

Chère communauté de la maladie des extostoses multiples,

Je m'appelle Clarissa Desjardins et j'ai fondé Clementia afin de déterminer si notre médicament candidat, le palovarotene, pouvait venir en aide aux patients atteints de fibrodysplasie ossifiante progressive (FOP), un trouble génétique osseux ultra-rare. En raison de nouvelles découvertes scientifiques quant à la cause de la maladie des extostoses multiples (appelée *multiple osteochondromas, MO*, par l'Organisation Mondiale de la Santé, et aussi connue sous les acronymes de MHE ou HEM), nous pensons que le palovarotene pourrait aussi présenter des avantages potentiels chez les patients atteints de la maladie des extostoses multiples (MEM ou MO).

Ces deux maladies seraient dues à une augmentation de la signalisation de la protéine morphogénétique osseuse (PMO), un processus de communication intracellulaire qui indique au corps de produire de l'os. Le palovarotene a démontré une signalisation réduite des PMO lors d'études précliniques. De ce fait, nous avons commencé des expériences en laboratoire avec nos collaborateurs afin d'évaluer l'activité biologique du palovarotene chez des modèles de souris atteintes de MEM (ou MO) Dans un article scientifique récemment publié, nous avons indiqué que le palovarotene réduisait le nombre d'ostéochondromes chez un modèle animal atteint de MEM (ou MO), et cela, en corrélation avec la dose administrée. Ensuite, nous avons organisé des discussions avec des médecins et des conseillers scientifiques afin d'explorer les prochaines étapes appropriées et nous avons décidé de lancer un essai clinique avec le palovarotene pour les personnes atteintes de MEM (ou MO) .

L'essai clinique MO-Ped (**M**ultiple **O**steochondromas **P**ediatric Trial [essai pédiatrique sur les ostéochondromes multiples]) commencera bientôt et recrutera jusqu'à 240 patients sur un ensemble de 29 centres dans 12 pays et sur quatre continents, afin de tester deux doses différentes de palovarotene contre un placebo. Il s'agit du premier essai clinique mené pour la MEM (ou MO) et nous sommes ravis d'avoir le rôle de précurseur dans ce domaine.

Lors d'une récente rencontre avec certains représentants de la communauté MEM (ou MO) qui s'est tenue à Bruxelles, j'ai pu constater à quel point cette maladie a un impact sur ce que vous vivez avec vos proches et touche à tous les aspects de vos vies. Nous avons réalisé l'importance des nombreuses douleurs ressenties, des déformations, du traumatisme éventuel de la chirurgie et du manque de compréhension, en général, de la gravité de cette maladie. Et surtout, nous nous sommes engagés à travailler ensemble afin de sensibiliser le public, tout en essayant de développer un traitement médical qui pourrait empêcher les ostéochondromes.

C'est le début d'un long périple. Les réponses à nos questions restent incertaines. Le processus de mise au point d'un médicament est long et nous nous engageons à travailler aussi efficacement que possible. En tant que société pionnière à mener un essai clinique dans la MEM (ou MO), nous nous ferons un plaisir de partager nos découvertes avec vous, ainsi que notre espoir qu'un jour il existera un traitement efficace contre la MEM (MO) .



- Clarissa Desjardins