

# Bit Market Services

Informazione Regolamentata n. 0696-2-2017	Data/Ora Ricezione 08 Gennaio 2017 19:48:39	MTA
---	---	-----

Societa' : CTI BIOPHARMA

Identificativo : 83707

Informazione  
Regolamentata

Nome utilizzatore : CELLN02 - Bell

Tipologia : IRAG 10

Data/Ora Ricezione : 08 Gennaio 2017 19:48:39

Data/Ora Inizio : 09 Gennaio 2017 07:45:06

Diffusione presunta

Oggetto : CTI BIOPHARMA ANNUNCIA I  
PROGRESSI DEI PRINCIPALI  
PROGRAMMI E GLI OBIETTIVI  
STRATEGICI PER IL 2017

*Testo del comunicato*

Vedi allegato.



## **CTI BIOPHARMA ANNUNCIA I PROGRESSI DEI PRINCIPALI PROGRAMMI E GLI OBIETTIVI STRATEGICI PER IL 2017**

**SEATTLE, 09 gennaio 2017** – CTI BioPharma Corp. (CTI BioPharma) (NASDAQ e MTA: CTIC) ha annunciato oggi i positivi progressi registrati nei suoi principali programmi e le priorità aziendali chiave per il 2017.

*"Nel corso del 2016 abbiamo proseguito nel nostro impegno di rendere disponibili nuove terapie per i pazienti con esigenze cliniche insoddisfatte e siamo riusciti, attraverso il lavoro svolto con la FDA, a ottenere la revoca della sospensione clinica totale su pacritinib e a riprendere il processo di sviluppo del farmaco a beneficio dei pazienti affetti da mielofibrosi," ha dichiarato Richard Love, Presidente e Amministratore delegato ad interim di CTI BioPharma. "Lo studio clinico PERSIST-2 su pacritinib è stato selezionato come una delle sei presentazioni orali nella sessione degli abstract dell'ultima ora alla conferenza dell'American Society of Hematology tenutasi a dicembre. Riteniamo che questa presentazione orale sia stata ben ricevuta dalla comunità degli ematologi/oncologi, che riconoscono l'esigenza clinica insoddisfatta dei pazienti con mielofibrosi che non sono idonei a ricevere o non stanno traendo benefici dal trattamento con ruxolitinib, l'inibitore di JAK1/JAK2 approvato. Inoltre, lo studio di conferma PIX306 sul nostro prodotto in commercio PIXUVRI® (pixantrone) continua a registrare progressi e i risultati più significativi dovrebbero essere annunciati entro la fine dell'anno. In caso di dati positivi, questo studio potrebbe offrire l'opportunità di ottenere l'approvazione completa e un ampliamento delle indicazioni da parte dell'EMA e di avviare colloqui con la FDA per l'approvazione accelerata di PIXUVRI negli Stati Uniti per il trattamento di pazienti affetti da linfoma non Hodgkin a cellule B aggressivo recidivante o refrattario. Abbiamo anche compiuto notevoli sforzi per ridurre le spese e riteniamo che l'ingresso nel 2017 ci veda ben posizionati."*

### ***Aggiornamento sui recenti progressi***

#### **Pacritinib**

Nel gennaio 2017, CTI BioPharma ha annunciato che la Food and Drug Administration statunitense (FDA) ha revocato la sospensione clinica totale sugli studi in corso nell'ambito della richiesta di approvazione di un nuovo farmaco sperimentale (IND, investigational new drug) presentata per pacritinib.

