

Beste MO- patiëntenverenigingen,

Mijn naam is Clarissa Desjardins. Ik heb Clementia opgericht om te bepalen of palovaroteen, ons kandidaat-geneesmiddel, patiënten met fibrodysplasia ossificans progressiva (FOP), een uiterst zeldzame genetische aandoening, kan helpen. Dankzij nieuw wetenschappelijk inzicht in de oorzaak van multiple osteochondromen (MO, multiple osteochondromas, ook bekend als HME [hereditaire multiple exostosen]) denken wij dat MO-patiënten mogelijk ook baat zouden kunnen hebben bij palovaroteen.

Beide aandoeningen blijken te wijten te zijn aan verhoogde signaaltransductie van botmorfogeen eiwit (BMP), een intracellulair communicatieproces dat het lichaam vertelt om bot aan te maken. In preklinische studies is aangetoond dat palovaroteen de BMP-siginaaltransductie vermindert. Daarom zijn wij met onze medewerkers laboratoriumonderzoek begonnen voor evaluatie van de biologische activiteit van palovaroteen in modellen met muizen met MO. In een onlangs gepubliceerd wetenschappelijk artikel hebben wij gemeld dat palovaroteen het aantal osteochondromen verminderde in een onderzoek met muizen met MO. Deze vermindering was afhankelijk van de dosis. Daarna hebben wij gesprekken gevoerd met artsen en wetenschappelijke adviseurs om passende vervolgstappen te onderzoeken en hebben wij besloten om een klinisch wetenschappelijk onderzoek te starten met palovaroteen bij MO.

Binnenkort begint het klinisch onderzoek MO-Ped (**M**ultiple **O**steochondromas **P**ediatric Trial [onderzoek van multiple osteochondromen bij kinderen]). Voor het MO-Ped onderzoek wil men tot 240 patiënten laten deelnemen in 29 centra verspreid over 12 landen en vier werelddelen om twee verschillende doses van palovaroteen in vergelijking met een placebo te testen. Dit is het eerste klinisch onderzoek van MO en wij zijn de enthousiaste pioniers hiervan.

Tijdens een recent adviespanel voor de MO/HME- patiëntenverenigingen heb ik uit de eerste hand gehoord hoe deze aandoening u en uw dierbaren raakt en elk onderdeel van uw leven beïnvloedt. Wij hebben geluisterd naar verhalen over de pijn, misvormingen, het mogelijk trauma van een operatie en het feit dat velen de ernst van deze aandoening niet begrijpen. Het allerbelangrijkst was dat wij hebben toegezegd om te werken aan een verhoogd bewustzijn en de mogelijke ontwikkeling van een medische behandeling om osteochondromen te voorkomen.

Dit is het begin van een reis. De antwoorden op onze vragen zijn onzeker. De ontwikkeling van een geneesmiddel is een lang proces, maar wij beloven u dat wij zo efficiënt en zorgvuldig mogelijk zullen werken en onze beste inspanningen willen leveren voor u. Wij zijn het eerste bedrijf ooit dat een klinisch onderzoek van MO uitvoert. Wij zien ernaar uit om onze kennis te delen, en ook om onze hoop te delen dat er ooit een doeltreffende behandeling voor MO beschikbaar komt.



- Clarissa Desjardins