



ПРОГРАММА КЛИНИЧЕСКИХ ИСПЫТАНИЙ ПРЕПАРАТОВ ДЛЯ ЛЕЧЕНИЯ ПРОГРЕССИРУЮЩЕЙ ОССИФИЦИРУЮЩЕЙ ФИБРОДИСПЛАЗИИ (ПОФ)

СОДЕРЖАНИЕ

СФЕРА ДЕЯТЕЛЬНОСТИ КОМПАНИИ КЛЕМЕНСИЯ.....	2
КАКОВА ЦЕЛЬ ПРОГРАММЫ КЛИНИЧЕСКИХ ИССЛЕДОВАНИЙ КОМПАНИИ КЛЕМЕНСИЯ?	2
ЧТО ТАКОЕ ПАЛОВАРОТИН?	3
каков статус препарата паловаротин для лечения ПОФ?.....	3
клеменсия проводит 3 клинических ИССЛЕДОВАНИЯ, И все они производят набор участников ..	4
компания клеменсия покрывает расходы, связанные с участием в проводимых ею клинических ИССЛЕДОВАНИЯХ.....	4
клиническое ИССЛЕДОВАНИЕ фазы 2	5
Какова цель ЭТОГО ИССЛЕДОВАНИЯ?	5
Кто может УЧАСТВОВАТЬ?	5
КАКОВ ДИЗАЙН ИССЛЕДОВАНИЯ?	5
в чем заключается участие в исследовании?.....	6
КАКИЕ ОБСЛЕДОВАНИЯ И ПРОЦЕДУРЫ БУДУТ ПРОВОДИТЬСЯ?	6
каковы возможные побочные действия паловаротина?.....	7
ОТКРЫТОЕ ПРОДОЛЖЕННОЕ ИССЛЕДОВАНИЕ фазы 2	8
какова цель этого исследования?.....	8
кто может участвовать?	8
исследование естественного течения заболевания	9
какова цель этого исследования?.....	9
КТО МОЖЕТ УЧАСТВОВАТЬ?	9
в чем заключается УЧАСТИЕ в ИССЛЕДОВАНИИ?.....	9
как будет паловаротин для лечения поф разрабатываться в дальнейшем?	10
хотите принять участие?.....	11
ОБРАЩЕНИЕ К СООБЩЕСТВУ ПОФ И БЛАГОДАРНОСТИ.....	12

СФЕРА ДЕЯТЕЛЬНОСТИ КОМПАНИИ КЛЕМЕНСИЯ



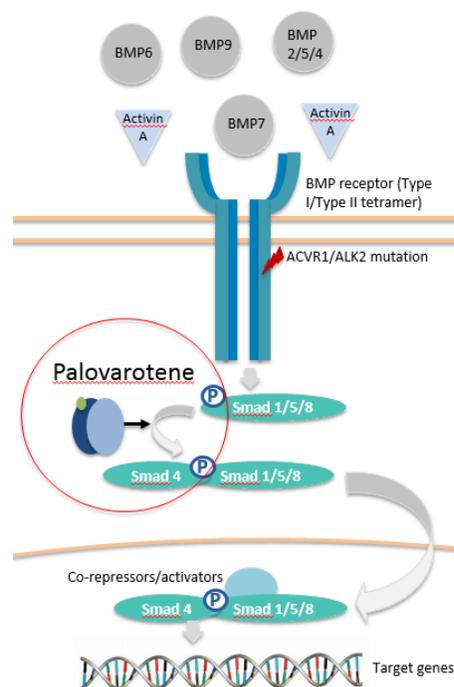
Клеменсия – это коллектив преданных своему делу профессионалов, специализирующихся на разработке лекарственных средств для лечения редких заболеваний. Офисы компании находятся в Канаде и США.

КАКОВА ЦЕЛЬ ПРОГРАММЫ КЛИНИЧЕСКИХ ИССЛЕДОВАНИЙ КОМПАНИИ КЛЕМЕНСИЯ?

Конечная цель программы – предоставление достаточного количества данных в контролируемые органы для рассмотрения и утверждения паловаротина в качестве препарата для лечения ПОФ.

ЧТО ТАКОЕ ПАЛОВАРОТИН?

- ✦ Паловаротин – это экспериментальный пероральный препарат для лечения ПОФ
- ✦ У пациентов, страдающих ПОФ, рецептор ACVR1/ALK2 сигнального пути BMP находится в гиперактивном состоянии, что приводит к гетеротопной оссификации
- ✦ Паловаротин может предотвращать гетеротопную оссификацию, ингибируя сигналы гиперактивного рецептора ACVR1/ALK2
- ✦ Паловаротин блокировал гетеротопное окостенение в мышинных моделях с ПОФ
- ✦ Клеменсия исследует, оказывает ли паловаротин такой же эффект на людей с ПОФ



КАКОВ СТАТУС ПРЕПАРАТА ПАЛОВАРОТИН ДЛЯ ЛЕЧЕНИЯ ПОФ?

