

Bit Market Services

Informazione Regolamentata n. 0696-146-2015	Data/Ora Ricezione 23 Novembre 2015 07:17:27	MTA
---	--	-----

Societa' : CTI BIOPHARMA

Identificativo : 66123

Informazione
Regolamentata

Nome utilizzatore : CELLN02 - Bell

Tipologia : IROS 15

Data/Ora Ricezione : 23 Novembre 2015 07:17:27

Data/Ora Inizio : 23 Novembre 2015 07:45:06

Diffusione presunta

Oggetto : CTI BioPharma inizia negli USA la
procedura in più fasi di richiesta per
l'autorizzazione di un nuovo farmaco (NDA)
per pacritinib nel trattamento di

Testo del comunicato

Vedi allegato.



CTI BioPharma inizia negli USA la procedura in più fasi di richiesta per l'autorizzazione di un nuovo farmaco (NDA) per pacritinib nel trattamento di pazienti affetti da mielofibrosi

- Termine della presentazione della richiesta previsto per la fine del 2015 -

SEATTLE, Wash., 23 novembre 2015—CTI BioPharma Corp. (CTI BioPharma) (NASDAQ e MTA: CTIC) ha annunciato oggi l'inizio della sua procedura in più fasi di richiesta per l'autorizzazione di un nuovo farmaco (NDA) alla Food and Drug Administration (FDA) statunitense per pacritinib, un inibitore orale sperimentale della chinasi con specificità per JAK2, FLT3, IRAK1 e CSF1R. Nel quadro della richiesta, CTI BioPharma e il suo partner, Baxalta Incorporated. (Baxalta), stanno cercando di ottenere un'approvazione accelerata e una procedura di valutazione prioritaria per pacritinib nel trattamento di pazienti affetti da mielofibrosi a rischio intermedio e alto con conta piastrinica inferiore a 50.000 per microlitro ($<50.000/\mu\text{L}$). Se approvato per l'indicazione richiesta, pacritinib sarebbe il primo inibitore di JAK2 approvato per il trattamento dei pazienti affetti da mielofibrosi con conta piastrinica inferiore a $50.000/\mu\text{L}$, una popolazione specifica di pazienti per la quale non esistono attualmente farmaci approvati. La NDA in più fasi permette la presentazione e l'esame su base continuativa da parte dell'FDA delle parti già completate. CTI BioPharma e Baxalta prevedono di completare la presentazione entro la fine del 2015.

La mielofibrosi (un tipo di neoplasia mieloproliferativa) è una malattia cronica rara ma grave e potenzialmente letale del midollo osseo, causata dall'accumulo di cellule tumorali nel midollo osseo, che scatena una risposta infiammatoria e provoca cicatrici nello stesso. La mielofibrosi è associata a una qualità della vita significativamente ridotta e a una minore sopravvivenza, può colpire soggetti di tutte le età (con un'età mediana di 65 anni) e ha una prevalenza stimata negli Stati Uniti di circa 18.000 pazienti.

“Crediamo che l'inizio della procedura per l'NDA rappresenti un significativo passo avanti verso l'offerta potenziale di pacritinib come inibitore di nuova generazione di JAK2/FLT3 ai pazienti affetti da questo tipo di tumore ematologico raro e cronico”, ha affermato il dottor James A. Bianco, Presidente e CEO di CTI BioPharma. “Siamo estremamente felici di aver raggiunto questo fondamentale traguardo e siamo ansiosi di lavorare con l'FDA durante il processo di valutazione, con l'obiettivo di portare questo importante trattamento sul mercato, cosa che speriamo soddisferà un fabbisogno insoddisfatto di molti pazienti le cui vite sono profondamente influenzate dalla mielofibrosi.”

#

La richiesta include dati derivanti dallo studio di fase III PERSIST-1 e da studi di fase I e II su pacritinib. La richiesta di NDA dopo un singolo studio di fase III secondo la procedura di approvazione accelerata, invece di attendere il completamento di due studi di fase III, potrebbe ridurre il tempo alla commercializzazione anche di 14 mesi. Nell'agosto del 2014, pacritinib ha ricevuto la designazione “Fast Track” (procedura abbreviata) da parte della FDA per il trattamento di pazienti affetti da mielofibrosi a rischio intermedio e alto, inclusi, ma non solo, quelli affetti da trombocitopenia (bassa conta piastrinica) correlata alla malattia, quelli che manifestavano trombocitopenia associata al trattamento con un'altra terapia anti-JAK2 o i pazienti che erano intolleranti a un'altra terapia anti-JAK2 o i cui sintomi non erano da essa ben controllati (o erano gestiti in modo subottimale).

#

Informazioni sulla mielofibrosi e sulle neoplasie mieloproliferative

La mielofibrosi è uno dei tre tipi principali di neoplasie mieloproliferative (MPN), un gruppo strettamente correlato di tumori ematologici. I tre tipi principali di MPN sono la mielofibrosi, la policitemia vera e la trombocitemia essenziale.¹ La mielofibrosi è una malattia cronica rara ma grave e potenzialmente letale del midollo osseo causata dall'accumulo di cellule tumorali nel midollo osseo, che scatena una risposta infiammatoria

e provoca cicatrici nello stesso. La sostituzione del midollo osseo con tessuto fibroso limita la sua capacità di produrre globuli rossi, inducendo la milza e il fegato ad assumere questa funzione. I sintomi derivanti da questa malattia includono ingrossamento della milza, anemia, estremo affaticamento e dolore.

