

Informazione Regolamentata n. 0696-25-2015	Data/Ora Ricezione 09 Marzo 2015 11:45:28	MTA
--	---	-----

Societa' : CTI BIOPHARMA

Identificativo : 54027

Informazione
Regolamentata

Nome utilizzatore : CELLN01 - Villa

Tipologia : IROS 15

Data/Ora Ricezione : 09 Marzo 2015 11:45:28

Data/Ora Inizio : 09 Marzo 2015 12:00:29

Diffusione presunta

Oggetto : CTI BioPharma e Baxter annunciano dati di massima positivi prodotti dallo studio clinico PERSIST-1

Testo del comunicato

Vedi allegato.



FOR IMMEDIATE RELEASE

CTI BioPharma Contact

Monique Greer
+1 206-272-4343
mgreer@ctibiopharma.com

Baxter Media Contact

Brian Kyhos
(224) 948-5353
media@baxter.com

Baxter Investor Contacts

Mary Kay Ladone, (224) 948-3371
Clare Trachtman, (224) 948-3085

CTI BIOPHARMA E BAXTER ANNUNCIANO DATI DI MASSIMA POSITIVI PRODOTTI DA PERSIST-1, LO STUDIO DI FASE 3 DI PACRITINIB NEL TRATTAMENTO DI MALATI DI MIELOFIBROSI

Lo studio ha raggiunto l'endpoint principale sulla popolazione sottoposta al trattamento

Pacritinib in formulazione orale è il primo agente che può vantare dati clinici che ne sostengono l'utilizzo nel trattamento di pazienti affetti da mielofibrosi a prescindere dalla loro conta piastrinica, compresi coloro che soffrono di trombocitopenia (bassa conta piastrinica) grave o potenzialmente letale.

CTI BioPharma terrà una conference call oggi alle 8:00 am EDT

SEATTLE, Wash. e DEERFIELD, Ill., 9 marzo 2015—CTI BioPharma Corp. (CTI BioPharma) (NASDAQ e MTA: CTIC) e Baxter International Inc. (NYSE:BAX) hanno pubblicato oggi positivi dati di massima sul principale endpoint di PERSIST-1, lo studio di Fase 3 randomizzato e controllato, finalizzato alla registrazione, condotto su pacritinib, un inibitore orale multi-chinasi della JAK2/FLT3 di prossima generazione, per il trattamento di pazienti affetti da mielofibrosi primaria o secondaria. Lo studio PERSIST-1 ha raggiunto il suo endpoint principale sulla popolazione di pazienti che sono stati sottoposti al trattamento, facendo registrare un'attività statisticamente significativa a prescindere dalla conta piastrinica iniziale dei pazienti, compresi quelli caratterizzati da una conta piastrinica molto bassa nel momento in cui hanno iniziato la terapia, condizione definita di trombocitopenia acuta o potenzialmente letale.

L'endpoint principale dello studio era rappresentato dalla percentuale di pazienti per i quali il volume della milza si sarebbe ridotta di almeno il 35%, dopo 24 settimane dall'inizio del trattamento, misurato con risonanza magnetica (RM) o tramite tomografia computerizzata (TC), messa a confronto con quella registrata con la somministrazione della migliore terapia disponibile, scelta dal medico (BAT), ad esclusione degli inibitori della JAK 2. Lo studio PERSIST-1 ha dimostrato che pacritinib ha prodotto un tasso di risposta clinicamente e statisticamente significativo ($p=0.0003$) nella riduzione del volume della milza in pazienti malati di mielofibrosi rispetto alla BAT. Occorre sottolineare che dallo studio si evince anche una differenza significativa tra i pazienti con conta piastrinica inferiore a 100.000 e 50.000 unità per microlitro, sottogruppi entrambi stratificati al momento della randomizzazione. La portata dell'effetto del trattamento è in linea con i risultati di Fase 2 precedentemente riportati, ed ha evidenziato che il volume della milza si è ridotto maggiormente tra i pazienti più debilitati (con una conta piastrinica inferiore a 50.000 unità per microlitro). Dei 50 pazienti che erano costretti a trasfusioni di sangue (RBC) al momento dell'arruolamento (≥ 6 unità di RBC nel giro di 90 giorni prima di entrare a far parte dello studio), una percentuale clinicamente significativa rispetto alla BAT si è svincolata da tale dipendenza grazie a pacritinib. Il 79% dei pazienti che facevano parte del gruppo a cui veniva somministrata la BAT sono passati nel gruppo a cui veniva somministrato pacritinib.

