

| | | |
|--|--|-----|
| Informazione Regolamentata n. 0696-70-2015 | Data/Ora Ricezione 12 Giugno 2015 09:31:26 | MTA |
|--|--|-----|

Societa' : CTI BIOPHARMA

Identificativo : 59660

Informazione
Regolamentata

Nome utilizzatore : CELLN01 - Villa

Tipologia : IRAG 10

Data/Ora Ricezione : 12 Giugno 2015 09:31:26

Data/Ora Inizio : 12 Giugno 2015 09:46:27

Diffusione presunta

Oggetto : CTI BioPharma Corp.: esiti positivi sulla
qualità della vita in pazienti affetti da
mielofibrosi da pacritinib

Testo del comunicato

Vedi allegato.

LO STUDIO CLINICO DI FASE 3 CONDOTTO SU PACRITINIB DIMOSTRA ESITI POSITIVI NEI RISULTATI RIPORTATI DAI PAZIENTI CHE MISURANO LA QUALITÀ DELLA VITA DEI MALATI DI MIELOFIBROSI

Con pacritinib è stato registrato un significativo miglioramento del Symptom Score, trasversale su tutti i sintomi misurati, rispetto alla miglior terapia disponibile

VIENNA, AUSTRIA, 12 giugno 2015—CTI BioPharma Corp. (CTI BioPharma) (NASDAQ e MTA: CTIC) e la divisione BioScience di Baxter International (NYSE:BAX) hanno reso pubblici oggi nuovi dati relativi ai risultati così come riportati dai pazienti (*patient-reported outcome* - PROs) per pacritinib,– un inibitore sperimentale, multichinasi, orale, specifico per la JAK2 e la FLT3 – raccolti con lo studio di Fase 3 PERSIST-1. I risultati, com'è già stato mostrato durante il Congresso Annuale dell'*American Society of Clinical Oncology* (ASCO), dimostrano una riduzione significativa del Total Symptom Score (TSS), ovvero una riduzione di almeno il 50% del TSS a 24 settimane di distanza dal valore iniziale, e di ciascun sintomo preso singolarmente, misurato a 24 settimane dal riferimento iniziale, nei pazienti trattati con pacritinib rispetto a quelli trattati con la miglior terapia disponibile (*best available therapy* - BAT), ad esclusione degli inibitori della JAK. Questi PROs, e altri risultati relativi alla qualità della vita, verranno presentati in occasione del 20° Congresso dell'Associazione Europea di Ematologia (*European Hematology Association* - EHA) da Adam Mead, M.D., del Guy's and St. Thomas' NHS Foundation Trust, presso il Guy's Hospital di Londra (Regno Unito), durante una presentazione orale che si terrà domenica 14 giugno alle 12:15 CEST (Abstract n. LB2072). Questi stessi dati sono stati selezionati e inclusi tra i temi che sono stati presentati durante la conferenza stampa ufficiale dell'EHA, tenutasi oggi alle 8:30 CEST. Come è già stato reso noto, lo studio PERSIST-1 ha raggiunto il proprio obiettivo primario, ovvero una riduzione del volume della milza pari o superiore al 35% rispetto al valore di partenza, misurato tramite RM o TC dopo 24 settimane dal riferimento iniziale.

La mielofibrosi è una rara forma di tumore del sangue che determina un notevole peggioramento della qualità della vita, nonché un breve periodo di sopravvivenza. Con il progredire della malattia, il corpo rallenta la produzione di importanti cellule del sangue e ad un anno dalla diagnosi l'incidenza di sintomi quali la trombocitopenia provocata dalla patologia (conta piastrinica molto bassa), l'anemia grave e la necessità di trasfusioni di sangue, aumenta significativamente. Oltre ad altre complicanze, coloro che soffrono di mielofibrosi presentano un ingrossamento della milza (splenomegalia) e molti altri sintomi potenzialmente devastanti come: disturbi addominali, dolore osseo, immediata sensazione di sazietà, prurito insopportabile, sudorazione notturna e estrema spossatezza.

“I risultati riportati dai pazienti sono un parametro molto importante per comprendere il beneficio potenziale che una terapia può apportare alla loro vita, soprattutto nel caso di patologie, come la mielofibrosi, in cui i sintomi hanno un impatto tanto devastante sulla qualità della vita di tutti i giorni dei pazienti,” ha dichiarato James Bianco, Presidente e CEO di CTI BioPharma “Questi nuovi risultati prodotti da PERSIST-1 supportano ulteriormente la nostra convinzione che pacritinib non solo sia efficace ma che anche incida positivamente sulla vita dei pazienti, alleviando i sintomi che accompagnano la mielofibrosi”.

