

PharmaMar anuncia que la FDA aprueba lurbinectedina (Zepzelca™) en EE.UU. para el tratamiento del cáncer de pulmón microcítico metastásico

- Lurbinectedina se aprueba bajo la regulación de “*accelerated approval*”, basada en la tasa de respuesta global y la duración de la respuesta demostrada en un ensayo clínico en monoterapia.
- El compuesto antitumoral lurbinectedina se comercializará bajo la marca Zepzelca™.
- Se espera que lurbinectedina esté disponible comercialmente en EE.UU. por Jazz Pharmaceuticals a principios de julio.
- Con esta aprobación PharmaMar ingresará un pago de 100 millones de dólares. Podrá recibir hasta otros 150 millones adicionales una vez se produzca el “*full approval*”.
- La aprobación representa un avance importante para los pacientes adultos con cáncer de pulmón microcítico que ha progresado después de un tratamiento de quimioterapia basado en platino.
- El tratamiento para esta indicación apenas ha cambiado en 22 años, desde que se aprobó el último fármaco.

Madrid y Dublín, 15 de junio de 2020.- PharmaMar (MSE:PHM) ha anunciado hoy, junto a Jazz Pharmaceuticals plc (Nasdaq: JAZZ), que la FDA de Estados Unidos (*Food and Drug Administration*) ha aprobado Zepzelca™ (lurbinectedina) para el tratamiento de pacientes adultos con cáncer de pulmón microcítico metastásico con progresión de la enfermedad, tras un tratamiento con quimioterapia basado en platino. Lurbinectedina ha sido aprobado bajo procedimiento acelerado (*Accelerated Approval*) en base a la tasa de respuesta (ORR, *Overall Response Rate*) y la duración de la respuesta (DoR, *Duration of Response*).

La aprobación de este fármaco por parte de la FDA se basa en los datos de un estudio en monoterapia, abierto, multicéntrico y de un solo brazo de 105 pacientes adultos sensibles a platino y resistentes a platino, con cáncer de pulmón microcítico recurrente. Los datos, que fueron publicados en la edición de mayo de 2020 de *The Lancet Oncology*, mostraron que en cáncer de pulmón microcítico recurrente lurbinectedina demostró una ORR del 35% y una mediana de DoR de 5,3 meses según la evaluación del investigador (30% y 5,1 meses respectivamente, según la

medición del Comité de Revisión Independiente (IRC, *Independent Review Committee*).

Esta aprobación permitirá a Jazz hacer que lurbinectedina (Zepzelca™) esté disponible comercialmente en EE.UU. a principios de julio de este mismo año.

Como ya se informó el 19 de diciembre de 2019, PharmaMar recibirá royalties sobre las ventas netas de lurbinectedina cuyo rango comprende desde el doble dígito alto, hasta un máximo del 30%. Adicionalmente, PharmaMar ingresará un pago de 100 millones de dólares y podría recibir hasta otros 150 millones adicionales una vez se produzca el "full approval".

"¡Es genial ver un nuevo agente terapéutico disponible para pacientes con cáncer de pulmón microcítico recurrente! Lurbinectedina es el primer medicamento nuevo aprobado para el tratamiento en segunda línea desde 1996. El cáncer de pulmón microcítico sigue siendo una gran necesidad médica no satisfecha. Muchos de nosotros en la comunidad oncológica le daremos la bienvenida a lurbinectedina como una nueva opción estándar para pacientes con cáncer de pulmón microcítico recurrente", dijo el **Dr. Charles Rudin**, Jefe del Servicio de Oncología Torácica del Memorial Sloan Kettering Cancer Center e investigador principal del Consorcio del NCI para el Cáncer de Pulmón Microcítico.

"Nos enorgullece ofrecer una nueva opción de tratamiento con eficacia y seguridad comprobadas a los pacientes con cáncer de pulmón microcítico recurrente", dijo **José María Fernández Sousa-Faro, PhD**, presidente de PharmaMar, *"La aprobación acelerada de la FDA en EE.UU. de lurbinectedina pone de manifiesto su potencial frente a una necesidad no cubierta en el tratamiento cáncer de pulmón microcítico"*.

Lurbinectedina se administra mediante una infusión intravenosa (IV) que suministra una dosis de 3,2 mg/m² durante una hora, que se repite cada 21 días hasta la progresión de la enfermedad o una toxicidad inaceptable. El tratamiento puede administrarse en una clínica ambulatoria y su programa de dosificación de una sola infusión cada 21 días puede dar lugar a que el paciente reciba menos tiempo de tratamiento en la clínica u hospital, en comparación con otras opciones terapéuticas.

"El cáncer de pulmón microcítico o de célula pequeña es una enfermedad con pocas opciones de tratamiento. La aprobación de lurbinectedina representa un avance importante para los pacientes cuyo cáncer de pulmón microcítico metastásico ha progresado después de una terapia basada en platino", dijo **Bruce Cozadd**, presidente y director ejecutivo de Jazz Pharmaceuticals. *"Aunque los pacientes pueden responder inicialmente a la quimioterapia tradicional, a menudo*

experimentan una recurrencia agresiva que es históricamente resistente al tratamiento. Jazz felicita a PharmaMar por el exitoso desarrollo de lurbinectedina y estamos orgullosos de asociarnos con ellos para llevar esta nueva terapia al mercado estadounidense, ampliando nuestra presencia en oncología".

Algunas de las reacciones adversas más comunes, incluyendo anomalías en las analíticas, son mielosupresión, fatiga, aumento de la creatinina, aumento de la glucosa, náuseas o disminución del apetito.

