

Basilea, 12 de agosto de 2015

Un estudio fundamental de fase II del medicamento en investigación venetoclax ha cumplido la variable principal de valoración en un tipo de leucemia linfocítica crónica difícil de tratar

- **Está previsto solicitar la autorización del venetoclax en los Estados Unidos (FDA) y la Unión Europea (EMA) a finales de 2015.**
- **El venetoclax es un inhibidor de bajo peso molecular de la proteína BCL-2 que podría representar una nueva vía terapéutica en los cánceres hemáticos.**

Roche (SIX: RO, ROG; OTCQX: RHHBY) ha dado a conocer hoy los resultados positivos del estudio de fase II M13-982 del venetoclax, un medicamento en investigación desarrollado en colaboración con AbbVie. Este estudio satisfizo la variable principal de valoración, es decir, puso de manifiesto que con venetoclax en monoterapia se obtenía una reducción significativa del número de células cancerosas (tasa de respuesta global, TRG) en una proporción predefinida de pacientes con leucemia linfocítica crónica (LLC) portadores de la deleción 17p y que habían sido tratados previamente (enfermedad recidivante o refractaria). No se notificó ningún signo de toxicidad inesperado del venetoclax.

«Del 30 % al 50 % de las personas con leucemia linfocítica crónica recidivante o refractaria presentan la deleción 17p, lo que dificulta su tratamiento —ha comentado Sandra Horning, directora médica y máxima responsable de Desarrollo Internacional de Roche—. El venetoclax puede contribuir a restablecer el proceso natural de autodestrucción de estas células leucémicas, de modo que podría significar un nuevo modo de ayudar a los pacientes con esta forma de LLC, cuyo pronóstico suele ser malo y tienen pocas opciones terapéuticas».

El venetoclax ha sido designado recientemente como avance terapéutico decisivo por la FDA (autoridad sanitaria de los EE.UU.) para el tratamiento de la LLC con la deleción 17p tratada con anterioridad. Esta designación sirve para acelerar el desarrollo y la evaluación de nuevos medicamentos contra enfermedades graves. La mediana de la esperanza de vida de las personas con este tipo de LLC suele ser inferior a tres años¹.

Esta es la octava designación como avance terapéutico decisivo de un medicamento de Roche y la segunda en el área de la hematología.

Los datos del estudio fundamental M13-982 se presentarán en un próximo congreso médico. AbbVie prevé remitir estos datos a la FDA, la EMA (la Agencia Europea de Medicamentos) y otras autoridades sanitarias de todo el mundo con vistas a una posible autorización.

Acerca del estudio M13-982

M13-982 (NCT01889186) es un estudio de fase II abierto y multicéntrico, con un único grupo, para evaluar la eficacia y la seguridad del venetoclax en pacientes con LLC recidivante o refractaria y portadores de la deleción 17p. La cohorte principal del estudio comprendía 107 pacientes y aproximadamente 50 se incluirán en la cohorte de expansión para evaluar la seguridad. La variable principal de valoración del estudio es la tasa de respuesta global (TRG) determinada por un comité independiente. Las variables secundarias de valoración son la respuesta completa (RC), la respuesta parcial (RP) y la supervivencia sin progresión (SSP).

Acerca de la leucemia linfocítica crónica (LCC)

La LLC es un cáncer de la sangre y la médula ósea de lento crecimiento, considerado generalmente como incurable. La LLC es una de las leucemias más frecuentes entre los adultos en todo el mundo^{2,3}. En la mayoría de los casos (95 %), la LLC se inicia en unos leucocitos conocidos como linfocitos B o células B². En ciertos casos de LLC se pierde una porción del cromosoma 17 y con ella un gen importante que controla la apoptosis, llamado p53⁴. La deleción 17p se observa en el 3-10 % de los casos no tratados previamente y el 30-50 % de los casos de recidiva o enfermedad refractaria⁵. Los resultados terapéuticos con la quimioterapia convencional son malos en las personas con LLC portadoras de la deleción 17p, y la mediana de su esperanza de vida no alcanza los tres años¹.

