

**MYÉLOME
CANADA**



**MYELOMA
CANADA**

Exclusivement au service de la communauté canadienne du myélome

Æterna Zentaris : son partenaire Keryx annonce une entente avec la FDA pour une évaluation spéciale d'un protocole en vue d'une étude de phase 3 sur perifosine (KRX-0401) pour le traitement du myélome multiple

Québec (Québec), le 3 août 2009

Æterna Zentaris Inc., une société biopharmaceutique internationale spécialisée en endocrinologie et en oncologie, a annoncé aujourd'hui que Keryx Biopharmaceuticals, Inc., son partenaire et licencié pour perifosine sur le marché nord-américain, a conclu une entente avec la U.S. Food and Drug Administration (FDA) dans le cadre d'une évaluation spéciale du protocole (Special Protocol Assessment) d'une étude de phase 3 avec perifosine (KRX-0401), le composé inhibiteur de la voie PI3K/Akt de la Société, chez des patients atteints d'un myélome multiple récurrent ou récurrent/réfractaire et traités auparavant avec la bortezomib (Velcade®). L'évaluation spéciale du protocole stipule que le dessein de l'étude de phase 3 est satisfaisant pour soutenir une soumission réglementaire. L'étude intitulée, "A Phase 3 Randomized Study to Assess the Efficacy and Safety of Perifosine Added to the Combination of Bortezomib and Dexamethasone in Multiple Myeloma Patients Previously Treated with Bortezomib", sera une étude à double-insu contre placebo qui servira à comparer l'efficacité et l'innocuité de perifosine par rapport au placebo dans une combinaison à la bortezomib et à la dexaméthasone. L'étude, dont la puissance a été établie à 90 %, sera menée auprès de quelque 400 patients atteints d'un myélome multiple récurrent ou récurrent/réfractaire. L'objectif principal de l'étude est la survie sans progression de la maladie et les objectifs secondaires incluent le taux de réponse générale, la survie générale et l'innocuité.

« Nous sommes ravis et excités à l'idée de la progression de perifosine en étude de phase 3. Nous franchissons ainsi une étape majeure de notre stratégie de développement de produits en oncologie alors que perifosine pourrait s'avérer un traitement prometteur pour les patients atteints d'un myélome multiple », de souligner Juergen Engel, Ph.D., président et chef de la direction chez Æterna Zentaris.

Information sur le dessein de l'étude de phase 3

L'étude de phase 3 est un essai randomisé (1 : 1) à double-insu, comparant l'efficacité et l'innocuité de perifosine par rapport à un placebo dans une combinaison à la bortezomib et à la dexaméthasone. Elle sera menée auprès de quelque 400 patients atteints d'un myélome multiple récurrent ou récurrent/réfractaire. Les patients devront d'abord avoir reçu un traitement de bortezomib (Velcade®) et d'un agent immunomodulateur (Revlinid® ou Thalidomid®), et en plus, une à quatre lignes de traitement préalable. L'objectif principal de l'étude est la survie sans progression de la maladie et les objectifs secondaires incluent le taux de réponse générale, la survie générale et l'innocuité.

Information sur le myélome multiple

Le myélome multiple, un cancer des cellules plasmiques, est une maladie incurable mais traitable. Il est le deuxième cancer hématologique le plus répandu et représente 1 % de tous les diagnostics de

cancer et 2 % de la mortalité liée au cancer. Selon l'American Cancer Society, en 2009, on dénombrait 20,580 nouveaux cas de myélome multiple et environ 10, 500 décès aux États-Unis. À ce jour, il existe plusieurs traitements approuvés par la FDA contre le myélome multiple. Malgré les progrès enregistrés, les patients finissent par rechuter, deviennent réfractaires aux traitements antérieurs et meurent finalement de leur maladie. Par conséquent, de nouvelles thérapies sont nécessaires afin de soigner ces patients et de prolonger leur temps de survie.

Information sur perifosine

Perifosine est un composé anticancéreux oral novateur qui module plusieurs mécanismes clés impliqués dans la transduction du signal dont l'Akt, MAPK et JNK, reconnus comme étant essentiels à la survie des cellules cancéreuses. Perifosine a démontré une activité anti-tumorale en monothérapie lors d'études de phase 1 et phase 2. Perifosine fait actuellement l'objet d'un vaste programme d'essais cliniques en monothérapie et en combinaison avec divers agents anticancéreux pour différents types de cancer. Récemment, des résultats positifs ont été dévoilés sur perifosine en monothérapie chez des patients atteints d'un cancer du rein métastatique avancé et combiné à la capecitabine pour ceux atteints d'un cancer du colon métastatique avancé (contre placebo), ainsi que sur perifosine combiné à bortezomib +/- dexaméthasone chez des patients atteints d'un myélome récurrent et réfractaire.

Information sur l'évaluation spéciale d'un protocole

Le processus d'évaluation spéciale d'un protocole est une procédure selon laquelle la FDA fournit une évaluation et des directives écrites officielles sur le dessein et l'ampleur des protocoles déposés, ayant pour objet d'établir les éléments de base pour une demande d'autorisation d'un nouveau médicament.

L'approbation finale pour la mise en marché d'un produit dépend des résultats sur l'efficacité, le profil d'innocuité et l'évaluation bénéfices/risques obtenus par ce produit en phase 3. Des changements peuvent être apportés à l'évaluation spéciale du protocole seulement à la suite d'une entente écrite entre la FDA et le commanditaire, ou si la FDA prend connaissance d'une question scientifique importante, essentielle à l'efficacité et à la sécurité du produit. Pour en connaître davantage sur la procédure d'évaluation spéciale de protocoles, consultez le lien suivant :

<http://www.fda.gov/downloads/Drugs/GuidanceComplianceRegulatoryInformation/Guidances/ucm080571.pdf>