

Informazione Regolamentata n. 0696-72-2015	Data/Ora Ricezione 15 Giugno 2015 07:41:26	MTA
--	--	-----

Societa' : CTI BIOPHARMA

Identificativo : 59716

Informazione
Regolamentata

Nome utilizzatore : CELLN01 - Villa

Tipologia : IRAG 10

Data/Ora Ricezione : 15 Giugno 2015 07:41:26

Data/Ora Inizio : 15 Giugno 2015 07:56:27

Diffusione presunta

Oggetto : CTI BIOPHARMA:TOSEDOSTAT HA
RAGGIUNTO LOBIETTIVO PRIMARIO IN
UNO STUDIO DI FASE 2 IN PAZIENTI
AFFETTI DA LAM

Testo del comunicato

Vedi allegato.



TOSEDOSTAT, IN COMBINAZIONE CON CITARABINA A BASSO DOSAGGIO, HA RAGGIUNTO L'OBIETTIVO PRIMARIO IN UNO STUDIO DI FASE 2 IN PAZIENTI ANZIANI AFFETTI DA LAM

Il 45% dei pazienti ha ottenuto una remissione completa, quasi il doppio del miglior risultato atteso; nel 55% dei pazienti che hanno risposto alla terapia la remissione dalla malattia è durata 319 giorni

I dati sono stati presentati durante il 20° Congresso dell'Associazione Europea di Ematologia (Vienna, 11-14 giugno 2015)

VIENNA, Austria, 15 giugno 2015—CTI BioPharma Corp. (CTI BioPharma) (NASDAQ e MTA: CTIC) ha reso noto oggi i risultati di uno studio sponsorizzato di Fase 2 condotto su pazienti affetti o da Leucemia Acuta Mieloide (LAM) primaria (*de novo*) o derivante da una Sindrome Mielodisplastica (SMD). I risultati hanno dimostrato che la combinazione di tosedostat con basse dosi di citarabina/Ara-C (LDAC) ha prodotto un tasso di risposta totale (ORR) del 54% in pazienti anziani affetti da LAM, ed un tasso di risposta completa (CR) del 45%. Questi risultati finali sono stati presentati dal Dr. Giuseppe Visani, Direttore del centro di Ematologia e Trapianti di Cellule Staminali presso il AORMN di Pesaro (Italia) durante una sessione di poster (*abstract* n.P564) in occasione del 20° Congresso dell'Associazione Europea di Ematologia (EHA) in corso a Vienna (Austria) dall'11 al 14 giugno 2015.

La LAM è la forma di leucemia acuta più diffusa che colpisce gli adulti e l'incidenza aumenta con l'età. La LAM può anche essere il risultato dell'evoluzione di altre malattie come la SMD, un tumore del sangue che colpisce il midollo spinale, riducendo il numero di cellule rosse del sangue in circolazione. Tosedostat è un potenziale, specifico inibitore di prima categoria dell'amino peptidasi, di cui le cellule tumorali hanno bisogno per crescere e sopravvivere.

“In questo studio che coinvolge tosedostat, sia il tipo che la durata di risposta sono molto incoraggianti, soprattutto se si considerano le poche possibilità di cura e gli scarsi risultati che storicamente sono stati osservati nei pazienti anziani affetti da leucemia acuta mieloide, sia primaria che secondaria, derivante da una sindrome mielodisplastica,” ha dichiarato il Dr. Visani. “Degno di nota anche il fatto che attraverso questo studio abbiamo identificato biomarcatori potenziali che potrebbero essere utili per l'identificazione dei pazienti ad alto rischio, nei quali avremmo più probabilità di conseguire questi importanti risultati, molto convincenti e che richiedono ulteriori studi.”

Risultati presentati all'EHA

I risultati finali presentati all'EHA dimostrano che i pazienti che hanno risposto alla cura, sulla base dei tassi di risposta raccolti, hanno ottenuto un importante miglioramento in termini di sopravvivenza complessiva rispetto a coloro che non hanno risposto alla terapia ($p=0.018$). Nella popolazione randomizzata (Intent-To-Treat = ITT), l'ORR è stato del 54%, con un CR nel 45% dei pazienti ($n=15/33$). Nei pazienti che hanno risposto alla terapia, il miglior risultato è stato raggiunto in media in 74 giorni (intervallo: 22-145 giorni) ed il 55% dei pazienti ($n=10/18$) erano ancora in remissione dopo 319 giorni. L'analisi sulla sicurezza mostrano che tosedostat in combinazione con LDAC nel complesso è stato ben tollerato. Gli effetti collaterali principali sono stati: polmonite (12%), problemi cardiaci (6%), emorragia cerebrale (3%), e astenia (3%).