Il profilo di sicurezza nello studio PERSIST-1 è risultato in linea con quello delineato nei precedenti studi di Fase 2. Gli effetti collaterali più frequentemente provocati dal trattamento sono stati diarrea, nausea e vomito, ma l'incidenza dei casi con livello di gravità 3 è diminuita rispetto a quanto osservato negli studi di Fase 2, e non sono stati registrati effetti collaterali sull'apparato gastrointestinale di grado 4. Tre pazienti hanno interrotto la terapia e a nove è stato ridotto il dosaggio a causa della diarrea. Da un'analisi preliminare si evince che pochissimi pazienti hanno interrotto il trattamento a causa di anemia o di trombocitopenia derivante dal trattamento mentre veniva loro somministrato pacritinib. Ulteriori dati provenienti dalle analisi in corso e da PERSIST-1 verranno presentati in occasione delle prossime conferenze scientifiche.

“Sebbene gli inibitori della JAK2 vengano presentati come terapie efficaci contro la mielofibrosi, sussiste ancora un divario nel trattamento dei pazienti che soffrono di trombocitopenia derivante dalla malattia o provocata dalla terapia stessa. Per questo gruppo di pazienti può essere necessaria una riduzione a livelli meno efficaci del dosaggio del farmaco ad oggi approvato, limitando così la nostra capacità di trattarli. I risultati dello studio randomizzato PERSIST-1 dimostrano che pacritinib potrebbe colmare questo vuoto terapeutico,” ha dichiarato Claire Harrison, M.D., consulente ematologa del Guy's and St. Thomas' NHS Foundation Trust, presso il Guy's Hospital di Londra (Regno Unito) e uno dei ricercatori principali di PERSIST-1. “È incoraggiante vedere che ai pazienti è stato possibile somministrare dosi terapeutiche di pacritinib per un lungo periodo di tempo indipendentemente dalla conta piastrinica o dal numero di globuli rossi di partenza, e che contemporaneamente hanno tratto benefici dalla terapia in termini di riduzione del volume della milza e dei sintomi della malattia, e in termini di miglioramento rispetto alla necessità di trasfusioni.”

“PERSIST-1 è il primo studio randomizzato di Fase 3 che indaga il possibile effetto benefico di un inibitore della JAK2 su un campione di pazienti affetti da mielofibrosi che riflette la realtà che si trovano ad affrontare gli operatori sanitari nella pratica clinica,” ha detto James A. Bianco, M.D., Presidente e CEO di CTI BioPharma. “Siamo entusiasti del profilo clinico delineato da questo studio per quanto concerne il rapporto rischio/beneficio soprattutto per quella porzione di pazienti affetti da mielofibrosi non compresi in studi clinici randomizzati condotti in precedenza su inibitori della JAK2. Siamo grati per il supporto e la dedizione dei ricercatori, del nostro comitato direttivo e, cosa più importante, di tutti i pazienti che hanno preso parte a PERSIST-1. E siamo ansiosi di avvalerci dei progressi conseguiti fino ad oggi.”

“Questi risultati di massima positivi mostrano che questo farmaco può diventare una preziosa, nuova opportunità terapeutica contro questa difficile malattia. Pacritinib rappresenta un importante elemento del portafoglio oncologico che Baxter sta costruendo, e non vediamo l'ora di collaborare con CTI BioPharma per condividere questi risultati con i medici e discutere i prossimi passi con gli enti regolatori,” ha dichiarato David Meek, Responsabile della divisione oncologica di Baxter BioScience.

