

Informazione Regolamentata n. 0696-31-2015	Data/Ora Ricezione 16 Marzo 2015 07:29:40	MTA
--	---	-----

Societa' : CTI BIOPHARMA

Identificativo : 54467

Informazione  
Regolamentata

Nome utilizzatore : CELLN01 - Villa

Tipologia : IROS 15

Data/Ora Ricezione : 16 Marzo 2015 07:29:40

Data/Ora Inizio : 16 Marzo 2015 07:44:41

Diffusione presunta

Oggetto : CTI BIOPHARMA: LA RIVISTA BLOOD HA  
PUBBLICATO I RISULTATI DI UNO  
STUDIO DI FASE 2 CONDOTTO SU  
PACRITINIB IN PAZIENTI AFFETTI DA  
MIELOFIBROSI

*Testo del comunicato*

Vedi allegato.



## **CTI BIOPHARMA: LA RIVISTA *BLOOD* HA PUBBLICATO I RISULTATI DI UNO STUDIO DI FASE 2 CONDOTTO SU PACRITINIB IN PAZIENTI AFFETTI DA MIELOFIBROSI**

**SEATTLE, Wash., 16 marzo 2015**—CTI BioPharma Corp. (CTI BioPharma) (NASDAQ e MTA: CTIC) rende noto oggi che sono stati pubblicati sulla rivista *Blood* i risultati di uno studio di Fase 2 condotto su pacritinib, in malati di mielofibrosi. Pacritinib è un inibitore orale multi-chinasi della JAK2/FLT3 di nuova generazione attualmente oggetto del programma di sviluppo di Fase 3 PERSIST, ad opera del dr. Rami S. Komrokji, Professore Associato di Scienze Oncologiche presso la University of South Florida College of Medicine e Direttore Clinico del Dipartimento Malignant Hematology presso la Moffitt Cancer Center di Tampa, (Florida).

I risultati dello studio di Fase 2 hanno dimostrato che pacritinib è attivo in pazienti affetti da mielofibrosi, producendo contemporaneamente una riduzione del volume della milza e un miglioramento sostanziale e prolungato dei sintomi legati alla malattia senza effetti mielosoppressivi significativi dal punto di vista clinico. Riteniamo che pacritinib sia stato ben tollerato, anche in pazienti che soffrivano di anemia e trombocitopenia a causa della malattia, e l'effetto collaterale predominante è stata una tossicità gastrointestinale gestibile.

“I risultati di questo studio di Fase 2 sono coerenti con i dati di massima che abbiamo recentemente pubblicato per lo studio randomizzato di Fase 3 PERSIST-1: una riduzione del volume della milza entro 24 settimane equiparabile, a cui si combina un'ulteriore osservazione: i pazienti che ricevevano pacritinib hanno continuato a reagire nel tempo,” ha dichiarato James A. Bianco, M.D., Presidente e CEO di CTI BioPharma. “Sulla base dei risultati di questo studio e dei dati di massima di PERSIST-1 resi noti recentemente, riteniamo che pacritinib possa rappresentare un'importante possibilità terapeutica per un vasto spettro di pazienti affetti da questa difficile malattia. Non vediamo l'ora di pubblicare altri dati provenienti dallo studio PERSIST-1 in occasione di una conferenza scientifica nel corso dell'anno.”

“La pubblicazione dei dati di Fase 2 sulla rivista *Blood* è stata tempestiva dal momento che solo recentemente siamo venuti a conoscenza dei dati positivi relativi al PERSIST-1, studio randomizzato di Fase 3. Ad oggi, le possibilità terapeutiche per il trattamento della splenomegalia e dei sintomi costituzionali in pazienti malati di mielofibrosi che soffrono di anemia e trombocitopenia sono limitate, e questi dati dimostrano che pacritinib ha la possibilità di aiutare pazienti che non possono essere trattati in maniera ottimale con i trattamenti attualmente disponibili,” ha dichiarato il Dr. Komrokji.

