

Cara comunidade MO,

Chamo-me Clarissa Desjardins, e fundei a Clementia para determinar se o nosso medicamento candidato, o palovarotene, poderia ajudar doentes com fibrodysplasia de ossificação progressiva (FOP), uma doença óssea genética ultra-rara. Devido às novas descobertas científicas sobre a causa de múltiplos osteocondromas (MO, também conhecidos como EMH ou OHM), acreditamos que o palovarotene também pode ser de benefício potencial em doentes com MO.

Ambas as condições parecem ser devidas a um aumento na sinalização da proteína osteomorfógena (BMP), um processo de comunicação intracelular que diz ao corpo para produzir osso, e o palovarotene demonstrou reduzir a sinalização de BMP em estudos pré-clínicos. Começámos então o trabalho de laboratório com os nossos colaboradores para avaliar a atividade biológica do palovarotene em ratos modelos com MO/EMH. Num artigo científico recentemente publicado, relatámos que o palovarotene reduziu o número de osteocondromas num modelo animal com MO e fê-lo de forma dose-dependente. Posteriormente, realizámos debates com médicos e consultores científicos para explorar os próximos passos adequados e decidimos iniciar um ensaio clínico com palovarotene em MO.

O Ensaio MO-Ped (**M**ultiple **O**steochondromas **P**ediatric Trial [Ensaio sobre os **M**últiplos **O**steocondromas **P**ediátricos]) irá começar em breve e irá recrutar até 240 doentes em 29 centros de 12 países de quatro continentes, testando duas doses diferentes de palovarotene versus placebo. Este é o primeiro ensaio clínico a ser realizado em MO e estamos entusiasmados por liderar estes esforços.

Num recente painel consultivo da comunidade com MO/EMH, realizado em Bruxelas, ouvi na primeira mão como é que este distúrbio afeta o doente e os seus familiares e invade todas as partes das suas vidas. Ouvimos e aprendemos sobre a dor, sobre as deformidades, sobre o potencial trauma da cirurgia e sobre o facto de muitas pessoas não entenderem a gravidade desta condição. Mais importante, estamos empenhados em trabalhar para melhorar a sensibilização ao tentar desenvolver um tratamento médico destinado a prevenir os osteocondromas.

Este é o começo de uma jornada. As respostas às nossas perguntas são incertas. O processo de desenvolvimento de medicamentos é longo e comprometemo-nos a trabalhar da forma mais eficiente possível e a esforçarmo-nos o máximo possível por si. Como a primeira empresa a realizar um ensaio clínico em MO/EMH, estamos ansiosos para partilhar o que aprendemos e por partilhar a nossa esperança de que um dia poderá haver um tratamento eficaz para MO.



- Clarissa Desjardins