Nel dicembre 2016, i dati dello studio clinico randomizzato di fase III PERSIST-2, condotto per confrontare pacritinib con la migliore terapia disponibile (BAT, best available therapy) specificata dai medici, compreso ruxolitinib, per il trattamento di pazienti affetti da mielofibrosi con conta piastrinica basale inferiore a 100.000 per microlitro, sono stati selezionati come una delle sei presentazioni orali nella sessione degli abstract dell'ultima ora al congresso annuale dell'American Society of Hematology. I pazienti inclusi nello studio sono stati randomizzati a ricevere 200 mg di pacritinib due volte al giorno (BID), 400 mg di pacritinib una volta al giorno (QD) o la BAT. Nei pazienti che hanno avuto il tempo di raggiungere la settimana 24 (il punto temporale prescelto per l'analisi primaria) al momento dell'imposizione della sospensione clinica, i risultati dello studio hanno mostrato un tasso di risposta statisticamente significativo in termini di riduzione del volume splenico (SVR, spleen volume reduction) con la terapia con pacritinib rispetto alla BAT, indipendentemente dal precedente trattamento con ruxolitinib. L'endpoint co-primario costituito da una riduzione del punteggio totale dei sintomi (TSS, total symptom score) non è stato raggiunto, ma è stata osservata una tendenza verso il miglioramento di questo

indicatore. Benché non sia stato possibile eseguire una valutazione formale degli obiettivi secondari a causa del mancato raggiungimento di uno degli obiettivi primari, quando i due bracci di trattamento con pacritinib sono stati valutati separatamente rispetto alla BAT, pacritinib BID ha mostrato una percentuale di risposte più elevata in termini di SVR e TSS rispetto alla BAT, mentre pacritinib QD ha mostrato una percentuale di risposte più elevata soltanto in termini di SVR rispetto alla BAT. Non sono state osservate differenze significative in termini di sopravvivenza globale (OS, overall survival) tra i bracci di trattamento, considerando i dati censurati al momento della sospensione clinica. Gli eventi avversi (EA) più comuni, di qualsiasi grado, manifestatisi durante il trattamento, che si sono verificati entro 24 settimane nel 20% o più dei pazienti trattati con pacritinib, sono stati di natura gastrointestinale (diarrea, nausea e vomito solitamente gestibili) ed ematologica (anemia e trombocitopenia) e sono risultati generalmente meno frequenti con la somministrazione BID rispetto alla somministrazione QD. Gli EA gravi più comuni manifestatisi durante il trattamento (incidenza  $\geq 5\%$  riportata in un qualsiasi braccio di trattamento, indipendentemente dal grado) sono stati anemia, trombocitopenia, polmonite e insufficienza renale acuta e nessuno di essi, considerato singolarmente, ha superato l'incidenza dell'8% in un qualsiasi braccio. La presentazione è stata anche selezionata per essere inclusa nel programma "2017 Highlights of ASH", concepito per analizzare i progressi scientifici significativi presentati all'ASH con ematologi/oncologi in cinque località in diverse regioni degli Stati Uniti.

## **PIXUVRI®**

Nel gennaio 2017, CTI BioPharma ha ricevuto un pagamento "milestone" (ovvero legato al raggiungimento di un obiettivo intermedio) di 7,5 milioni di Euro dal suo partner Servier in seguito al raggiungimento di un traguardo importante associato all'arruolamento dei pazienti nello studio clinico di fase III PIX306 su PIXUVRI. Tale studio è una sperimentazione post-autorizzazione condotta nel quadro dell'autorizzazione condizionata all'immissione in commercio di PIXUVRI nell'Unione Europea (UE). Lo studio PIX306 sta confrontando PIXUVRI e rituximab con gemcitabina e rituximab nel linfoma non-Hodgkin (LNH) a cellule B aggressivo. L'arruolamento di pazienti in tale studio prosegue.