La prevalenza stimata delle MPN suggerisce che vi siano circa 300.000 persone che vivono con questa malattia negli Stati Uniti, circa 18.000 delle quali affette da mielofibrosi.² In Europa, vi è un'ampia variabilità della prevalenza a seconda delle diverse fonti di dati. I pazienti affetti da mielofibrosi hanno un'età mediana di 64 anni al momento della diagnosi² ed è un tipo malattia progressivo, con il 20% circa dei pazienti che sviluppano alla fine una leucemia mieloide acuta³. La sopravvivenza mediana dei pazienti ad alto rischio è inferiore a un anno e mezzo; la sopravvivenza mediana globale dei pazienti affetti da mielofibrosi è di circa sei anni.⁴

Informazioni su Pacritinib

Pacritinib è un inibitore orale sperimentale della chinasi con specificità per JAK2, FLT3, IRAK1 e CSF1R. Nell'agosto del 2014, pacritinib ha ricevuto la designazione "Fast Track" (procedura abbreviata) da parte dell'FDA per la cura dei pazienti con mielofibrosi a rischio medio o alto, tra i quali, ma non solo, quelli affetti da trombocitopenia connessa alla malattia, quelli affetti da trombocitopenia associata al trattamento con un'altra terapia con inibitori di JAK2 o quelli con intolleranza o con sintomi gestiti in maniera subottimale durante il trattamento con un'altra terapia con inibitori di JAK2. Il processo di Fast Track dell'FDA è disegnato per facilitare lo sviluppo e accelerare la revisione di farmaci destinati al trattamento di condizioni patologiche gravi e soddisfare un'esigenza medica che ancora non ha trovato soluzioni. Pacritinib non ha l'approvazione regolamentare e non è disponibile in commercio.

CTI BioPharma e Baxalta (NYSE:BXLT) sono parti di un accordo mondiale di licenza per lo sviluppo e la commercializzazione di 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 svariati tumori del sangue, in grado di offrire vantaggi unici ai pazienti e agli operatori sanitari. La Società vanta una presenza commerciale in Europa, per quanto riguarda PIXUVRI[®], 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 dei malati di mielofibrosi. CTI BioPharma ha sede a Seattle, Washington, e ha 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

Il presente comunicato stampa comprende dichiarazioni previsionali relative a pacritinib e a studi clinici correlati condotti in virtù di una collaborazione tra CTI BioPharma e Baxalta, che rientrano in quanto disposto nella regola nota come "Safe Harbor" della Private Securities Litigation Reform Act del 1995 (Legge per la riforma del contenzioso su titoli privati). Tali previsioni sono soggette a fattori di rischio ed incertezze il cui esito potrebbe influire in maniera rilevante e/o negativa sui futuri risultati effettivi e sul prezzo di mercato dei titoli di CTI BioPharma. Tali previsioni includono, tra le altre, previsioni sulle aspettative in termini di potenziale utilità terapeutica di pacritinib, sul termine atteso della presentazione della NDA per pacritinib prima della fine del 2015, sulla possibilità di ridurre il tempo per la commercializzazione di pacritinib anche di 14 mesi in caso di approvazione accelerata da parte della FDA, sulla prevalenza di MPN e mielofibrosi, sulla percentuale di pazienti affetti da mielofibrosi che sviluppano AML, sui tassi di mortalità associati alla mielofibrosi, sulla capacità da parte degli studi di fase I e II PERSIST-1 e di eventuali informazioni aggiuntive su pacritinib richieste dalla FDA di supportare una possibile domanda di autorizzazione accelerata e futuri piani normativi, di sviluppo e di commercializzazione. Gli investitori sono invitati a non affidarsi indebitamente a queste dichiarazioni previsionali, che sono valide solo al momento di questa pubblicazione 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. . Diversi risultati e incertezze potrebbero far sì che i risultati reali differiscano notevolmente da quelli delle dichiarazioni previsionali: la soddisfazione di requisiti normativi e di altro tipo, i risultati preclinici e clinici, le variazioni di leggi e regolamenti, la qualità del prodotto, l'efficacia del prodotto, il protocollo di studio, l'integrità dei dati o problemi di sicurezza dei pazienti, rischi relativi allo sviluppo del prodotto e altri rischi identificati nelle rispettive presentazioni più recenti sul modulo 10-K e altre pubblicazioni della Securities and Exchange Commission (SEC). CTI BioPharma non si assume alcun impegno ad aggiornare tali dichiarazioni previsionali.

1. MPN Research Foundation website, www.mpnresearchfoundation.org.
2. Basato sul poster di Mesa R, ASH 2012.
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.

PIXUVRI® è un marchio registrato di CTI BioPharma Corp.

Fonte: CTI BioPharma Corp.

Contatti :

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

Ed Bell
+1 206-282-4345
ebell@ctibiopharma.com

Fine Comunicato n.0696-146

Numero di Pagine: 5