeld om gegevens te verkrijgen die toereikend zijn voor goedkeuring door regelgevende instanties. Het was daarentegen een programma voor bepaling van het dosisbereik. Hierin werden verschillende eindpunten bij FOP en verschillende mogelijke doses en dosisregimes van palovaroteen geëvalueerd. Het doel was het bepalen van de opzet van een fase 3-onderzoek dat als basis dient voor goedkeuringsaanvragen bij wereldwijde regelgevende instanties. Het fase 2-programma behaalde de doelstellingen en leverde in combinatie met het onderzoek naar natuurlijke voorgeschiedenis de noodzakelijke belangrijke informatie op voor de opzet en implementatie van het MOVE-onderzoek, het bevestigende, klinische fase 3-onderzoek naar palovaroteen bij FOP.

Veelgestelde vragen over het MOVE-onderzoek

11. Wat is de doelstelling van het bevestigende fase 3-onderzoek MOVE en wat zijn de klinische eindpunten?

Het MOVE-onderzoek is een open-label-, bevestigend, klinisch fase 3-onderzoek in meerdere centra wereldwijd met ongeveer 80 volwassenen en kinderen van 4 jaar en ouder met FOP. Het is opgezet om te evalueren of een dagelijks dosisregime van palovaroteen, in combinatie met hogere doses tijdens opvlamming, de vorming van nieuwe heterotopie ossificatie (HO) vermindert ten opzichte van het normale ziekteverloop.

Het MOVE-onderzoek is bevestigend en zal de veiligheid en werkzaamheid van palovaroteen bij FOP evalueren voor de doeleinden van informatieverzameling voor goedkeuringsaanvragen bij wereldwijde regelgevende instanties. Het primair eindpunt is de verandering van nieuw HO-volume op jaarbasis, gemeten aan de hand van computertomografie van het gehele lichaam (whole body computed tomography, WBCT). Tot de secundaire eindpunten behoren het aandeel proefpersonen met enige nieuwe HO, de verandering van het aantal lichaamsgebieden met HO ten opzichte van de uitgangswaarde, het aandeel proefpersonen dat opvlamming rapporteert en de opvlammingsratio per proefpersoon per maand.

Dit is een open-labelonderzoek waarin elke proefpersoon gedurende het gehele onderzoek palovaroteen zal ontvangen. Er is geen placebogroep. De resultaten van deze 80 proefpersonen zullen worden vergeleken met de gegevens die in het onderzoek naar natuurlijke voorgeschiedenis (NHS) werden verkregen.

Het MOVE-onderzoek is een wereldwijd multi-center onderzoek en zal in vele centra in de hele wereld worden uitgevoerd. Elk centrum dient alle relevante goedkeuringen van nationale en lokale autoriteiten te verkrijgen, dus de locaties zullen op verschillende momenten starten met inschrijving. Kijk op www.clinicaltrials.gov (NCT 03312634) voor het laatste nieuws over de locaties in het MOVE-onderzoek.

12. Hoe lang duurt het MOVE-onderzoek?

Het MOVE-onderzoek is opgezet voor twee jaar behandeling. Dat betekent dat de ingeschreven proefpersonen gedurende twee jaar behandeling met palovaroteen zullen ondergaan.

13. Wie kan aan het MOVE-onderzoek deelnemen?

Aan het MOVE-onderzoek zullen mannelijke en vrouwelijke proefpersonen deelnemen van 4 jaar en ouder met een lichaamsgewicht van minimaal 10 kg, een FOP-diagnose en de R206H ACVR1-mutatie, die gevestigd zijn in een land met een klinisch onderzoekscentrum in het MOVE-onderzoek. Er dienen bij inschrijving vier weken verstreken te zijn sinds de laatste opvlamming. Eveneens dienen proefpersonen van vruchtbare leeftijd bereid te zijn tot naleving van bepaalde criteria die uw hoofdonderzoeker u zal uitleggen. De aanvullende uitsluitingscriteria met betrekking tot medische voorgeschiedenis, gebruik van medicatie, allergieën en laboratoriumwaarden zijn beschikbaar op www.clinicaltrials.gov (NCT 03312634). Proefpersonen die deelnemen aan Clementia's NHS en voldoen aan de criteria voor inschrijving, kunnen aan het MOVE-onderzoek deelnemen.