Контролирующие органы, такие как Управление по контролю за продуктами питания и лекарственными средствами США (FDA) и Европейское агентство по оценке лекарственных средств в Европе (EMA), рассматривают и утверждают только те препараты, которые прошли строгую процедуру разработки.



Паловаротин был ранее исследован на 800 пациентах компанией Рош Фармасьютикалз (Roche Pharmaceuticals)

Сейчас Клеменсия набирает детей с ПОФ в возрасте от 6 до 14 лет для испытаний паловаротина фазы 2.

КЛЕМЕНСИЯ ПРОВОДИТ 3 КЛИНИЧЕСКИХ ИССЛЕДОВАНИЯ, И ВСЕ ОНИ ПРОИЗВОДЯТ НАБОР УЧАСТНИКОВ

PVO 201	Клиническое исследование фазы 2 паловаротина на пациентах с ПОФ*
PVO 202	Открытое продолженное исследование фазы 2**
PVO 101	Исследование естественного течения заболевания

*в настоящий момент набираются дети с ПОФ от 6 до 14 лет

**для тех, кто завершил участие в исследовании фазы 2

КОМПАНИЯ КЛЕМЕНСИЯ ПОКРЫВАЕТ РАСХОДЫ, СВЯЗАННЫЕ С УЧАСТИЕМ В ПРОВОДИМЫХ ЕЮ КЛИНИЧЕСКИХ ИССЛЕДОВАНИЯХ

- ✦ Все целесообразные расходы, связанные с участием в исследовании фазы 2, открытом исследовании или исследовании естественного течения заболевания, будут покрыты, включая расходы на поездки, питание и проживание для участника исследования и максимум двух сопровождающих лиц
- ✦ Клеменсия работает с пациентами и их семьями для сведения к минимуму трудностей, связанных с поездками в исследовательские центры
 - Поездки и проживание резервируются агентством, специализирующимся на организации поездок для лиц с ограниченной подвижностью
 - Исследовательские центры тесно сотрудничают с семьями, чтобы свести к минимуму нагрузку на пациента
 - Часть планирования можно произвести заблаговременно, до возникновения обострения
 - Для получения дополнительной информации свяжитесь с исследовательским центром

КЛИНИЧЕСКОЕ ИССЛЕДОВАНИЕ ФАЗЫ 2

КАКОВА ЦЕЛЬ ЭТОГО ИССЛЕДОВАНИЯ?

Цель этого клинического исследования – установить, оказывает ли паловаротин воздействие на формирование новой костной ткани во время и после обострения у пациентов с ПОФ, в какой дозе и с какими побочными явлениями.

КТО МОЖЕТ УЧАСТВОВАТЬ?

- ✦ В настоящее время Клеменсия набирает детей с ПОФ в возрасте от 6 до 14 лет, у которых наблюдается обострение, соответствующее требованиям исследования
 - Клеменсия завершила набор взрослых (15 лет и старше) для этого исследования
- ✦ Осталось ограниченное количество мест для детей с обострением в плечах, груди, животе, руках, бедрах или ногах

КАКОВ ДИЗАЙН ИССЛЕДОВАНИЯ?

- ✦ Исследование фазы 2 - это **рандомизированное, двойное слепое, плацебо-контролируемое** исследование.
- ✦ **«Рандомизированное»** означает, что в качестве исследуемого препарата участникам исследования произвольным образом назначается либо паловаротин, либо плацебо
 - Исследуются две дозировки паловаротина
 - Плацебо – это вещество без лечебного эффекта, которое используется, чтобы определить, оказывает ли исследуемый препарат лечебное действие, и имеет ли он какое-либо побочное действие
- ✦ **«Двойное слепое»** означает, что ни врач, ни участник исследования не знают, какой препарат получает участник исследования
- ✦ Вероятность получения паловаротина для участников исследования составляет 75% (3/4), а плацебо – 25% (1/4)

В ЧЕМ ЗАКЛЮЧАЕТСЯ УЧАСТИЕ В ИССЛЕДОВАНИИ?

- ✦ Участник должен приехать в исследовательский центр в течение 7 дней с начала обострения для осмотра, выполнения снимков и анализов крови.
 - Обострение проявляется в виде потепления, красноты, припухлости, боли и/или в виде ограничения/утраты подвижности
 - Соответствующие требованиям исследования обострения могут локализоваться в плечах, груди, животе, руках, бедрах или ногах
- ✦ Если соответствие требованиям исследования подтверждается, исследование продолжается 12 недель
 - Исследуемый препарат принимается перорально после завтрака в течение первых 6 недель
 - Затем следуют дополнительные 6 недель последующего наблюдения
 - Как правило, обследования и тесты в исследовательском центре будут проводиться во время включения в исследование, на 6-й неделе и 12-й неделе.

