



PharmaMar comunica resultados positivos en el ensayo de Fase I de plitidepsina en combinación con bortezomib y dexametasona para pacientes con mieloma múltiple en el congreso de la Sociedad Americana de Oncología Clínica

- *Los datos se presentarán el 3 de junio en una sesión oral durante el 52 congreso de la Sociedad Americana de Oncología Clínica (abstract #8006)*
- *Se obtuvo una tasa de respuesta del 56% de los pacientes tratados, con una duración de respuesta de seis meses o más en el 90 % de ellos. El 72 % de los pacientes presentó beneficio clínico*

Madrid, 19 de mayo de 2016.- PharmaMar (MSE:PHM) anuncia resultados positivos del estudio de Fase I con plitidepsina en combinación con bortezomib y dexametasona en pacientes con mieloma múltiple en recaída o refractario. La doctora María Victoria Mateos, del departamento de Hematología del Hospital Universitario de Salamanca, España, e investigadora principal del ensayo, presentará los datos en una sesión oral el próximo 3 de junio durante el 52 congreso de la Sociedad Americana de Oncología Clínica (ASCO, por sus siglas en inglés), que tendrá lugar en Chicago (Estados Unidos) entre el 3 y el 7 de junio.

El objetivo principal del estudio era identificar la dosis recomendada para la triple combinación (dexametasona / bortezomib / plitidepsina) administrada cada cuatro semanas en los 20 pacientes que participaron. También se evaluó la eficacia y el perfil de seguridad.

La tasa de respuesta global fue del 56 %, incluyendo una muy buena respuesta parcial (VGPR) en el 33 % de los pacientes, y una remisión parcial en un paciente triple refractario. La supervivencia media libre de progresión (SLP) fue de 8,3 meses.

Además, el 90 % de los pacientes presentó una duración de respuesta de seis meses o más y se ha observado un beneficio clínico en el 72 % de los casos.

No se observaron toxicidades limitantes de dosis en ninguno de los pacientes evaluados, por lo tanto se fijó como la dosis recomendada para la triple

combinación la dosis plena de plitidepsina y bortezomib cuando se usan en monoterapia. El tratamiento fue bien tolerado. La toxicidad hematológica fue manejable y la toxicidad no hematológica leve, a excepción de un caso de aumento de la creatinina.

De los 20 pacientes que participaron en el estudio, 10 aún siguen en tratamiento. La edad media era de 65 años y todo ellos habían recaído después de haber recibido previamente una media de 3,5 regímenes terapéuticos (rango entre 1 y 10). El 45 % de estos pacientes había sido sometido a un trasplante de células madre hematopoyéticas (8 autólogos y 1 alogénico). De los 18 pacientes evaluables para eficacia, el 83 % (15 pacientes) habían recibido previamente bortezomib y lenalidomida. De ellos, uno fue refractario a bortezomib, y siete lo fueron a lenalidomida.

En el *abstract #8006*, la Dra. Mateos y su equipo explica que a pesar de los recientes avances en el tratamiento del mieloma múltiple por la introducción de los nuevos inhibidores del proteosoma (IP), de los nuevos fármacos inmunomoduladores (IMiDs) y de los anticuerpos monoclonales, la enfermedad sigue siendo incurable. Por eso, existe la necesidad de investigar con nuevos compuestos con mecanismos de acción novedosos. Plitidepsina cumple con este criterio, ya que se une específicamente al factor eEF1A2, una proteína sobreexpresada en mieloma múltiple que contribuye a su patogénesis. Los resultados positivos de este ensayo clínico de Fase I se unen a la de otros ensayos de Fase II y III en los que plitidepsina ha demostrado actividad y un perfil de seguridad favorable en combinación con dexametasona.