### ***Obiettivi chiave per il 2017***

**Portare avanti la domanda di autorizzazione all'immissione in commercio nell'UE e definire il percorso da seguire con le autorità di regolamentazione negli USA per pacritinib.** CTI BioPharma sta continuando i colloqui con l'Agenzia europea per i medicinali (EMA) in relazione alla domanda di autorizzazione all'immissione in commercio per pacritinib precedentemente presentata dal suo ex partner, Baxalta. Al momento della presentazione della domanda erano disponibili soltanto i dati del primo studio clinico di fase III su pacritinib, PERSIST-1. Con la disponibilità dei risultati dello studio clinico PERSIST-2 e con il recente completamento della relazione su tale studio, CTI BioPharma ritiene che attualmente la migliore strategia per ottenere l'autorizzazione all'immissione in commercio del farmaco consista nell'utilizzare le evidenze cliniche combinate ottenute in entrambi gli studi di fase III. Di conseguenza, CTI BioPharma sta valutando se procedere all'aggiornamento della domanda attuale con i dati supplementari ottenuti nello studio PERSIST-2 o ripresentare la domanda di autorizzazione all'immissione in commercio. Indipendentemente dalla strategia scelta, CTI BioPharma prevede di perseguire l'autorizzazione all'immissione in commercio del farmaco per il trattamento dei pazienti con mielofibrosi che non sono idonei a ricevere, sono intolleranti o presentano una risposta insufficiente a ruxolitinib, l'inibitore di JAK1/JAK2 approvato.

CTI ha anche intenzione di discutere con la FDA il futuro sviluppo di pacritinib.

**Iniziare lo studio PAC203.** CTI BioPharma prevede di iniziare lo studio PAC203 nel secondo trimestre del 2017. Lo studio prevede l'arruolamento di fino a 105 pazienti con mielofibrosi primaria che non hanno risposto a una precedente terapia con ruxolitinib per valutare la sicurezza e la relazione dose-risposta per

quanto riguarda l'efficacia (riduzione del volume splenico a 24 settimane) di tre regimi posologici: 100 mg una volta al giorno, 100 mg due volte al giorno (BID) e 200 mg BID.

**Trovare un partner al di fuori degli Stati Uniti per pacritinib.** CTI BioPharma intende assicurarsi una collaborazione per lo sviluppo e la commercializzazione di pacritinib in alcuni territori al di fuori degli USA.

**Comunicare i risultati più significativi dello studio PIX306.** CTI BioPharma prevede di completare l'arruolamento nello studio PIX306 su PIXUVRI attualmente in corso e di comunicare i risultati più significativi entro la fine del 2017.

### ***Risultati finanziari***

Le stime preliminari, non sottoposte a revisione, relativamente a cassa e disponibilità liquide di CTI BioPharma al 31 dicembre 2016 equivalgono a circa 44 milioni di dollari. Nel gennaio 2017, abbiamo ricevuto un pagamento "milestone" di 7,5 milioni di Euro da Servier. CTI BioPharma prevede che il suo "cash burn" (un dato finanziario non conforme ai principi GAAP), escluse le entrate di cassa derivanti da attività future di sviluppo commerciale e i proventi derivanti da attività di finanziamento sul mercato dei capitali, ammonterà a circa 65-75 milioni di dollari per il 2017. La Società prevede di soddisfare il suo fabbisogno di cassa per il 2017 con la liquidità esistente e mediante la creazione di partnership in relazione a uno o più prodotti nel corso dell'anno.

### **Informazioni su Pacritinib**

Pacritinib è un inibitore orale sperimentale delle chinasi con specificità per JAK2, FLT3, IRAK1 e CSF1R. La famiglia di enzimi JAK è un componente centrale nelle vie di trasduzione del segnale che svolgono un ruolo essenziale per una normale crescita e sviluppo delle cellule del sangue, nonché per l'espressione delle citochine infiammatorie e per le risposte immunitarie. È stato dimostrato che mutazioni in queste chinasi sono direttamente legate allo sviluppo di una varietà di tumori del sangue, compresi neoplasie mieloproliferative, leucemie e linfomi. Oltre alla mielofibrosi, il profilo dell'attività inibitoria di pacritinib sulle chinasi suggerisce una sua possibile utilità terapeutica in patologie quali leucemia mieloide acuta, o LMA, sindrome mielodisplastica, o SMD, leucemia mielomonocitica cronica, o LMMC, e leucemia linfocitica cronica, o LLC, in virtù della sua capacità di inibire c-fms, IRAK1, JAK2 e FLT3.

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 (erano gestiti in modo subottimale).