“Lo studio PERSIST-1 continua a produrre risultati positivi e importanti per la comunità di ematologi,” ha detto David Meek, Responsabile della Divisione di Oncologia di Baxter BioScience. “Siamo ansiosi di portare avanti il programma di sviluppo di pacritinib poiché vogliamo che tutto il potenziale di questo composto sperimentale diventi realtà, per aiutare quei pazienti affetti da gravi forme di tumore del sangue, come la mielofibrosi.”

Caratteristiche ed esiti dello studio presentati all'EHA

PERSIST-1 è uno studio di Fase 3, randomizzato (2:1), in aperto, condotto al fine della registrazione, che mette a confronto l'efficacia e la sicurezza di pacritinib rispetto alla migliore terapia disponibile (BAT) - compresi una gamma di trattamenti ad oggi utilizzati off-label -, su 327 pazienti affetti da mielofibrosi, a prescindere dalla conta piastrinica. Com'è già stato reso noto in occasione dell'ASCO, lo studio ha raggiunto il proprio obiettivo primario, ovvero una riduzione del volume della milza (pari o superiore al 35% rispetto al valore di partenza, misurato alla ventiquattresima settimana tramite RM o TC), nella popolazione randomizzata, che includeva pazienti affetti da trombocitopenia grave o potenzialmente letale. Lo studio ha inoltre misurato gli effetti così come vengono riportati dai pazienti, in termini di porzione di pazienti che hanno sperimentato una riduzione di almeno il 50% del TSS dal riferimento iniziale alla settimana 24, parametro che sta diventando importante per l'approvazione di nuove terapie, e uno degli obiettivi secondari. Com'è già stato reso noto, i pazienti che hanno assunto pacritinib hanno ottenuto un risultato superiore nei sintomi provocati dalla malattia: nella popolazione randomizzata (*Intent-To-Treat* – ITT) il 24,5% dei pazienti che hanno assunto pacritinib ha conseguito una riduzione del TSS di almeno il 50%, rispetto al 6,5% del gruppo che è stato trattato con la BAT ($p < 0,0001$); nella popolazione analizzabile, il 40,9% dei pazienti che ha assunto pacritinib ha conseguito una riduzione del TSS di almeno il 50% rispetto al 9,9% del gruppo che è stato trattato con la BAT ($p < 0,0001$).

I nuovi dati presentati all'EHA, che comprendono i risultati prodotti da diversi strumenti di misurazione dei PROs, hanno dimostrato:

Myeloproliferative Neoplasm Symptom Assessment (MPN-SAF TSS e MPN-SAF TSS 2.0)

Utilizzando il MPN-SAF TSS e il MPN-SAF TSS 2.0 ciascuno dei sei sintomi legati alla malattia, di cui si compone il TSS ha dimostrato un miglioramento: i disturbi addominali nel 46% dei pazienti rispetto a nessuno con la BAT; i dolori articolari nel 32% dei pazienti rispetto all'8% con la BAT; il senso immediato di sazietà nel 45% dei pazienti rispetto all'1% con la BAT; il prurito nel 48,5% dei pazienti rispetto al 10% con la BAT; la sudorazione notturna nel 69,5% dei pazienti rispetto a nessun caso con la BAT; e la spossatezza nel 27,5% dei pazienti rispetto ad un peggioramento nel 4% con la BAT. Il MPN-SAF TSS e il MPN-SAF TSS 2.0 consistono in uno specifico insieme di domande al quale il paziente risponde ogni giorno (tramite un registro elettronico), basate su di un questionario originariamente sviluppato da Ruben A. Mesa, MD, Vice Direttore del Mayo Clinic Cancer Center in Scottsdale, Arizona (USA).

Patient Global Impression of Change (PGIC)

Utilizzando il PGI, che quantifica l'opinione del paziente sul proprio stato di salute tramite una scala da 1 a 7 in cui il valore più basso corrisponde a "peggiorato moltissimo" e il valore più alto corrisponde a "migliorato moltissimo", circa l'80% della popolazione valutabile trattata con pacritinib ha definito il proprio stato di salute "migliorato", rispetto a circa il 20% della popolazione trattata con la BAT.

Quality-of-Life 30 Questionnaire redatto dalla European Organization for Research and Treatment of Cancer (EORTC QLQ-C30)

Sono stati registrati miglioramenti superiori nei pazienti valutabili rispetto alla BAT anche secondo tutti gli elementi contemplati dal EORTC QLQ-C30, uno strumento di misurazione della qualità della vita in pazienti affetti da cancro anch'esso convalidato.

