

Уважаемые члены сообщества ФОП,

В моем последнем письме к Вам я процитировала отрывок, в котором говорится, что «мельчайшие нити могут быть скручены в неразрывную пуповину». Я чувствую, что этого мы достигаем совместно!

Надежда, которую все мы разделяли в течение последних нескольких лет, сейчас поддерживается нашими результатами клинического исследования фазы 2. Благодаря коллективным усилиям членов сообщества, в том числе семей с ФОП, исследователей, врачей и их команд, мы собрали данные о более 100 эпизодах обострений, включая случаи после лечения паловаротином с применением 4 различных схем. В настоящее время мы владеем важными данными по 114 пациентам, принимавшим участие в исследовании по изучению естественной динамики заболевания (Natural History Study, NHS), результатами которого, благодаря заключению новаторского соглашения с международной ассоциацией ФОП, мы поделимся с сообществом пациентов, чтобы полученные знания стали доступны нашим последователям.

Путем наблюдения мы установили, что применение режима хронического дозирования паловаротина (5 мг один раз в сутки ежедневно), с последующим применением более высоких доз при возникновении ранних признаков обострения, очевидно, является оптимальным методом терапии, направленным на уменьшение образования новой костной ткани после обострения. Фактически, к 12 неделе исследования нами было выявлено, что у пациентов, которым назначили такую схему лечения, после обострения наблюдалось уменьшение объема новой костной ткани более чем на 70% по сравнению с пациентами, которые не получали лечение в период обострения. В июле Управление по контролю качества пищевых продуктов и лекарственных средств США (FDA) присвоило препарату статус «терапия прорыва» в знак признания этих клинических данных, свидетельствующих о том, что паловаротин может обеспечивать существенное улучшение при лечении ФОП по сравнению с существующими методами лечения. Настало время учесть все полученные знания и сосредоточить наши усилия на эффективном завершении заключительного этапа нашей программы клинических исследований паловаротина при ФОП: фаза 3 исследования MOVE.

Мы очень рады тому, что в прошлом году состоялась регистрация первых нескольких пациентов в исследовании MOVE, и планируем продолжить набор до включения в исследование не более 80 пациентов в 20 городах в 16 странах на 6 континентах. Каждый, кто будет включен в эту заключительную фазу клинического исследования, будет получать паловаротин, поскольку регуляторные органы согласились с тем, что NHS можно использовать в качестве внешнего контроля. Мы считаем, что, если сохранится тенденция уменьшения образования костной ткани, которая наблюдалась до настоящего момента,

возможно, паловаротин продлит период времени, в течение которого пациенты могут сохранять мобильность.

Менее 5 лет назад я была человеком, который никогда не слышал о ФОР. Я прочитала журнал «Nature Medicine» и решила изменить свою жизнь. Я уволилась с работы и основала компанию «Клеменсия» (Clementia). Создание компании «Клеменсия» было событием, изменившим жизнь. Я не верю, что можно узнать о ФОР, в частности, встретиться и побеседовать с семьями, живущими с ФОР, и не претерпеть изменений. Я знаю, что я озвучиваю мнение всех членов команды «Клеменсия», выражая благодарность всем Вам за предоставленную возможность служить Вашему сообществу. Вы предоставили нам самую благородную цель, чтобы непосредственно направлять наши знания и опыт работы в нужное русло, Вы также вдохновили нас на большее помимо того, что мы знали, что это возможно.

В заключение, несмотря на то, что мы восхищаемся нашим прогрессом, мы должны признать, что до недавнего времени в сообществе пациентов с ФОР отмечались потерянности и глубокое огорчение. Мы понимаем, что каждый день несет в себе риски для тех, кто живет с ФОР, и искренне благодарны тем, кто был вынужден десятилетиями жить с ФОР, но при этом, проявив мужество, не дал угаснуть надежде и отдал нам свое время и энергию, чтобы принести пользу другим. Вы — герои этой истории.

Благодарю Вас и желаю всего наилучшего в преобразующем 2018 году!

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

Кларисса Дежардинс [Clarissa Desjardins]