



CTI BIOPHARMA ANNUNCIA I RISULTATI PIÙ SIGNIFICATIVI DELLO STUDIO DI FASE III PERSIST-2 SU PACRITINIB NEI PAZIENTI AD ALTO RISCHIO DI MIELOFIBROSI IN STADIO AVANZATO

La sperimentazione dimostra un miglioramento statisticamente significativo nella riduzione del volume della milza (spleen volume reduction, SVR) con pacritinib rispetto alla migliore terapia disponibile (best available therapy, BAT), compreso il ruxolitinib

Pacritinib orale è l'unico inibitore di JAK2 valutato in una sperimentazione clinica randomizzata in pazienti affetti da trombocitopenia, (piastrine <100.000) che mostra un aumento significativo del SVR, incluso nei pazienti che hanno manifestato risposte inadeguate a farmaci anti-JAK2 presenti sul mercato o che non hanno risposto a terapie pregresse con anti-JAK2

SEATTLE, 29 agosto 2016—CTI BioPharma Corp. (CTI BioPharma) (NASDAQ e MTA:CTIC) ha oggi annunciato i risultati preliminari ottenuti con PERSIST-2, una sperimentazione clinica randomizzata controllata di fase III che ha confrontato pacritinib, un inibitore sperimentale multichinasi, orale, con la migliore terapia disponibile (BAT) specificata dai medici, compreso ruxolitinib, per il trattamento di pazienti affetti da mielofibrosi, la cui conta piastrinica è inferiore a 100.000 per microlitro -- una popolazione di pazienti ad alto rischio di malattia in stadio avanzato. Trecento undici (311) pazienti sono stati arruolati nello studio, che ha costituito la base per l'analisi della sicurezza. Duecento ventuno (221) pazienti hanno avuto la possibilità di raggiungere la Settimana 24 (il time point dell'analisi primaria), al momento in cui è stata imposta la sospensione clinica e hanno costituito la popolazione di analisi intent-to-treat (ITT) utilizzata per la valutazione dell'efficacia. I risultati preliminari hanno dimostrato che la sperimentazione PERSIST-2 ha soddisfatto uno degli endpoint co-primari dimostrando un tasso di risposta statisticamente significativo nella riduzione del volume della milza (SVR) in pazienti con mielofibrosi trattata con pacritinib rispetto a BAT, incluso ruxolitinib, l'inibitore di JAK2 approvato ($p < 0,01$). Benché la sperimentazione PERSIST-2 non abbia raggiunto l'altro endpoint co-primario di una riduzione superiore al 50 per cento del Total Symptom Score (TSS), l'analisi preliminare si è avvicinata ad una significatività marginale, rispetto alla BAT ($p = 0,0791$).

“Diversamente dai pazienti con mielofibrosi che presentano una conta piastrinica normale al basale e la cui sopravvivenza mediana è registrata a 88 mesi, abbiamo recentemente riferito dall'esperienza del nostro istituto che i pazienti con trombocitopenia grave (bassa conta piastrinica) presentavano una sopravvivenza mediana di circa 14 mesi,” ha dichiarato Srdan (Serge) Verstovsek, MD, PhD, direttore del Clinical Research Center for MPNs dell'Università del Texas MD Anderson Cancer Center e sperimentatore principale della sperimentazione di fase III PERSIST-2 su pacritinib. “Questi pazienti rappresentano fino al 30 per cento di tutti i pazienti affetti da mielofibrosi e costituiscono un'esigenza medica non soddisfatta. I dati ottenuti dalla sperimentazione controllata, randomizzata, prospettica PERSIST-2 sono incoraggianti perché abbiamo bisogno di una terapia efficace per trattare i pazienti più difficili con bassa conta piastrinica, che incontriamo nella nostra pratica.”

