

MOに関わる皆様へ、

この4月、私たちは、MOの有望な治療法を評価する初めての試験のMO-Ped試験(多発性骨軟骨腫の小児臨床試験: **M**ultiple **O**steochondromas **P**ediatric Trial)を、まさに開始しようとしていました。MO-Pedは4か国にある15の治験施設で進行中であり、さらに世界の12か国に登録を拡大することも間もなく達成されることを皆様にご報告できることを嬉しく思います。

MO-Pedは、MOを体系的な方法で調査する最初の治験です。MO-Pedの主要評価項目は、全身MRIで測定される新たな骨軟骨腫(OCs)の比率です。他にも臨床転帰の評価尺度がいくつかあり、例えばOCsの量、手術の回数、新たなまたは悪化している変形および機能的制約、および生活の質や疼痛の尺度などがあります。したがってMOに関する最初の治験は、次世代のための参考情報としての役割を果たすと考えられ、また、MOのさらなる研究や理解を容易なものにする可能性があります。

MO-Pedに参加されている皆様には心からの感謝を申し上げます。皆様のご献身はMOに関わる方々すべての恩恵につながります。現在でも多くの方々が新たな治験施設の開設を切望していることを私たちは知っており、それらの施設ができるだけ早く確実に治験の準備を終えて被験者の採用を拡大するように、私たちは施設と共に懸命に作業を進めています。皆様からご支援をいただくことにより、2019年中頃にこの重要な試験の登録を完了させたいと考えています。

またMO-Pedの終了後、FOPを治療するpalovaroteneを米国FDAが承認することを求めて私たちは間もなく書類を提出しますが、このことはMOに関わる皆様に意味を持つ可能性があります。第一に、私たちの調査や規制当局との議論によって多くの知識が得られましたが、これらの知識は、MOの有望な治療薬palovaroteneの試験を早く進めることにも役立つ可能性があります。第二には、私たちはFOPが承認され、最終的に市販される可能性に向けて準備してきましたが、これは世界的なサプライチェーンの構築やpalovaroteneの製造規模の拡大から全世界にいる患者を支援する人々の採用にまで及んでおり、これらすべてのことが将来MOに関わる皆様に役立つ基礎となると思われるということです。私たちが作り上げたチームを私は大変誇りに思っていますし、チームが皆様のことをも支援できるようになる日を楽しみにしています。

あと数週間で2月28日ですが、この日は世界中のコミュニティが2019年の希少疾患の日であることを認識して、いかに「希少な」人たちがいるのか、また、数多くあるMOのような希少疾患に対する新たな治療法の必要性がいかに高いかを、まさによく考える日です。私たちはMOについての情報を世界に提供することを支援し、MO-Ped試験をしっかりと前進させます。そんな先駆者としてのこの旅路にお付き合いいただきありがとうございます。

2019年、皆様やご家族の方々に最良のものがもたらされますように、

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

Clarissa Desjardins