Pacritinib è stato valutato in due studi clinici di fase III, noti come il programma PERSIST, per pazienti affetti da mielofibrosi; uno di tali studi, denominato PERSIST-1, è stato condotto su un ampio gruppo di pazienti senza limitazioni in termini di conte piastriniche, mentre l'altro, denominato PERSIST-2, è stato condotto in pazienti con basse conte piastriniche. Lo studio PERSIST-1 ha soddisfatto l'endpoint primario di riduzione del volume splenico (almeno il 35% dal basale alla settimana 24, valutata mediante RM/TC). Lo studio PERSIST-2 ha soddisfatto uno degli endpoint co-primari, quello della riduzione del volume splenico. L'endpoint co-primario costituito da una riduzione del punteggio totale dei sintomi (TSS, total symptom score) non è stato raggiunto, ma è stata osservata una tendenza verso il miglioramento di questo indicatore.

Gli studi clinici condotti nell'ambito della richiesta di approvazione di un nuovo farmaco sperimentale (IND) presentata per pacritinib erano oggetto di una sospensione clinica totale disposta dalla FDA a febbraio 2016. Nel gennaio 2017, la FDA ha revocato la sospensione clinica totale e ha stabilito che gli studi clinici possono riprendere.

### **Informazioni su PIXUVRI® (pixantrone)**

PIXUVRI è un nuovo aza-antracenedione con proprietà strutturali e fisico-chimiche uniche. Nel maggio 2012, la Commissione europea ha rilasciato un'autorizzazione condizionata all'immissione in commercio di PIXUVRI come monoterapia per il trattamento di pazienti adulti con LNH a cellule B aggressivi, recidivati più volte o refrattari. Il beneficio associato al trattamento con PIXUVRI non è stato stabilito nei pazienti quando usato come chemioterapia di quinta linea o superiore nei pazienti refrattari all'ultima terapia. Il Riassunto delle caratteristiche del prodotto (RCP) contiene informazioni complete sulla prescrizione, compreso il profilo di sicurezza ed efficacia di PIXUVRI nell'indicazione approvata. Il Riassunto delle caratteristiche del prodotto è disponibile all'indirizzo [www.pixuvri.eu](http://www.pixuvri.eu). PIXUVRI non è approvato per la commercializzazione negli Stati Uniti.

Nel settembre 2014, CTI BioPharma ha stipulato un accordo esclusivo di collaborazione e di licenza con Servier in relazione allo sviluppo e alla commercializzazione di PIXUVRI. Ai sensi di tale accordo, CTI BioPharma mantiene tutti i diritti di commercializzazione di PIXUVRI in Austria, Danimarca, Finlandia, Germania, Israele, Norvegia, Svezia, Turchia, Regno Unito e Stati Uniti, mentre Servier ha l'esclusiva dei diritti di commercializzazione di PIXUVRI in tutti gli altri paesi.

### **Informazioni su CTI BioPharma**

CTI BioPharma Corp. è una società biofarmaceutica impegnata nell'acquisizione, nello sviluppo e nella commercializzazione di nuove terapie mirate destinate alla cura di una gamma di tumori del sangue, in grado di offrire vantaggi unici ai pazienti e agli operatori sanitari. CTI BioPharma vanta una presenza commerciale in Europa con PIXUVRI® e una pipeline di prodotti in avanzata fase di sviluppo, tra cui pacritinib per il trattamento dei pazienti affetti da 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 aggiornamenti RSS, si prega di consultare il sito societario [www.ctibiopharma.com](http://www.ctibiopharma.com).