Gli endpoint co-primari della sperimentazione sono stati la percentuale di pazienti che alla Settimana 24 ha ottenuto una riduzione del 35 per cento o superiore del volume della milza rispetto al basale, misurata mediante risonanza magnetica per immagini (RMI) o tomografia computerizzata (TC) e la percentuale di pazienti che hanno raggiunto una riduzione del Total Symptom Score (TSS) pari al 50 per cento o superiore utilizzando il diario MPN-SAF TSS 2.0, dal basale alla Settimana 24.

Gli eventi collaterali più comuni derivanti dal trattamento con pacritinib sono stati diarrea generalmente controllabile, nausea e vomito. L'incidenza di effetti collaterali cardiaci ed emorragici (di tutti i gradi, e di grado 3-4 compresi i decessi) sono stati simili nei diversi bracci. Complessivamente i tassi di mortalità erano paragonabili tra i due bracci. Dati aggiuntivi derivanti dalle analisi in corso, unitamente ai risultati preliminari ottenuti da PERSIST-2 saranno sottoposti alla valutazione per essere presentati ad un convegno scientifico futuro.

La mielofibrosi è associata a una significativa riduzione della qualità della vita e a una minore sopravvivenza. L'ingrossamento della milza (splenomegalia) è un sintomo comune e debilitante della mielofibrosi. 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, l'anemia grave e la necessità di trasfusioni di globuli rossi, aumentano significativamente.

“Dopo avere analizzato i dati provenienti dalle due sperimentazioni di fase III studiando il solo inibitore di JAK in pazienti gravemente trombocitopenici, compresi i pazienti sottoposti a terapia JAK2 o quelli che non avevano risposto alla precedente terapia JAK2, siamo incoraggiati dal profilo clinico di pacritinib in questo gruppo di pazienti con mielofibrosi, difficili da trattare,” ha dichiarato James A. Bianco, M.D., Presidente e Amministratore Delegato di CTI BioPharma. “Siamo grati per il supporto e l'impegno degli sperimentatori, del nostro comitato direttivo, e soprattutto, di tutti i pazienti che hanno partecipato a PERSIST-2.”

Informazioni sullo studio PERSIST-2

PERSIST-2 era uno studio clinico multinazionale, randomizzato (1:1), controllato, aperto, di fase III condotto per valutare pacritinib rispetto alla migliore terapia disponibile (best available therapy, BAT), compreso ruxolitinib, l'inibitore di JAK1/JAK2 approvato, in pazienti affetti da mielofibrosi le cui conte piastriniche erano inferiori o uguali a 100.000 per microlitro ($\leq 100.000/\mu\text{l}$). Trecento undici (311) pazienti sono stati randomizzati per ricevere 200 mg di pacritinib due volte al giorno (BID), 400 mg di pacritinib una volta al giorno (QD) o la BAT. Gli studi clinici su pacritinib sono attualmente oggetto di una sospensione clinica totale disposta dalla Food and Drug Administration (FDA) statunitense a febbraio 2016. Lo studio è stato in origine progettato per arruolare, e la Special Protocol Assessment (SPA) richiede l'arruolamento di 300 pazienti per valutare gli obiettivi dello studio. Duecento ventuno (221) pazienti sono stati arruolati almeno 24 settimane prima della sospensione clinica totale e quindi erano potenzialmente valutabili per l'efficacia. Questi pazienti erano la popolazione utilizzata per la valutazione degli endpoint di efficacia dello studio. Gli endpoint co-primari, originariamente concordati in base a SPA erano la percentuale di pazienti che raggiungevano una riduzione del volume splenico del 35% o superiore, misurata mediante RM o TC, dal basale alla settimana 24 di trattamento e la percentuale di pazienti che raggiungevano una riduzione del punteggio totale dei sintomi (Total Symptom Score, TSS) del 50% o superiore, utilizzando sette sintomi chiave misurati mediante un diario basato sul Myeloproliferative Neoplasm Symptom Assessment Form (MPN-SAF TSS 2.0) modificato, dal basale alla Settimana 24. L'obiettivo primario dello studio era quello di confrontare i bracci pacritinib raggruppati rispetto al braccio BAT. In conseguenza della sospensione clinica totale su pacritinib, l'accordo SPA non è più in effetto per PERSIST-2 e CTI BioPharma non ha più diritto al beneficio della SPA.

