



SPAFID CONNECT

Informazione Regolamentata n. 0696-42-2017	Data/Ora Ricezione 13 Luglio 2017 22:05:05	MTA
--	--	-----

Societa' : CTI BIOPHARMA

Identificativo : 91887

Informazione
Regolamentata

Nome utilizzatore : CELLN02 - Bell

Tipologia : 3.1

Data/Ora Ricezione : 13 Luglio 2017 22:05:05

Data/Ora Inizio : 13 Luglio 2017 22:05:06

Diffusione presunta

Oggetto : CTI BioPharma annuncia la convalida da parte della European Medicines Agency della domanda di autorizzazione all'immissione in commercio di pacriti

Testo del comunicato

Vedi allegato.



CTI BioPharma annuncia la convalida da parte della European Medicines Agency della domanda di autorizzazione all'immissione in commercio di pacritinib per pazienti con mielofibrosi affetti da trombocitopenia

SEATTLE, WA, 13 luglio, 2017 - CTI BioPharma Corp. (NASDAQ e MTA: CTIC) ha annunciato oggi che la European Medicines Agency (EMA) ha convalidato la domanda di autorizzazione all'immissione in commercio (MAA) per pacritinib per la cura di pazienti con mielofibrosi affetti da trombocitopenia (conta piastrinica inferiore a 100,000 per microlitro). La convalida conferma che la richiesta è completa, ed dà inizio al processo di esame centralizzato da parte del comitato EMA per i prodotti medicinali ad uso umano (CHMP). Il periodo di esame del CHMP è di 210 giorni, escludendo i giorni in cui il richiedente provvede a rispondere alle domande del CHMP, dopo i quali il parere del CHMP è preso in esame dalla Commissione Europea, che abitualmente pubblica una decisione finale sull'autorizzazione in Europa entro tre mesi. Se autorizzato, a pacritinib sarebbe concessa una licenza di commercializzazione valida in tutti i 28 Stati membri dell'Unione Europea.

“La convalida della MAA è una milestone importante per CTI BioPharma mentre crechiamo di rendere accessibile pacritinib a pazienti con mielofibrosi affetti da trombocitopenia che potrebbero trarre beneficio dal suo profilo unico,” ha detto Adam R. Craig, M.D., Ph.D., Presidente e CEO di CTI BioPharma. “Siamo impazienti di lavorare con il CHMP/EMA nel corso del loro esame di questa richiesta.”

La MAA è supportata principalemte da dati da due studi randomizzati di Fase 3, PERSIST-1 e PERSIST-2, che hanno valutato pacritinib in pazienti affetti da mielofibrosi..

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.

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. Cti BioPharma sta iniziando uno studio di esplorazione della dose di Fase 2 che era una condizione per la rimozione della sospensione clinica.

Informazioni sulla mielofibrosi e sulle neoplasie mieloproliferative

La mielofibrosi è uno dei tre tipi principali di neoplasie mieloproliferative (NMP), un gruppo strettamente correlato di tumori ematologici progressivi. I tre tipi principali di NMP sono la mielofibrosi primaria (MFP), la policitemia vera (PV) e la trombocitemia essenziale (TE).¹

La mielofibrosi è una malattia grave e potenzialmente letale del midollo osseo, causata dall'accumulo di cellule maligne in tale distretto, che provoca una risposta infiammatoria e la fibrosi del midollo osseo stesso. La sostituzione del midollo osseo con tessuto fibroso limita la sua capacità di produrre globuli rossi, facendo sì questa funzione venga assunta dalla milza e dal fegato. I sintomi derivanti da questa malattia includono ingrossamento della milza, anemia, estremo affaticamento e dolore.

La prevalenza stimata delle NMP indica che vi sono circa 300.000 persone che vivono con questa malattia negli Stati Uniti, circa 18.000 delle quali sono affette da mielofibrosi.² In Europa, vi è un'ampia variabilità della prevalenza osservata a seconda delle diverse fonti di dati. I pazienti affetti da mielofibrosi hanno un'età mediana di 64 anni al momento della diagnosi³ e la malattia è di tipo progressivo, con il 20% circa dei pazienti che alla fine sviluppano una leucemia mieloide acuta (LMA).⁴ La sopravvivenza mediana dei pazienti con mielofibrosi ad alto rischio è inferiore a un anno e mezzo, mentre nel complesso la sopravvivenza mediana dei pazienti affetti da mielofibrosi è di circa 6 anni.⁴

Informazioni su CTI BioPharma Corp.

CTI BioPharma Corp. 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 pipeline di prodotti in avanzata fase di sviluppo tra cui pacritinib per il trattamento di pazienti malati di mielofibrosi. CTI BioPharma ha sede a Seattle (Washington). Per ulteriori informazioni, nonché per ricevere avvisi via e-mail e aggiornamenti RSS, si prega di consultare il sito societario www.ctibiopharma.com

