

Estimada comunidad de pacientes con osteocondromatosis múltiple (OM):

El pasado mes de abril estábamos a punto de lanzar nuestro ensayo MO-Ped (del inglés **M**ultiple **O**steochondromas **P**ediatric, osteocondromatosis múltiple pediátrica), el primer estudio que evalúa un posible tratamiento para la OM. Estamos encantados de comunicarles que MO-Ped está ya en marcha en 15 centros de ensayo clínico de 4 países, y que estamos ampliándolo con la inclusión de 12 países en todo el mundo.

MO-Ped es el primer ensayo clínico que estudia la OM de manera sistemática. El criterio de valoración principal de MO-Ped es la tasa de osteocondromas nuevos (OC) cuantificados mediante RM de cuerpo entero. Otros valores clínicos mensurables incluyen el volumen de los OC, el número de intervenciones quirúrgicas, el número de deformidades nuevas o que han empeorado, y las limitaciones funcionales, así como la calidad de vida y cuantificaciones del dolor. Por ello, este primer ensayo clínico sobre la OM servirá como referencia a las futuras generaciones y facilitará la investigación posterior, así como la comprensión de la OM.

Quiero transmitir mi más sincero agradecimiento a aquellas personas que participan en MO-Ped. Su dedicación beneficiará a toda la comunidad de pacientes con OM. Sabemos que muchos de ustedes esperan con ansiedad la apertura de nuevos centros clínicos y estamos trabajando con ellos para garantizar que estén listos para empezar y ampliar las inscripciones tan pronto como sea posible. Con su ayuda esperamos completar la inclusión en este importante estudio a nivel mundial a mediados de 2019.

Queremos que sepa que, aparte del MO-Ped, nuestro próximo expediente para solicitar la aprobación de palovaroteno para la fibrodisplasia osificante progresiva (FOP) puede tener implicaciones para la comunidad de pacientes con OM. En primer lugar, nuestros estudios y conversaciones con agencias reguladoras han dado lugar a muchos conocimientos que pueden ayudar también al avance de palovaroteno como posible tratamiento para la OM. En segundo lugar, todos nuestros preparativos para una posible aprobación para la FOP y el eventual lanzamiento comercial, desde constituir una cadena de suministro global, aumentar la fabricación de palovaroteno, a contratar personal para ayudar a pacientes de todo el mundo, serán la base para servir a la comunidad de pacientes con OM en el futuro. Estamos muy orgullosos del equipo que estamos formando y deseamos que llegue el día en que puedan atenderles a ustedes también.

Dentro de unos días, el 28 de febrero de 2019, se celebra en muchas regiones del mundo el Día de las Enfermedades Raras, reflejando cuántas personas “raras” hay, y lo necesarios que son los tratamientos nuevos para los miles de trastornos raros como la OM. Gracias por comprometerse con nosotros en este viaje pionero para ayudar a educar al mundo sobre la OM y a avanzar con determinación gracias al ensayo MO-Ped.

Con mis mejores deseos para ustedes y sus familias en este 2019,

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

Clarissa Desjardins