### **Previsioni future**

Il presente comunicato contiene previsioni future ai sensi delle disposizioni della regola "Safe Harbor" compresa nel Private Securities Litigation Reform Act del 1995. Tali previsioni sono soggette a una serie di fattori di rischio e di 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 future comprendono, a titolo esemplificativo, ma non limitativo, le aspettative relative alla nostra capacità di interpretare i dati e i risultati degli studi clinici nonostante il mancato raggiungimento dell'obiettivo minimo prestabilito di pazienti valutabili, le aspettative inerenti alla possibile utilità terapeutica di pacritinib, compresa la sua capacità di raggiungere gli obiettivi terapeutici nei pazienti affetti da mielofibrosi, indipendentemente dalle caratteristiche basali, e previsioni sulle aspettative di CTI BioPharma in relazione allo sviluppo di CTI BioPharma, alla sua posizione finanziaria e al suo portafoglio di prodotti e di prodotti candidati, compresi piani e strategie per ottenere l'autorizzazione all'immissione in commercio e altre approvazioni, le partnership e l'inizio o il completamento di studi clinici. Gli investitori sono invitati a non affidarsi indebitamente a queste previsioni future, che sono valide solo al momento di questa pubblicazione. In particolare, potrebbe non essere possibile ottenere una interpretazione significativa dello studio PERSIST-2 in quanto l'obiettivo minimo prestabilito di pazienti valutabili non è stato raggiunto. Tali previsioni si basano su supposizioni relative a numerosi importanti fattori e informazioni attualmente a nostra

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 riguardano. I rischi che contribuiscono all'incertezza intrinseca delle previsioni comprendono, tra gli altri, i rischi associati all'industria biofarmaceutica in generale e a CTI BioPharma e al suo portafoglio di prodotti e di prodotti candidati in particolare, i rischi associati alla velocità o alle aree geografiche di arruolamento nei suoi studi clinici, i rischi associati all'inizio o all'esito di studi preclinici e clinici, che i risultati dello studio osservati fino ad ora possano differire da risultati futuri oppure conclusioni o considerazioni diverse possano condizionare tali risultati una volta che i dati esistenti saranno stati completamente valutati, che CTI BioPharma possa non ottenere decisioni favorevoli da altre autorità governative in materia di regolamentazione, brevetti e procedure amministrative o che non sarà in grado di presentare richieste di autorizzazione alle autorità di regolamentazione nei modi e nei tempi previsti, i rischi associati alle azioni di enti regolatori e altre autorità governative, i rischi associati a variazioni di leggi e regolamenti, qualità del prodotto, efficacia del prodotto, protocollo di studio, integrità dei dati o problemi di sicurezza dei pazienti, i rischi associati ai costi di sviluppo, produzione e vendita di PIXUVRI, di pacritinib e degli altri prodotti candidati di CTI BioPharma, e altri rischi compresi, a titolo esemplificativo, ma non limitativo, fattori legati alla concorrenza, sviluppi tecnologici, e che CTI BioPharma possa non riuscire a raggiungere, nei modi e nei tempi previsti, i traguardi e gli obiettivi precedentemente annunciati, oltre ad altri rischi elencati o specificati di volta in volta nella più recente documentazione presentata da CTI BioPharma alla SEC sui modelli 10-K, 10-Q e 8-K. Salvo quanto altrimenti disposto a termini di legge, CTI BioPharma non intende provvedere all'aggiornamento, in caso di ulteriori sviluppi, di quanto riportato nel presente comunicato stampa. PIXUVRI è un marchio registrato di CTI BioPharma Corp.

Fonte: CTI BioPharma Corp.

###

**Contatti di CTI BioPharma:**

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



## CTI BIOPHARMA ANNOUNCES PROGRESS OF LEAD PROGRAMS AND STRATEGIC OBJECTIVES FOR 2017

**SEATTLE, January 9, 2017** – CTI BioPharma Corp. (CTI BioPharma) (NASDAQ and MTA: CTIC) today announced positive progress on its lead programs in addition to key business priorities for 2017.

*“Throughout 2016 we maintained our commitment to bringing new therapies to patients with unmet medical needs, and were successful in working with the FDA to remove the full clinical hold on pacritinib and get it back on the development track for the benefit of myelofibrosis patients,” said Richard Love, Interim President and Chief Executive Officer of CTI BioPharma. “The PERSIST-2 clinical trial of pacritinib was highlighted as one of six late-breaking data presentations at the American Society of Hematology conference in December. We believe this oral presentation was well received by the hematology/oncology community, which recognizes the unmet need for myelofibrosis patients who are ineligible to receive or are not benefitting from the approved JAK1/JAK2 inhibitor, ruxolitinib. Additionally, the PIX306 confirmatory trial of our commercial product PIXUVRI<sup>(R)</sup> (pixantrone) continues to progress toward an announcement of top-line results later this year. If positive, this trial could provide the opportunity for full approval and label expansion by EMA, and discussions with the FDA about accelerated PIXUVRI approval in the US for the treatment of patients with relapsed or refractory aggressive B-cell non-Hodgkin lymphoma. We have also made significant effort at reducing our expenses and believe we are well positioned moving into 2017.”*

