

Liebe FOP-Gemeinschaft,

in meinem letzten Schreiben an Sie habe ich eine Textpassage zitiert, derzufolge der dünnste Faden zu einem reißfesten Seil verflochten werden kann. Ich habe das Gefühl, dass wir genau dies gemeinsam erreichen!

Die Hoffnung, die wir in den letzten Jahren miteinander geteilt haben, wird nun durch die Ergebnisse unserer klinischen Phase-2-Studie gestützt. Durch die vereinten Bemühungen der Gemeinschaft, einschließlich der FOP-Familien, Forscher und Kliniker und deren Teams, haben wir Daten zu mehr als 100 Schüben gesammelt, darunter auch nach der Behandlung mit 4 unterschiedlichen Palovaroten-Behandlungsschemen. Wir haben jetzt wichtige Informationen zu 114 Patienten in der Natural History-Studie (NHS), die wir aufgrund einer bahnbrechenden Vereinbarung mit der IFOPA mit der Patientengemeinschaft teilen werden, damit die gewonnenen Erkenntnisse auch anderen zugänglich sein werden, die nach uns kommen.

Wir haben beobachtet, dass die chronische Dosierung von 5 mg Palovaroten einmal täglich, gefolgt von einer Behandlung mit höheren Dosen bei den ersten Anzeichen eines Schubs, die beste Methode zu sein scheint, neue Knochenbildungen nach Schüben zu reduzieren. Tatsächlich haben wir bei Patienten mit diesem Behandlungsschema nach 12 Wochen, im Vergleich zu unbehandelten Schüben, eine Reduktion neuer Knochenbildungen von mehr als 70 % festgestellt. Die FDA hat im Juli in Anerkennung dieses klinischen Beweises, demzufolge Palovaroten möglicherweise eine erhebliche Verbesserung gegenüber bestehenden Therapien für FOP bietet, den Breakthrough-Therapy-Status bewilligt. Jetzt ist der Moment gekommen, alle gewonnenen Erkenntnisse einzubringen und unsere Kräfte darauf zu konzentrieren, den letzten Schritt unseres klinischen Entwicklungsprogramms für Palovaroten bei FOP wirkungsvoll abzuschließen: die Phase-3-MOVE-Studie.

Wir sind hoch erfreut über die Rekrutierung der ersten Patienten für die MOVE-Studie im letzten Jahr. Wir planen, bis zu 80 Patienten an 20 Prüfzentren in 16 Ländern auf 6 Kontinenten aufzunehmen. Jeder, der in diese abschließende klinische Studie aufgenommen wird, erhält Palovaroten, da die Aufsichtsbehörden damit einverstanden waren, die NHS als externe Kontrolle zu benutzen. Wir glauben, dass Palovaroten es Patienten ermöglichen kann, ihre Mobilität über einen längeren Zeitraum beizubehalten, sofern die bislang beobachteten Tendenzen bei der Knochenreduktion aufrechterhalten werden.

Vor weniger als 5 Jahren war ich jemand, der noch nie von FOP gehört hatte. Ich las eine Abhandlung in „Nature Medicine“ und beschloss, mein Leben zu ändern. Ich kündigte meine Arbeitsstelle und gründete Clementia. Der Aufbau von Clementia war eine Erfahrung, die mein Leben veränderte. Ich glaube nicht, dass man auf FOP aufmerksam werden und insbesondere Familien, die mit FOP leben, begegnen und mit ihnen umgehen kann, ohne sich zu verändern. Ich weiß, dass ich im Namen des gesamten Clementia-Teams spreche, wenn ich Ihnen allen

Dank sage für die Möglichkeit, Ihrer Gemeinschaft zu dienen. Sie haben uns ein höchst lobenswertes Ziel geliefert, auf das wir unser Fachwissen und unsere Arbeit ausrichten, und uns in einem Maß inspiriert, das weit über das hinaus geht, was wir für möglich gehalten haben.

Während wir unsere Fortschritte begrüßen, möchten wir abschließend auch unser Bedauern über das kürzliche Verscheiden von Mitgliedern der FOP-Gemeinde und die tiefe Trauer darüber aussprechen. Wir wissen, dass jeder Tag für Menschen, die an FOP leiden, Risiken mit sich bringt und sind denjenigen äußerst dankbar, die schon seit Jahrzehnten mit FOP leben und tapfer ihre Hoffnung aufrechterhalten und ihre Zeit und Kraft zur Verfügung gestellt haben, damit andere davon profitieren können. Sie sind die Helden dieser Geschichte.

Vielen Dank und die besten Wünsche für ein 2018 mit positiven Veränderungen!



Clarissa Desjardins