

# Bit Market Services

Informazione Regolamentata n. 0696-161-2015	Data/Ora Ricezione 05 Dicembre 2015 15:15:43	MTA
---	--	-----

Societa' : CTI BIOPHARMA

Identificativo : 66678

Informazione  
Regolamentata

Nome utilizzatore : CELLN02 - Bell

Tipologia : IRAG 10

Data/Ora Ricezione : 05 Dicembre 2015 15:15:43

Data/Ora Inizio : 05 Dicembre 2015 15:45:06

Diffusione presunta

Oggetto : CTI BioPharma Corp.: L'ANALISI PER  
SOTTOGRUPPI DEGLI ESITI DI STUDI  
CARDINE DI FASE III MOSTRA CHE IL  
TRATTAMENTO CON PACRITINIB  
DETERMINA TASSI COSTA

*Testo del comunicato*

Vedi allegato.

**L'ANALISI PER SOTTOGRUPPI DEGLI ESITI DI STUDI CARDINE DI FASE III MOSTRA CHE IL TRATTAMENTO CON PACRITINIB DETERMINA TASSI COSTANTI DI RIDUZIONE DEL VOLUME SPLENICO E DEL CARICO DI SINTOMI**

*I risultati supportano l'efficacia di pacritinib nei sottogruppi analizzati di pazienti affetti da mielofibrosi a rischio intermedio e alto*

**ORLANDO, 5 dicembre 2015** – CTI Biopharma Corp. (CTI BioPharma) (NASDAQ e MTA:CTIC) e Baxalta Incorporated (Baxalta) (NYSE:BXL) hanno annunciato oggi i risultati di una nuova analisi dello studio cardine di fase III PERSIST-1, che sta valutando pacritinib rispetto alla miglior terapia disponibile, escluso il trattamento con inibitori di JAK2 (BAT), in pazienti affetti da mielofibrosi. I dati che hanno esaminato gli esiti dei pazienti con diversi fattori demografici basali che sono associati alla prognosi, quali età, emoglobina basale, conta piastrinica basale, stato ECOG, stato di mutazione di JAK2 e dipendenza dalla trasfusione di globuli rossi, hanno mostrato che il trattamento con pacritinib ha determinato tassi costanti di riduzione del volume splenico e controllo dei sintomi associati alla malattia in tutti i sottogruppi di pazienti affetti da mielofibrosi a rischio intermedio e alto. Questi risultati sono stati presentati dal Dott. Alessandro M. Vannucchi, Professore associato di Ematologia all'Università di Firenze, durante una presentazione orale al 57° Congresso annuale dell'American Society of Hematology (ASH2015) a Orlando (Abstract #58).

Pacritinib è un inibitore multichinasico orale sperimentale specifico per JAK2, FLT3, IRAK1 e CSFR1, che sono chinasi coinvolte nella crescita e nella diffusione della mielofibrosi e di altri tumori del sangue come la leucemia mieloide acuta (LMA).

*“La riduzione del carico di sintomi associati alla mielofibrosi è un importante obiettivo del trattamento. Per i pazienti a cui viene diagnosticato questo raro tumore del sangue sono, però, disponibili poche opzioni terapeutiche e il vuoto è ancora più significativo per i pazienti con bassa conta piastrinica” ha detto il Prof. Vannucchi. “Questi dati presentati all’ASH 2015 sono importanti e clinicamente significativi in quanto dimostrano il potenziale di pacritinib nel raggiungere obiettivi terapeutici nei pazienti affetti da mielofibrosi a rischio intermedio o alto, indipendentemente dalle caratteristiche basali, inclusa la conta piastrinica iniziale”.*

La mielofibrosi è un raro tumore del sangue associato a una significativa riduzione della qualità della vita e a una minore sopravvivenza. La maggior parte dei pazienti affetti da questa malattia presenta ingrossamento della milza (splenomegalia) e molti altri sintomi fisici potenzialmente devastanti come fastidio addominale, dolore alle ossa, sensazione di pienezza anche dopo aver mangiato poco, forte prurito, sudorazione notturna ed estremo affaticamento.

