

尊敬的 FOP 群体：

在我给你们最近的一封信中，我引用了一段话，说最细的线也可以被拧成一条牢不可破的绳子。我觉得这是我们正在共同实现的目标！

我们在过去几年中共同的希望现在得到了我们 II 期临床结果的支持。通过社会各界（包括 FOP 家庭、研究人员、临床医生和他们的团队）的共同努力，我们收集到超过 100 次发作的相关数据，包括在使用 4 个不同的 palovarotene 治疗方案进行治疗后发作的相关数据。我们通过与 IFOPA 达成的突破性协议，现已获得有关入选自然史研究 (NHS) 的 114 名患者的重要数据，我们将分享给患者社区我们所获得的知识，以便将它们提供给后来者。

我们已经观察到，使用 palovarotene 5 mg 每天一次进行长期治疗，然后在发作的最早期体征出现时使用更高剂量进行治疗，似乎是减少发作后新骨形成量的最好方式。事实上，对于使用这种治疗方案的患者，我们发现与未治疗发作的患者相比，在 12 周时，新形成的骨体积有大于 70% 的减少。FDA 于 7 月份认可了该临床证据并颁发了突破性的治疗定名给我们。这表明，palovarotene 可提供超过 FOP 现有治疗的实质性改善。现在是时间利用已经了解到的所有事情，将我们的精力集中在有效地完成 palovarotene 对 FOP 临床开发计划中的最后步骤上：III 期的 MOVE 试验。

我们很高兴 MOVE 试验在去年已经招募到了首批患者，并计划在 6 大洲 16 个国家和地区的 20 个研究中心继续招募多达 80 名患者。进入最终临床试验的每个人将获得 palovarotene，因为药品监督管理部门已经同意 NHS 可以用作外部控制。我们相信，如果迄今为止观察到的减少新形成骨的趋势得以持续，那么 palovarotene 将会延长患者保持活动性的时间。

在不到 5 年前，我从未听说过 FOP。当我读到了一篇发表在《自然医学》(Nature Medicine) 杂志的文章，我决定改变我的人生。我辞掉了之前的工作，创立了 Clementia。创立 Clementia 是一种改变人生的经历。我认为了解了 FOP，特别是与 FOP 患者家庭会面和交流后，不做出改变是不可能的。我是代表整个 Clementia 团队对于你们所有人表达感谢，感谢你们给我们机会服务于你们这一群体时。你们为我们提供了最值得称道的目标来引导我们的专业知识和工作，并启发我们，让我们超越我们所知的可能。

最后，在我们为自己所取得的进步鼓掌喝彩的同时，我们也必须注意到 FOP 群体中最近有人不幸离世，人们沉浸在深切的悲痛之中。我们意识到 FOP 患者每天都面临着风险，我们诚挚感谢那些数十年饱受 FOP 折磨但仍勇敢面对人生并贡献他们的时间和精力、让他人受益的人。你们是这个故事中的英雄们。

感谢你们，衷心祝愿迎来变革性的 2018！

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

Clarissa Desjardins