

Bästa medlemmar i FOP-gemenskapen,

I mitt senaste brev citerade jag de visdomsord som säger att den tunnaste tråden kan tvinnas till en vajer som står pall för allt. Jag tycker att det är just detta som vi åstadkommer tillsammans!

Det hopp vi alla har delat de senaste åren stöds nu av våra kliniska fas 2-resultat. Genom gemenskapens sammantagna ansträngningar, inklusive FOP-familjer, forskare och kliniker och deras team, har vi samlat in data för över 100 uppblossanden, inklusive efter behandling med 4 distinkta palovaroten-regimer. Vi har nu viktiga data för 114 patienter i naturhistoriestudien (NHS) som vi, genom ett banbrytande avtal med IFOPA, kommer att förmedla till patientgemenskapen så att den kunskap som vunnits kommer att vara tillgänglig för de som kommer efter oss.

Vi har sett att kronisk behandling med 5 mg palovaroten en gång per dag, följt av behandling med högre doser vid de första tecknen på ett uppblossande, verkar vara det bästa sättet att minska ny benbildning efter uppblossanden. För de som tog denna regim fastställde vi faktiskt en minskning på mer än 95 % för ny benvolym på 12 veckor jämfört med obehandlade uppblossanden. FDA gav oss genombrottsterapi-status i juli på basis av detta kliniska bevismaterial som indikerar att palovaroten kan tillhandahålla avsevärd förbättring jämfört med befintliga terapier för FOP. Nu är det dags att använda all ny kunskap och fokusera vår energi på det effektiva slutförandet av det sista steget i vårt kliniska utvecklingsprogram för palovaroten i FOP: fas 3-studien MOVE.

Vi är mycket glada över rekryteringen av de första patienterna i MOVE-prövningen förra året och planerar att försätta rekrytera upp till 80 patienter vid 20 center i 16 länder på 6 kontinenter. Alla som rekryteras till denna slutliga kliniska prövning kommer att få palovaroten, då tillsynsmyndigheter har samtyckt till att NHS kan användas som den externa kontrollen. Vi tror att om de trender i benreduktion som har hittills observerats fortsätter, så är det möjligt att palovaroten förlänger den tid som patienter kan behålla sin mobilitet.

För mindre än 5 år sedan var jag en person som aldrig hade hört talas om FOP. Jag läste en artikel i Nature Medicine och bestämde mig för att ändra mitt liv. Jag sa upp mitt jobb och startade Clementia. Arbetet med att bygga upp Clementia har varit en livsomvälvande erfarenhet. Jag tror inte att det är möjligt att bli medveten om FOP och, i synnerhet, att träffa och interagera med familjer som lever med FOP, och inte förändras. Jag vet att jag talar för hela Clementia-teamet när jag säger tack till er alla för möjligheten att hjälpa er gemenskap. Ni har gett oss det mest lovvärda målet att sträva mot med vår expertis och arbete och inspirerat oss mer än vad vi någonsin trodde var möjligt.

Slutligen, medan vi applåderar våra framsteg måste vi även skänka en tanke till den senaste förlusten och djupa sorgen inom FOP-gemenskapen. Vi vet att varje dag utgör en risk för dem som lever med FOP och är innerligt tacksamma mot dem som levt med FOP i decennier, som modigt har hållit hoppet levande och givit av sin tid och energi till fördel för andra människor. Det är ni som är hjältarna i denna berättelse.

Tack och bästa önskningar för ett livsomvälvande 2018!

*Clarissa Desjardins*

Clarissa Desjardins