Informazioni sul programma di sviluppo di fase III di pacritinib

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. 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).

Gli studi clinici condotti da CTI BioPharma per il suo Nuovo Farmaco Sperimentale ("IND"), pacritinib, sono attualmente oggetto di una sospensione clinica totale disposta dalla Food and Drug Administration statunitense a febbraio 2016.

PERSIST-1 era uno studio clinico multinazionale, randomizzato (2:1), controllato, in aperto, di fase III condotto per valutare l'efficacia e la sicurezza di pacritinib rispetto alla BAT, esclusi gli inibitori di JAK2, costituita da un'ampia gamma di trattamenti attualmente in uso, in 327 pazienti affetti da mielofibrosi (mielofibrosi primaria, mielofibrosi post-policitemia vera o mielofibrosi post-trombocitopenia essenziale), indipendentemente dalla loro conta piastrinica. La sperimentazione ha incluso pazienti con trombocitopenia severa o potenzialmente letale. I pazienti sono stati randomizzati a ricevere 400 mg di pacritinib una volta al giorno o la BAT, esclusi gli inibitori di JAK2. 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 (ITT).

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.

CTI BioPharma e Shire sono parti di un accordo di licenza a livello mondiale per sviluppare e commercializzare pacritinib. CTI BioPharma e Shire commercializzeranno congiuntamente pacritinib negli Stati Uniti, mentre Shire ha diritti esclusivi di commercializzazione per tutte le indicazioni al di fuori degli Stati Uniti.

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 che 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

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.

Dichiarazioni previsionali

Il presente comunicato contiene dichiarazioni previsionali 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 incertezze il cui esito potrebbe influire in maniera rilevante e/o negativa sui futuri risultati effettivi e sul prezzo di mercato dei titoli CTI BioPharma. Queste previsioni comprendono, a titolo non esaustivo, le aspettative relative alla nostra capacità di essere in grado di interpretare i dati e i risultati della sperimentazione clinica, benché non soddisfino l'obiettivo e le aspettative minime pre-specificate valutabili dei pazienti relative all'utilità terapeutica potenziale di pacritinib, compreso il potenziale di pacritinib di raggiungere gli obiettivi del trattamento nei pazienti con mielofibrosi a prescindere dalle caratteristiche al basale, come la conta piastrinica iniziale ed in particolare il suo potenziale di riduzione del volume della milza e il carico sintomatico e migliorare la qualità di vita correlata alla salute (HRQoL). 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 preliminari selezionati della sperimentazione clinica, e deve essere valutato congiuntamente alle informazioni relative a endpoint primari e secondari, sicurezza e altri dati una volta che tali dati saranno stati più compiutamente analizzati e resi pubblici. Inoltre, l'interpretazione significativa di PERSIST-2 potrebbe non essere possibile perché l'obiettivo minimo pre-specificato valutabile dei pazienti 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. 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 ad ora potrebbero differire da risultati futuri oppure conclusioni o considerazioni diverse potrebbero condizionare tali risultati una volta che i dati esistenti saranno stati completamente valutati; azioni di enti regolatori e altre autorità governative; risultati di altri 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 nella più recente documentazione presentata dalla Società nei moduli 10-K e 10-Q e in altri documenti presentati alla Securities and Exchange Commission. 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.

1. MPN Research Foundation. Accesso agosto 2016. 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.

Fonte: CTI BioPharma Corp.