14. Waarom is het noodzakelijk om in een land met een MOVE-onderzoekscentrum gevestigd te zijn?

Als onderzoeksproduct kan palovaroteen alleen met speciale toestemming van nationale instanties van de specifieke landen worden toegediend aan menselijke proefpersonen. Deelnemers dienen in een land gevestigd te zijn waarin de nationale autoriteiten het klinisch onderzoek naar het gebruik van palovaroteen bij FOP hebben goedgekeurd. Deze toestemming is noodzakelijk om palovaroteen naar een land te importeren en de beoordelingen aan huis in het land uit te voeren. Kijk op www.clinicaltrials.gov (NCT 03312634) voor de meest recente informatie over klinische onderzoekscentra en geschiktheidscriteria.

15. Waar zijn de voorziene MOVE-onderzoekscentra?

We verwachten dat het MOVE-onderzoek in 20 centra in 16 landen wereldwijd zal worden uitgevoerd. Elk centrum dient nationale en lokale goedkeuringen aan te vragen. Het proces van aanvraag en goedkeuring kan in bepaalde landen meer tijd in beslag nemen, waardoor bepaalde onderzoekscentra al proefpersonen inschrijven voordat andere centra daar klaar voor zijn. Zodra een centrum klaar is voor inschrijving, zal Clementia de lijst op www.clinicaltrials.gov (NCT 03312634) bijwerken en deze informatie doorgeven aan de gemeenschap.

Dit zijn de specifieke landen waarin centra gepland zijn:

- Argentinië
- Australië
- Brazilië
- Canada
- Frankrijk

- Duitsland
- Italië
- Japan
- Rusland
- Zuid-Afrika
- Spanje
- Zweden
- Verenigd Koninkrijk
- Verenigde Staten
- Nederland
- Zuid-Korea

16. Wat gebeurt er als een proefpersoon in het MOVE-onderzoek bijwerkingen van de behandeling ervaart?

Bijwerkingen worden gedurende het gehele onderzoek gecontroleerd. Proefpersonen die tijdens het klinisch onderzoek een bijwerking ervaren, zullen door de hoofdonderzoeker en het centrupersoneel worden geëvalueerd en op de juiste wijze worden behandeld. Daarnaast kunnen de onderzoeksartsen de dosis palovaroteen verlagen of de behandeling met het geneesmiddel tijdelijk of permanent stopzetten. Alle proefpersonen hebben de mogelijkheid om hun deelname op elk moment stop te zetten.

Bekende bijwerkingen zullen in het informatie- en toestemmingsformulier worden beschreven. Dit is een gedetailleerd document dat tijdens de evaluatie voor inschrijving zal worden besproken in een gesprek met de onderzoeksarts, het klinisch onderzoekspersoneel en de prospectieve proefpersoon. Dit is een mogelijkheid om vragen te stellen met betrekking tot het MOVE-onderzoek, onder meer over mogelijke gezondheidsrisico's.

17. Waarom werd in het MOVE-onderzoek de computertomografie van het gehele lichaam (WBCT) verkozen boven het meten van heterotope ossificatie (HO)?

Informatie uit Clementia's onderzoek naar natuurlijke voorgeschiedenis toonde aan dat computertomografie van het gehele lichaam (WBCT) een gevoelige beeldvormingsmodaliteit is, die de aanwezigheid van en de hoeveelheid bestaande en nieuwe HO kan documenteren. Door deze modaliteit met regelmatige intervallen te gebruiken, verlaagt de last voor de proefpersonen; zij hoeven bij een opvlamming namelijk niet naar het klinisch centrum te reizen.

