

FOPに関わる皆様へ

前回のレターで、私は「どんな細い糸も、ねじって束にすると丈夫なひもになります」ということばを引用しました。これこそ、我々が一緒に成し遂げていることだと感じています！

ここ数年の間に我々が共有してきた希望は、今や第 2 相臨床試験の結果によって裏付けられました。FOPに関わるご家族、研究者、臨床医およびそのチームを含むコミュニティの集団的努力を通じて、我々は 100 を超す再燃のデータを収集しました。これには、4 つの異なる palovarotene のレジメンによる投与後のデータが含まれます。我々は自然経過に関する研究 (Natural History Study) において 114 名の患者様の重要なデータを得ました。IFOPA との画期的な合意を通じて、患者様のコミュニティと分かち合い、我々の後に続く人々にも得られた知識が利用できるようにします。

palovarotene 5 mg を 1 日 1 回長期的に投与し、その後最も早く再燃の徴候が認められた時に、より高用量で投与することが再燃後の新たな骨形成を低減する上で最良の方法であることが認められました。事実、このレジメンでは、未治療の再燃と比較して、12 週間での新たな骨形成量において 70% を超える低減が認められました。FDA は palovarotene が FOP の既存の治療法よりも大幅な改善をもたらす可能性があることを示唆するこの臨床試験でのエビデンスを認め、7 月に Breakthrough Therapy に指定しました。今こそ、学んだこと全てを用い、FOP における palovarotene の臨床開発プログラムの最終ステップである第 3 相臨床試験 (MOVE 試験) が効率良く完了するように力を注ぐ時です。

昨年、MOVE 試験において最初となる数名の患者様が登録されたことをうれしく思っております。6 大陸にわたる 16 カ国の 20 の治験実施施設で最大 80 名の患者様の登録を継続する予定です。規制当局が NHS を外部対照として使用できることに同意したので、この最終臨床試験に登録するすべての人に palovarotene を投与する予定です。我々は、これまでに認められた骨減少の傾向が持続すれば、palovarotene によって患者様の可動性保持時間の延長が可能だと考えます。

ほんの 5 年前には、私は FOP について聞いたことがありませんでした。私は Nature Medicine の論文を読んで、人生を変えることに決めました。仕事をやめ、Clementia を起業しました。Clementia を作り上げていくことは、人生を変える経験となっています。FOP について知り、特に、FOP と共に暮らす家族と出会い、交流し、変わらないとは考えられません。Clementia のチーム全員を代表して、皆様のコミュニティに尽力できる機会が得られたことに感謝申し上げます。皆様には素晴らしい目標を与えていただき、また当社の専門分野や業績を導いていただいています。我々が可能であると考えていた以上に触発されています。

最後に、我々は我々自身の進歩を称える一方で、FOP コミュニティでのご逝去の報や深い悲しみがあることも認めなければなりません。我々は、FOP と共に暮らす人々には日々リスクがあることを認識しています。そして FOP と共に数十年間暮らしてきた人たちが、生きる希望を果敢に持ち続け、他の人に利益をもたらすよう時間とエネルギーを提供してくれていることに心から感謝しています。皆様はこの物語のヒーローです。

ありがとうございました。2018 年の変革に向けご多幸をお祈りします！

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

Clarissa Desjardins