*"Durante décadas, las terapias efectivas después del tratamiento inicial han sido inexistentes para las personas diagnosticadas con cáncer de pulmón microcítico", dijo la **Dra. Jennifer C. King**, Directora Científica de la Fundación GO2 para el Cáncer de Pulmón. "Estamos encantados de que se estén haciendo progresos para ayudar a las personas con cáncer de pulmón microcítico y damos la bienvenida a nuevas opciones para tratar esta devastadora enfermedad".*

El programa de "Accelerated Approval" de la FDA permite la aprobación condicional de un medicamento que cubre una necesidad médica no satisfecha para una enfermedad o condición seria o que amenace la vida. La aprobación acelerada de lurbinectedina se basa en la tasa de respuesta del tumor y la duración de la respuesta, y la continuidad de su aprobación para esta indicación puede depender de la verificación y descripción del beneficio clínico en ensayos de confirmación.

Acerca del ensayo *basket* en monoterapia de fase II

El ensayo de la fase II de lurbinectedina fue un estudio abierto, de un solo brazo, en el que se reclutaron un total de 105 pacientes sensibles a platino y resistentes a platino, con cáncer de pulmón microcítico en 26 hospitales de seis países de Europa occidental, además de Estados Unidos¹. En el ensayo en *basket*, los pacientes fueron tratados con lurbinectedina 3,2 mg/m², administrados en una infusión intravenosa de 60 minutos que se repitió cada 21 días hasta la progresión de la enfermedad o la toxicidad inaceptable. El objetivo primario, ORR, fue del 35% y la mediana de la DoR fue de 5,3 meses según la evaluación del investigador (30% y 5,1 meses respectivamente, según la medición del IRC).

Nos gustaría aprovechar esta oportunidad para extender nuestro más sincero agradecimiento a los pacientes, familiares y cuidadores, así como a los equipos médicos que han participado en nuestros ensayos clínicos y han ayudado a llevar lurbinectedina a este punto.

Sobre lurbinectedina

Lurbinectedina (Zepzelca™), también conocido como PM1183, es un análogo del compuesto de origen marino ET-736, aislado de la ascidia *Ecteinacidia turbinata*, donde un átomo de hidrógeno ha sido reemplazado por un grupo de metoxi. Es un inhibidor selectivo de los programas de transcripción oncogénica de los que muchos tumores son particularmente dependientes. Junto con su efecto sobre las células cancerosas, lurbinectedina inhibe la transcripción oncogénica en macrófagos asociados al tumor, disminuyendo la producción de citoquinas que son esenciales para el crecimiento del tumor. La adicción a la transcripción es un objetivo reconocido en esas enfermedades, muchas de las cuales carecen de otros objetivos procesables.

Sobre PharmaMar

PharmaMar es una compañía biofarmacéutica con sede en Madrid, centrada en oncología y comprometida con la investigación y desarrollo que se inspira en el mar para el descubrimiento de moléculas con actividad antitumoral. Es una compañía que busca productos innovadores para dotar de nuevas herramientas a los profesionales sanitarios para tratar el cáncer. Su compromiso con los pacientes y con la investigación ha hecho que PharmaMar sea uno de los líderes mundiales en descubrimiento de 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: Zepzelca™ (lurbinectedina, PM1183), PM184 y PM14. PharmaMar es una compañía biofarmacéutica global con presencia en Alemania, Italia, Francia, Suiza, Bélgica, Austria y EE.UU. PharmaMar también tiene la participación mayoritaria de otras compañías: GENOMICA, primera empresa española en el campo del diagnóstico molecular; y Sylentis, dedicada a la investigación de las aplicaciones terapéuticas del silenciamiento génico (RNAi). Para más información, visite nuestra web: www.pharmamar.com

Sobre Jazz Pharmaceuticals plc

Jazz Pharmaceuticals plc (Nasdaq: JAZZ) es una compañía biofarmacéutica global dedicada a desarrollar medicamentos que cambian la vida de personas con enfermedades graves, a menudo con opciones limitadas o sin ellas. Contamos con una cartera diversa de medicamentos comercializados y candidatos a productos novedosos, desde las primeras hasta las últimas fases de desarrollo, en áreas terapéuticas clave. Nos centramos en la neurociencia, incluyendo la medicina del sueño y los trastornos del movimiento, y en la oncología, incluyendo los tumores hematológicos y sólidos. Exploramos activamente nuevas opciones para los pacientes, incluyendo compuestos novedosos, avances en moléculas pequeñas, productos biológicos y tecnologías innovadoras de administración. Jazz tiene su sede en Dublín, Irlanda, y cuenta con empleados en todo el mundo, atendiendo a pacientes en más de 90 países. Para obtener más información, visite www.jazzpharmaceuticals.com y siga a @JazzPharma en Twitter.

Aviso Legal

El presente comunicado no constituye una oferta de venta o la solicitud de una oferta de compra de valores, y no constituirá una oferta, solicitud o venta en cualquier jurisdicción en la que dicha oferta, solicitud o venta sea ilegal antes del registro o verificación bajo las leyes de valores de dicha jurisdicción.

Para más información:

Alfonso Ortín – Communications Director aortin@pharmamar.com Móvil : + 34609493127

Miguel Martínez-Cava – Communication Manager mmartinez-cava@pharmamar.com Móvil: +34 606597464

Teléfono: +34 918466000

Mercado Capitaes y Relación con Inversores:

José Luis Moreno Martínez-Losa – Director Mercado Capitaes y Relación con Inversores

María Marín de la Plaza – Mercado Capitaes y Relación con Inversores

investorrelations@pharmamar.com

Teléfono: +34 914444500



Para más información, visite nuestra web: www.pharmamar.com

¹ Trigo J, Subbiah V, Besse B, et al. Lurbinectedin as second-line treatment for patients with small-cell lung cancer: a single-arm, open-label, phase 2 basket trial. *Lancet Oncol.* 2020 May;21(5):645-654.