### ***Recent Progress Update***

#### **Pacritinib**

In January 2017, CTI BioPharma announced the U.S. Food and Drug Administration (FDA) removed the full clinical hold on studies being conducted under the Investigational New Drug (IND) application for pacritinib.

In December 2016, data from the randomized Phase 3 PERSIST-2 clinical trial comparing pacritinib with physician-specified best available therapy (BAT), including ruxolitinib, for treatment of patients with myelofibrosis whose baseline platelet counts are less than 100,000 per microliter was one of six late-breaking oral presentations at the American Society of Hematology Annual Meeting. Patients in the trial were randomized to receive 200 mg pacritinib twice daily (BID), 400 mg pacritinib once daily (QD), or BAT. In those patients who had a chance to reach Week 24 (the primary analysis time point) at the time the clinical hold was imposed, the trial showed a statistically significant response rate in spleen volume reduction (SVR) in patients treated with pacritinib compared to BAT irrespective of prior treatment with ruxolitinib. The co-primary endpoint of reduction of Total Symptom Score (TSS) was not achieved but trended toward improvement in TSS. Although secondary objectives could not be evaluated formally due to the study not achieving one of the primary objectives, when the two pacritinib dosing arms were evaluated separately versus BAT, pacritinib BID showed a higher percent of SVR and TSS responses compared to BAT; whereas, pacritinib given QD showed only a higher percent SVR responses compared to BAT. There was no significant difference in overall survival (OS) across treatment arms, censored at the time of clinical hold. The most common treatment-emergent adverse events (AEs), occurring in 20 percent or more of patients treated with pacritinib within 24 weeks, of any grade, were gastrointestinal (generally manageable diarrhea, nausea and vomiting) and hematologic (anemia and thrombocytopenia) and were generally less frequent for BID versus QD administration. The most common serious treatment-

emergent AEs (incidence of  $\geq 5$  percent reported in any treatment arm irrespective of grade) were anemia, thrombocytopenia, pneumonia and acute renal failure none of which exceeded 8 percent individually in any arm. The presentation was also selected to be part of the “2017 Highlights of ASH” program designed to review significant scientific updates presented at ASH with hematologists/oncologists at five locations across the U.S.

## **PIXUVRI®**

In January 2017, CTI BioPharma received a €7.5 million milestone payment from its partner Servier following achievement of a milestone associated with patient enrollment in the Phase 3 PIX306 clinical trial of PIXUVRI. The trial is a post-authorization trial as part of the conditional marketing authorization of PIXUVRI in the European Union (E.U.) The PIX306 is comparing PIXUVRI and rituximab with gemcitabine and rituximab in the setting of aggressive B-cell non-Hodgkin lymphoma (NHL). The trial continues to enroll patients.

### ***2017 Key Objectives***

**Advance Marketing Authorization Application in E.U. and define regulatory pathway in U.S. for pacritinib.** CTI BioPharma continues to have dialogue with the European Medicines Authority (EMA) on the Marketing Authorization Application (MAA) for pacritinib that had been previously filed by its former partner, Baxalta. At the time of the filing only data from the first Phase 3 clinical trial of pacritinib, PERSIST-1, was available. With the availability of results from the PERSIST-2 clinical trial and the recent completion of the PERSIST-2 clinical study report, CTI BioPharma believes that the best strategy currently to achieve marketing authorization is to utilize the combined clinical evidence from both Phase 3 trials. Accordingly, CTI BioPharma is evaluating whether to update the current application with the additional data from PERSIST-2 or to resubmit the MAA. Under either plan, CTI BioPharma would expect to pursue marketing authorization for the treatment of patients with myelofibrosis who are ineligible to receive, intolerant of or have insufficient response to the approved JAK1/JAK2 inhibitor, ruxolitinib.

