

Szanowna Społeczności wokół FOP,

Ostatnim razem pisałam o tym, jak z najdrobniejszych włókien można skrócić solidny sznur. Tak właśnie postrzegam nasze działania.

Nadzieja, którą żyliśmy przez ostatnie kilka lat, urzeczywistniła się w wynikach badań klinicznych fazy II. Wspólnym wysiłkiem całej Społeczności, w tym rodzin obciążonych FOP, badaczy i pracowników klinicznych, oraz ich zespołów, zgromadziliśmy dane na temat przeszło 100 zaostrzeń choroby, w tym tych po leczeniu w 4 różnych schematach podawania palowarotenu. Dysponujemy obecnie ważnymi danymi dotyczącymi 114 pacjentów uczestniczących w badaniu naturalnego przebiegu choroby (Natural History Study, NHS). Dzięki przełomowemu porozumieniu ze stowarzyszeniem IFOPA podzielimy się wiedzą ze społecznością pacjentów, aby inni, którzy przyjdą po nas, mieli do niej dostęp.

Zaobserwowaliśmy, że przewlekłe leczenie palowarotenenem w dawce 5 mg jeden raz dziennie, a następnie podawanie wyższych dawek przy najwcześniejszych oznakach zaostrzenia choroby, wydaje się najlepszym sposobem na ograniczenie tworzenia się nowych kości po zaostrzeniach. U osób tak leczonych stwierdziliśmy ograniczenie objętości nowych kości na poziomie powyżej 70% w 12 tygodniach w porównaniu do nieleczonych zaostrzeń. W lipcu amerykańska Agencja ds Żywności i Leków (Food and Drug Administration, FDA) przyznała nam Odznaczenie za Przełomową Terapię w uznaniu za przedstawione dowody kliniczne wskazujące, że palowaroten może zapewniać znaczącą poprawę w porównaniu z istniejącymi terapiami stosowanymi w FOP. Teraz czas zebrać wszystkie dokonania i skupić energię na skutecznym doprowadzeniu do końca finalnego etapu naszego programu rozwoju klinicznego palowarotenu w FOP – badania MOVE fazy III.

Napawa nas satysfakcją fakt, że w zeszłym roku udało się zrekrutować pierwszych kilku pacjentów do tego badania i planuje się dalszą rekrutację maksymalnie 80 pacjentów w 20 ośrodkach, w 16 krajach, na 6 kontynentach. Każda osoba włączona do końcowego badania klinicznego otrzyma palowaroten, ponieważ organy regulacyjne zgodziły się, by badanie naturalnego przebiegu choroby (Natural History Study, NHS) wykorzystać jako kontrolę zewnętrzną. Wierzmy, że jeśli tendencje w tempie kostnienia, które zaobserwowaliśmy do dziś, utrzymają się, możliwe, że palowaroten wydłuży czas utrzymywania się mobilności u pacjentów.

O FOP usłyszałam niespełna pięć lat temu. Przeczytałam artykuł w Nature Medicine i postanowiłam zmienić swoje życie. Porzuciłam moją ówczesną pracę i stworzyłam Clementia. Tworzenie tej organizacji odmieniło mnie. Nie wierzę, że można usłyszeć o FOP, a w szczególności spotkać się i zapoznać z rodzinami żyjącymi z tą chorobą, bez wpływu na własne życie. Chciałam złożyć podziękowania, i wiem, że czynię to w imieniu całego zespołu Clementia,

za możliwość służenia Społeczności FOP. Dzięki Państwu mogliśmy najszlachetniej ukierunkować naszą wiedzę i pracę. Uwierzyliśmy w to, co wydawało się niemożliwe.

Na koniec doceniając postęp w naszych osiągnięciach, czujemy się zobowiązani do zwrócenia uwagi na niedawne straty i głęboki smutek wśród społeczności FOP. Zdajemy sobie sprawę, że każdy dzień niesie ze sobą zagrożenia dla osób żyjących z FOP. Jesteśmy niezmiernie wdzięczni tym osobom, które żyją z FOP od kilkadziesiąt lat i nie poddały się w walce z chorobą, nie porzuciły nadziei i poświęciły czas i energię, by pomóc innym. To One są bohaterami tej historii.

Dziękuję i składam najlepsze życzenia na Nowy 2018 Rok, niech przyniesie dużo pozytywnych zmian!

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

Clarissa Desjardins