

Liebe MO-Gemeinschaft,

im letzten April waren wir fast so weit, unsere MO-Ped-Studie (Studie zu **m**ultiplen **O**steochondromen in **K**indern) zu beginnen – die erste Studie zur Evaluierung einer potenziellen Therapie für MO (multiple Osteochondrome). Ich freue mich, euch mitteilen zu können, dass MO-Ped an 15 klinischen Prüfzentren in 4 Ländern durchgeführt wird und wir dabei sind, die Teilnahme auf 12 Länder weltweit auszuweiten.

MO-Ped ist die erste klinische Studie, die MO systematisch untersucht. Primärer Endpunkt für MO-Ped ist die Anzahl neuer Osteochondrome (OC), die mithilfe einer Magnetresonanztomografie (MRT) des gesamten Körpers gemessen werden. Zu den weiteren zu untersuchenden Punkten der Studie gehören die Größe der OC, die Anzahl an Operationen, die Anzahl neuer oder sich verschlechternder Deformationen sowie die funktionellen Einschränkungen, Messungen zur Lebensqualität und zu Schmerzen. Die erste klinische Studie für MO dient daher als Referenz für zukünftige Generationen und unterstützt weitere Forschung und das Verständnis von MO.

Ich möchte mich ganz herzlich bei allen bedanken, die an MO-Ped teilnehmen. Euer Aufwand wird der gesamten MO-Gemeinschaft zum Vorteil sein. Es ist uns bekannt, dass viele von euch noch sehnsüchtig auf die Eröffnung neuer klinischer Prüfzentren warten, und wir arbeiten rund um die Uhr mit diesen Prüfzentren zusammen, um sicherzustellen, dass diese so schnell wie möglich einsatzbereit und ausbaufähig sind. Mithilfe eurer Unterstützung gehen wir davon aus, die Aufnahme in diese wichtige Studie Mitte 2019 abschließen zu können.

Wir möchten euch auch mitteilen, dass neben MO-Ped auch unser geplanter Zulassungsantrag für Palovaroten für Fibrodysplasia ossificans progressiva (FOP) bei der US-amerikanischen Zulassungsbehörde Food and Drug Administration (FDA) Auswirkungen auf die MO-Gemeinschaft haben könnte. Unsere Studien und Diskussionen mit Aufsichtsbehörden haben zu zahlreichen Erkenntnissen geführt, die unter Umständen bei einer schnellen Untersuchung von Palovaroten als mögliche Behandlung für MO helfen können. Darüber hinaus dienen alle Vorbereitungen, die wir für eine mögliche FOP-Zulassung getroffen haben, von dem Aufbau einer globalen Vertriebskette, der Skalierung der Produktion von Palovaroten bis zum Einstellen von Personal, um Patienten weltweit zu unterstützen, als Grundlage für einen besseren Dienst der MO-Gemeinschaft in der Zukunft. Ich bin sehr stolz auf das Team, das wir aufbauen, und freue mich auf den Tag, an dem das Team auch euch unterstützen kann.

In einigen Wochen, am 28. Februar, gedenken Gemeinden weltweit dem Tag der seltenen Krankheiten (Rare Disease Day) 2019 und es wird ihnen bewusst, wie viele „seltene“ Menschen es gibt und dass ein großer Bedarf an neuen Behandlungen für diese seltenen Krankheiten wie MO besteht. Danke, dass ihr mit uns an dieser Pionierarbeit teilnehmt, bei der wir der Welt erklären, was MO ist, und resolut mit der MO-Ped-Studie fortfahren.

Alles Gute für euch und eure Familien in 2019

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

Clarissa Desjardins