CTI BioPharma also intends to discuss with the FDA the future development of pacritinib.

**Initiate PAC203 trial.** CTI BioPharma expects to initiate the PAC203 trial in the second quarter of 2017. The trial plans to enroll up to approximately 105 patients with primary myelofibrosis who have failed prior ruxolitinib therapy to evaluate the safety and the dose response relationship for efficacy (spleen volume reduction at 24 weeks) of three dose regimens: 100 mg once-daily, 100 mg twice-daily (BID) and 200 mg BID.

**Secure ex-U.S. partner for pacritinib.** CTI BioPharma intends to secure a partnership for the development and commercialization of pacritinib in certain territories outside the U.S.

**Release top-line results of PIX306.** CTI BioPharma expects to complete enrollment in the ongoing PIX306 trial of PIXUVRI and release top-line results by the end of 2017.

### ***Financial***

CTI BioPharma’s preliminary, unaudited estimates of its cash and cash equivalents balance as of December 31, 2016 is approximately \$44.0 million. In January 2017, we received a €7.5 million milestone payment from Servier. CTI BioPharma expects that its cash burn (a non-GAAP financial measure), excluding cash inflows from future business development activities and proceeds from capital markets financing activities, would be approximately \$65-75 million for 2017. The Company expects to



meet its cash requirements for 2017 with existing cash and by partnering one or more product assets during the course of the year.

### **About Pacritinib**

Pacritinib is an investigational oral kinase inhibitor with specificity for JAK2, FLT3, IRAK1 and CSF1R. The JAK family of enzymes is a central component in signal transduction pathways, which are critical to normal blood cell growth and development, as well as inflammatory cytokine expression and immune responses. Mutations in these kinases have been shown to be directly related to the development of a variety of blood-related cancers, including myeloproliferative neoplasms, leukemia and lymphoma. In addition to myelofibrosis, the kinase profile of pacritinib suggests its potential therapeutic utility in conditions such as acute myeloid leukemia, or AML, myelodysplastic syndrome, or MDS, chronic myelomonocytic leukemia, or CMML, and chronic lymphocytic leukemia, or CLL, due to its inhibition of c-fms, IRAK1, JAK2 and FLT3.

In August 2014, pacritinib was granted Fast Track designation by the FDA for the treatment of intermediate and high risk myelofibrosis including, but not limited to, patients with disease-related thrombocytopenia (low platelet counts); patients experiencing treatment-emergent thrombocytopenia on other JAK2 inhibitor therapy; or patients who are intolerant of, or whose symptoms are not well controlled (sub-optimally managed) on other JAK2 therapy.

Pacritinib was evaluated in two Phase 3 clinical trials, known as the PERSIST program, for patients with myelofibrosis, with one trial in a broad set of patients without limitations on platelet counts, the PERSIST-1 trial; and the other in patients with low platelet counts, the PERSIST-2 trial. The PERSIST-1 trial met its primary endpoint of spleen volume reduction (35 percent or greater from baseline to Week 24 by MRI/CT scan). The PERSIST-2 trial met one of its co-primary endpoints, that of spleen volume reduction. The co-primary endpoint of reduction of Total Symptom Score (TSS) was not achieved but trended toward improvement in TSS.

Clinical studies under the investigational new drug (IND) for pacritinib were subject to a full clinical hold issued by the FDA in February 2016. In January 2017, the FDA removed the full clinical hold and stated that clinical trials may be resumed.

### **About PIXUVRI® (pixantrone)**

PIXUVRI is a novel aza-anthracenedione with unique structural and physiochemical properties. In May 2012, the European Commission granted conditional marketing authorization for PIXUVRI as a monotherapy for the treatment of adult patients with multiply relapsed or refractory B-cell aggressive NHL. The benefit of PIXUVRI treatment has not been established in patients when used as fifth line or greater chemotherapy in patients who are refractory to last therapy. The Summary of Product Characteristics (SmPC) has the full prescribing information, including the safety and efficacy profile of PIXUVRI in the approved indication. The SmPC is available at [www.pixuvri.eu](http://www.pixuvri.eu). PIXUVRI does not have marketing approval in the United States.