Informazioni su PERSIST, il programma di sviluppo di Fase 3 di Pacritinib

Attualmente Pacritinib è oggetto di due studi clinici di Fase 3 su malati di mielofibrosi, nell'ambito del programma conosciuto con il nome PERSIST. Gli studi clinici di PERSIST sono condotti al fine di richiedere una New Drug Application (NDA) presso la U.S. Food and Drug Administration (FDA). Nel mese di agosto 2014 è stata concessa a pacritinib la procedura abbreviata, per il trattamento dei malati di mielofibrosi di rischio medio ed elevato, inclusi, oltre agli altri, i malati affetti da trombocitopenia derivante dalla malattia, i pazienti che soffrono di trombocitopenia derivante dall'essersi sottoposti a terapie in cui sono stati utilizzati altri inibitori della JAK2, o pazienti che non tollerano gli altri inibitori della JAK2 o che con essi non ottengono dei risultati ottimali nel trattamento dei sintomi. La procedura abbreviata Fast Track concessa dalla FDA è tesa a facilitare lo sviluppo e accelerare la revisione di farmaci per poter trattare patologie critiche e sopperire ad un vuoto terapeutico.

PERSIST-1: è uno studio clinico randomizzato (2:1), in aperto, multicentrico, di Fase 3 che confronta l'efficacia e la sicurezza di pacritinib con la migliore terapia a disposizione (BAT), esclusi gli inibitori della JAK, condotto su 327 malati affetti da mielofibrosi primaria o secondaria (PMF), mielofibrosi conseguente una policitemia vera (PPV-MF) o conseguente una trombocitopenia essenziale (PET- MF), senza esclusione dei pazienti con una bassa conta piastrinica. L'endpoint primario era rappresentato dalla percentuale di pazienti che avevano ottenuto una riduzione del volume della milza, misurata con RM o TC, superiore o pari al 35% dopo 24 settimane di trattamento, rispetto alla miglior terapia disponibile, escludendo gli inibitori della JAK2. Allo scadere delle 24 settimane o al progredire della malattia, era consentito passare dal gruppo che riceveva la miglior terapia disponibile al gruppo di pacritinib.

PERSIST-2: è uno studio clinico randomizzato (2:1), in aperto, multicentrico di Fase 3 che confronta pacritinib con la miglior terapia disponibile, compresi gli inibitori della JAK1/JAK2, somministrati secondo le dosi previste, in pazienti affetti da mielofibrosi la cui conta piastrinica è inferiore o uguale a 100.000 unità per microlitro. I malati riceveranno in maniera randomizzata 200 mg di pacritinib due volte al giorno, 400 mg di pacritinib una volta al giorno o la miglior terapia disponibile. Lo studio arruolerà 300 pazienti in America Settentrionale, Europa, Australia, Nuova Zelanda e Russia. Ad ottobre 2013, CTI ha raggiunto un accordo con la Food and Drug Administration (FDA) statunitense su uno Special Protocol Assessment per lo studio PERSIST-2, un accordo scritto raggiunto da CTI e l'FDA sul disegno, gli endpoint e l'approccio previsto per l'analisi statistica dello studio clinico che sarà di supporto all'eventuale richiesta di New Drug Application (NDA). Secondo quanto previsto dal SPA, gli obiettivi primari condivisi sono la percentuale di pazienti nei quali il volume della milza si riduce di almeno il 35%, misurato dopo 24 settimane, e la percentuale di pazienti per i quali il valore complessivo di riduzione dei sintomi sia uguale o superiore al 50%, prendendo in considerazione sei sintomi principali, misurati secondo il registro del Myelofibrosis Symptom Assessment Form (MF-SAF) dopo 24 settimane. Ulteriori dettagli sono disponibili al sito www.clinicaltrials.gov o www.PERSISTprogram.com.

A novembre 2013, CTI BioPharma e Baxter hanno stipulato un accordo di licenza esclusiva su scala mondiale per lo sviluppo e la commercializzazione di pacritinib secondo il quale la commercializzazione di pacritinib negli Stati Uniti verrà condotta congiuntamente da CTI BioPharma e da Baxter, mentre quest'ultimo deterrà in esclusiva i diritti di commercializzazione del farmaco per tutte le sue indicazioni terapeutiche al di fuori del territorio statunitense.

Dettagli della Conference Call

Il management di CTI BioPharma terrà una conference call oggi 9 marzo 2015 alle 8:00 a.m. EDT/7:00 a.m. CDT/5:00 a.m. PDT/1:00 p.m. CET. Chi intende partecipare può chiamare il 1-888-471-3843 (USA) o +1 719-325-2376 (non USA). Per partecipare al webcast audio in diretta o per ascoltare la registrazione successivamente archiviata, si prega di visitare il sito societario www.ctibiopharma.com. Il webcast archiviato e la registrazione della conference call saranno disponibili dopo circa due ore dal termine della diretta componendo il numero 1-888-203-1112 (USA) o +1 719-457-0820 (non USA), utilizzando il codice d'accesso 1881293. La registrazione della conference call sarà disponibile fino a lunedì 16 marzo 2015.

