

Gentile comunità OM,

lo scorso aprile stavamo per lanciare la sperimentazione MO-Ped (**M**ultiple **O**steochondromas **P**ediatric Trial [sperimentazione pediatrica sugli osteocondromi multipli]), il primo studio in assoluto per valutare una potenziale terapia per gli OM. Sono lieta di informarVi che MO-Ped è in corso presso 15 centri di sperimentazione clinica in 4 Paesi, e che siamo sulla buona strada per estendere l'arruolamento a 12 Paesi in tutto il mondo.

MO-Ped è la prima sperimentazione clinica che studia gli OM in modo sistematico. L'endpoint primario di MO-Ped è il tasso di nuovi osteocondromi (OC) misurato dalla risonanza magnetica (RM) di tutto il corpo. Diversi altri indicatori di esito clinico includono il volume degli OC, il numero di interventi chirurgici, il numero di nuove deformità o di deformità in peggioramento e di limitazioni funzionali, nonché la qualità della vita e la misurazione del dolore. Questa prima sperimentazione clinica sugli OM servirà quindi come riferimento per le generazioni a venire e probabilmente faciliterà ulteriori ricerche e la comprensione degli OM.

Voglio esprimere i miei più sinceri ringraziamenti a quelli di Voi che partecipano a MO-Ped. La Vostra dedizione andrà a beneficio dell'intera comunità OM. Sappiamo che ci sono ancora molti di Voi che attendono con ansia l'apertura di nuovi centri clinici e stiamo lavorando coscienziosamente con tali centri per garantire che siano pronti a iniziare e per estendere l'arruolamento il prima possibile. Con il Vostro aiuto, speriamo di completare l'arruolamento in questo importante studio verso la metà del 2019.

Vogliamo anche che sappiate che, al di là di MO-Ped, la nostra imminente presentazione della domanda per richiedere all'Ente preposto al controllo di alimenti e farmaci (Food and Drug Administration, FDA) degli Stati Uniti l'approvazione di palovarotene per la fibrodisplasia ossificante progressiva (FOP), potrebbe avere implicazioni per la comunità OM. Innanzitutto, i nostri studi e dibattiti con gli enti regolatori hanno portato a molte scoperte che potrebbero inoltre aiutare a far progredire rapidamente il palovarotene sperimentale come potenziale trattamento per gli OM. In secondo luogo, tutti i nostri preparativi per una potenziale approvazione della FOP e l'eventuale lancio commerciale, dalla creazione di una catena di approvvigionamento globale, alla produzione di palovarotene, all'assunzione di persone per aiutare i pazienti in tutto il mondo, saranno le fondamenta per servire la comunità OM in futuro. Sono molto orgogliosa del team che stiamo creando e non vedo l'ora che possa aiutare anche Voi.

Tra poche settimane, il 28 febbraio, le comunità di tutto il mondo celebreranno la Giornata delle malattie rare 2019 e rifletteranno su quanti individui "rari" ci sono al mondo e su quanto ci sia bisogno di nuovi trattamenti per le migliaia di malattie rare, come gli OM. Grazie per l'impegno che dedicate insieme a noi a questo viaggio pionieristico, in cui contribuiamo a informare il mondo sugli OM e durante il quale portiamo avanti con determinazione la sperimentazione MO-Ped.

Auguro tutto il meglio a Voi e alle Vostre famiglie nel 2019,

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

Clarissa Desjardins