

Sevgili MO topluluğu,

Benim adım Clarissa Desjardins ve ilacımız paloverotenin fibrodisplazi ossifikan progresif (FOP) olarak bilinen ve son derece az görülen genetik kemik hastalığı olan hastalara yardımcı olup olamayacağını belirlemek amacıyla şirketimiz Clementia'yı kurdum. Multipl Osteokondrom (Multiple Osteochondromas, MO ya da diğer adıyla MHE veya HME) hastalığının sebebi hakkında elde edilen yeni bulgular sayesinde, palovarotenin MO hastaları için de yararlı olma potansiyeli olduğuna inanıyoruz.

Her iki hastalık da vücuda kemik üretmesini söyleyen, hücrelerarası iletişim süreci olan kemik morfogenetik protein (BMP) sinyalizasyonundaki artış nedeniyle ortaya çıkmakta ve klinik öncesi çalışmalarda, palovarotenin BMP sinyalizasyonunu azalttığı görülmüştür. Bu nedenle paydaşlarımızla birlikte palovarotenin MO/MHE hastalığını taşıyan farelerde biyolojik aktivitesini değerlendirmek amacıyla laboratuvar çalışmalarına başladık. Yakın geçmişte yayınlanan bilimsel bir makalede, palovarotenin MO hastalığı olan bir hayvan denekte osteokondromların sayısını azalttığını bildirdik ve bunu doza bağımlı bir şekilde gerçekleştirdik. Bunun ardından, doktorlar ve bilimsel danışmanlar ile ileride atılabilecek uygun adımları araştırmak amacıyla görüşmeler gerçekleştirdik ve MO'da palovaroten ile bir klinik araştırma başlatmaya karar verdik.

MO-Ped Çalışması (**M**ultiple **O**steochondromas **P**ediatric Trial [**M**ultipl **O**steokondromlar **P**ediyatrik Çalışması]) yakında başlayacak, 12 ülkede ve dört kıtada 29 merkezde 240 hastaya kadar hasta kaydı yapılacak ve plaseboya karşı palovarotenin iki farklı dozu test edilecektir. Bu, MO üzerine yürütülecek olan ilk klinik araştırmadır ve bu çalışmalara öncülük etmekten dolayı çok heyecanlıyız.

Son günlerde Brüksel'de gerçekleştirdiğimiz bir MO/MHE topluluğu danışma panelinde, bu hastalığın kişileri, sevdikleri insanları nasıl etkilediğini ve hayatın her alanını nasıl işgal ettiğini birinci ağızdan dinleme şansı buldum. Bu sayede ağrı, deformiteler (bozukluklar), ameliyatların yarattığı travma ve çoğu insanın bu hastalığın ciddiyetini anlamaması dolayısıyla yaşananları dinledik ve bilgi edindik. Daha da önemlisi, osteokondromları önlemeyi amaçlayan bir tıbbi tedavi geliştirmeye çabalarken, bir yandan da farkındalık yaratmak amacıyla çalışma sözü verdik.

Bu, bir yolculuğun başlangıcı. Sorularımızın cevapları henüz belli değil. İlaç geliştirme süreci uzun bir süreç; size, mümkün olduğu kadar etkin ve en fazla çabayı gösterecek şekilde çalışmayı taahhüt ediyoruz. MO/MHE üzerine bir klinik araştırma yürüten ilk şirket olarak, öğrendiklerimizi paylaşmak ve MO için bir gün etkili bir tedavi olabileceğine dair umudumuzu paylaşmak için sabırsızlanıyoruz.



- Clarissa Desjardins