Informazioni su pacritinib

Pacritinib è un inibitore orale multi-chinasi, attivo sia contro la JAK2 che contro la FLT3. Gli enzimi della famiglia JAK sono una componente centrale nelle vie metaboliche attraverso le quali avviene la traduzione del segnale, fondamentali per la normale crescita e lo sviluppo delle cellule del sangue, nonché per la sintesi delle citochine infiammatorie e delle risposte immunitarie. E' stato dimostrato che le mutazioni in queste chinasi sono direttamente legate allo sviluppo di una varietà di tumori connessi al sangue, comprese le neoplasie mieloproliferative (NMP), le leucemie e i linfoma. Sebbene pacritinib annulli le vie metaboliche JAK2/FLT3, non ha effetti mielosoppressivi¹ e può offrire un vantaggio rispetto ad altri inibitori della JAK grazie ad un efficace trattamento dei sintomi, associato ad una minor incidenza di trombocitopenia e anemia indotta dal trattamento, rispetto agli inibitori della JAK attualmente approvati e in sviluppo.

Il chinoma di pacritinib suggerisce che può essere utile nel trattamento della leucemia mieloide acuta (LMA), della sindrome mielodisplastica (SMD), della leucemia mielocitica cronica (LMC) e nella leucemia linfocitica cronica (LLC), grazie alla forte inibizione delle vie metaboliche c-fms, IRAK1, JAK2 and FLT3.¹

Informazioni sulla mielofibrosi e le neoplasia mieloproliferative

La mielofibrosi è una delle tre tipologie di neoplasie mieloproliferative (NMP), che sono un ristretto gruppo di tumori del sangue. Le tre principali tipologie di NMP sono la mielofibrosi, la policitemia vera, e la trombocitopenia essenziale.² La mielofibrosi è una patologia cronica, critica e potenzialmente mortale del midollo osseo causata da un accumulo di cellule maligne nel midollo osseo che innescano una risposta infiammatoria provocando cicatrici nello stesso e, limitandone la capacità di produrre globuli rossi, induce la milza e il fegato ad assumere questa funzione facendo le veci del midollo. I sintomi che derivano da questa malattia comprendono l'ingrandimento della milza, anemia, stanchezza estrema e dolore.

Si stima che ci sono circa 300.000 persone che vivono con sindromi mieloproliferative negli Stati Uniti, di cui circa 18.000 sono rappresentati da persone affette da mielofibrosi³. In Europa, i livelli di morbilità variano ampiamente da fonte a fonte. I malati di mielofibrosi hanno un'età mediana di 64 anni al momento in cui viene diagnosticata³, e circa il 20% dei pazienti finisce con lo sviluppare la leucemia acuta mieloide.⁴ La sopravvivenza mediana per pazienti ad alto rischio è inferiore all'anno e mezzo; il periodo di sopravvivenza medio per i malati di mielofibrosi in generale è di 6 anni.⁵

Informazioni su Baxter International Inc.

Baxter International Inc., attraverso le proprie controllate, sviluppa, produce e vende prodotti che salvano e aiutano la vita di persone affette da emofilia, disturbi del sistema immunitario, tumore, malattie infettive, patologie renali, trauma e altre condizioni di salute croniche e acute. Trattandosi di una società del settore sanitario, di respiro globale e diversificata, Baxter si serve di una combinazione di competenze pressoché unica nei dispositivi medicali, nella farmaceutica e nella biotecnologia al fine di creare prodotti che migliorano la cura del paziente a livello globale.

