

Chère communauté de l'OM,

En avril dernier, nous étions sur le point de lancer notre essai MO-Ped (essai sur les ostéochondromes multiples pédiatriques), la première étude jamais réalisée en vue d'évaluer un traitement potentiel de l'OM. J'ai le plaisir de vous informer que l'essai MO-Ped est en cours dans 15 centres d'essais cliniques situés dans 4 pays et que nous sommes en bonne voie pour étendre le recrutement à 12 pays du monde.

MO-Ped est le premier essai clinique à étudier l'OM d'une manière systématique. Le critère d'évaluation principal de MO-Ped est le taux de nouveaux ostéochondromes (OC) tel que mesuré par une IRM du corps entier. Quelques autres mesures de résultats cliniques comprennent le volume des OC, le nombre d'interventions chirurgicales, le nombre de difformités nouvelles ou ayant empiré et les limitations fonctionnelles, ainsi que les mesures de qualité de vie et de douleur. Ainsi, ce premier essai clinique sur l'OM servira de référence pour les générations à venir et facilitera probablement les recherches ultérieures sur l'OM et la compréhension de cette maladie.

Je veux transmettre mes sincères remerciements à ceux d'entre vous qui participent à l'essai MO-Ped. Votre dévouement bénéficiera à toute la communauté de l'OM. Nous savons que vous êtes encore nombreux à attendre anxieusement l'ouverture de nouveaux centres cliniques, et nous travaillons assidûment avec ces centres pour nous assurer qu'ils sont prêts à commencer et à étendre le recrutement dès que possible. Avec votre assistance, nous espérons achever le recrutement dans cette étude importante vers le milieu de l'année 2019.

Nous voulons aussi vous faire savoir qu'au-delà de l'essai MO-Ped, notre soumission prochaine auprès de la FDA des États-Unis en vue d'obtenir l'approbation du palovarotène dans la FOP peut avoir des implications pour la communauté de l'OM. En premier lieu, nos études et nos discussions avec les organismes de réglementation nous ont permis de tirer plusieurs enseignements qui pourront aussi nous aider à faire avancer rapidement le palovarotène expérimental en tant que traitement potentiel de l'OM. En second lieu, toutes nos préparations en vue d'une approbation potentielle dans la FOP et de la mise sur le marché qui s'ensuivra, depuis la construction d'une chaîne d'approvisionnement mondiale, la fabrication à plus grande échelle du palovarotène, jusqu'à l'embauche de personnel pour aider à servir les patients dans le monde entier, constitueront la fondation pour servir la communauté de l'OM à l'avenir. Je suis très fière de l'équipe que nous sommes en train de bâtir et j'anticipe avec plaisir le jour où elle pourra vous venir en aide aussi.

Dans quelques semaines, le 28 février, les communautés tout autour du monde reconnaîtront la Journée des maladies rares 2019 et réfléchiront au nombre d'individus « rares » qui existent en fait, et à quel point on a besoin de nouveaux traitements pour les milliers de maladies rares, comme l'OM. Merci de vous engager avec nous dans ce parcours pionnier alors que nous aidons à éduquer le monde au sujet de l'OM et que nous avançons résolument dans l'essai MO-Ped.

Tout le meilleur à vous et vos familles en 2019,

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

Clarissa Desjardins