

Informazione Regolamentata n. 0696-42-2015	Data/Ora Ricezione 22 Aprile 2015 07:30:11	MTA
--	---	-----

Societa' : CTI BIOPHARMA

Identificativo : 56773

Informazione  
Regolamentata

Nome utilizzatore : CELLN02 - Villa

Tipologia : IRAG 10

Data/Ora Ricezione : 22 Aprile 2015 07:30:11

Data/Ora Inizio : 22 Aprile 2015 07:45:12

Diffusione presunta

Oggetto : CTI BioPharma e Baxter: i dati di Fase 3 su pacritinib in pazienti affetti da mielofibrosi saranno presentati durante una late-breaking session in occ

*Testo del comunicato*

Vedi allegato.



**CTI BioPharma e Baxter: i dati di Fase 3 su pacritinib in pazienti affetti da mielofibrosi saranno presentati durante una late-breaking session in occasione dell'ASCO**

-- *L'estratto su Pacritinib n. LBA7006 verrà anche messo in evidenza nel programma ufficiale dell'ASCO dedicato alla stampa* –

**SEATTLE, Wash., e DEERFIELD, Ill.**, 22 aprile 2015—CTI BioPharma Corp. (CTI BioPharma) (NASDAQ e MTA: CTIC) e Baxter International Inc. (NYSE: BAX) hanno reso noto oggi che, in occasione dell'imminente Congresso dell'Associazione Americana di Oncologia Clinica 2015 (*American Society of Clinical Oncology - ASCO*), che avrà luogo a Chicago (Illinois) dal 29 maggio al 2 giugno, i dati di PERSIST-1, lo studio clinico randomizzato di Fase 3 che valuta l'agente oggetto d'indagine pacritinib nei malati di mielofibrosi, verranno messi in evidenza durante la presentazione della late-breaking session. Gli stessi dati sono uno dei temi prescelti che verranno presentati durante la conferenza stampa ufficiale dell'ASCO, intitolata "Una terapia mirata", prevista per sabato 30 maggio 2015 alle 8:00 CT.

La mielofibrosi (una forma di neoplasia mieloproliferativa) è una patologia cronica del midollo osseo, rara ma grave e potenzialmente letale, causata dall'accumulo di cellule maligne del midollo osseo che innescano una reazione infiammatoria e portano alla formazione di cicatrici nello stesso. La sostituzione di midollo osseo con tessuto cicatriziale ne limita la capacità di produrre globuli rossi e sollecita la milza e il fegato a farne le veci in tale funzione. Pacritinib è un inibitore della JAK2/FLT3 di nuova generazione attualmente oggetto di studio per il trattamento dei malati di mielofibrosi.

Di seguito i dettagli della presentazione:

**Titolo: *Results of the PERSIST-1 phase III study of pacritinib (PAC) versus best available therapy (BAT) in primary myelofibrosis (PMF), post-polycythemia vera myelofibrosis (PPV-MF) or post-essential thrombocythemia-myelofibrosis (PET-MF)***

**Autore principale:** Ruben Mesa, M.D., Vice Direttore presso il Mayo Clinic Cancer Center, Responsabile della divisione di Hematology & Medical Oncology, presso il Mayo Clinic Cancer Center, a Scottsdale, AZ

**Data/Ora:** Sabato, 30 Maggio alle 14:37 CT

**Sessione:** Leukemia, Myelodysplasia, and Transplantation

**Estratto n.:** LBA7006

### **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 – *Best Available Therapy*), 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. **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. Ulteriori dettagli sono disponibili al sito [www.clinicaltrials.gov](http://www.clinicaltrials.gov) o [www.PERSISTprogram.com](http://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.

### **Informazioni su pacritinib**

Pacritinib è un inibitore orale, 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. 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 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 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).

### **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.

Fonte: CTI BioPharma Corp. e Baxter International Inc.

### ***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 degli studi PERSIST-1 e PERSIST-2 di sostenere una possibile richiesta di approvazione, 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. 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 di altri requisiti; l'esito degli studi clinici; 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](http://www.mpnresearchfoundation.org).
3. Based on Mesa R, ASH 2012 poster.
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.