Informazioni su CTI BioPharma

CTI BioPharma Corp. (NASDAQ e MTA: CTIC) è una società biofarmaceutica impegnata nell'acquisizione, nello sviluppo e nella commercializzazione di nuove terapie specificamente destinate alla cura di una gamma di tumori del sangue, in grado di offrire un beneficio unico a pazienti e operatori sanitari. La Società ha una presenza commerciale in Europa e una pipeline di prodotti in avanzata fase di sviluppo tra cui pacritinib, il prodotto candidato di punta di CTI BioPharma, attualmente oggetto di un programma di studio di Fase 3 per il trattamento di pazienti malati di mielofibrosi. CTI BioPharma ha sede in Seattle, Washington, con uffici a Londra e Milano

sotto la denominazione di CTI Life Sciences Limited. Per ulteriori informazioni, nonché per ricevere avvisi via e-mail e feed rss, si prega di consultare il sito societario www.ctibiopharma.com.

Fonte: CTI BioPharma Corp.

Dichiarazioni previsionali

Questo comunicato stampa contiene dichiarazioni previsionali riguardanti pacritinib e i relativi studi clinici condotti sulla base dell'accordo di collaborazione che intercorre tra Baxter International e CTI BioPharma Corp., secondo quanto disposto dal Private Securities Litigation Reform Act del 1995. Tali dichiarazioni sono soggette a rischi e incertezze, il cui esito potrebbe materialmente e/o negativamente influenzare gli effettivi risultati futuri ed il prezzo di negoziazione dei titoli CTI. Tali dichiarazioni comprendono, tra le altre, quelle riguardanti le aspettative di CTI in merito alla possibile utilità terapeutica di pacritinib, al previsto completamento dell'arruolamento, alla capacità di pacritinib di colmare un vuoto terapeutico, e di soddisfare i futuri piani regolatori, di sviluppo e commerciali. Gli investitori sono invitati a non fare indebitamente affidamento su queste dichiarazioni previsionali, che valgono solo fino alla data di questo comunicato. In particolare, questo comunicato tratta i dati di massima sull'endpoint principale, e dovrebbe essere valutato in combinazione con i dati sugli endpoint secondari, sulla sicurezza e con dati aggiuntivi, una volta che saranno analizzati a pieno e che saranno disponibili al pubblico. Le dichiarazioni sono basate su ipotesi riguardanti molti fattori importanti e sulle informazioni di cui oggi disponiamo nei limiti in cui fino ad oggi abbiamo avuto la possibilità di valutare a pieno e attentamente tali informazioni, alla luce dei fatti correlati, delle circostanze, delle raccomandazioni e delle analisi. Una serie di esiti e incertezze potrebbero far sì che i risultati effettivi differiscano in maniera sostanziale da quelli contenuti nelle dichiarazioni previsionali: la soddisfazione dei requisiti regolamentari e altri; che i risultati di massima ad oggi osservati possano differire dai risultati futuri o che si giunga a differenti conclusioni o considerazioni, una volta che i dati esistenti vengano valutati completamente; l'operato degli organi regolamentari e di altri autorità di governo; variazioni della legge e della regolamentazione; problematiche in merito alla qualità del prodotto, alla sua efficacia, al protocollo dello studio, all'integrità dei dati, o alla sicurezza dei pazienti. Così come gli altri rischi elencati o descritti di volta in volta nei più recenti depositi della Società presso la SEC su Form 10-K, 10-Q e 8-K. Né Baxter né CTI BioPharma intendono aggiornare le proprie dichiarazioni previsionali.

1. Singer J et al., ASH 2014 Abstract #1874: Comprehensive Kinase Profile of Pacritinib, a Non-Myelosuppressive JAK2 Kinase Inhibitor in Phase 3 Development in Primary and Post ET/PV Myelofibrosis.
2. MPN Research Foundation website, www.mpnresearchfoundation.org.
3. Mehta J, Wang H, Iqbal SU, Mesa R. Epidemiology of myeloproliferative neoplasms in the United States. *Leukemia & Lymphoma* 2014; 55(3): 595-600.
4. Cervantes F, Dupriez B, Pereira A, Passamonti F, Reilly JT, Morra E, Vannucchi AM, Mesa RA, Demory J-L, Barosi G, Rumi E, Tefferi A. New prognostic scoring system for primary myelofibrosis based on a study of the International Working Group for Myelofibrosis Research and Treatment. *Blood*. 2009; 113:2895-2901.
5. Vannucchi, A. Management of Myelofibrosis. *ASH Education Book*. 2011; 1:222-230.

Fine Comunicato n.0696-25

Numero di Pagine: 7