

Gentile comunità della Fibrodisplasia Ossificante Progressiva (FOP),

Nell'ultima lettera che vi ho inviato, ho scritto che il filo più piccolo poteva diventare un filo indistruttibile. Credo sia questo il nostro obiettivo!

La speranza che noi tutti abbiamo condiviso negli ultimi anni è supportata ora dai risultati clinici di fase 2. Grazie agli sforzi collettivi della comunità, comprese le famiglie della FOP, i ricercatori, e i medici con il loro personale, abbiamo raccolto dati relativi a oltre 100 casi di riacutizzazione, incluso il post trattamento con 4 diversi schemi terapeutici di palovarotene. Al momento disponiamo di importanti dati sui 114 pazienti per lo studio Storia naturale (NHS) che, grazie a un accordo pionieristico con l'Associazione Internazionale per la Fibrodisplasia Ossificante Progressiva (IFOPA), condivideremo con la comunità dei pazienti, affinché le conoscenze che abbiamo acquisito siano disponibili per i nostri successori.

Abbiamo osservato che il trattamento di casi cronici con dosi di palovarotene da 5 mg una volta al giorno, seguito da un trattamento con dosi più elevate ai primi segni di infiammazione, sembra essere il modo migliore per ridurre la neoformazione ossea in seguito a riacutizzazione. In effetti, nei pazienti sottoposti a questo schema terapeutico, abbiamo riscontrato una riduzione superiore al 70% del nuovo volume osseo a 12 settimane, rispetto alle riacutizzazioni non trattate. L'ente governativo statunitense per la regolamentazione dei prodotti alimentari e farmaceutici (FDA) ci ha garantito la denominazione di Terapia innovativa a luglio, come riconoscimento per tale evidenza clinica che dimostra che palovarotene può consentire un miglioramento sostanziale rispetto alle terapie già esistenti per la FOP. Questo è il momento per raccogliere quanto appreso e concentrare tutte le nostre energie sulla realizzazione efficace dell'ultima fase del nostro programma di sviluppo clinico per palovarotene nella FOP: la sperimentazione MOVE di fase 3.

Siamo entusiasti di aver cominciato ad arruolare i primi pazienti nella sperimentazione MOVE l'anno scorso e prevediamo di continuare ad arruolare fino a 80 pazienti in 20 centri, sparsi in 16 Paesi nei 6 continenti. Tutti coloro che si arruoleranno nella fase finale di questa sperimentazione clinica riceveranno palovarotene, in quanto le autorità regolatorie sono d'accordo sul fatto che il sistema sanitario nazionale del Regno Unito (NHS) possa fungere da controllo esterno. Crediamo che, se l'andamento nella riduzione ossea osservato fino ad ora dovesse continuare, allora è possibile che palovarotene sia in grado di prolungare il tempo di conservazione della capacità motoria dei pazienti.

Meno di 5 anni fa, ero una persona che non aveva mai sentito parlare di FOP. Ho letto un articolo sulla rivista Nature Medicine e ho deciso di cambiare la mia vita. Mi sono licenziato e ho

aperto Clementia. La realizzazione di Clementia è stata un'esperienza che mi ha cambiato la vita. Non credo sia possibile venire a conoscenza della FOP e, in particolare, incontrare e interagire con le famiglie che vivono con la FOP e non esserne trasformato. Sono certo di parlare a nome di tutto il team Clementia nel ringraziare tutti voi per l'opportunità di servire la comunità. Ci avete fornito l'obiettivo più encomiabile a cui rivolgere la nostra esperienza e il nostro lavoro e ispirato oltre ciò che pensavamo fosse possibile.

Infine, mentre plaudiamo al nostro progresso, non possiamo non ricordare anche la recente perdita e il profondo dolore vissuti all'interno della comunità FOP. Sappiamo che ogni giorno rappresenta un rischio per chi convive con la FOP e siamo immensamente grati a chi, convivendo da decenni con la FOP, non ha perso la speranza e lo ha fatto con coraggio, donando il proprio tempo e la propria energia, in modo tale che altri potessero beneficiarne. Siete voi gli eroi di questa storia.

Vi ringrazio e auguro tutto il meglio per un 2018 all'insegna della trasformazione!



Clarissa Desjardins