### **Caratteristiche e risultati dello studio di Fase 2**

Lo studio di Fase 2 multicentrico, a gruppo unico, in aperto, ha esaminato il profilo di efficacia e sicurezza di pacritinib nel trattamento di pazienti con mielofibrosi che presentavano una splenomegalia clinica che le terapie standard non erano riuscite a controllare in maniera sufficiente, o ai quali era appena stata diagnosticata la mielofibrosi con un livello di rischio intermedio o elevato e che non erano stati considerati idonei per le terapie standard. I pazienti sono stati arruolati a prescindere dal livello di trombocitopenia, anemia o neutropenia. Sono stati arruolati 35 pazienti che sono trattati secondo cicli di 28 giorni l'uno, in cui è stato loro somministrato pacritinib da 400 mg, una volta al giorno. L'età mediana dei pazienti era di 69 anni. L'endpoint dello studio riguardava l'effetto sulla milza, definito come percentuale dei soggetti che avrebbero raggiunto una riduzione del

volume della milza uguale o superiore al 35% dopo 24 settimane dal punto di partenza, misurata con risonanza magnetica. Gli altri endpoint includevano la percentuale di pazienti che presentavano una riduzione della milza uguale o superiore al 50% misurata tramite palpazione, e la percentuale di pazienti per i quali l'indice sintetico dei sintomi (*total symptom score – TSS*), tra cui dolore addominale, dolore articolare, inappetenza, fatica, inattività, sudorazione notturna e prurito, si era ridotto del 50% o oltre nel giro di 24 settimane.

I risultati hanno dimostrato che entro le 24 settimane:

- il 30,8% dei pazienti valutabili (8/26) ha registrato una riduzione del volume della milza uguale o superiore al 35%, misurata con tomografia computerizzata o risonanza magnetica, e il 42% dei pazienti ha ottenuto una riduzione uguale o superiore al 35% entro la fine del trattamento;
- il 42,4% dei pazienti valutabili (14/33) ha registrato una riduzione del volume della milza uguale o superiore al 50%, misurata tramite palpazione;
- il 48,4% dei pazienti valutabili (15/31) ha registrato una riduzione del TSS del 50% o maggiore.

Gli effetti collaterali più comuni provocati dal trattamento sono stati diarrea di grado 1-2 (69%) e nausea (49%), che hanno comportato l'interruzione del trattamento per un solo paziente. La somministrazione del farmaco è stata sospesa in nove pazienti (26%) a causa degli effetti collaterali, di cui tre giudicati non correlati al farmaco. Ci furono cinque decessi, tre dei quali provocati da gravi effetti collaterali, dei quali uno (emoraggia subdurale) è stato considerato probabilmente connesso al farmaco. Anemia e trombocitopenia sono state registrate rispettivamente in dodici (34,3%) e otto (22,9%) pazienti.

L'articolo, intitolato "Results of a Phase 2 Study of Pacritinib (SB1518), a JAK2/JAK2(V617F) Inhibitor, in Patients with Myelofibrosis," è disponibile all'indirizzo <http://www.bloodjournal.org/content/early/2015/03/11/blood-2013-02-484832>. Dati preliminari dello studio vennero presentati in occasione del 15<sup>mo</sup> Congresso dell'Associazione Europea di Ematologia nel 2010, e in occasione del Convegno Annuale della Società Americana di Ematologia nel 2011.

## **Informazioni sulla mielofibrosi e le neoplasie 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.<sup>2</sup> 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 mielofibrosi<sup>3</sup>. 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 diagnosticata<sup>3</sup>, e circa il 20% dei pazienti finisce con lo sviluppare la leucemia acuta mieloide.<sup>4</sup> 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.<sup>5</sup>

## **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 mielosoppressivi<sup>1</sup> 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.<sup>1</sup>

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.

## **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](http://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, alla capacità di pacritinib di colmare un vuoto terapeutico. Gli investitori sono invitati a non fare indebitamente affidamento su queste dichiarazioni previsionali, che valgono solo fino alla data di questo comunicato. bLe 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] osservati ad oggi 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. Fatta eccezione per quanto previsto dalla legge, la Società non intende aggiornare quanto riportato nel presente comunicato stampa a seguito di ulteriori sviluppi.*

1. MPN Research Foundation website, [www.mpnresearchfoundation.org](http://www.mpnresearchfoundation.org).
2. Mehta J, Wang H, Iqbal SU, Mesa R. Epidemiology of myeloproliferative neoplasms in the United States. *Leukemia & Lymphoma* 2014; 55(3): 595-600.
3. 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.
4. Vannucchi, A. Management of Myelofibrosis. *ASH Education Book*. 2011; 1:222-230.
5. 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.

###

### **Contatti:**

Monique Greer  
+1 206-272-4343  
[mgreer@ctibiopharma.com](mailto:mgreer@ctibiopharma.com)

Ed Bell  
+1 206-282-7100  
[ebell@ctibiopharma.com](mailto:ebell@ctibiopharma.com)

In Europa:  
CTI Life Sciences Limited, Milan Branch

Laura Villa  
+39 02 94751572  
[lvilla@cti-lifesciences.com](mailto:lvilla@cti-lifesciences.com)

Fine Comunicato n.0696-31

Numero di Pagine: 6