In September 2014, CTI BioPharma entered into an exclusive license and collaboration agreement, with Servier with respect to the development and commercialization of PIXUVRI. Under the agreement, CTI BioPharma retains full commercialization rights to PIXUVRI in Austria, Denmark, Finland, Germany, Israel, Norway, Sweden, Turkey, the United Kingdom and the U.S. while Servier has exclusive rights to commercialize PIXUVRI in all other countries.

## About CTI BioPharma

CTI BioPharma Corp. is a biopharmaceutical company focused on the acquisition, development and commercialization of novel targeted therapies covering a spectrum of blood-related cancers that offer a unique benefit to patients and healthcare providers. CTI BioPharma has a commercial presence in Europe with respect to PIXUVRI® and a late-stage development pipeline, including pacritinib for the treatment of patients with myelofibrosis. CTI BioPharma is headquartered in Seattle, Washington, with offices in London and Milan under the name CTI Life Sciences Limited. For additional information and to sign up for email alerts and get RSS feeds, please visit [www.ctibiopharma.com](http://www.ctibiopharma.com).

## Forward-Looking Statements

This press release includes forward-looking statements within the meaning of the Safe Harbor provisions of the Private Securities Litigation Reform Act of 1995. Such statements are subject to a number of risks and uncertainties, the outcome of which could materially and/or adversely affect actual future results and the trading price of CTI BioPharma's securities. Such statements include, but are not limited to, expectations with respect to our ability to be able to interpret clinical trial data and results despite not satisfying the pre-specified minimum evaluable patient goal, expectations with respect to the potential therapeutic utility of pacritinib, including pacritinib's potential to achieve treatment goals across patients with myelofibrosis, regardless of baseline characteristics, and statements regarding CTI BioPharma's expectations with respect to the development of CTI BioPharma, its financial position and its product and product candidate portfolio, including strategies and plans for achieving marketing authorization and other approvals, partnerships, and the initiation or completion of clinical trials. Investors are cautioned not to place undue reliance on these forward-looking statements, which speak only as of the date of this release. In particular, meaningful interpretation of PERSIST-2 may not be possible because the pre-specified minimum evaluable patient goal was not met. The statements are based on assumptions about many important factors and information currently available to us to the extent we have thus far had an opportunity to fully and carefully evaluate such information in light of all surrounding facts, circumstances, recommendations and analyses. Risks that contribute to the uncertain nature of the forward-looking statements include, among others: risks associated with the biopharmaceutical industry in general and with CTI BioPharma and its product and product candidate portfolio in particular, risks associated with the pace or geography of enrollment of its clinical trials, risks associated with the commencement or outcome of preclinical and clinical studies, that trial results observed to date may differ from future results or that different conclusions or considerations may qualify such results once existing data has been more fully evaluated, that CTI BioPharma may not obtain favorable determinations by other regulatory, patent and administrative governmental authorities or will not be in a position to submit regulatory submissions as or when projected, risks related to the actions of regulatory bodies and other governmental authorities, risks related to changes in laws and regulations, product quality, product efficacy, study protocol, data integrity or patient safety issues, risks related to the costs of developing, producing and selling PIXUVRI, pacritinib and CTI BioPharma's other product candidates, and other risks, including, without limitation, competitive factors, technological developments, and that CTI BioPharma may not achieve previously announced goals and objectives as or when projected as well as other risks listed or described from time to time in CTI BioPharma's most recent filings with the SEC on Forms 10-K, 10-Q and 8-K. Except as required by law, CTI BioPharma does not intend to update any of the statements in this press release upon further developments. PIXUVRI is a registered trademark of CTI BioPharma Corp.

###

## CTI BioPharma Contacts:

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

Fine Comunicato n.0696-2

Numero di Pagine: 11