18. In welke opzichten verschilt MOVE van eerdere onderzoeken?

Het MOVE-onderzoek is een bevestigend, klinisch fase-3 onderzoek dat werd opgezet op basis van informatie die werd verkregen uit Clementia's fase 2-onderzoek en onderzoek naar natuurlijke voorgeschiedenis. Het doel is het bepalen of palovaroteen nieuwe heterotope ossificatie (HO) veilig kan voorkomen en/of minimaliseren. Het MOVE-onderzoek bevat de volgende veranderingen in vergelijking met het fase 2-programma:

- In het MOVE-onderzoek is geen placebogroep vereist: alle proefpersonen zullen met palovaroteen worden behandeld.
- In het MOVE-onderzoek wordt bij alle proefpersonen, zowel kinderen als volwassenen, gebruikgemaakt van chronische dosering voor palovaroteen met toenemende doses op het moment van opvlamming; dit dosisregime bood de beste werkzaamheid in het fase 2-programma.
- In het MOVE-onderzoek worden proefpersonen bij hun normale gezondheidstoestand ingeschreven, niet op het moment van een opvlamming.
- In het MOVE-onderzoek is bij opvlamming geen bezoek aan het klinisch onderzoekscentrum vereist.
- In het MOVE-onderzoek wordt gebruikgemaakt van meer wereldwijde klinische onderzoekscentra dan in eerdere onderzoeken, en alleen patiënten die in een land gevestigd zijn waar zich een MOVE-onderzoekscentrum bevindt, komen in aanmerking.

19. Zijn proefpersonen die aan het fase 2-programma deelnamen in staat om deel te nemen aan het MOVE-onderzoek?

Nee, de inschrijving in het MOVE-onderzoek is beperkt tot proefpersonen die niet eerder aan een van de onderzoeken naar de behandeling met palovaroteen hebben deelgenomen. Het lopende open-labelonderzoek in fase 2 wordt echter aangepast, opdat alle proefpersonen (inclusief kinderen) het chronische/opvlammingsdosisregime kunnen ontvangen en bij een opvlamming niet langer naar het klinisch centrum hoeven te reizen. De werkzaamheid zal worden bepaald aan de hand van CT-scans van het gehele lichaam.

Proefpersonen die deelnemen aan Clementia's onderzoek naar natuurlijke voorgeschiedenis en voldoen aan de criteria voor inschrijving, kunnen aan het MOVE-onderzoek deelnemen.

20. Waarom wordt er in MOVE geen placebo gebruikt?

Alle proefpersonen in het MOVE-onderzoek zullen palovaroteen ontvangen. Er zal in het MOVE-onderzoek geen placebo worden gebruikt. In gedegen wetenschappelijk en medisch onderzoek is een controlegroep vereist om een vergelijking te maken met de actieve behandelingsgroep. Dit gebeurt vaak in de vorm van een controlegroep met placebo. In bepaalde situaties staan regelgevende instanties echter gegevens toe uit andere bronnen, die in plaats van een controle met placebo kunnen worden gebruikt. Met het oog op de ernstige en vernietigende effecten van HO voor personen met FOP en Clementia's bestaande, goed opgezette en uitgebreide onderzoek naar natuurlijke voorgeschiedenis (NHS), waaruit belangrijke informatie naar voren kwam over het natuurlijk verloop van FOP bij onbehandelde proefpersonen, bepaalden regelgevende instanties dat gegevens van proefpersonen in Clementia's NHS als gepast controlemiddel kunnen dienen in het MOVE-onderzoek.