*“I risultati di questa analisi si aggiungono alla crescente massa di dati su pacritinib e suggeriscono che esso sia un inibitore di JAK unico, con un profilo di efficacia e sicurezza differenziato non limitato dalle caratteristiche basali dei pazienti affetti da mielofibrosi” ha detto il Dott. James Bianco, Presidente e CEO di CTI BioPharma. “Riteniamo che pacritinib possa colmare il vuoto che esiste per molti pazienti le cui vite sono profondamente influenzate dalla mielofibrosi, specialmente per quelli con una bassa conta piastrinica”.*

*“Stiamo sviluppando pacritinib prestando particolare attenzione alla biologia sottostante della mielofibrosi, al fine di migliorare il panorama terapeutico dei pazienti affetti da questa malattia progressiva e sottotrattata, inclusi coloro che appartengono a sottogruppi a rischio intermedio e alto” ha detto David Meek, Vice presidente esecutivo e Presidente del settore Oncologia presso Baxalta. “Siamo impazienti di lavorare con le autorità regolatorie mondiali per migliorare le opzioni terapeutiche a disposizione di tutti i pazienti affetti da mielofibrosi e cominceremo a presentare le richieste di autorizzazione per pacritinib nei prossimi mesi”.*

### **Informazioni sull'analisi dei sottogruppi**

I risultati presentati all'ASH 2015 si basavano sull'analisi delle caratteristiche basali dei pazienti di PERSIST-1, uno studio randomizzato di fase III mirato all'approvazione che ha confrontato l'efficacia e la sicurezza di pacritinib rispetto alla BAT, che includeva da una gamma di trattamenti attualmente utilizzati. Come riferito precedentemente, lo studio ha soddisfatto l'endpoint primario di riduzione del volume splenico (almeno il 35% dal basale alla settimana 24, valutata mediante RM/TC) nella popolazione *intent-to-treat*.

L'analisi dei sottogruppi discussa sopra ha valutato i risultati osservati nei pazienti che avevano raggiunto una riduzione del volume splenico di almeno il 35% rispetto al basale o una riduzione di almeno il 50% del punteggio dei sintomi totali (TSS) in base alle caratteristiche basali o ai fattori di rischio, inclusi la conta piastrinica iniziale, lo stato della mutazione JAK2V617F, le trasfusioni di globuli rossi e il dolore osseo. I risultati (dall'analisi primaria) si sono dimostrati coerenti in tutti i sottogruppi valutati. Il raggiungimento di una riduzione del volume splenico di almeno il 35% era indipendente dalla maggior parte dei fattori di rischio valutati e la riduzione di almeno il 50% del TSS era indipendente dalle caratteristiche valutate, eccetto il dolore osseo superiore a 3 al basale.

Gli effetti collaterali più comuni che hanno mostrato una differenza superiore al 5% nel braccio pacritinib rispetto a BAT sono stati diarrea (57% rispetto a 12%), nausea (29% rispetto a 6%) e vomito (19% rispetto a 5%). Non sono stati segnalati eventi gastrointestinali di grado 4.

### **Dati aggiuntivi su pacritinib presentati all'ASH**

Oggi sono stati anche presentati i dati relativi agli esiti riportati dai pazienti, che hanno esaminato il rapporto tra i sintomi associati alla mielofibrosi (basati sul TSS) e le variazioni della splenomegalia e della qualità della vita correlata alla salute (HRQoL) nella popolazione globale di pazienti di PERSIST-1 e nei pazienti con trombocitopenia basale. L'analisi ha mostrato che la risposta in termini di TSS era associata a miglioramenti della risposta del volume splenico e dello stato di salute generale percepito; questo andamento è stato osservato anche nei pazienti con basse conte piastriniche basali (<50.000/ $\mu$ L e <100.000/ $\mu$ L). In tutte le popolazioni di pazienti analizzate, la risposta in termini di TSS è stata significativamente associata a miglioramenti dell'affaticamento, un elemento che contribuisce fortemente alla scarsa HRQoL dei pazienti affetti da mielofibrosi. Nei pazienti con trombocitopenia basale sono stati anche osservati miglioramenti significativi del funzionamento sociale, della perdita di appetito e dell'insonnia. Questi dati sono stati presentati in un poster dell Dott. Ruben Mesa, Presidente della Hematology and Medical Oncology Division, Mayo Clinic, Scottsdale, AZ (Abstract #1609).