###

Contatti di CTI BioPharma:

Monique Greer

+1 206-272-4343

mgreer@ctibiopharma.com

Ed Bell

+1 206-272-4345

ebell@ctibiopharma.com



CTI BIOPHARMA ANNOUNCES TOP-LINE RESULTS FROM PERSIST-2 PHASE 3 TRIAL OF PACRITINIB FOR HIGH-RISK PATIENTS WITH ADVANCED MYELOFIBROSIS

Trial demonstrates statistically significant improvement in spleen volume reduction (SVR) with pacritinib compared to best available therapy (BAT), including ruxolitinib

Oral pacritinib is the only JAK2 inhibitor evaluated in a randomized clinical trial in patients with thrombocytopenia (<100,000 platelets) to demonstrate a significant improvement in SVR, including in patients who had inadequate responses on marketed anti-JAK2 or failed prior anti-JAK2

SEATTLE, August 29, 2016—CTI BioPharma Corp. (CTI BioPharma) (NASDAQ and MTA: CTIC) today announced top-line results from PERSIST-2, a randomized, controlled Phase 3 clinical trial comparing pacritinib, an investigational oral multikinase inhibitor, with physician-specified best available therapy (BAT), including ruxolitinib, for the treatment of patients with myelofibrosis whose platelet counts are less than 100,000 per microliter -- a patient population with high-risk advanced disease. Three hundred eleven (311) patients were enrolled in the study, which formed the basis for the safety analysis. Two hundred twenty-one (221) patients who had a chance to reach Week 24 (the primary analysis time point) at the time the clinical hold was imposed and constituted the intent-to-treat (ITT) analysis population utilized for the evaluation of efficacy. Preliminary results demonstrated that the PERSIST-2 trial met one of the co-primary endpoints showing a statistically significant response rate in spleen volume reduction (SVR) in patients with myelofibrosis treated with pacritinib compared to BAT, including the approved JAK2 inhibitor ruxolitinib ($p < 0.01$). Although the PERSIST-2 trial did not meet the other co-primary endpoint of greater than 50 percent reduction in Total Symptom Score (TSS), the preliminary analysis approached marginal significance compared to BAT ($p = 0.0791$).

“Unlike patients with myelofibrosis who have normal baseline platelet counts where median survival is reported at 88 months, we recently reported from our institution’s experience that patients with severe thrombocytopenia (low platelets) had a median survival of about 14 months,” said Srdan (Serge) Verstovsek, M.D., Ph.D., Director, Clinical Research Center for MPNs at the University of Texas MD Anderson Cancer Center and principal investigator for the PERSIST-2 Phase 3 clinical trial of pacritinib. “These patients represent up to 30 percent of all myelofibrosis patients and an unmet medical need. Data from the PERSIST-2 prospective randomized, controlled trial is encouraging because we need an effective therapy to treat the most challenging patients with low platelet counts we see in our practice.”

The co-primary endpoints of the trial were the proportion of patients achieving a 35 percent or greater reduction in spleen volume from baseline to Week 24 as measured by magnetic resonance imaging (MRI) or computerized tomography (CT) and the proportion of patients achieving a Total Symptom Score (TSS) reduction of 50 percent or greater using MPN-SAF TSS 2.0 diary from baseline to Week 24.

The most common treatment emergent adverse events for pacritinib were generally manageable diarrhea, nausea and vomiting. The incidence of cardiac and bleeding adverse events (all grades and grade 3-4 including deaths) were similar across the arms. Overall mortality rates were comparable between arms. Additional data from ongoing analyses along with top-line results from PERSIST-2 will be submitted for presentation at an upcoming scientific meeting.

Myelofibrosis is associated with significantly reduced quality of life and shortened survival. Spleen enlargement (splenomegaly) is a common and debilitating symptom of myelofibrosis. As the disease progresses, the body slows production of important blood cells and within one year of diagnosis the incidence of disease-related thrombocytopenia (very low blood platelet counts), severe anemia and red blood cell transfusion requirements increase significantly.

“Having analyzed data from two Phase 3 trials with the only JAK inhibitor to be studied in severely thrombocytopenic patients, including patients on JAK2 therapy or those who failed prior JAK2, we are encouraged by pacritinib’s clinical profile in this difficult-to-treat group of patients with myelofibrosis,” said James A. Bianco, M.D., President and Chief Executive Officer, CTI BioPharma. “We are grateful for the support and commitment of the investigators, our steering committee and, most importantly, all the patients who participated in PERSIST-2.”

