

MOに関わる皆様へ

私の名前は Clarissa Desjardins といいます。私は薬の候補である palovarotene が、極めてまれな遺伝性骨疾患である、進行性骨化性線維異形成症 (FOP) の患者さんに役立つかどうかを判断するために Clementia を設立しました。多発性骨軟骨腫 (MO、MHE や HME としても知られます) の原因について新たに科学的見識が得られたため、palovarotene が MO の患者さんにも有益な可能性があるかと確信しています。

これらの病態はいずれも、体に骨を作り出すよう知らせる細胞内の連絡過程である、骨形成タンパク質 (BMP) のシグナル伝達増加が原因であるらしく、非臨床試験では、palovarotene が BMP のシグナル伝達を減らすことが明らかになっています。そのため、私たちは協力者と共に、MO/MHE のマウスモデルにおいて、palovarotene の生物学的活性を評価する実験研究を開始しました。私たちは最近発表した科学論文で、MO の動物モデルにおいて、palovarotene が骨軟骨腫の数を用量に依存して減らしたことを報告しました。その後、次の適切なステップを検討するために医師や科学顧問と協議する場を設け、MO で palovarotene による臨床試験を開始することを決定しました。

この MO-Ped Trial (**M**ultiple **O**steochondromas **P**ediatric Trial、小児の多発性骨軟骨腫試験) はまもなく開始となり、4 大陸 12 カ国の 29 施設で最大 240 人の患者様を募集し、2 つの異なる用量の palovarotene とプラセボを比較して試験する予定です。これは MO を対象に行われる初の臨床試験であり、これらの活動を初めて行うことを大変嬉しく思っております。

最近ブリュッセルで開催した MO/MHE コミュニティの諮問委員会で、この病気が皆様や皆様の愛する方々にどのように関係し、皆様の生活のあらゆる部分を侵害しているか、直接お伺いしました。痛み、変形、手術で受ける可能性のある傷や、多くの方がこの病態の重大さを理解していないという事実についてお聞きし、学びました。最も重要なことは、骨軟骨腫の予防を目的とした内科治療の開発を試みつつ、認識を高めるよう尽力したことです。

これは長い旅の始まりです。私たちの疑問に対する答えは不確かです。薬の開発過程は長く、私たちはできるかぎり効率的に研究を進め、皆様のために最善を尽くします。MO/MHE で臨床試験を行う初の企業として、学んだことを皆様と共有し、いつか MO に有効な治療が見つかるという私たちの希望を皆様と分かち合いたいと願っております。



- Clarissa Desjardins