

Chère communauté de la FOP,

Dans la dernière lettre que je vous ai adressée, j'ai cité un passage indiquant que le fil le plus fin peut être torsadé de manière à former un cordon incassable. Je crois que c'est ce que nous réalisons ensemble!

L'espoir partagé par tous au cours des dernières années est maintenant soutenu par nos résultats cliniques de phase 2. Grâce aux efforts collectifs de la communauté, y compris les familles touchées par la FOP, les chercheurs et les cliniciens et leurs équipes, nous avons recueilli des données sur plus de 100 poussées, notamment après le traitement avec 4 schémas distincts comptant le palovarotène. Nous détenons maintenant des données importantes sur 114 patients en lien avec l'étude d'histoire naturelle (EHN) que, dans le cadre d'un accord sans précédent avec l'IFOPA, nous partagerons avec la communauté de patients afin que les connaissances obtenues soient disponibles aux personnes qui viendront après nous.

Nous avons observé qu'un traitement au long cours avec une dose de 5 mg de palovarotène une fois par jour, suivi d'un traitement avec des doses plus élevées dès les premiers signes d'une poussée, semble être la meilleure façon de réduire la formation de nouveaux os après des poussées. De fait, chez les personnes suivant ce schéma, nous avons constaté une réduction supérieure à 70% d'volume osseux après 12 semaines comparativement aux poussées non traitées. La FDA nous a accordé la désignation de « percée thérapeutique » en juillet en reconnaissance de ces preuves cliniques qui indiquent que le palovarotène peut entraîner une amélioration considérable par rapport à des traitements existants contre la FOP. Il est maintenant le temps d'exploiter tout ce qui a été appris et de centrer nos efforts sur la bonne marche de la dernière étape de notre programme de développement clinique pour le palovarotène concernant la FOP : l'essai MOVE de phase 3.

Nous sommes ravis du recrutement des premiers patients de l'essai MOVE l'an dernier et nous envisageons de continuer à recruter jusqu'à 80 patients dans 20 centres dans 16 pays sur 6 continents. Toute personne qui s'inscrit à cet essai clinique final recevra le palovarotène, car les organismes de réglementation ont convenu que l'étude NHS pourrait servir d'essai avec groupe témoin externe. Nous croyons que si les tendances relatives à la réduction osseuse observées jusqu'à maintenant se maintiennent, il est possible que le palovarotène prolonge la période pendant laquelle les patients conserveront une mobilité.

Il y a moins de cinq ans, j'étais quelqu'un qui n'avait jamais entendu parler de la FOP. J'ai lu un article de Nature Medicine et décidé de changer de vie. J'ai quitté mon travail et fondé Clementia. Bâtir Clementia a marqué un changement de vie. Je ne crois pas qu'il soit possible de prendre connaissance de la FOP et, en particulier, de rencontrer et d'interagir avec les familles atteintes de FOP sans en ressortir transformé. Je sais que je parle au nom de toute

l'équipe de Clementia lorsque je vous remercie tous pour l'occasion de servir votre communauté. Vous nous avez offert un objectif des plus louables pour orienter notre expertise et notre travail et inspirés au-delà de ce que nous savions possible.

Enfin, bien que nous applaudissons notre progrès, nous devons également reconnaître la perte récente et l'immense tristesse au sein de la communauté de la FOP. Nous réalisons que chaque journée comporte ses risques pour les personnes souffrant de FOP et sommes sincèrement reconnaissants envers ceux qui ont vécu avec la FOP depuis des décennies, ont courageusement entretenu l'espoir et investi temps et énergie afin que cela profite à d'autres. Vous êtes les héros de l'histoire.

Mes remerciements et mes meilleurs vœux pour une année 2018 sous le signe de la transformation!

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

Clarissa Desjardins