

Beste FOP-gemeenschap,

In mijn laatste brief aan u heb ik het citaat aangehaald dat men zelfs de dunste draad tot een onbreekbaar touw kan draaien. Ik denk dat dat precies is wat wij tezamen bereiken!

De hoop van ons allen in de afgelopen jaren wordt nu werkelijkheid met de klinische resultaten van ons fase-2-onderzoek. Dankzij de gezamenlijke inspanningen van de gemeenschap van FOP-families, onderzoekers, klinici en hun teams hebben wij gegevens verzameld van meer dan 100 opvlammingen, inclusief na de behandeling met vier verschillende regimes van palovaroteen. Wij hebben nu belangrijke gegevens over 114 patiënten in het onderzoek over het natuurlijk beloop van de ziekte (Natural History Study, NHS). Dankzij een baanbrekende overeenkomst met IFOPA [International Fibrodysplasia Ossificans Progressiva Association] zullen wij de verzamelde kennis delen met de gemeenschap van patiënten voor gebruik in de toekomst.

Wij hebben waargenomen dat chronische behandeling met palovaroteen 5 mg eenmaal daags, gevolgd door een behandeling met hogere doses na de eerste tekenen van een opvlamming, de beste manier is voor reductie van nieuwe botvorming na een opvlamming. Wij hebben bij patiënten op dit regime na 12 weken daadwerkelijk een reductie van meer dan 70% gevonden in nieuw botvolume, in vergelijking met niet-behandelde opvlammingen. De FDA in de VS heeft ons in juli de status van Breakthrough Therapy (doorbraaktherapie) toegekend op basis van dit klinisch bewijs dat palovaroteen kan zorgen voor een aanzienlijke verbetering in vergelijking met bestaande behandelingen voor FOP. Nu moeten wij gebruikmaken van alle kennis die is opgedaan, en onze energie richten op de efficiënte voltooiing van de laatste stap in ons klinisch ontwikkelingsprogramma voor palovaroteen bij FOP: het fase-3-MOVE-onderzoek.

Wij zijn opgetogen over het nieuws van de rekrutering van de eerste patiënten in het MOVE-onderzoek vorig jaar en zijn van plan om door te gaan met het registreren van maximaal 80 patiënten in 20 centra in 16 landen en 6 continenten. Alle geregistreerde patiënten in dit laatste wetenschappelijk onderzoek zullen palovaroteen ontvangen. De toezichthouders hebben immers hun akkoord gegeven om het onderzoek van het natuurlijk beloop van de ziekte te gebruiken als externe controle. Als de trends in botreductie die tot heden werden gezien voortduren, dan geloven wij dat palovaroteen patiënten langer mobiliteit zal kunnen bieden.

Minder dan 5 jaar geleden had ik nog nooit iets gehoord over FOP. Ik las een paper in Nature Medicine en nam de beslissing om mijn leven te veranderen. Ik nam ontslag en startte Clementia op. De opbouw van Clementia was een levensveranderende ervaring. Volgens mij is het onmogelijk om te leren over FOP en, meer in het bijzonder, om families die leven met FOP, te ontmoeten en met hen om te gaan, zonder dat men er compleet door verandert. Ik weet dat ik voor het hele Clementia-team spreek als ik u allen bedank voor de mogelijkheid om uw

gemeenschap van dienst te zijn. U heeft ons het meest lovenswaardige doel gegeven voor de inzet van onze deskundigheid en ons werk. U heeft ons de inspiratie gegeven om verder te gaan dan wat wij mogelijk hadden geacht.

Tot slot moeten we enerzijds onze vorderingen toejuichen, maar anderzijds ook het recente verlies en verdriet binnen de FOP-gemeenschap erkennen. Wij realiseren ons dat elke dag risico's inhoudt voor degenen die met FOP leven, en willen onze oprechte dank betuigen aan allen die, hoewel ze al tientallen jaren met FOP leven, de hoop levend hebben gehouden en hun tijd en energie hebben gegeven ten voordele van anderen. Zij zijn de helden van dit verhaal.

Dank u en mijn beste wensen voor een transformatief 2018!

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

Clarissa Desjardins