Sobre mieloma múltiple

El mieloma múltiple es un tipo relativamente raro de cáncer de la sangre. Representa el 10% de todas las neoplasias hematológicas malignas y está causado por células plasmáticas malignas que se multiplican rápidamenteⁱ. Las células plasmáticas normales son células blancas sanguíneas que forman parte del sistema inmune, se encuentran en la médula ósea y se encargan de producir los anticuerpos necesarios para combatir infeccionesⁱⁱ. Las células anormales producen un tipo de anticuerpo anómalo que se acumula en el organismo, impidiendo un correcto desarrollo de las células normales. Casi todos los pacientes con mieloma múltiple sufren un progreso de la enfermedad desde una etapa inicial asintomática hasta una etapa en la que la enfermedad se ha establecido. En 2015 se diagnosticaron 26.850 nuevos casos en los EE.UU., y cerca de 11.200 personas murieron a causa de esta enfermedadⁱⁱⁱ. En Europa, la incidencia es de 4,5 a 6 casos diagnosticados por 100.000 habitantes y año^{iv}.

Sobre plitidepsina

Plitidepsina es un compuesto antitumoral de origen marino en fase de investigación obtenido de la ascidia *Aplidium albicans*. Se une específicamente al factor eEF1A2 y actúa sobre la función no canónica de esta proteína, lo que provoca en último término la muerte de las células tumorales a través de la apoptosis (muerte celular programada). Plitidepsina se encuentra actualmente en desarrollo clínico para tumores hematológicos, incluyendo un ensayo de fase Ib en mieloma múltiple en recaída o refractario con triple combinación de tratamiento con plitidepsina, bortezomib y dexametasona y un estudio de fase II en linfoma de células T angioinmunoblástico en recaída o refractario. También se ha finalizado un ensayo de fase III en mieloma múltiple en recaída o refractario. Plitidepsina ha recibido designación de fármaco huérfano en la Unión Europea y Estados Unidos.

Sobre PharmaMar

PharmaMar es una compañía biofarmacéutica con sede en Madrid, líder mundial en el descubrimiento, desarrollo y comercialización de nuevos antitumorales de origen marino. PharmaMar tiene una importante cartera preclínica de compuestos y un potente programa de I+D. La compañía desarrolla y comercializa YONDELIS® en Europa y dispone de otros tres compuestos en desarrollo clínico para tumores sólidos y hematológicos: plitidepsina, PM1183 y PM060184. PharmaMar es una compañía biofarmacéutica global con presencia en Alemania, Italia, Francia, Suiza, Reino Unido, Bélgica y EE.UU. PharmaMar también tiene la participación mayoritaria de otras compañías: GENOMICA, primera empresa española en el campo del diagnóstico molecular; Sylentis, dedicada a la investigación de las aplicaciones terapéuticas del silenciamiento génico (RNAi), y dos empresas del sector químico, Zelnova Zeltia y Xylazel. Para más información, visite nuestra web: www.pharmamar.com

Nota importante

Este documento no constituye ni forma parte de ninguna oferta o invitación a la venta o la solicitud de cualquier cuestión de la compra, la oferta o la suscripción de acciones de la Sociedad. Asimismo, este documento, ni su distribución, son o puede ser parte de la base para cualquier decisión de inversión o contrato y no constituye ningún tipo de recomendación en relación con las acciones de la Compañía.

Contacto con los medios de comunicación

Paula Fdez. Alarcón – Media Relations Manager (+34 638 79 62 15)

pfalarcon@pharmamar.com

Teléfono: +34 918466000



Contacto con los inversores

Teléfono: +34 914444500

O visita nuestra página web www.pharmamar.com

ⁱ <http://www.cancer.org/cancer/multiplemyeloma/detailedguide/multiple-myeloma-what-is-it>

ⁱⁱ <http://www.myeloma.org.uk/information/what-is-myeloma/>

ⁱⁱⁱ <http://seer.cancer.gov/statfacts/html/mulmy.html>

^{iv} <http://www.esmo.org/Guidelines/Haematological-Malignancies/Multiple-Myeloma>