About PERSIST-2

PERSIST-2 was a randomized (1:1:1), controlled, open-label, multinational Phase 3 clinical trial evaluating pacritinib compared to best available therapy (BAT), including the approved JAK1/JAK2 inhibitor ruxolitinib, for patients with myelofibrosis whose platelet counts were less than or equal to 100,000 per microliter ($\leq 100,000/\mu\text{L}$). Three hundred eleven (311) patients were randomized to receive 200 mg pacritinib twice daily (BID), 400 mg pacritinib once daily (QD) or BAT. Clinical studies for pacritinib are currently subject to a full clinical hold issued by the U.S. Food and Drug Administration (FDA) in February 2016. The study was originally designed to enroll, and the Special Protocol Assessment (SPA) requires enrollment of 300 patients to evaluate the study objectives. Two hundred twenty-one (221) patients were enrolled at least 24 weeks prior to the full clinical hold and thus were potentially evaluable for efficacy. These patients were the population used to evaluate the study efficacy endpoints. The co-primary endpoints, originally agreed upon under the SPA, were the percentage of patients achieving a 35 percent or greater reduction in spleen volume measured by MRI or CT scan from baseline to Week 24 of treatment and the percentage of patients achieving a Total Symptom Score (TSS) reduction of 50 percent or greater using seven key symptoms as measured by the modified Myeloproliferative Neoplasm Symptom Assessment (MPN-SAF TSS 2.0) diary from baseline to Week 24. The primary objective of the study was to compare pooled pacritinib arms vs BAT. As a result of the full clinical hold on pacritinib, the SPA agreement is no longer in effect for PERSIST-2 and CTI BioPharma is no longer entitled to the benefit of the SPA.

About the Phase 3 Development Program of Pacritinib

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. 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.

Clinical studies under the CTI BioPharma investigational new drug (IND) for pacritinib are currently subject to a full clinical hold issued by the U.S. Food and Drug Administration in February 2016.

PERSIST-1 was a randomized (2:1), controlled, open-label, multinational Phase 3 trial evaluating the efficacy and safety of pacritinib compared to BAT, excluding JAK2 inhibitors, which included a broad range of currently utilized treatments – in 327 patients with myelofibrosis (primary myelofibrosis, post-polycythemia vera myelofibrosis or post-essential thrombocythemia myelofibrosis), regardless of the patients’ platelet counts. The study included patients with severe or life-threatening thrombocytopenia. Patients were randomized to receive 400 mg pacritinib once daily or BAT, excluding JAK2 inhibitors. As previously reported, the trial met its primary endpoint of spleen volume reduction (35 percent or greater from baseline to Week 24 by MRI/CT scan) in the intent-to-treat population (ITT).

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.

CTI BioPharma and Shire are parties to a worldwide license agreement to develop and commercialize pacritinib. CTI BioPharma and Shire will jointly commercialize pacritinib in the U.S. while Shire has exclusive commercialization rights for all indications outside the U.S.

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

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.

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. 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. 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 and 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, such as starting platelet count and in particular, its potential to reduce spleen volume and symptom burden and improve HRQoL. 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, this press release addresses select preliminary clinical trial data and results, and should be evaluated together with information regarding primary and secondary endpoints, safety and additional data once such data has been more fully analyzed and is made publicly available. In addition, 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. A number of results and uncertainties could cause actual results to differ materially from those in the forward-looking statements, including: satisfaction of regulatory and other requirements; 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; 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. Except as required by law, CTI Biopharma does not intend to update any of the statements in this press release upon further developments.

1. MPN Research Foundation. Accessed August 2016. 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.

Source: CTI BioPharma Corp.

###

CTI BioPharma Contacts:

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

Ed Bell
+1 206-272-4345
ebell@ctibiopharma.com