

Bit Market Services

Informazione Regolamentata n. 0696-97-2015	Data/Ora Ricezione 23 Settembre 2015 14:45:08	MTA
--	---	-----

Societa' : CTI BIOPHARMA

Identificativo : 63377

Informazione
Regolamentata

Nome utilizzatore : CELLN02 - Villa

Tipologia : IROS 15

Data/Ora Ricezione : 23 Settembre 2015 14:45:08

Data/Ora Inizio : 23 Settembre 2015 15:00:09

Diffusione presunta

Oggetto : CTI BIOPHARMA ANNUNCIA
L'INTENZIONE DI SOTTOPORRE UNA
NDA PER IL PACRITINIB NEL QUARTO
TRIMESTRE BASATA PRINCIPALMENTE
SUI DATI DERIVANTI DAGLI STUDI

Testo del comunicato

Vedi allegato.



CTI BIOPHARMA ANNUNCIA L'INTENZIONE DI SOTTOPORRE UNA NDA PER IL PACRITINIB NEL QUARTO TRIMESTRE BASATA PRINCIPALMENTE SUI DATI DERIVANTI DAGLI STUDI CLINICI PILOTA PERSIST-1

- *La decisione fa seguito alla riunione con la FDA precedente l'NDA per richiedere l'Approvazione Accelerata per i Pazienti affetti da mielofibrosi e abbassamento delle piastrine–*
- *Verrà richiesta l'approvazione accelerata basata su uno studio clinico, riducendo potenzialmente la tempistica di accesso al mercato -*

SEATTLE, Wash., 23 settembre 2015—CTI BioPharma Corp. (CTI BioPharma) (NASDAQ e MTA: CTIC) in data odierna ha annunciato pubblicamente la sua intenzione di sottoporre una domanda di registrazione di una nuova sostanza (*New Drug Application-NDA*) alla *Food and Drug Administration* (FDA) a seguito del produttivo incontro precedente l'NDA per pacritinib, un inibitore sperimentale, multichinasi, orale, specifico per la JAK2, la FLT3, la IRAK1 e la CSF1R. La società prevede di presentare la NDA nell'ultimo trimestre del 2015 e di richiedere l'approvazione accelerata per la cura, negli Stati Uniti, di pazienti a rischio alto o intermedio di mielofibrosi con un abbassamento delle piastrine inferiore a 50.000 per microlitro (<50,000/ μ L).

L'NDA si baserà principalmente sui risultati prodotti dallo studio di PERSIST-1 fase 3 – oltre che sui dati prodotti dallo studio di fase 1 e 2 sul pacritinib – e su ulteriori informazioni richieste dalla FDA, ivi inclusi il rapporto finale di uno studio indipendente e i dati relativi alla specifica popolazione di pazienti con un abbassamento delle piastrine inferiore a 50.000 per microlitro (<50,000/ μ L) per i quali non siano stati approvati medicinali. La presentazione di una NDA a seguito di un solo test clinico di fase 3 secondo l'approvazione accelerata, anziché attendere il completamento degli studi clinici di fase 3, potrebbe potenzialmente ridurre la tempistica di accesso al mercato sino a 14 mesi.

La mielofibrosi è un tipo di cancro cronico del sangue, raro e molto grave, che può riscontrarsi in soggetti di tutte le età con un'età media di 65 anni, con una prevalenza stimata negli Stati Uniti di circa 18.000 persone.

“Questo miglioramento delle tempistiche relative alla previsione di sottoporre un NDA- supportata dai dati risultanti dal completamento della sperimentazione PERSIST-1 – ci offre la possibilità di rendere disponibile il pacritinib ai pazienti affetti da un abbassamento delle piastrine con anticipo rispetto a quanto previsto” ha dichiarato James A. Bianco, M.D., Presidente e CEO di CTI BioPharma. “Siamo impazienti di lavorare con la FDA alla sottoposizione e revisione di questa domanda.”

