

Estimada comunidad de pacientes con OM:

Soy Clarissa Desjardins, de Clementia, institución que fundé para determinar si nuestro candidato a fármaco palovaroteno podría ser de ayuda para los pacientes con fibrodisplasia osificante progresiva (FOP), un trastorno óseo de origen genético extremadamente raro. Los nuevos avances científicos acerca de la causa de los osteocondromas múltiples (OM u OMH) nos hacen creer que el palovaroteno también puede ser posiblemente beneficioso en los pacientes con OM.

Ambos trastornos parecen deberse a un aumento en la actividad de la vía de las proteínas morfogenéticas óseas (PMO), un proceso de comunicación intracelular que indica al organismo cuándo producir hueso. Se ha demostrado que el palovaroteno reduce la excesiva actividad de las PMO en estudios preclínicos. Por eso, comenzamos el trabajo en laboratorio con nuestros colaboradores para evaluar la actividad biológica del palovaroteno en modelos murinos (en ratones) de OM/OMH. En un artículo científico publicado recientemente, notificamos que el palovaroteno reducía la cantidad de osteocondromas en un modelo de OM en animales y que lo hacía de modo dependiente de la dosis. Posteriormente, hablamos con médicos y asesores científicos para explorar cuáles han de ser los siguientes pasos adecuados, y decidimos comenzar un ensayo clínico con palovaroteno en pacientes con OM.

Pronto comenzará el ensayo MO-Ped (**M**ultiple **O**steochondromas **P**ediatric Trial [ensayo osteocondromas múltiples pediátricos]), en el que participarán hasta 240 pacientes en 29 centros de 12 países y cuatro continentes, y en él se pondrán a prueba dos dosis distintas de palovaroteno frente a placebo. Se trata del primer ensayo clínico que va a realizarse sobre los OM y nos entusiasma ser pioneros en esta labor.

En un reciente panel asesor comunitario sobre OM/OMH que celebramos en Bruselas, oí personalmente hablar de hasta qué punto les afecta este trastorno, tanto a usted como a sus seres queridos, y de cómo afecta a todos los aspectos de sus vidas. Les escuchamos y aprendimos sobre el dolor, las deformidades, los posibles traumatismos de las intervenciones quirúrgicas y el hecho de que muchas personas no comprenden la gravedad de este trastorno. Lo más importante es que nos comprometimos a trabajar juntos para aumentar la concienciación, al tiempo que intentamos desarrollar un tratamiento médico para prevenir los osteocondromas.

Es el comienzo de un viaje. Las respuestas a nuestras preguntas no son seguras. El proceso de desarrollo de un fármaco es largo y nos comprometemos a trabajar con la máxima eficiencia posible y a esforzarnos al máximo. Como primera empresa hasta el momento en realizar un ensayo clínico en los OM/OMH, esperamos compartir lo que aprendamos y nuestra esperanza de que algún día pueda haber un tratamiento eficaz para los OM.



- Clarissa Desjardins