### **Informazioni su PERSIST-1**

PERSIST-1 è uno studio randomizzato (2:1), controllato, di fase III, mirato alla registrazione, che ha confrontato l'efficacia e la sicurezza di pacritinib con la BAT, costituita da un'ampia gamma di trattamenti attualmente utilizzati, in 327 pazienti affetti da mielofibrosi (mielofibrosi primaria, mielofibrosi post-policitemia vera o mielofibrosi post-trombocitopenia essenziale), indipendentemente dalla conta piastrinica dei pazienti. All'ingresso nello studio, il 46% dei pazienti era trombocitopenico, il 32% aveva una conta piastrinica inferiore a 100.000 per microlitro (<100.000/ $\mu$ L) e il 16% aveva una conta piastrinica inferiore a 50.000 per microlitro (<50.000/ $\mu$ L); gli intervalli normali per la conta

piastrinica erano compresi tra 150.000 e 450.000 per microlitro. La durata mediana del trattamento è stata di 16,2 mesi nei pazienti trattati con pacritinib rispetto a 5,9 mesi nei pazienti trattati con la BAT. La maggior parte (79%) dei pazienti del braccio BAT alla fine è passata alla terapia con pacritinib.

### **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.

CTI BioPharma e Baxalta 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.

Le Società hanno recentemente annunciato l'inizio della procedura in più fasi di richiesta per l'autorizzazione di un nuovo farmaco (NDA) all'FDA per pacritinib. Le Società 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/ $\mu$ L).

### **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.<sup>1</sup> La mielofibrosi è una malattia cronica rara ma grave e potenzialmente letale del midollo osseo causata dall'accumulo di cellule tumorali nel midollo osseo, di cui scatenano una risposta infiammatoria e la fibrosi. 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. Man mano che la malattia progredisce, il corpo rallenta la produzione di importanti cellule del sangue e, entro un anno dalla diagnosi, l'incidenza di trombocitopenia (conta piastrinica estremamente bassa) associata alla malattia, anemia e necessità di trasfusioni di globuli rossi, aumenta significativamente.

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.<sup>2</sup> 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 diagnosi<sup>2</sup> e la malattia è di tipo progressivo, con il 20% circa dei pazienti che sviluppano alla fine una LMA.<sup>3</sup> 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.<sup>4</sup>

### **Informazioni su CTI BioPharma Corp.**

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 con PIXUVRI® 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 III 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](http://www.ctibiopharma.com).

### **Informazioni su Baxalta**

Baxalta Incorporated (NYSE: BXL) è un'azienda biofarmaceutica da 6 miliardi di dollari, leader a livello mondiale nello sviluppo, nella produzione e nella commercializzazione di terapie per malattie rare e condizioni patologiche sottotrattate nelle aree dell'ematologia, dell'oncologia e dell'immunologia. Guidata dalla passione e dalla volontà di avere un impatto significativo sulla vita dei pazienti, Baxalta ha una pipeline ampia e diversificata che comprende farmaci biologici di nuova generazione e piattaforme tecnologiche avanzate, come la terapia genica. Il centro globale di Innovazione, Ricerca e Sviluppo è situato a Cambridge, Massachusetts. Lanciata nel 2015 a seguito della separazione da Baxter International, Baxalta vanta una tradizione di decenni in ambito biofarmaceutico. Le terapie di Baxalta sono disponibili in più di 100 paesi e le sue avanzate attività produttive nel campo dei biofarmaci si articolano in 12 stabilimenti all'avanguardia, tra cui spiccano quelli dedicati alla produzione di molecole ricombinate e al frazionamento del plasma. La sede centrale di Baxalta si trova nel nord dell'Illinois e l'azienda conta 16.000 dipendenti in tutto il mondo.