Gli effetti collaterali più frequenti, verificatisi con qualsiasi livello di gravità, nell'arco delle 24 settimane, nei pazienti a cui è stato somministrato pacritinib, sono stati: moderata o lieve diarrea (53,2% vs 12,3% BAT), nausea (26,8% vs 6,6% BAT), anemia (22,3% vs 19,8% BAT), trombocitopenia (16,8% vs 13,2% BAT), e vomito (15,9% vs 5,7% BAT). Dei malati trattati con pacritinib, 3 hanno interrotto la terapia e 13 hanno sospeso temporaneamente la somministrazione (mediamente per una settimana) a causa della diarrea. Per tutta la durata del trattamento ai pazienti è stata somministrata una dose giornaliera intera di pacritinib. I disturbi gastrointestinali duravano circa una settimana, e pochi pazienti hanno interrotto il trattamento a causa degli effetti collaterali. Non è stato registrato nessun caso di effetti collaterali del tratto gastrointestinale di livello 4.

Informazioni su pacritinib

Pacritinib è un inibitore sperimentale, orale multi-chinasi, specifico per la JAK2 e la FLT3. Gli enzimi della famiglia JAK sono una componente centrale nelle vie metaboliche attraverso le quali avviene la trasduzione 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.

Informazioni sulla mielofibrosi

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. La mielofibrosi è una delle tre tipologie di neoplasie mieloproliferative (NMP), che sono un ristretto gruppo di tumori del sangue¹. 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 mielofibrosi². 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 diagnosticata², e circa il 20% dei pazienti finisce con lo sviluppare la leucemia acuta mieloide.³ 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.⁴

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. **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), condotto su 327 malati di mielofibrosi primaria o secondaria (PMF), mielofibrosi conseguente a una policitemia vera (PPV-MF) o conseguente a 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. Il disegno dello studio prevede l'arruolamento di 300 pazienti in America Settentrionale, Europa, Australia, Nuova Zelanda e Russia.

Ulteriori dettagli sono disponibili sul sito www.clinicaltrials.gov o www.PERSISTprogram.com.

A novembre 2013, CTI BioPharma e Baxter BioScience, che diverrà Baxalta Incorporated a metà 2015, 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), ed 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.

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.

Dichiarazioni previsionali

Questo comunicato stampa contiene dichiarazioni previsionali, ai sensi di quanto disposto dal Safe Harbor del Private Securities Litigation Reform Act del 1995, in merito a pacritinib e ai relativi studi clinici, condotti sulla base della collaborazione che intercorre tra Baxter International Inc. e CTI BioPharma Corp., nonché relativamente alla separazione pianificata delle divisioni biofarmaceutiche e di prodotti medicali di Baxter. 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 BioPharma. Tali dichiarazioni includono, tra le altre, quelle concernenti le aspettative di CTI BioPharma in riferimento alla possibile utilità terapeutica di pacritinib, alla capacità degli studi PERSIST-1 e PERSIST-2 di supportare un'eventuale richiesta di approvazione; in merito al previsto completamento dell'arruolamento, alla capacità di pacritinib di colmare un vuoto terapeutico, e a futuri piani regolamentari, di sviluppo e di commercializzazione. Gli investitori sono invitati a non fare indebitamente affidamento su queste dichiarazioni previsionali, che valgono solo fino alla data di questo comunicato, e che sono basate su ipotesi riguardanti molti fattori importanti e sulle informazioni di cui oggi disponiamo, nella misura in cui abbiamo avuto la possibilità di valutarle a pieno e attentamente fino ad oggi, alla luce dei fatti ad esse 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 di altri; gli esiti dei risultati clinici; modifiche nelle leggi e nei regolamenti; problematiche in merito alla qualità del prodotto, alla sua efficacia, al protocollo dello studio, all'integrità dei dati, o alla sicurezza dei pazienti; rischi nello sviluppo del prodotto, 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, e nei Form 10 depositati da Baxalta Incorporated. Né Baxter né CTI BioPharma intendono aggiornare le proprie dichiarazioni previsionali.

1. MPN Research Foundation website, www.mpnresearchfoundation.org.
2. Based on Mesa R, ASH 2012 poster.
3. Cervantes F, et al., 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.

Fonte: CTI BioPharma Corp. e Baxter International Inc.

Contatti:

CTI BioPharma:

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

Baxter Investor:

Mary Kay Ladone
224-948-3371

Baxter Media:

Kellie Hotz
224-948-5353
media@baxter.com

Fine Comunicato n.0696-70

Numero di Pagine: 6