

## **Programa clínico de Clementia: Apertura en la Argentina de un centro para un ensayo clínico con palovaroteno**

**MONTREAL, CANADÁ, 14 de noviembre de 2016** – Clementia tiene el agrado de anunciar a la comunidad de la FOP que el Hospital Italiano de Buenos Aires está listo para incluir a pacientes con FOP en la Parte B de su ensayo de extensión abierto de fase II (PVO-1A-202). La Dra. Carmen L. De Cunto, reumatóloga pediátrica del Hospital Italiano de Buenos Aires, es la investigadora principal de este centro del ensayo.

En la Parte B se explora una pauta posológica del palovaroteno modificada, que consiste en un tratamiento crónico entre brotes o exacerbaciones de FOP para los adultos y los adolescentes mayores y un tratamiento agudo de ciertas exacerbaciones que reúnan los requisitos para todos los participantes. Con esta pauta modificada, el paciente recibe dosis más altas y durante más tiempo que en la Parte A del ensayo de extensión abierto de fase II.

La Parte B está diseñada para incluir a 20 participantes nuevos, adultos o adolescentes mayores, además de quienes ya participaban en la Parte A. Desde el anuncio de la Parte B, que tuvo lugar en junio, se ha incluido a casi todos los participantes de la Parte A, lo que nos permite centrarnos en la inclusión de nuevos adultos o adolescentes mayores que nunca han participado en ensayos con palovaroteno. Cualquier adulto o adolescente mayor que cumpla los requisitos puede ser incluido en la Parte B, incluso los que actualmente participan en el estudio sobre la historia natural de la enfermedad.

Para poder participar en el ensayo del Hospital Italiano, los nuevos candidatos deben:

- Vivir en la Argentina; este requisito se debe a motivos legales (los residentes en EE. UU., Canadá, Reino Unido o Francia quizá puedan ser incluidos en centros de esos países)
- Haber comunicado como mínimo dos brotes o exacerbaciones de FOP en los últimos dos años, pero sin haber tenido síntomas de una exacerbación en las cuatro semanas anteriores a la inclusión
- Haber alcanzado el 90 % de su madurez ósea (si son menores de 18 años), lo que significa que los huesos casi han dejado de crecer según la radiografía de muñeca realizada en el proceso de selección
- Tener una movilidad articular de 6 a 16 (inclusive) según la escala analógica de compromiso articular acumulado; esto refleja una movilidad reducida pero suficiente para permitir la participación en el ensayo
- Ser portadores de la mutación más frecuente (R206H) asociada a la FOP, confirmada mediante un estudio genético realizado durante el proceso de selección
- Poder acudir a todas las visitas programadas al centro durante el ensayo

En [www.clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02279095](http://www.clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02279095) se facilita más información y se pueden consultar todos los criterios de inclusión.

El estudio también se está llevando a cabo en otros centros de investigación clínica, como la Universidad de Pennsylvania (Filadelfia, EE. UU.), la Universidad de California (San Francisco, EE. UU.) y el Royal National Orthopaedic Hospital (Londres, Reino Unido), que actualmente están incluyendo pacientes. Se prevé que el Hôpital Necker (París, Francia) comenzará a incluir pacientes pronto.

Reconocemos y apreciamos enormemente el esfuerzo realizado por los participantes en el estudio y sus familias, por la comunidad de la FOP y por los equipos del ensayo clínico. Nada de esto sería posible sin su compromiso. Nuestra meta es obtener las evidencias necesarias para demostrar el potencial del palovaroteno como tratamiento seguro y eficaz para la FOP; el inicio de la Parte B nos acerca a esa meta.

Puede encontrarse más información sobre el palovaroteno en <http://clementiapharma.com/our-pipeline/palovarotene/>. Toda persona interesada en participar en este estudio debe ponerse en contacto con el centro del ensayo clínico más cercano a su lugar de residencia. Los criterios de inclusión detallados y la información de contacto se encuentran en [www.clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02279095](http://www.clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02279095).

### **Acerca de la fibrodisplasia osificante progresiva (FOP)**

La FOP es una miopatía rara, gravemente discapacitante, caracterizada por la osificación heterotópica de los músculos y los tejidos blandos. La formación de hueso heterotópico restringe progresivamente el movimiento bloqueando las articulaciones, y conduce a una pérdida funcional acumulada, a la discapacidad y a un mayor riesgo de muerte temprana. Casi todos los recién nacidos con FOP tienen una malformación distintiva en el dedo gordo de ambos pies, que se presentan acortados y curvados hacia adentro. La FOP es causada por una mutación en el gen ACVR1 que provoca un aumento de la actividad del receptor de activina tipo I (ALK2) involucrado en la vía de las proteínas morfogénicas óseas, una vía clave que controla el crecimiento y el desarrollo óseo. Actualmente no hay tratamientos aprobados para la FOP.

### **Acerca del palovaroteno**

El palovaroteno es un agonista del receptor gamma del ácido retinoico que se investiga como tratamiento para la FOP. En estudios preclínicos se demostró que el palovaroteno bloquea la osificación heterotópica tanto espontánea como resultante de lesiones, mantiene la movilidad y restaura el crecimiento del esqueleto en modelos de ratones con FOP. Clementia obtuvo la licencia del palovaroteno de Roche Pharmaceuticals, que previamente evaluó el compuesto en más de 800 pacientes. El palovaroteno recibió la designación de producto de evaluación acelerada (*Fast Track*) de la FDA (la Administración de Alimentos y Medicamentos de los Estados Unidos), y la designación de medicamento huérfano para el tratamiento de la FOP tanto de la FDA como de la Agencia Europea de Medicamentos (EMA).

**Acerca de Clementia Pharmaceuticals Inc.**

Clementia es una empresa biofarmacéutica en fase clínica empeñada en acercar tratamientos a las personas que no cuentan con tratamiento alguno. La empresa está desarrollando su candidato principal, el palovaroteno, un nuevo agonista del receptor gamma del ácido retinoico, para tratar la fibrodisplasia osificante progresiva (FOP) y otras enfermedades. Para más información, visite [www.clementiapharma.com](http://www.clementiapharma.com).