Uno degli obiettivi secondari era quello di identificare possibili biomarcatori associati con la sensibilità e/o la resistenza ai farmaci. E' stata condotta un'analisi dell'espressione genica (*gene expression profile* – GEP) su cellule purificate affette da LAM di 29 pazienti. L'analisi di queste cellule ha portato all'identificazione di una firma molecolare associata con la risposta clinica (CR vs. no CR). Sulla base dei geni differenzialmente espressi (n=212), i campioni sono stati divisi a seconda del CR o no CR. I risultati hanno dimostrato che questi geni differenzialmente espressi erano associati a funzioni biologiche e vie metaboliche rilevanti, tra cui la B-catenina (beta-catenina), TNFA-NFkB, ERB2, la reazione infiammatoria, e la transizione epiteliale-mesenchimale, e hanno dimostrato che la possibilità di ottenere un CR potrebbe essere predetta in maniera efficace attraverso la GEP.

“I risultati raccolti per tosedostat nella leucemia mieloide acuta si aggiungo ad un numero crescente di dati che dimostrano le proprietà antitumorali di questo inibitore dell'aminopeptidasi e la possibilità di utilizzarlo per trattare i tumori del sangue,” ha dichiarato Alan K. Burnett, M.D., Global Lead for Myeloid Diseases di CTI BioPharma. “Sulla base dei dati clinici osservati fino ad oggi, stiamo portando avanti lo sviluppo di tosedostat, compresa la possibilità di avviare uno studio di Fase 3 a fini autorizzativi per la leucemia acuta mieloide primaria o la leucemia acuta mieloide derivante da sindrome mielodisplastica”

Informazioni sul disegno dello studio

Lo studio clinico multicentrico di Fase 2 venne disegnato per valutare tosedostat (somministrato per via orale, una volta al giorno) in combinazione con LDAC somministrata in modo intermittente (due volte al giorno) in 33 pazienti anziani (età media = 75 anni), affetti da LAM primaria o secondaria post-MDS. I cicli di LDAC furono ripetuti ogni 4 settimane, fino a 8 cicli nel caso in cui la malattia non progredisse o producesse un livello di tossicità inaccettabile. L'obiettivo primario era di superare i livelli istituzionali massimi attesi per il CR ($P_0=10\%$, $P_1=25\%$, $\alpha=0.05$, $1-\beta=80\%$); gli obiettivi secondari comprendevano la sicurezza e la tossicità, la stabilizzazione della malattia, la sopravvivenza in generale, e la sopravvivenza senza la progressione della malattia, nonché l'identificazione di un possibile biomcatore associato alla sensibilità e/o alla resistenza alla malattia attraverso l'analisi dell'espressione genica (GEP, Affymetrix Transcriptome Array 2.0).

Il poster per l' Abstract n.P564 – “*Tosedostat plus low dose cytarabine induces a high rate of responses that can be predicted by genetic profiling in AML: Final results of a Phase II multicenter study*” – è disponibile sul sito www.ctibiopharma.com.

Informazioni su Tosedostat

Tosedostat è un inibitore orale dell'aminopeptidasi che, nel corso di sperimentazioni cliniche di fase 1-2, ha mostrato significative risposte antitumorali nei tumori del sangue e nei tumori solidi. Attualmente è oggetto di diversi studi clinici di Fase 2 per il trattamento di malati di LAM o SMD ad alto rischio, destinati ad essere utilizzati per comporre il disegno di uno studio di Fase 3 a fini autorizzativi che supporti un'eventuale richiesta di approvazione. Tosedostat non è approvato o disponibile per la vendita.

Informazioni sulla leucemia mieloide acuta

La LMA è un cancro caratterizzato dalla rapida crescita di globuli bianchi anormali che si accumulano nel midollo osseo e interferiscono con la produzione delle normali cellule del sangue. La LMA è la forma più comune di leucemia acuta che colpisce gli adulti, e la sua incidenza aumenta con l'età¹. I sintomi della LMA sono causati dal fatto che al normale midollo osseo si sostituiscono cellule leucemiche, le quali provocano un calo di globuli rossi, piastrine e globuli bianchi normali causando infezioni ed emorragie. La LMA progredisce rapidamente e solitamente, se non trattata, è letale nel giro di settimane o mesi. Si stima che nel 2015, negli Stati Uniti, saranno diagnosticati circa 20.830 nuovi casi di LAM e che i decessi saranno 10.460². Anche se la LAM può sopravvenire ad ogni età, è più probabile che si sviluppi in un adulto con più di 60 anni che in un giovane. Sebbene buona parte degli individui più giovani che sviluppano la leucemia mieloide acuta può essere curata, la LMA negli anziani è generalmente insensibile alla terapia standard, ed i casi di remissione completa sono pochi.

