

Gentile comunità OM,

il mio nome è Clarissa Desjardins e sono fondatrice di Clementia, un'iniziativa finalizzata a determinare se il nostro farmaco candidato, palovarotene, può aiutare i pazienti affetti da fibrodiplosia ossificante progressiva (FOP), una malattia genetica delle ossa estremamente rara. A seguito di nuove scoperte scientifiche in merito alla causa degli osteocondromi multipli (OM, noti anche come esostosi multiple ereditarie [EME]), crediamo che palovarotene potrebbe anche essere di potenziale beneficio nei pazienti affetti da OM.

Entrambe queste condizioni sembra che debbano attribuirsi a un incremento nella segnalazione delle proteine morfogenetiche ossee (bone morphogenetic protein, BMP), un processo di comunicazione intracellulare che comunica all'organismo di produrre tessuto osseo e palovarotene ha dimostrato la riduzione della segnalazione di BMP negli studi preclinici. Pertanto, abbiamo iniziato a lavorare in laboratorio con i nostri collaboratori per valutare l'attività biologica di palovarotene in modelli murini di OM/EME. In un articolo scientifico pubblicato di recente, abbiamo segnalato che palovarotene ha ridotto il numero di osteocondromi in un modello animale di OM e lo ha fatto in modo dose-dipendente. Successivamente, abbiamo condotto discussioni con medici e consulenti scientifici per esplorare le successive appropriate fasi e abbiamo deciso di avviare una sperimentazione clinica con palovarotene negli OM.

La sperimentazione MO-Ped (**M**ultiple **O**steochondromas **P**ediatric Trial [sperimentazione pediatrica sugli osteocondromi multipli]) inizierà presto e recluterà fino a 240 pazienti in 29 centri in 12 Paesi e in quattro continenti, valutando due diverse dosi di palovarotene rispetto al placebo. Si tratta della prima sperimentazione clinica condotta sugli OM e siamo entusiasti di fare da pionieri in questo ambito di ricerca.

In un recente comitato consultivo della comunità OM/EME da noi tenuto a Bruxelles, ho ascoltato in prima persona come questo disturbo coinvolga voi e i vostri cari e invada ogni parte della vostra vita. Abbiamo ascoltato e imparato a conoscere il dolore, le deformità, il potenziale trauma della chirurgia e come molte persone non comprendano la gravità di questa condizione. Ancora più importante, ci siamo impegnati a lavorare per migliorare la consapevolezza, cercando al contempo di sviluppare un trattamento medico inteso a prevenire gli osteocondromi.

Ed è da lì che è iniziato un viaggio. Le risposte alle nostre domande sono incerte. Il processo di sviluppo dei farmaci è lungo e ci impegniamo a lavorare nel modo più efficiente possibile e a fare del nostro meglio per voi. Come prima azienda a condurre una sperimentazione clinica sugli OM/EME siamo impazienti di condividere le conoscenze apprese e la nostra speranza che un giorno possa esserci un trattamento efficace per gli OM.



- Clarissa Desjardins