Acerca del venetoclax (RG7601, GDC-0199/ABT-199)

El venetoclax es una molécula pequeña en investigación, diseñada para unirse selectivamente a la proteína BCL-2 e inhibirla, lo que desempeña un papel importante en un proceso denominado apoptosis (muerte celular programada). Se cree que el bloqueo de BCL-2 podría restablecer el sistema de señales que induce la autodestrucción de las células cancerosas. La proteína BCL-2 está ligada al desarrollo de resistencia en determinados cánceres hemáticos y se expresa en la leucemia linfocítica crónica (LLC) y los linfomas no hodgkinianos (LNH). En el marco de un sólido programa en colaboración con AbbVie, se está evaluando el venetoclax en monoterapia y en combinación con otros medicamentos. Están realizándose estudios de fase II

y III del venetoclax contra la LLC, así como estudios de fase I y II contra otros cánceres hemáticos como los LNH indolentes, los linfomas difusos de células B grandes, la leucemia mieloide aguda y el mieloma múltiple.

Acerca de Roche en hematología

Roche lleva más de 20 años desarrollando medicamentos con el objetivo de redefinir el tratamiento en hematología. Actualmente estamos investigando más que nunca para proporcionar opciones terapéuticas innovadoras a las personas con enfermedades hemáticas. Además de los medicamentos ya autorizados MabThera/Rituxan (rituximab) y Gazyvaro/Gazyva (obinutuzumab), la línea de desarrollo hematológico de Roche incluye los siguientes productos: un conjugado de anticuerpo anti-CD79b y fármaco (RG7596/polatuzumab-vedotina), un antagonista de MDM2 de bajo peso molecular (RG7112) y un inhibidor de BCL-2 de bajo peso molecular (venetoclax/RG7601/GDC-0199/ABT-199) desarrollado en colaboración con AbbVie. Los esfuerzos de Roche por desarrollar moléculas novedosas en hematología van más allá de la oncología con el desarrollo de ACE910, un tratamiento en investigación para la hemofilia A.

Acerca de Roche

Roche, cuya sede central se halla en Basilea (Suiza), es una compañía líder del sector de la salud, centrada en la investigación y con la potencia combinada de la integración farmacéutica-diagnóstica. Roche es la mayor empresa biotecnológica del mundo y tiene medicamentos auténticamente diferenciados en las áreas de oncología, inmunología, enfermedades infecciosas, oftalmología y neurociencias. Roche también es el líder mundial en diagnóstico *in vitro* y diagnóstico histológico del cáncer, y se sitúa a la vanguardia en el control de la diabetes. La estrategia de Roche en medicina personalizada tiene como fin proporcionar medicamentos y pruebas diagnósticas que hagan posibles mejoras tangibles de la salud, la calidad de vida y la esperanza de vida de los pacientes. Fundada en 1896, Roche lleva más de un siglo contribuyendo de manera importante a mejorar la salud en todo el mundo. La Lista de Medicamentos Esenciales de la Organización Mundial de la Salud contiene 29 medicamentos desarrollados por Roche, entre ellos antibióticos, antipalúdicos y quimioterápicos que salvan vidas.

En el año 2014, el Grupo Roche tenía 88 500 empleados, invirtió 8900 millones de francos suizos en Investigación y Desarrollo y sus ventas alcanzaron la cifra de 47 500 millones de francos suizos. Genentech, en Estados Unidos, es un miembro de plena propiedad del Grupo Roche. Roche es el accionista mayoritario de Chugai Pharmaceutical (Japón). Para más información, consulte la página www.roche.com.

Todas las marcas comerciales mencionadas en este comunicado de prensa están protegidas por la ley.

Relaciones con la prensa del Grupo Roche

Teléfono: +41 -61 688 8888 / Correo electrónico: roche.mediarelations@roche.com

- Nicolas Dunant (director)
- Ulrike Engels-Lange
- Štěpán Kráčala
- Nicole Rüppel
- Claudia Schmitt
- Nina Schwab-Hautzinger

Referencias

1. Stilgenbauer, S, and Zenz, T, (2010) "Understanding and Managing Ultra High-Risk Chronic Lymphocytic Leukemia." ASH Education Book. 2010(1):481-488.
2. Leukemia & Lymphoma Society, "Chronic Lymphocytic Leukemia." http://www.lls.org/sites/default/files/file_assets/cll.pdf
3. Leukemia & Lymphoma Society, "Chronic Lymphocytic Leukemia." <http://www.lls.org/leukemia/chronic-lymphocytic-leukemia>
4. Selner, L. et al. (2013) "What Do We Do with Chronic Lymphocytic Leukemia with 17p Deletion?" *Curr Hemetol Malig Rep.* 8(1):81-90.
5. Schnaiter, A. et al. (2013) "17p Deletion in Chronic Lymphocytic Leukemia: Risk Stratification and Therapeutic Approach." *Hematol Oncol Clin N Am* 27 (2013) 289–301