La LAM può svilupparsi dall'evolvere di altre malattie, come la SMD. La SMD raggruppa un insieme di diverse patologie del midollo osseo a seguito delle quali questo non è più in grado di produrre un numero sufficiente di cellule del sangue sane. Spesso ci si riferisce alla SMD come a "le patologie del midollo osseo".

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.

Dichiarazioni previsionali

Questo comunicato stampa contiene dichiarazioni previsionali, ai sensi di quanto disposto dal Safe Harbor del 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 BioPharma. Tali dichiarazioni comprendono, tra le altre, quelle riguardanti le aspettative di CTI BioPharma rispetto allo sviluppo di CTI BioPharma e dei suoi prodotti, candidati e non, rispetto alla possibilità che tosedostat colmi un vuoto terapeutico attuale nel trattamento dei malati di LAM, alla possibilità di avviare uno studio di Fase 3, destinato alla registrazione, su tosedostat e successivamente depositare la richiesta presso le autorità regolamentari; rispetto alla capacità di CTI BioPharma di realizzare il piano industriale e finanziario, i traguardi, gli obiettivi e le previsioni elencati per il 2015; in merito alle proiezioni sul fatturato e sulla perdita non-GAAP di CTI BioPharma e alle aspettative e alle assunzioni sottostanti. In particolare, questo comunicato stampa rimanda ai dati di massima dello studio sopracitato, 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, nella misura in cui fino ad oggi abbiamo avuto la possibilità di valutarle a pieno e attentamente, alla luce dei fatti ad esse correlati, delle circostanze, delle raccomandazioni e delle analisi. I rischi che contribuiscono alla natura incerta delle dichiarazioni previsionali includono, tra gli altri, i rischi tipicamente associati all'industria biofarmaceutica in generale, e nello specifico a CTI BioPharma e al suo portafoglio di prodotti, candidati e non, includendo, tra gli altri, i rischi connessi a quanto segue: che CTI BioPharma non riesca a predire o garantire la velocità o la distribuzione geografica degli arruolamenti dei suoi studi clinici, che CTI BioPharma non possa prevedere o garantire l'avviamento o l'esito degli studi clinici e preclinici, che i risultati finali osservati fino ad oggi possano

essere differenti da quelli futuri o che tali risultati clinici possano portare a conclusioni o considerazioni differenti una volta che saranno sottoposti ad un'analisi completa; che CTI BioPharma non ottenga risoluzioni favorevoli da parte di altre autorità governative, in materia di regolamentazioni, brevetti e procedure amministrative; i rischi legati ai costi di sviluppo di tosedostat e di altri prodotti candidati di CTI BioPharma, e altri rischi inclusi, senza limitazione, quelli derivanti dallo scenario competitivo, dagli sviluppi tecnologici; il rischio che CTI BioPharma possa non essere in grado di sostenere l'attuale controllo dei costi o che non riesca a ridurre ulteriormente le spese operative, che CTI BioPharma non riesca a raggiungere i traguardi, le milestone previste da contratto e gli obiettivi annunciati nei modi o nei tempi pianificati; il rischio che il burn rate operativo netto medio di CTI BioPharma possa crescere, che CTI BioPharma possa continuare ad avere bisogno di raccogliere capitali per sostenere le proprie spese operative, ma non sia in grado di raccoglierne a sufficienza per finanziare l'attività caratteristica, così come altri rischi elencati o descritti di volta in volta nei più recenti depositi di CTI BioPharma presso la Securities and Exchange Commission su Form 10-K, 10-Q e 8-K. Fatta eccezione per quanto previsto dalla legge, CTI BioPharma non intende aggiornare quanto riportato nel presente comunicato stampa a seguito di ulteriori sviluppi.

Note:

¹ The Leukemia and Lymphoma Society, Acute Myeloid Leukemia, Rev. 2011. <http://tinyurl.com/d72ycja>. Accessed June 2015

¹ American Cancer Society, Cancer Facts & Figures 2015. Available at <http://www.cancer.org/research/cancerfactsstatistics/cancerfactsfigures2015/>. Accessed June 2015

Fonte: CTI BioPharma Corp.

Contatti:

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

Ed Bell
+1 206-282-7100
ebell@ctibiopharma.com

In Europa:

CTI Life Sciences Limited, Milan Branch
Laura Villa
+39 02 94751572
lvilla@cti-lifesciences.com

Fine Comunicato n.0696-72

Numero di Pagine: 6