**Contatti CTI BioPharma :**

Monique Greer

+1 206-272-4343

[mgreer@ctibiopharma.com](mailto:mgreer@ctibiopharma.com)

**Contatti Baxter:**

Investor Relations

Mary Kay Ladone

224-948-3371

Media Relations:

Kellie Hotz

224-948-5353

[media@baxter.com](mailto:media@baxter.com)



## **CTI BioPharma and Baxter Announce Phase 3 Data of Pacritinib in Patients with Myelofibrosis to be Presented in Late-Breaking Session at ASCO**

*-- Pacritinib Abstract #LBA7006 also to be Highlighted in the Official ASCO Press Program --*

**SEATTLE, Wash., and DEERFIELD, Ill.**, April 22, 2015—CTI BioPharma Corp. (CTI BioPharma) (NASDAQ and MTA: CTIC) and Baxter International Inc. (NYSE:BAX) today announced that data from the randomized Phase 3 PERSIST-1 trial evaluating the investigational agent pacritinib in patients with myelofibrosis will be highlighted in a late-breaking oral presentation at the upcoming American Society of Clinical Oncology (ASCO) 2015 Meeting (May 29-June 2, 2015 in Chicago, Ill). These data have also been selected as part of this year's official ASCO press briefing – titled “Targeted Therapy” – to be held on Saturday, May 30, 2015 at 8:00 a.m. CT.

Myelofibrosis (a type of myeloproliferative neoplasm) is a rare, but serious and life-threatening chronic bone marrow disorder caused by the accumulation of malignant bone marrow cells that triggers an inflammatory response and scars the bone marrow. The replacement of bone marrow with scar tissue limits its ability to produce red blood cells, prompting the spleen and liver to take over this function. Pacritinib is a next generation JAK2/FLT3 inhibitor under investigation for the treatment of patients with myelofibrosis.

The details of the oral presentation are:

**Title: Results of the PERSIST-1 phase III study of pacritinib (PAC) versus best available therapy (BAT) in primary myelofibrosis (PMF), post-polycythemia vera myelofibrosis (PPV-MF) or post-essential thrombocythemia-myelofibrosis (PET-MF)**

First Author: Ruben Mesa, M.D., Deputy Director, Mayo Clinic Cancer Center, Chair of the Division of Hematology & Medical Oncology, Mayo Clinic Cancer Center, Scottsdale, AZ

Date/Time: Saturday, May 30 at 2:37 p.m. CT

Session: Leukemia, Myelodysplasia, and Transplantation

Abstract #: LBA7006

### **About the PERSIST Phase 3 Development Program of Pacritinib**

Pacritinib is currently being evaluated in two Phase 3 clinical trials, known as the PERSIST program, for patients with myelofibrosis. The PERSIST clinical trials are intended to support a New Drug Application (NDA) to the U.S. Food and Drug Administration (FDA). In August 2014, pacritinib was granted Fast Track designation by the FDA for the treatment of intermediate and high risk myelofibrosis, including but not limited to patients with disease related thrombocytopenia, patients experiencing treatment emergent thrombocytopenia on other JAK2 therapy or patients who are intolerant of, or whose symptoms are sub-optimally managed on other JAK2 therapy. The FDA's Fast Track process is designed to facilitate the development and expedite the review of drugs to treat serious conditions and fill an unmet medical need.

**PERSIST-1** is a randomized (2:1), open-label, multinational Phase 3 clinical trial comparing the efficacy and safety of pacritinib with that of best available therapy (BAT), other than JAK inhibitors, in 327 patients with

primary and secondary myelofibrosis (PMF), post-polycythemia vera myelofibrosis (PPV-MF) or post-essential thrombocythemia myelofibrosis (PET-MF), without exclusion for low platelet counts. **PERSIST-2** is a randomized (2:1), open-label, multinational Phase 3 clinical trial evaluating pacritinib compared to BAT, including the approved JAK1/JAK2 inhibitor dosed according to product label for patients with myelofibrosis whose platelet counts are less than or equal to 100,000 per microliter. Patients will be randomized to receive 200 mg pacritinib twice daily (BID), 400 mg pacritinib once daily (QD) or BAT. The trial is designed to enroll up to 300 patients in North America, Europe, Australia, New Zealand and Russia. Additional details are available at [www.clinicaltrials.gov](http://www.clinicaltrials.gov) or [www.PERSISTprogram.com](http://www.PERSISTprogram.com).

CTI BioPharma and Baxter entered into a worldwide license agreement in November 2013 to develop and commercialize pacritinib pursuant to which CTI BioPharma and Baxter will jointly commercialize pacritinib in the U.S. while Baxter has exclusive commercialization rights for all indications outside the U.S.