21. Wat is de dosis palovaroteen in het MOVE-onderzoek en hoe verhoudt zich deze met andere onderzoeken?

Ons fase 2-programma werd opgezet om het optimale dosisregime van palovaroteen te bepalen. Dat regime zou vervolgens verder worden geëvalueerd in MOVE, het bevestigende, klinische fase 3-onderzoek naar palovaroteen bij FOP. We onderzochten vier verschillende dosisregimes met palovaroteen, met opvlammingschema's en chronische/opvlammingschema's. De fase 2-resultaten tot op dit moment hebben aangetoond dat chronisch gedoseerd palovaroteen, eenmaal daags aan 5 mg, met verhoogde dosering tot eenmaal daags 20 mg gedurende 4 weken gevolgd door eenmaal daags 10 mg gedurende 8 weken tijdens opvlammingsactiviteit de optimale dosis biedt voor het voorkomen of minimaliseren van nieuwe heterotopie ossificatie ten opzichte van onbehandelde proefpersonen. De dosis wordt aangepast op het lichaamsgewicht van kinderen die nog in de groei zijn.

22. Hoe kan ik naar het klinisch onderzoekscentrum reizen? Krijg ik mijn reiskosten vergoed?

Clementia heeft een reisagent in de arm genomen die gespecialiseerd is in assistentie bij klinisch onderzoek. Alle redelijkerwijs ontstane kosten in verband met deelname aan dit onderzoek worden door Clementia vergoed, inclusief reis- en verblijfskosten voor u en een verzorger. Naar verwachting vindt om de zes maanden een bezoek aan het onderzoekscentrum plaats voor testen en beoordelingen, en tussen de kliniekbezoeken worden aan huis beoordelingen uitgevoerd.

23. Zullen deelnemers aan het MOVE-onderzoek in staat zijn om hun normale zorg te ontvangen?

Ja, hoewel het klinisch onderzoeksprotocol sommige middelen niet toestaat vanwege mogelijke interactie met palovaroteen, is het toegestaan om standaardbehandelingen voor FOP te ondergaan, bijvoorbeeld met prednison, niet-steroïdale ontstekingsremmers en zuurstof. Het klinisch onderzoekspersoneel zal deze informatie met u bespreken tijdens het screeningsproces.

Aangezien huid- en slijmvliesreacties de vaakst met palovaroteen in verband gebrachte bijwerkingen zijn, krijgt elke proefpersoon aan het begin van de onderzoeksbehandeling een specifieke brochure waarin aanbevolen behandelingen en stappen worden beschreven om deze bijwerkingen te voorkomen of te minimaliseren.

24. Zijn er mogelijke risico's voor toediening van palovaroteen bij kinderen in de groei?

Het proces waarmee palovaroteen heterotopie ossificatie voorkomt, kan ook lange beenderen van kinderen in de groei treffen. De controle van de groeischijf en lineaire groei bij kinderen heeft tot op heden geen behandelingsgerelateerde effecten aangetoond bij dosering van palovaroteen na opvlamming. Palovaroteen zal bij alle proefpersonen in het MOVE-onderzoek dagelijks worden toegediend, met hogere doses tijdens opvlamming. Om die reden zullen bij alle proefpersonen jonger dan 18 jaar die nog in de groei zijn om de zes maanden röntgenfoto's van de knie en hand/pols worden gemaakt om mogelijke behandelingsgerelateerde effecten te controleren.

25. Als ik niet in aanmerking kom voor het MOVE-onderzoek, is er dan een andere manier om met palovaroteen te worden behandeld?

Op dit moment is deelname als proefpersoon aan het MOVE-onderzoek de enige manier om palovaroteen te ontvangen. We evalueren opties om palovaroteen beschikbaar te maken buiten een klinisch onderzoek. We zullen de gemeenschap laten weten wanneer dat gebeurt en wat dan de omstandigheden zijn.

26. Hoe zit het met het operatief excisie-onderzoek?

Clementia heeft een expertpanel samengesteld voor advies over de opzet en uitvoering van het operatief excisie-onderzoek, genaamd REMOVE-onderzoek. Dit onderzoek bevindt zich nog in de planningsfase; verdere informatie wordt later verstrekt.