

ÉTUDE DE L'HISTOIRE NATURELLE - FAQ

Foire Aux Questions

RÉSUMÉ DE L'ÉTUDE DE L'HISTOIRE NATURELLE

Clementia Pharmaceuticals étudie l'utilisation du palovarotène pour le traitement de la fibrodysplasie ossifiante progressive (FOP). **PVO-1A-001** est une étude de l'histoire naturelle qui suivra cinquante patients souffrant de FOP, d'âge variant entre deux et soixante-cinq ans, pendant un maximum de trois ans. Les patients seront évalués annuellement pendant trois ans, avec des visites plus fréquentes lors d'une poussée inflammatoire. Le but de cette étude est de mieux comprendre la relation entre la formation de nouvelles structures osseuses et les mesures cliniques de la fonction physique et de la qualité de vie, ainsi que de suivre la progression de la maladie sur plusieurs années.

Des réponses aux questions les plus fréquentes au sujet de l'étude de l'histoire naturelle de Clementia ont été spécialement préparées. Pour de plus amples informations au sujet de Clementia, visitez notre site web clementiapharma.com.

FOIRE AUX QUESTIONS

1. Qu'est-ce qu'une étude de l'histoire naturelle ?

RÉPONSE : Une étude de l'histoire naturelle est un type spécifique d'essai clinique qui suit la progression d'une maladie au cours du temps chez des patients qui ne reçoivent que leur traitement actuellement disponible. Les informations rassemblées dans une étude de l'histoire naturelle peuvent être utilisées pour mieux comprendre la progression typique d'une maladie et la façon dont un traitement expérimental peut affecter celle-ci.

2. Pourquoi Clementia effectue-t-il l'étude de l'histoire naturelle chez des patients souffrant de FOP ?

RÉPONSE : L'étude de l'histoire naturelle documentera l'expérience du patient souffrant de FOP de façon scientifique et rigoureuse. Les informations en résultant s'avèreront très utiles pour élaborer le plan clinique pour le palovarotène ainsi que pour mieux comprendre sa place au sein de l'arsenal thérapeutique contre la FOP. L'étude de l'histoire naturelle sera conduite en parallèle avec l'essai clinique de phase 2.

3. Quelles sont les exigences de l'étude de l'histoire naturelle de Clementia ?

RÉPONSE : Des visites annuelles seront effectuées pendant 3 ans, durant lesquelles les patients rempliront des questionnaires au sujet de leur FOP et de ses conséquences sur leur vie ; la mobilité de leurs articulations et régions corporelles principales sera évaluée et des tests sanguins seront effectués pour évaluer des biomarqueurs potentiels de la maladie. L'ampleur de l'ossification hétérotopique sera également mesurée grâce à une étude d'imagerie.

Si un patient devait avoir une poussée pendant les 3 ans de la période d'observation, des évaluations plus précises seront effectuées lors de la poussée, y compris des radiographies et une tomodensitométrie à faible dose à l'endroit de la poussée.

Des informations plus détaillées sur l'étude de l'histoire naturelle sont fournies sur le site www.clinicaltrials.gov.

4. Qui peut participer à l'étude de l'histoire naturelle ?

RÉPONSE : Les patients avec un diagnostic de FOP causée par la mutation R206H âgés entre 18 et 65 ans (Partie A) et entre 2 et 65 ans (Partie B), peuvent participer à l'étude. Le génotype (présence de mutation) sera déterminé au début de l'étude, et les patients présentant d'autres mutations que R206H ne pourront pas participer à l'étude. Des informations plus détaillées sur l'étude sont disponibles sur le site web www.clinicaltrials.gov.

5. Est-ce qu'un patient participant à l'étude de l'histoire naturelle pourra aussi participer à l'essai clinique de phase 2 pour le palovarotène ?

RÉPONSE : Oui, un patient participant à l'étude de l'histoire naturelle qui souffre d'une poussée pourra être inclus dans l'essai clinique de phase 2 si ce patient répond aux critères d'inclusion et si l'essai clinique de phase 2 accepte encore de nouveaux patients. Le patient ne peut pas participer aux deux études en même temps ; il serait donc retiré de l'étude de l'histoire naturelle lors de son inclusion dans l'essai de phase 2.

6. Quelle est la différence entre l'étude de l'histoire naturelle et l'enquête sur les poussées et le registre programmé par l'IFOPA (l'Association internationale de la FOP) ?

RÉPONSE : L'enquête sur les poussées était une étude ponctuelle d'un échantillon représentatif de 500 patients qui avaient fourni une auto-évaluation de leur maladie et de leurs poussées. Cette étude était conduite par le Center for Research in FOP & Related Disorders (Centre de recherche sur la FOP et les troubles apparentés) de l'Université de Pennsylvanie.

L'étude de l'histoire naturelle est une étude longitudinale prospective durant laquelle des informations standardisées spécifiques seront recueillies pendant une période de 3 ans chez 50 patients.

Le registre de l'IFOPA recueillera des informations auprès des patients mêmes, et ultérieurement recueillera les évaluations cliniques et les résultats de tests auprès des médecins . Le registre sera disponible aux patients souffrant de FOP et aux médecins du monde entier, et devrait durer 10 ou 20 ans. Le choix des informations incluses dans le registre de l'IFOPA sera déterminé par l'enquête sur les poussées, par l'étude de l'histoire naturelle de Clementia, et par un groupe consultatif d'experts.

Ces trois approches, l'enquête sur les poussées, l'étude de l'histoire naturelle de Clementia et le registre de l'IFOPA, fourniront des informations complémentaires qui amélioreront la compréhension de la FOP et aideront à la conception d'essais pour de nouveaux produits expérimentaux destinés au traitement de la FOP.