Forward-Looking Statements

Il presente comunicato contiene dichiarazioni previsionali ai sensi delle disposizioni della regola "Safe Harbor" compresa nel Private Securities Litigation Reform Act del 1995, comprese dichiarazioni relative ad aspettative circa la potenziale utilità terapeutica di pacritinib, incluso il potenziale di pacritinib di raggiungere obiettivi di trattamento in pazienti affetti da mielofibrosi, ed aspettative riguardo la nostra capacità di riuscire ad interpretare i dati degli studi clinici e i risultati nonostante non venga soddisfatto l'obiettivo minimo prestabilito di pazienti valutabili per lo studio clinico PERSIST-2 ed aspettative riguardo alla potenziale utilità terapeutica di pacritinib. Tali dichiarazioni sono soggette a una serie di fattori di rischio e incertezze il cui esito potrebbe influire in maniera rilevante e/o negativa sui futuri risultati effettivi e sul prezzo di mercato dei titoli dell'emittente, compresi rischi legati alla soddisfazione di requisiti normativi ed altri; alle azioni degli enti regolatori e di altre autorità governative; ad altri risultati clinici, cambiamenti nelle leggi e nelle normative; alla qualità del prodotto, all'efficacia del prodotto, al protocollo di studio, all'integrità dei dati o questioni relative alla sicurezza dei pazienti; rischi

sullo sviluppo del prodotto; 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.

###

1. MPN Research Foundation. Accesso giugno 2017. Disponibile sul sito 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 :

Ed Bell

+1 206-272-4345

ebell@ctibiopharma.com



CTI BioPharma Announces European Medicines Agency Validation of Pacritinib Marketing Authorization Application for Patients with Myelofibrosis who have Thrombocytopenia

SEATTLE, WA, July 13, 2017 - CTI BioPharma Corp. (NASDAQ and MTA: CTIC) today announced that European Medicines Agency (EMA) has validated the Marketing Authorization Application (MAA) for pacritinib for the treatment of patients with myelofibrosis who have thrombocytopenia (platelet counts less than 100,000 per microliter). Validation confirms that the submission is complete and initiates the centralized review process by the EMA's Committee for Medicinal Products for Human Use (CHMP). The CHMP review period is 210 days, excluding question or opinion response periods, after which the CHMP opinion is reviewed by the European Commission, which usually issues a final decision on EU authorization within three months. If authorized, pacritinib would be granted a marketing license valid in all 28 EU member states.

“The MAA validation is a significant milestone for CTI BioPharma as we seek to bring pacritinib to patients with myelofibrosis who have thrombocytopenia that could benefit from its unique profile,” said Adam R. Craig, M.D., Ph.D., President and CEO of CTI BioPharma. “We look forward to working with the CHMP/EMA during their review of this application.”

The MAA is primarily supported by data from two randomized Phase 3 clinical trials, PERSIST-1 and PERSIST-2, that evaluated pacritinib in patients with myelofibrosis.

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.

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 resume. CTI BioPharma is initiating a Phase 2 dose exploration study that was a condition of the clinical hold being removed.

About Myelofibrosis and Myeloproliferative Neoplasms

Myelofibrosis is one of three main types of myeloproliferative neoplasms (MPN), which are a closely related group of progressive blood cancers. The three main types of MPNs are primary myelofibrosis (PMF), polycythemia vera (PV) and essential thrombocythemia (ET).¹

Myelofibrosis is a serious and life-threatening bone marrow disorder caused by the accumulation of malignant bone marrow cells that triggers an inflammatory response and scars the bone marrow. The replacement of bone marrow with scar tissue limits its ability to produce red blood cells, prompting the spleen and liver to take over this function. Symptoms that arise from this disease include enlargement of the spleen, anemia, extreme fatigue and pain.

The estimated prevalence of MPNs suggest there are approximately 300,000 people living with the disease in the U.S., of which myelofibrosis accounts for approximately 18,000 patients.² In Europe, there is a wide variation of prevalence observed across data sources. Myelofibrosis has a median age of 64 at the time of diagnosis³ and is a progressive disease with approximately 20 percent of patients eventually developing acute myeloid leukemia (AML).⁴ The median survival for high-risk myelofibrosis patients is less than 1.5 years, while the median survival for patients with myelofibrosis overall is approximately 6 years.⁴

About CTI BioPharma Corp.

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 late-stage development pipeline, including pacritinib for the treatment of patients with myelofibrosis. CTI BioPharma is headquartered in Seattle, Washington. For additional information and to sign up for email alerts and get RSS feeds, please visit www.ctibiopharma.com.

Forward-Looking Statements

This press release includes forward-looking statements, which are within the meaning of the Safe Harbor provisions of the Private Securities Litigation Reform Act of 1995, including statements regarding expectations with respect to the potential therapeutic utility of pacritinib, including pacritinib's potential to achieve treatment goals across patients with myelofibrosis, and 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 for the PERSIST-2 clinical trial and expectations with respect to the potential therapeutic utility of pacritinib. 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 the issuers' securities, including risks related to the satisfaction of regulatory and other requirements; the actions of regulatory bodies and other governmental authorities; other clinical trial results; changes in laws and regulations; product quality, product efficacy, study protocol, data integrity or patient safety issues; product development risks; and other risks identified in each of the issuer's most recent filings on Forms 10-K and 10-Q and other Securities and Exchange Commission filings.

###

1. MPN Research Foundation. Accessed June 2017. Available at www.mpnresearchfoundation.org.

2. Based on Mesa R, ASH 2012 poster.
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.

CTI BioPharma Contacts:

Ed Bell

+1 206-272-4345

ebell@ctibiopharma.com

Fine Comunicato n.0696-42

Numero di Pagine: 9