

Beste MO-gemeenschap,

Eind april stonden we op het punt om ons MO-Ped onderzoek (**m**ultiple **o**steochondromen **p**ediatrisch onderzoek) te lanceren, het eerste onderzoek ooit om een mogelijke therapie voor MO te evalueren. Het doet me genoegen u te melden dat MO-Ped op 15 locaties voor klinisch onderzoek in vier landen aan de gang is, en we zijn hard op weg om deelname naar 12 landen over de hele wereld uit te breiden.

MO-Ped is het eerste klinische onderzoek waarbij MO op een systematische manier wordt bestudeerd. Het primaire eindpunt van MO-Ped is de snelheid van nieuwe osteochondromen (OC's) zoals gemeten via de MRI van het hele lichaam. Verschillende andere metingen van klinische uitkomsten omvatten het aantal OC's, het aantal operaties, het aantal nieuwe of verergerde misvormingen en functionele beperkingen, alsmede de kwaliteit van leven en pijnmaatregelen. Dit eerste klinische onderzoek naar MO zal daarom als referentie dienen voor toekomstige generaties en zal waarschijnlijk verder onderzoek en begrip van MO bevorderen.

Ik wil mijn oprechte dank overbrengen aan degenen onder u die deelnemen aan MO-Ped. Uw inzet zal de hele MO-gemeenschap ten goede komen. We weten dat er nog steeds velen van u vol spanning wachten op de opening van nieuwe klinische centra en samen met deze centra werken wij er hard aan om ze zo snel mogelijk klaar te maken voor het beginnen met en uitbreiden van hun werving. Met uw hulp hopen we de inschrijving voor dit belangrijke onderzoek rond medio 2019 te voltooien.

We willen ook dat u weet dat naast MO-Ped, onze aanvraag voor goedkeuring door de Amerikaanse FDA van palovarotene voor FOP, implicaties kan hebben voor de MO-gemeenschap. Allereerst hebben we veel geleerd van onze onderzoeken en onze gesprekken met regelgevers, wat ons ook kan helpen om het onderzoek naar palovarotene als mogelijke behandeling voor MO snel te bevorderen. Ten tweede zullen al onze voorbereidingen voor een mogelijke FOP-goedkeuring en uiteindelijke commerciële lancering - van het bouwen van een wereldwijde toeleveringsketen, het opschalen van de productie van palovarotene, tot het inhuren van mensen om patiënten wereldwijd te helpen - de basis vormen voor het dienen van de MO-gemeenschap in de toekomst. Ik ben erg trots op het team dat we samenstellen, en ik kijk uit naar de dag dat het team ook u kan helpen.

Over een paar weken op 28 februari, zullen gemeenschappen over de hele wereld Rare Disease Day (Zeldzame Ziekte Dag) 2019 erkennen en nadenken over hoeveel 'zeldzame' personen er zijn en hoeveel behoefte er is aan nieuwe behandelingen voor de duizenden zeldzame aandoeningen, zoals MO. Dank u dat u met ons samenwerkt tijdens deze baanbrekende reis waarbij wij helpen de wereld verder te informeren over MO, en tegelijkertijd resoluut doorgaan met het MO-Ped-onderzoek.

Ik wens u het beste voor u en uw familie in 2019.

Clarissa Desjardins