КАКИЕ ОБСЛЕДОВАНИЯ И ПРОЦЕДУРЫ БУДУТ ПРОВОДИТЬСЯ?

- ✦ Подробный сбор анамнеза и физикальный осмотр
- ✦ Лабораторные исследования (анализ крови)
- ✦ Снимки, включая рентген, КТ-сканирование и МРТ (или ультразвук) участка обострения
- ✦ Самооценка участника будет включать:
 - оценку симптомов боли и припухлости в месте обострения
 - оценку подвижности в месте обострения
 - оценку амплитуды движений в месте обострения
- ✦ Заполнение опросников, касающихся физических ограничений и других общих показателей самочувствия
- ✦ Будет оцениваться побочное действие препарата

КАКОВЫ ВОЗМОЖНЫЕ ПОБОЧНЫЕ ДЕЙСТВИЯ ПАЛОВАРОТИНА?

- ✦ В фазе 2 исследуются возможные побочные действия паловаротина
- ✦ Наиболее частые побочные действия паловаротина проявляются на коже и слизистых (например, в полости носа или рта): сухость кожи, сухость губ, зуд, сыпь, покраснение кожи, шелушение и отслоение кожи, воспалительные процессы на губах, сухость во рту и в глазах.
- ✦ Возможны побочные явления, связанные с приемом класса препаратов, к которым относится паловаротин – класса ретиноидов
 - Они будут описаны в ходе процедуры информированного согласия, когда кандидатуру больного будут рассматривать для включения в данное клиническое исследование
 - Эти потенциальные риски для здоровья можно будет обсудить с сотрудниками, занятыми в клиническом исследовании
- ✦ Если в ходе клинического исследования у пациента возникнет побочное явление, он/а будут тщательно осмотрены врачом в исследовательском центре, и ему/ей будет назначено соответствующее лечение
- ✦ Пациент может прекратить участие в клиническом исследовании в любой момент

ОТКРЫТОЕ ПРОДОЛЖЕННОЕ ИССЛЕДОВАНИЕ ФАЗЫ 2

КАКОВА ЦЕЛЬ ЭТОГО ИССЛЕДОВАНИЯ?

Цель этого исследования – оценить отдаленные последствия и безопасность приема паловаротина у пациентов с ПОФ, которые закончили фазу 2.

КТО МОЖЕТ УЧАСТВОВАТЬ?

- ✦ В открытое продолженное исследование фазы 2 могут быть включены все участники, которые закончили фазу 2 исследования.
 - «Открытое» означает, что участник, у которого возникло новое соответствующее требованиям исследования обострение, принимает паловаротин вне зависимости от того, какой исследуемый препарат он или она принимал(-а) в фазе 2 исследования
 - В этом исследовании не используется плацебо

ИССЛЕДОВАНИЕ ЕСТЕСТВЕННОГО ТЕЧЕНИЯ ЗАБОЛЕВАНИЯ

КАКОВА ЦЕЛЬ ЭТОГО ИССЛЕДОВАНИЯ?

Цель исследования – уточнить существующие представления о естественном развитии ПОФ с течением времени для того, чтобы усовершенствовать текущие и будущие процедуры разработки лекарственных препаратов.

Данные исследования естественного течения заболевания будут переданы в IFOPA для расширения информации о заболевании

КТО МОЖЕТ УЧАСТВОВАТЬ?

- ✦ Сейчас Клеменсия набирает пациентов с ПОФ в возрасте от 0 до 65 лет
- ✦ Всего в исследование будут включены до 100 человек

В ЧЕМ ЗАКЛЮЧАЕТСЯ УЧАСТИЕ В ИССЛЕДОВАНИИ?