### **About Pacritinib**

Pacritinib is an oral inhibitor with dual activity against JAK2 and FLT3. The JAK family of enzymes is a central component in signal transduction pathways, which are critical to normal blood cell growth and development, as well as inflammatory cytokine expression and immune responses. Mutations in these kinases have been shown to be directly related to the development of a variety of blood-related cancers, including myeloproliferative neoplasms, leukemia and lymphoma. The kinase profile of pacritinib suggests its potential therapeutic utility in conditions such as acute myeloid leukemia (AML), myelodysplastic syndrome (MDS), chronic myelomonocytic leukemia (CMML) and chronic lymphocytic leukemia (CLL) due to its potent inhibition of c-fms, IRAK1, JAK2 and FLT3.<sup>1</sup>

### **About Myelofibrosis and Myeloproliferative Neoplasms**

Myelofibrosis is one of three main types of myeloproliferative neoplasms (MPN), which are a closely related group of hematological blood cancers. The three main types of MPNs are myelofibrosis, polycythemia vera and essential thrombocytopenia.<sup>2</sup> Myelofibrosis is a serious and life-threatening chronic bone marrow disorder caused by the accumulation of malignant bone marrow cells that triggers an inflammatory response and scars the bone marrow. The replacement of bone marrow with scar tissue limits its ability to produce red blood cells, prompting the spleen and liver to take over this function. Symptoms that arise from this disease include enlargement of the spleen, anemia, extreme fatigue and pain.

The estimated prevalence of MPNs suggest there are approximately 300,000 people living with the disease in the U.S. of which myelofibrosis accounts for approximately 18,000 patients in the U.S.<sup>3</sup> In Europe, there is a wide variation of prevalence observed across data sources. Myelofibrosis has a median age of 64 at the time of diagnosis<sup>3</sup> and is a progressive disease with approximately 20 percent of patients eventually developing acute myeloid leukemia.<sup>4</sup> The median survival for high-risk patients is less than one and a half years; median survival for myelofibrosis patients overall is approximately six years.<sup>5</sup>

### **About CTI BioPharma Corp.**

CTI BioPharma Corp. (NASDAQ and MTA: CTIC) is a biopharmaceutical company focused on the acquisition, development and commercialization of novel targeted therapies covering a spectrum of blood-related cancers that offer a unique benefit to patients and healthcare providers. CTI BioPharma has a commercial presence in Europe and a late-stage development pipeline, including pacritinib, CTI BioPharma's lead product candidate, which is currently being studied in a Phase 3 program for the treatment of patients with myelofibrosis. CTI BioPharma is headquartered in Seattle, Washington, with offices in London and Milan under the name CTI Life Sciences Limited. For additional information and to sign up for email alerts and get RSS feeds, please visit [www.ctibiopharma.com](http://www.ctibiopharma.com).

## **About Baxter International Inc.**

Baxter International Inc., through its subsidiaries, develops, manufactures and markets products that save and sustain the lives of people with hemophilia, immune disorders, cancer, infectious diseases, kidney disease, trauma and other chronic and acute medical conditions. As a global, diversified healthcare company, Baxter applies a unique combination of expertise in medical devices, pharmaceuticals and biotechnology to create products that advance patient care worldwide.

Source: CTI BioPharma Corp. and Baxter International Inc.

## **Forward Looking Statements**

This press release includes forward-looking statements related to pacritinib and related clinical trials conducted pursuant to a collaboration between Baxter International Inc. and CTI BioPharma Corp., which are within the meaning of the Safe Harbor provisions of the Private Securities Litigation Reform Act of 1995. Such statements are subject to a number of risks and uncertainties, the outcome of which could materially and/or adversely affect actual future results and the trading price of the issuers' securities. Such statements include, but are not limited to, statements regarding expectations with respect to the potential therapeutic utility of pacritinib, the ability of the PERSIST-1 and PERSIST-2 trials to support a potential regulatory submission, the anticipated completion of enrollment, and the ability of pacritinib to meet unmet medical needs and future regulatory, development and commercialization plans. Investors are cautioned not to place undue reliance on these forward-looking statements, which speak only as of the date of this release. A number of results and uncertainties could cause actual results to differ materially from those in the forward-looking statements: satisfaction of regulatory and other requirements; clinical trial results; changes in laws and regulations; product quality, product efficacy, study protocol, data integrity or patient safety issues; product development risks; and other risks identified in each issuer's most recent filings on Form 10-K and other Securities and Exchange Commission filings. Neither Baxter nor CTI BioPharma undertakes to update its forward-looking statements.

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](http://www.mpnresearchfoundation.org).
3. Based on Mesa R, ASH 2012 poster.
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.

### **CTI BioPharma Contact:**

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

### **Baxter Investor Contact:**

Mary Kay Ladone  
224-948-3371

### **Baxter Media Contact:**

Kellie Hotz  
224-948-5353  
[media@baxter.com](mailto:media@baxter.com)



Fine Comunicato n.0696-42

Numero di Pagine: 9