AGGIORNAMENTI CIRCA PERSIST

Il pacritinib è attualmente oggetto di analisi in due sperimentazioni cliniche di fase 3, conosciute come il programma PERSIST per pazienti affetti da mielofibrosi. PERSIST-1 è uno studio clinico di fase 3 randomizzato, “in aperto” e multicentrico che mette a confronto l'efficacia e la sicurezza del pacritinib rispetto alla migliore terapia disponibile (ad eccezione dell'inibitore JAK) su 327 pazienti affetti da mielofibrosi (mielofibrosi primaria, mielofibrosi post policitemia vera o post trombocitemia essenziale), senza tenere conto del livello delle piastrine dei pazienti. PERSIST-2 è uno studio di fase 3 randomizzato, “in aperto” e multicentrico che valuta il pacritinib

rispetto alla migliore terapia disponibile (BAT), ivi incluso l'inibitore approvato JAK1/JAK2, dosato secondo quanto indicato sull'etichetta per i pazienti affetti da mielofibrosi, le cui piastrine sono pari o inferiori a 100.000 per microlitro.

Nell'ottobre 2013, CTI BioPharma ha raggiunto un accordo con la FDA in merito ad un protocollo di valutazione speciale (SPA) per lo studio PERSIST-2. Lo SPA è un accordo scritto tra CTI BioPharma e la FDA concernente la progettazione, il risultato finale, il metodo pianificato di analisi statistica dello studio clinico, da utilizzarsi a supporto di una eventuale sottoposizione di NDA. La programmazione di PERSIST-1 e PERSIST-2 permette ai pazienti sottoposti a BAT di fare un *crossover* ed essere trattati con il pacritinib se la malattia progredisce ovvero dopo che gli stessi abbiano superato le 24 settimane di rilevazioni. Sebbene il *crossover* degli studi clinici possa generare confusione nella valutazione del tasso di sopravvivenza, controlli di questo tipo sono utilizzati di frequente negli studi clinici sul cancro, e la FDA ha approvato diversi farmaci anticancro che abbiano fatto ricorso al *crossover* delle procedure di fase 3. Il Comitato Indipendente per il Monitoraggio dei Dati (IDMC) del programma PERSIST aveva raccomandato che i pazienti trattati con la migliore terapia disponibile non fossero soggetti a *crossover* per ricevere il pacritinib, in ragione di preoccupazioni, non statisticamente significative, relative alla sicurezza su pazienti sottoposti a *crossover* dopo 24 settimane, poiché il *crossover* genera confusione nella valutazione del tasso di sopravvivenza. Dopo aver ricevuto *input* da esperti indipendenti ed aver fornito alla FDA i dati di PERSIST-1, le raccomandazioni e la corrispondenza con le IDMC, CTI BioPharma e Baxalta hanno comunicato alla FDA la decisione di procedere con un protocollo. A seguito di un responso scritto al posto di una riunione "Type C" con la FDA, CTI BioPharma e Baxalta hanno stabilito che non fossero necessarie modifiche agli studi clinici in corso. Le iscrizioni al programma PERSIST-2, che è strutturato per comprendere fino a 300 pazienti in Nord America, Europa, Australia, Nuova Zelanda e Russia, sono ancora aperte. In base alle attuali tempistiche, si prevede che le iscrizioni al programma PERSIST-2 siano completate nel corso del primo trimestre del 2016. Ulteriori dettagli sul programma PERSIST-2 sono disponibili sul sito www.clinicaltrials.gov or www.PERSISTprogram.com.

Informazioni su pacritinib

Pacritinib è un inibitore orale multi-chinasi, attivo contro la JAK2, la FLT3, la IRAK1 e la CSF1R. Nell'agosto del 2014, pacritinib è stato designato quale "Fast Track" da parte della FDA per la cura della mielofibrosi di rischio intermedio o alto, tra i quali, senza limitazioni, i pazienti affetti da trombocitopenia connessa alla malattia, i pazienti sottoposti a trattamento emergente per la trombocitopenia curati con altre terapie inibitorie JAK2, o pazienti intolleranti, o coloro i cui sintomi sono gestiti in maniera subottimale con un'altra terapia inibitrice JAK2. Il processo Fast Track della FDA è istituito per facilitare lo sviluppo e velocizzare la registrazione dei farmaci per la cura di malattie gravi e soddisfare bisogni terapeutici. Pacritinib non ha l'approvazione regolamentare e non è disponibile in commercio.

