

Prezada comunidade envolvida com a fibrodysplasia ossificante progressiva (FOP),

Na minha última carta à vocês, citei um trecho dizendo que o fio mais fino pode ser trançado e formar um cordão inquebrável. Sinto que é isso que estamos conquistando juntos!

A esperança que todos compartilhamos durante os últimos anos está agora embasada por nossos resultados clínicos da Fase 2. Através dos esforços coletivos da comunidade, incluindo famílias, pesquisadores, médicos e suas equipes que lidam com a FOP, coletamos dados de mais de cem exacerbações, inclusive pós-tratamento com quatro regimes distintos de palovaroteno. Agora temos dados importantes sobre os 114 pacientes no Estudo de história natural (Natural History Study, NHS), que através de um acordo inovador com a IFOPA, compartilharemos com a comunidade de pacientes de forma que o conhecimento conquistado fique disponível a outros que virão depois de nós.

Observamos que o tratamento crônico com palovaroteno 5 mg uma vez ao dia, seguido pelo tratamento com doses mais altas nos primeiros sinais de exacerbação, parece ser a melhor maneira de reduzir novas formações ósseas após as exacerbações. Na verdade, para as pessoas nesse regime, detectamos uma redução superior a 70% em novos volumes ósseos em 12 semanas, em comparação às exacerbações não tratadas. A Agência Federal de Alimentos e Medicamentos dos EUA (FDA) nos outorgou uma Designação terapêutica inovadora em julho em reconhecimento sobre essa evidência clínica indicando que o palovaroteno pode oferecer melhoras substanciais em comparação às terapias para FOP existentes. Chegou a hora de juntarmos tudo o que aprendemos e focarmos nossas energias na conclusão eficiente da etapa final do nosso programa de desenvolvimento clínico para o palovaroteno em FOP; o estudo clínico de Fase 3 MOVE.

Estamos muito felizes com o recrutamento do primeiro de muitos pacientes no estudo clínico MOVE no ano passado e planejamos continuar a incluir até 80 pacientes em 20 centros, em 16 países, nos seis continentes. Todos que forem incluídos nesse estudo clínico final receberão palovaroteno, já que as autoridades regulatórias concordaram que NHS pode ser usado como um controle externo. Acreditamos que, caso as tendências de redução óssea observadas até o momento continuem, é possível que o palovaroteno amplie o tempo pelo qual os pacientes manterão a mobilidade.

Há menos de cinco anos, eu era uma pessoa que nunca tinha ouvido falar da FOP. Li um artigo na Nature Medicine e decidi mudar minha vida. Saí do meu trabalho e iniciei a Clementia. Construir a Clementia tem sido uma experiência de vida transformadora. Não creio que seja possível tomar conhecimento sobre a FOP e, especialmente, conhecer e interagir com as famílias que vivem com FOP, sem ser transformado. Sei que falo em nome de toda a equipe da Clementia quando agradeço à todos vocês pela oportunidade de servir à sua comunidade.

Vocês nos deram o objetivo mais louvável para direcionar nossa competência e trabalho, e nos inspiraram muito mais do que imaginávamos ser possível.

Por último, enquanto aplaudimos nosso progresso, devemos igualmente reconhecer a perda recente e o profundo pesar na comunidade FOP. Nos damos conta de que todos os dias impõem riscos para os que vivem com FOP e somos sinceramente gratos a todos que, tendo vivido com FOP por décadas, mantiveram viva, de forma corajosa, a esperança e dedicaram seu tempo e energia para que outros pudessem ser beneficiados. Vocês são os heróis dessa história.

Obrigado e os melhores votos de um 2018 transformador!

A handwritten signature in cursive script, appearing to read 'Clarissa Desjardins', written in a dark ink.

Clarissa Desjardins