

प्रिय FOP समुदाय,

आपको अपने पिछले पत्र में, मैंने एक वाक्य का हवाला दिया था, जिसमें कहा गया था, कि पतले से पतले धागे को मरोड़ कर एक न टूटने वाली डोरी बनाई जा सकती है। मुझे लगता है हम यहां पर साथ मिल कर वही हासिल कर रहे हैं!

पिछले कुछ वर्षों में हम सबने जो आशा साझा की है वह अब हमारे चरण 2 नैदानिक परिणामों द्वारा समर्थित है। FOP समुदायों, अनुसंधानकर्ताओं और चिकित्सकों और उनकी टीमों सहित समुदाय के सांमूहिक प्रयासों के माध्यम से हमने पैलोवारोटीन के 4 भिन्न पथ्यों के साथ उपचार के बाद सहित 100 फ्लेयर-अप्स (रोग का भड़कना) से अधिक के डेटा एकत्र किए हैं। **Natural History Study (NHS, प्राकृतिक इतिहास अध्ययन)** में हमारे पास अब 114 रोगियों के बारे में महत्वपूर्ण डेटा उपलब्ध है, जो IFOPA के साथ एक अभूतपूर्व समझौते के माध्यम से रोगी समुदाय के साथ साझा करेगा ताकि हासिल किया गया ज्ञान हमारे बाद आने वाले दूसरों के लिए उपलब्ध होगा।

हमने देखा है कि फ्लेयर-अप के एकदम शुरुआती संकेतों पर उच्च खुराकों के साथ उपचार के बाद 5 मिग्रा पैलोवारोटीन एक बार रोजाना के साथ समयपूर्वक उपचार करना, फ्लेयर-अप्स के बाद नई हड्डी के निर्माण को कम करना सबसे अच्छा तरीका है। वस्तुतः, इस पथ्य को लेने वालों के लिए हमने अनुपचारित फ्लेयर-अप की तुलना में 12 सप्ताह पर नए बोन वैल्यूम में 70% से अधिक की कमी का पता लगाया था। FDA ने इस नैदानिक परमाण की पहचान में जुलाई में हमें **Breakthrough Therapy Designation** प्रदान किया था यह इंगित करते हुए कि पैलोवारोटीन FOP के लिए मौजूदा चिकित्साओं से बढ़ कर बहुत अधिक सुधार प्रदान कर सकती है। अब सीखी गई चीजों को करने का समय आ गया है और FOP में पैलोवारोटीन के लिए हमारे नैदानिक विकास प्रोग्राम में अंतिम कदम के कुशल संपादन पर हमारी ऊर्जाओं को केन्द्रित करें: चरण 3 MOVE परीक्षण।

हम पिछले वर्ष MOVE परीक्षण में पहले कुछ रोगियों की भर्ती के साथ रोमांचित हैं और 6 महाद्वीपों के 16 देशों में 20 स्थलों में 80 रोगियों के नामांकन को जारी रखने की योजना है। इस अंतिम नैदानिक परीक्षण में नामांकित होने वाला प्रत्येक व्यक्ति पैलोवारोटीन हासिल करेगा जैसा कि विनियामक प्राधिकरणों ने सहमति जताई है कि NHS का बाहरी नियंत्रण के रूप में उपयोग किया जा सकता है। हमारा मानना है कि यदि आज तक हड्डी के कम होने के देखे गए रुझान जारी रहते हैं, तो यह संभव है कि पैलोवारोटीन रोगी की गतिशीलता कायम कर सकने के समय को बढ़ाएगी।

5 वर्ष से कम समय पहले, मैं वह व्यक्ति था जिसने FOP के बारे में कभी नहीं सुना था। मैंने एक Nature Medicine पत्र पढ़ा और अपना जीवन बदलने का निर्णय लिया। मैंने अपनी नौकरी छोड़ दी और क्लेमेशिया शुरू की। क्लेमेशिया निर्माण जीवन को बदलने वाला अनुभव रहा है। मुझे नहीं लगता कि FOP के बारे में जानना संभव है और खासतौर पर, उत परिवारों से मिलना और बातचीत करना जो FOP के साथ जी रहे हैं और रुपांतरित नहीं हुए हैं। मैं जानता हूँ कि मैं संपूर्ण क्लेमेशिया टीम की ओर से बात करता हूँ जब मैं हमारे समुदाय की सेवा करने के अवसर के लिए आप सबको धन्यवाद कहता हूँ। आपने हमारी विशेषज्ञता और कार्य को निदेशित करने के लिए हमें अत्यंत सराहनीय लक्ष्य प्रदान किया है और आपने हमें उसके परे प्रेरित किया है जिसे हम संभव होना समझते थे।

अंत में, जबकि हम अपनी प्रगति की सराहना करते हैं, हमें FOP समुदाय के भीतर हुए हाल ही के नुकसान और गहरे दुख को भी स्वीकार करना चाहिए। हम समझते हैं कि प्रत्येक दिन FOP के साथ जी रहे लोगों के लिए जोखिम पैदा करता है और उन लोगों के दिल खोल कर आभारी हैं जो FOP की मुसीबतों और पीड़ाओं के साथ जीवन जी रहे हैं, हिम्मतपूर्वक अपनी आशा को बनाए रखे हैं और अपना समय और ऊर्जा दी ताकि दूसरों को लाभ मिल सके। आप इस कहानी के हीरो हैं।

आपका धन्यवाद और एक रूपांतरकारी 2018 के लिए शुभकामनाएं!

A handwritten signature in cursive script, appearing to read 'Chloris J. ...'.

क्लारिसा देसजार्डिन्स