

Cara comunidade MO,

Em abril passado, estávamos prestes a lançar o nosso Ensaio MO-Ped (Ensaio **P**ediátrico de **M**últiplos **O**steocondromas), o primeiro estudo a avaliar uma potencial terapia para MO. Tenho o prazer de informá-lo que o MO-Ped está em andamento em 15 centros de ensaios clínicos em 4 países, e estamos no caminho certo para expandir as inscrições para 12 países em todo o mundo.

O MO-Ped é o primeiro ensaio clínico a estudar MO de forma sistemática. O objectivo primário do MO-Ped é a taxa de novos osteocondromas (OCs), medida por RM de corpo inteiro. Várias outras medidas de resultados clínicos incluem o volume de COs, o número de cirurgias, o número de deformidades novas ou agravantes e limitações funcionais, bem como medidas de qualidade de vida e dor. Este primeiro ensaio clínico em MO servirá, portanto, como uma referência para as gerações vindouras e, provavelmente, facilitará mais investigação e compreensão de MO.

Quero transmitir os meus sinceros agradecimentos àqueles que participam no MO-Ped. A sua dedicação beneficiará toda a comunidade MO. Sabemos que ainda há muitos de vocês a aguardar ansiosamente pela abertura de novos centros clínicos e estamos a trabalhar diligentemente com estes centros para garantir que estejam prontos para começar e expandir o recrutamento o mais rápido possível. Com a sua ajuda, esperamos concluir a inscrição neste importante estudo em meados de 2019.

Também queremos que saiba que além do MO-Ped, o nosso próximo requerimento para procurar a aprovação do palovarotene pela FDA dos EUA para a FOP pode ter implicações para a comunidade MO. Em primeiro lugar, os nossos estudos e as nossas discussões com os reguladores resultaram em muitas aprendizagens que também podem ajudar a avançar rapidamente o palovarotene experimental como um possível tratamento para a MO. Em segundo lugar, todos os nossos preparativos para uma possível aprovação da FOP e eventual lançamento comercial, desde a construção de uma cadeia de abastecimento global, aumentando o fabrico de palovarotene, até à contratação de pessoas para ajudar doentes em todo o mundo, serão a base para servir a comunidade MO no futuro. Tenho muito orgulho da equipa que estamos a construir e espero que esta o possa ajudar também.

Em poucas semanas, a 28 de fevereiro, comunidades em todo o mundo reconhecerão o Dia das Doenças Raras de 2019 e refletirão sobre quantos indivíduos "raros" existem e quantas necessidades existem para novos tratamentos para as milhares de doenças raras, como a MO. Obrigado por cooperarem connosco nesta jornada pioneira, pois ajudamos a educar o mundo sobre a MO e desenvolvemos resolutamente o ensaio MO-Ped.

Tudo de bom para vocês e as vossas famílias em 2019,

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

Clarissa Desjardins