

Clementia FOP Patient Advisory Panel, February 4th 2019, Brussels

Op uitnodiging van Clementia kwamen op 4 februari 2019 leden van de International President's Council (IPC) bijeen in Brussel voor een **Patiënt Advisory Panel meeting**. Aanwezig waren : Chris Bedford Gay (VK) , Annalena Josefsson (Zwe) , Robert Pioro (Polen) Nadine Grossmann (Duitsland), Moira Liljesthröm (Argentinië) , Elinor Bouvy-Berends (Nederland). Via een videoverbinding namen Robert Ravazollo (Italië) , Marie Fahlberg (Zweden-IPC) , Adam Sherman (IFOPA) , Sonja Las Heras (AESOP, Spanje) deel aan de discussie.

De bijeenkomst werd geleid door Armelle Richiardi (Clementia) en was een vervolg op de IFOPA Patiënt FOCUS Meeting in november 2018, Baltimore V.S. Namens Clementia waren eveneens aanwezig Stephanie Hoffmann, dr. Fei Shih en Anne Thorez.

1. De Move fase 3 clinical trial is afgesloten; medio 2018 is de laatste patiënt geïnccludeerd.
2. Op korte termijn gaat Clementia voor Palovarotene PVO een **NDA New drug Application** indienen bij de FDA; toelating op de markt geldt alleen voor de VS. Er is nog geen NDA procedure voor PVO in Europa.
3. Het **Early Access Program EAP** voor Palovarotene wordt uitvoerig toegelicht. Clementia gaat op verzoek van artsen PVO leveren ten behoeve van FOP patiënten. Clementia zal PVO alleen aan erkende FOP artsen leveren. Levering is gebonden aan landelijke protocollen die de veiligheid van toediening van dit geneesmiddel moeten garanderen. FOP artsen kunnen alleen PVO aanvragen voor patiënten in het eigen land. Op de vraag hoe PVO verdeeld gaat worden over de aanvragen wereldwijd (welke prioritering) meldt men dat er wel degelijk zal worden gekeken naar die patiënten die buiten de boot vielen bij de MOVE trial. PVO in het kader van EAP zal binnen enkele weken beschikbaar zijn.
4. Clementia spreekt zich niet uit over de prijs van PVO in het EAP . Het is niet duidelijk of PVO verstrekking per land afhankelijk is van het feit of in dat land de Move trial is uitgevoerd.
5. PVO in het EAP kan alleen worden toegepast voor patiënten ouder dan 4 jaar. Ook mensen met de niet klassieke mutatie komen in aanmerking. PVO kan door de artsen worden ingezet voor een chronische dan wel episodische toepassing. In het EAP van PVO moet een veiligheidsprotocol worden gevolgd. Patiënten dienen te worden gemonitored door artsen; er is géén bloedafname vereist. Maar per land kunnen de veiligheidsregels verschillen.
6. Clementia legt vervolgens aan de aanwezigen een concept tekst voor met algemene aanwijzingen over mogelijke bijwerkingen van PVO. Uit de groep komen nuttige aanwijzingen en goede suggesties.
7. Clementia vraagt de medewerking van IPC leden om de enquête over de Burden of Illness onder de aandacht van de eigen patiëntenorganisaties te brengen. Chris Bedford Gay is bezorgd dat FOP families niet meer de bomen door het bos zien (Natural History study, IFOPA FOP Registry, en nu Burden of Illness) en heeft behoefte aan een heel kort, praktisch documentje waar dit wordt uitgelegd. Clementia zegt dit toe.
Ook stellen we vast dat er wel weer erg veel gevraagd wordt van de FOP gemeenschap.
8. In het middagprogramma wordt onder leiding van Anne Thorez gefilosofeerd over de gewenste "feel & look" van de diverse publiciteits-producten van Clementia (korte film gericht op artsen, idem voor patiënten). Men mag meedenken over de gewenste beelden en een voorkeur uitspreken over het beeld van een vlinder of een kolibrie die als het ware op het punt staan uit te vliegen uit het harnas van het skelet. De bijeenkomst verliep in een goede sfeer, en leverde hier en daar mooie discussies op.