

IFOPA 2018 Baltimore Family Gathering , 16-19 november 2018



Negenveertig fop-families uit de Verenigde Staten reisden naar Baltimore, Maryland USA voor de jaarlijkse IFOPA Family Gathering. Samen met leden van het International President's Council (IPC), artsen van het FOP International Clinical Council (ICC) en vertegenwoordigers van farmaceutische bedrijven heeft men deelgenomen aan deze uitstekend georganiseerde bijeenkomst in het prachtige Baltimore Four Seasons' Hotel.

Clementia Focus Group Meeting ,donderdag 16 november 2018

Tijdens deze Clementia Focus Group Meeting zijn FOP patiënten, ouders / begeleiders en leden van de IPC bijgepraat over de laatste ontwikkelingen:

-de **New Drug Application (NDA)** voor Palovarotene . Deze aanvraag voor toelating op de markt zal eind 2019 worden ingediend bij de U.S. Food and Drug Administration (FDA). Intussen gaat de Move trial door en verwacht men over twee jaar de eerste resultaten te publiceren.

- de **Early Access Policy (EAP)** waarmee Palovarotene nog voor de formele toelating op de markt beschikbaar komt voor patiënten.

- **de BOI (Burden of Illness) studie** , een eenmalige enquête gericht op fop patiënten. De vragenlijst wordt nu beoordeeld door de International Review Board IRB van Penn University en komt binnenkort online. Er worden 200-300 deelnemers verwacht. Men wil zo een beeld krijgen van de ziektelast die mensen met fop ervaren. De studie wordt uitgevoerd met het oog op toelatingsproces van Palovarotene per land en beoogt vooral gezondheidszorgautoriteiten te laten beseffen welke impact fop heeft in een mensenleven.

Tot slot: op de vraag wanneer **chirurgie onder bescherming van Palovarotene** onderzocht gaat worden is het antwoord dat een dergelijk onderzoek nog "in the backseats" ligt.

IPC International President's Council, vrijdag 17 november 2018

Twaalf IPC leden waren aanwezig bij deze Councilmeeting , via een video verbinding konden 3 leden mee-vergaderen. Twee gasten vertegenwoordigden de fop community in respectievelijk Mexico en India. Een dag lang zijn vele zaken besproken.

- Adam Sherman, directeur IFOPA Research Development, toonde de stand van zaken van het FOP geneesmiddelen onderzoek: met twee klinische onderzoeken in fase 2/3 , zes onderzoeken in de preklinische fase en vier studies in de laboratorium fase kan men zich verheugen in een ongekend snelle toename van studies!

-In het kader van de **"ACT (Acelerating Cures and Treatment) voor FOP"** is door IFOPA aan 4 onderzoekers een subsidie toegekend, waaronder (tot onze grote vreugde) aan Teun de Vries en Ton Schoenmaker ACTA/Vumc voor hun onderzoek naar de werking van Activine A in FOP.

- Vertegenwoordigers van Blueprint, Clementia en Regeneron hebben de leden van de IPC uitvoerig bijgepraat over de laatste ontwikkelingen in hun onderzoeken.

IFOPA's International FOP Registry

Mary Anne Fitzpatrick is binnen IFOPA verantwoordelijk voor de ontwikkeling en het beheer van

IFOPA's International FOP Registry, een wereldwijde, vrijwillige klinische studie die ziektegegevens rechtstreeks bij individuen met FOP verzamelt via een beveiligde website. Tot nu toe hebben ongeveer 300 FOP patiënten gegevens over hun eigen ziektegeschiedenis vastgelegd in deze longitudinale database. In de periode 2014-2018 is door Clementia Pharma de FOP Natural History studie uitgevoerd. Daarin is het ziektebeloop van 100 individuen met FOP door artsen vastgelegd. IFOPA en Clementia zijn nu met elkaar in gesprek om gegevens uit de FOP Natural History Study te delen met IFOPA's FOP Registry. Dat zou een schat aan informatie opleveren, van groot belang van lopend en komend klinisch onderzoek.

FOP in Numbers Project & FOP Prevalence Study

In 2014 nam Moira Liljeström (IPC Argentinië) het initiatief tot het project "FOP in Numbers" waarin naast het aantal individuen met FOP per land ook specifieke gegevens (onder meer geboortedata, geslacht, gezinssamenstelling) via de IPC-leden en Ifopa zijn opgevraagd. De verzamelde gegevens zijn geanonimiseerd en gepubliceerd in 2016. Bij de update die men in 2018 wilde uitvoeren liep men tegen de inmiddels veel strengere privacy wetgeving aan. Er vindt nu een heroverweging plaats over de werkwijze van het FOP in Numbers project.

Het is van belang om meer te weten over het werkelijke aantal mensen met FOP in de verschillende landen of gebieden. Daarom komt er nu een formeel FOP Prevalentie Onderzoek (*FOP Prevalence Study*) gefinancierd door IFOPA. Dacht men vroeger dat 1 op 2 miljoen mensen de diagnose Fop heeft; nu denkt men eerder aan een schatting van 1 op de 1,2 miljoen. Dr Kaplan, Pignolo en Baujat zijn de onderzoekers in dit project.

IFOPA FOP Biobank

Ifopa heeft sinds kort haar eigen Biobank . Deze bevindt zich in de Vanderbilt Universiteit , Nashville, Tennessee. Alleen mensen met FOP woonachtig in de VS kunnen lichaamsmateriaal doneren. Tijdens de familiedagen was het voor FOP patiënten mogelijk om lichaamsmateriaal (bloed, urine, speeksel) af te staan ten behoeve van de FOP Biobank.

IFOPA Family Gathering , zaterdag 18 november 2018

In de grote balzaal van het Four Seasons' Hotel kregen de Fop families en overige deelnemers een mooi programma gepresenteerd. Fred Kaplan was weer in topvorm in zijn uitleg over de nieuwste inzichten in het mechanisme van botvorming in FOP; Chris Scott had een goed verhaal over wat je moet weten alvorens deel te nemen aan een clinical trial; een keur van artsen gaf in een panel antwoorden op vragen vanuit de hele wereld (via live-stream) over gezondheidsproblemen. Zo werd ook duidelijk dat voor veel fop families in de VS lang niet altijd een FOP expert dichtbij voorhanden is. Er is dan ook veel gebruik gemaakt van de mogelijkheid de aanwezige FOP artsen en een tandarts te consulteren.

13-01-2019

Elinor Bouvy-Berends, voorzitter en lid IPC , namens FOP stichting Nederland.