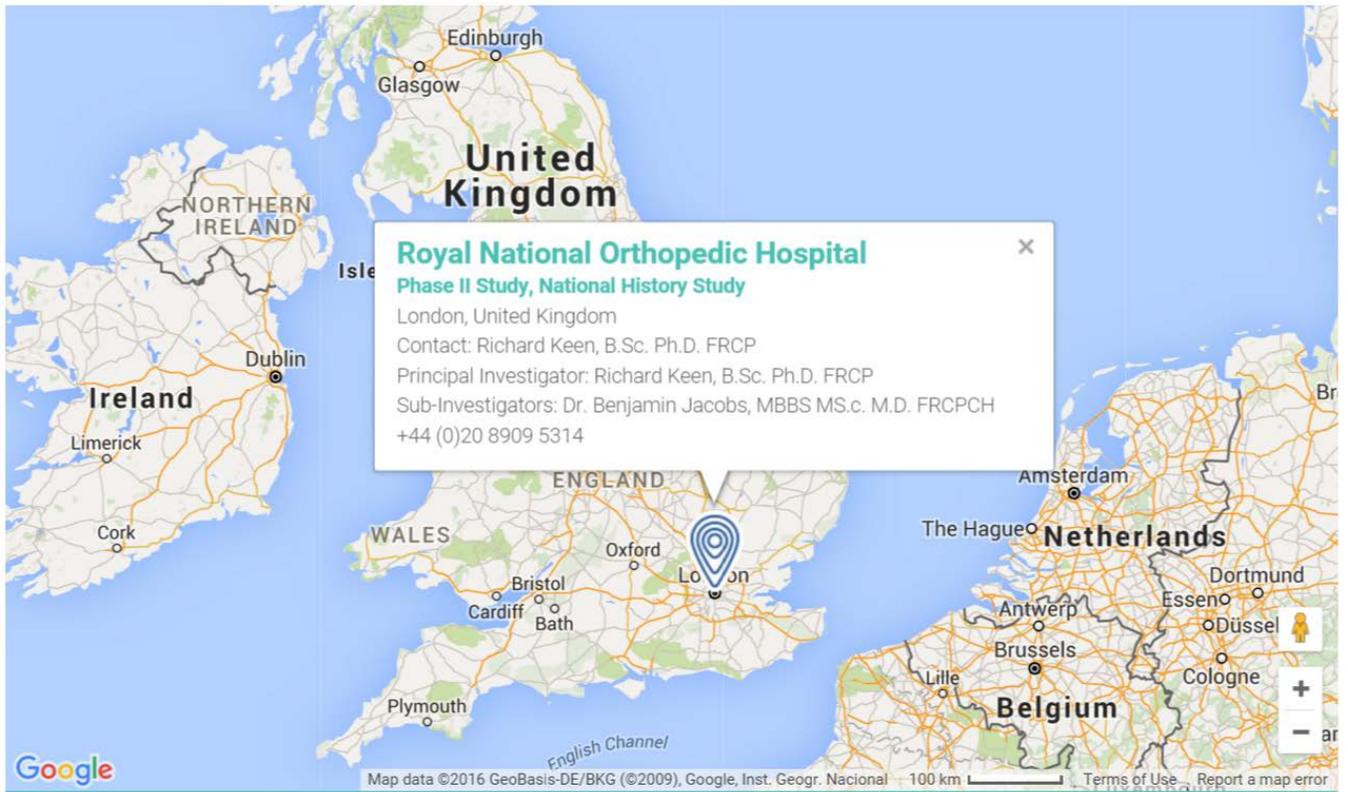
- ✦ Участник исследования не будет принимать никаких экспериментальных препаратов.
- ✦ Пациентам необходимо будет приезжать в исследовательский центр один раз в год (каждые 12 месяцев) для осмотра, выполнения снимков и анализов крови
 - В случае обострения потребуются дополнительные визиты
 - В промежутке между визитами с пациентом будут связываться по телефону каждые 6 месяцев
- ✦ Продолжительность исследования – не более 3 лет
- ✦ Участники исследования, у которых возникнет соответствующее требованиям исследования обострение, могут перейти в исследование фазы 2, если в него еще будет проводиться набор

КАК БУДЕТ ПАЛОВАРОТИН ДЛЯ ЛЕЧЕНИЯ ПОФ РАЗРАБАТЫВАТЬСЯ В ДАЛЬНЕЙШЕМ?



Результаты текущих исследований создадут базу для дизайна исследования фазы 3.

ХОТИТЕ ПРИНЯТЬ УЧАСТИЕ?



ОБРАЩЕНИЕ К СООБЩЕСТВУ ПОФ И БЛАГОДАРНОСТИ



Мы стремимся сделать дальнейшие исследования паловаротина для терапии ПОФ максимально эффективными и безопасными

- Донна Гроган (Donna Grogan, MD), главный медицинский сотрудник



Мы благодарны Вам за поддержку, сотрудничество и вдохновение

- доктор Кларисса Дежарденс, (Clarissa Desjardins, PhD), генеральный директор и основатель



Совместными усилиями мы продвинем разработку препаратов в ходе клинических испытаний и подготовим необходимые данные для рассмотрения и утверждения контролирующими органами

- Джефф Пэкман (Jeff Packman), главный сотрудник исследовательского отдела



Вместе мы лучше поймем природу ПОФ, что будет способствовать разработке будущих методов лечения

- Эрик Солимэн, (Eric Soliman) директор по клинической работе