### **Dichiarazioni previsionali**

Il presente comunicato contiene delle dichiarazioni previsionali ai sensi delle disposizioni della regola "Safe Harbor" compresa nel *Private Securities Litigation Reform Act* del 1995. Tali previsioni sono soggette a fattori di rischio ed incertezza che potrebbero materialmente e/o avversamente influenzare i futuri risultati effettivi e il prezzo di mercato dei titoli CTI BioPharma. Tali dichiarazioni previsionali comprendono, a titolo esemplificativo e non esaustivo, previsioni inerenti al potenziale terapeutico di pacritinib, incluso il potenziale di raggiungere obiettivi terapeutici nei pazienti affetti da mielofibrosi, indipendentemente dalle caratteristiche basali, quali conta piastrinica iniziale e, in particolare, potenziale di ridurre il volume splenico e il carico dei sintomi e migliorare la HRQoL, previsioni di presentare richieste di autorizzazione nei prossimi mesi, prevalenza stimata delle MPN, mielofibrosi e pazienti affetti da mielofibrosi che sviluppano LMA e tassi di sopravvivenza dei pazienti affetti da mielofibrosi. Gli investitori sono invitati a non affidarsi indebitamente a queste dichiarazioni previsionali, che sono valide solo al momento di questa pubblicazione. Nello specifico, il presente comunicato tratta dati e risultati selezionati di studi clinici, e deve essere valutato congiuntamente alle informazioni relative a endpoint primari e secondari, sicurezza e altri dati aggiuntivi una volta che tali dati saranno stati più compiutamente analizzati e resi pubblici. Tali previsioni si basano su supposizioni riguardanti numerosi importanti fattori e informazioni attualmente a disposizione, nella misura in cui ci è stato finora possibile valutare compiutamente e con attenzione tali informazioni alla luce di tutti i fatti, circostanze, raccomandazioni e analisi che li circondano. Diversi risultati e incertezze potrebbero far sì che i risultati reali differiscano notevolmente da quelli delle dichiarazioni previsionali, tra cui: soddisfazione di requisiti normativi e di altro tipo, i risultati dello studio osservati fino a ora potrebbero differire da risultati futuri o conclusioni o considerazioni diverse potrebbero modificare tali risultati una volta che i dati esistenti saranno stati completamente valutati, azioni di enti regolatori e altre autorità governative, altri risultati di studi clinici, variazioni di leggi e regolamenti, qualità del prodotto, efficacia del prodotto, protocollo di studio, integrità dei dati o problemi di sicurezza dei pazienti, rischi relativi allo sviluppo del prodotto e altri rischi identificati nelle rispettive presentazioni più recenti di BioPharma sul modulo 10-K e altre pubblicazioni della Securities and Exchange Commission. CTI BioPharma e Baxalta non si assumono alcun impegno ad aggiornare le proprie dichiarazioni previsionali.

Fonte: CTI BioPharma e Baxalta Incorporated

1. Sito web della MPN Research Foundation [www.mpnresearchfoundation.org](http://www.mpnresearchfoundation.org).
2. Secondo il poster presentato all'ASH 2012 da Mesa R.
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.

**Contatti di CTI BioPharma:**

Monique Greer  
+1 206-272-4343  
[mgreer@ctibiopharma.com](mailto:mgreer@ctibiopharma.com)

Ed Bell  
+1 206-272-4345  
[ebell@ctibiopharma.com](mailto:ebell@ctibiopharma.com)

**Contatto di Baxalta per i media:**

Kellie Hotz  
+1 224-940-2202  
[media@Baxalta.com](mailto:media@Baxalta.com)

**Relazioni tra Baxalta e gli investitori**

Mary Kay Ladone  
+1 224-948-3371  
[mary.kay.ladone@baxalta.com](mailto:mary.kay.ladone@baxalta.com)

Lorna Williams  
+1 224-948-3511  
[lorna.williams@baxalta.com](mailto:lorna.williams@baxalta.com)

###

Fine Comunicato n.0696-161

Numero di Pagine: 7