CTI BioPharma e Baxalta (NYSE: BXL) sono parti di un accordo mondiale di licenza per lo sviluppo e la commercializzazione del pacritinib. CTI BioPharma e Baxalta commercializzeranno congiuntamente pacritinib negli Stati Uniti, mentre Baxalta avrà l'esclusiva sui diritti di commercializzazione al di fuori degli Stati Uniti.

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. CTI BioPharma 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, 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.

Dichiarazioni previsionali

Questo comunicato stampa contiene dichiarazioni previsionali in merito al pacritinib e alle relative sperimentazioni cliniche condotte sulla base di una collaborazione tra CTI BioPharma Corp. e Baxalta Inc., secondo quanto disposto dal Safe Harbor Provisions del Private Securities Litigation Reform Act del 1995. Tali dichiarazioni sono soggette a rischi e incertezze, che, laddove si verificassero, potrebbero 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 relative alla potenziale utilità terapeutica del pacritinib e la prevalenza del mielofibrosi negli Stati Uniti, le previsioni e le intenzioni in relazione alla presentazione di una NDA richiedendo l'approvazione accelerata nell'ultimo trimestre del 2015 ovvero qualsiasi altro deposito regolamentare in Europa e in altri Paesi al di fuori degli Stati Uniti, la capacità delle sperimentazioni di fase 1, 2 e PERSIST-1 e dell'informativa integrativa richiesta dalla FDA di supportare la possibile presentazione della domanda regolamentare in via accelerata o in altro modo, la capacità di CTI BioPharma di fornire alla FDA ulteriori dati ed informazioni richieste, potenzialmente in grado di rendere disponibile pacritinib ai pazienti affetti da trombocitopenia acuta con anticipo rispetto a quanto previsto e di ridurre l'arrivo sul mercato di pacritinib di 14 mesi, la capacità di completare l'iscrizione per il PERSIST-2 entro il primo trimestre del 2016 e la capacità del pacritinib di soddisfare i bisogni medici non soddisfatti nonché i futuri piani regolamentari, di sviluppo e commercializzazione.

Si avvertono gli investitori di non riporre un eccessivo affidamento su dichiarazioni previsionali, che rilevano solo fino alla data di questo comunicato stampa e si basano su presunzioni relative a molti fattori rilevanti ed informazioni ad oggi disponibili, nei limiti in cui ci è stato possibile valutare tali informazioni alla luce dei fatti connessi, delle circostanze, delle raccomandazioni e delle analisi. Una serie di risultati e incertezze potrebbero far sì che i risultati effettivi siano materialmente divergenti rispetto a quelli indicati nelle dichiarazioni previsionali: la richiesta da parte di CTI BioPharma di approvazione accelerata del pacritinib potrebbe non essere accolta dalla FDA; ulteriori studi clinici antecedenti l'approvazione o Risk Evaluation and Mitigation Strategy (REMS) o Post-Marketing Requirements (PMR) potrebbero essere richiesti successivamente all'approvazione; l'adempimento di requisiti regolamentari, nonché di altri requisiti; i risultati delle sperimentazioni cliniche; modifiche nelle disposizioni normative e regolamentari; qualità del prodotto, efficacia del prodotto, processo dei test e protocollo di studio, integrità dei dati, dimensioni della base di dati, questioni inerenti la sicurezza del paziente; il ridotto campione di popolazione rispetto alla specifica popolazione di pazienti; rischi relativi allo sviluppo del prodotto; e altri rischi identificati in ciascuno dei recenti depositi su Form 10-K e in altri depositi presso la *Securities and Exchanges Commission*. Ad eccezione di quanto richiesto dalla legge, CTI BioPharma Corp. intende aggiornare quanto riportato nel presente comunicato stampa a seguito di ulteriori sviluppi.

Fonte: CTI BioPharma Corp.

CTI BioPharma Contact:
Monique Greer

206-272-4343
mgreer@ctibiopharma.com

Fine Comunicato n.0696-97

Numero di Pagine: 5