

Estimada comunidad de la FOP:

En la última carta que les envié, cité un pasaje que dice que el hilo más delgado puede enredarse hasta formar una cuerda irrompible. Creo que esto es lo que estamos logrando juntos.

La esperanza que todos hemos compartido en los últimos años ahora está respaldada por los resultados clínicos de la fase II. Gracias a los esfuerzos colectivos de la comunidad, incluidas las familias afectadas por la fibrodysplasia osificante progresiva (Fibrodysplasia Ossificans Progressiva, FOP), los investigadores y los médicos y sus equipos, hemos recopilado datos sobre más de 100 exacerbaciones, incluso después del tratamiento con 4 pautas de administración distintas de palovaroteno. Ahora contamos con información importante sobre 114 pacientes en el Estudio de Evolución Natural (Natural History Study, NHS) que, a través de un contrato innovador con la Asociación Internacional de Fibrodysplasia Osificante Progresiva (International Fibrodysplasia Ossificans Progressiva Association, IFOPA), compartiremos con la comunidad de pacientes de modo que el conocimiento obtenido estará disponible para quienes vengan después de nosotros.

Hemos observado que el tratamiento con una dosis diaria crónica de 5 mg de palovaroteno, seguido de un tratamiento con dosis más altas ante los primeros signos de una exacerbación, al parecer es la mejor manera para reducir la formación ósea nueva tras las exacerbaciones. De hecho, en las personas que recibieron esta pauta de administración detectamos una reducción mayor al 70 % en la aparición de nuevo volumen óseo a las 12 semanas, en comparación con las exacerbaciones sin tratar. En julio, la Administración de Medicamentos y Alimentos de los Estados Unidos (Food and Drug Administration, FDA) nos otorgó la designación de Terapia innovadora en reconocimiento de esta evidencia clínica que indica que el palovaroteno puede ofrecer una considerable mejora por sobre las terapias actuales para la FOP. Ha llegado el momento de reunir todo lo aprendido y enfocar nuestras energías en la conclusión eficiente del paso final del programa de desarrollo clínico de palovaroteno para la FOP: el ensayo MOVE de fase III.

Nos emociona el reclutamiento de los primeros pacientes en el ensayo MOVE el año pasado y planeamos continuar inscribiendo hasta 80 pacientes en 20 centros de 16 países de los 6 continentes. Las personas que se inscriban en este ensayo clínico final recibirán palovaroteno, ya que las autoridades reguladoras han acordado que el estudio de evolución natural podría utilizarse como control externo. Creemos que si el rumbo de la reducción de la osificación que observamos hasta la fecha continúa, es posible que palovaroteno extienda el tiempo de conservación de la movilidad en los pacientes.

Hace menos de 5 años, yo era una persona que nunca había escuchado sobre la FOP. Leí un artículo de Nature Medicine y decidí cambiar mi vida. Dejé mi empleo e inicié Clementia. La creación de Clementia ha sido una experiencia transformadora. No creo que sea posible tomar conciencia de la

FOP y, en especial, conocer a las familias que viven con FOP e interactuar con ellas y no experimentar una transformación. Sé que hablo por todo el equipo de Clementia cuando les digo gracias a todos por darnos la oportunidad de servir a su comunidad. Nos han ofrecido la oportunidad de establecer la meta más loable de orientar nuestra experiencia y nuestro trabajo, y nos han inspirado más allá de los límites de lo posible.

Finalmente, mientras celebramos nuestro progreso, debemos reconocer la reciente pérdida y profundo dolor dentro de la comunidad de la FOP. Somos conscientes de que todos los días se presentan riesgos para aquellos que viven con FOP y estamos sinceramente agradecidos a quienes, habiendo vivido con FOP durante décadas, han mantenido viva la esperanza con valentía y han dado su tiempo y energía para el beneficio de otros. Son los héroes de esta historia.

Gracias y los mejores deseos para un 2018 transformador.

A handwritten signature in cursive script, appearing to read 'Clarissa Desjardins'.

Clarissa Desjardins