



OFFICINA INVESTIMENTO BIOTECH

PORTAFOGLIO
USA

Situazione dopo 2q15 e Watchlist –
08/09/15

Indice

Idera -IDRA.....	3
Calithera – CALA.....	4
Trillium -TRIL.....	5
Array -ARRY.....	6
Karyopharm -KPTI.....	8
Affimed- AFMD.....	9
Onconova -ONTX.....	10
Watchlist.....	11
Disclaimer: leggere attentamente le avvertenze.....	13



Idera -IDRA

Mercato:

Nasdaq

Quotazione:

2,80\$

Cassa:

106M\$

Azioni:

118M

A giugno Idera annuncia la collaborazione con MD Anderson che sfocerà nella realizzazione di una fase 1/2 che inizierà nel **4q15** (con dati attesi nel **2016**). Lo studio sarà condotto su circa 45 pazienti affetti da melanoma metastatico ai quali verrà somministrato IMO-2125 (TLR agonista) ed Yervoy (anti-CTLA4). Lo scopo dell'accordo fra Idera e MDA è quello di testare IMO-2125 in combo con diversi checkpoint inibitori, non solo Yervoy, ed ulteriori studi sono in fase di progettazione.

Due abstract relativi a dati preclinici circa l'impiego di IMO-2125 saranno presentati al CRI-CIMT-EATI-AACR che si terrà dal 16 al 19 **settembre 2015** a New York.

La fase 1/2 di IMO-8400 in soggetti affetti da macroglobulinemia di Waldenstrom la cui malattia è progredita dopo precedenti terapie restituirà i primi dati in **4q15**.

I dati della fase 1/2 del TLR antagonista nel trattamento del linfoma diffuso a grandi cellule B recidivo e refrattario con mutazione MYD88 L265P sono attesi per il **2016**.

Lo sviluppo di IMO-8400 nel trattamento di alcune malattie piuttosto rare inizierà in **4q15** con il primo trial su soggetti affetti da dermatomiosite, mentre ne **2016** inizierà una fase 2 che vedrà coinvolti pazienti affetti da distrofia muscolare di Duchenne.

In **4q15** la compagnia darà inizio alla fase preparatoria che condurrà agli IND per le prime due indicazioni scelte nell'ambito del programma sulla terza generazione di farmaci oligo-nucleotidi antisenso.

La cassa al 30 giugno ammontava a 106,3 milioni di dollari.



Calithera – CALA

Mercato:

Nasdaq

Quotazione:

6,05\$

Cassa:

88M\$

Azioni:

18M

Lo scorso maggio Calithera ha presentato i dati di CB-839 in monoterapia nel trattamento di alcuni tumori solidi. Attualmente la compagnia sta arruolando in quattro coorti di espansione (tumore al seno triplo negativo, carcinoma renale, tumore al polmone KRAS+ e tumori con mutazione del ciclo del TCA). I dati dell'impiego in monoterapia sono attesi per **4q15**.

CB-839 è anche testato in combinazione con paclitaxel nel trattamento del tumore al seno triplo negativo, mentre combinazioni con everolimus ed erlotinib sono già programmate per il trattamento del carcinoma renale e del tumore al polmone KRAS+, rispettivamente e dovrebbero iniziare l'arruolamento in **4q15**. I primi dati di CB-839 in combinazione sono attesi per **2q16**.

A giugno Calithera ha portato ad EHA i dati aggiornati dell'inibitore della glutaminasi nel trattamento della leucemia mieloide acuta. Il futuro del farmaco è ancora in fase di studio in questa indicazione ma c'è già una coorte che arruola pazienti affetti da mieloma multiplo ai quali viene somministrato CB-839 assieme a pomalidomide e desametasone a basso dosaggio.

CB-1158 dovrebbe entrare in sperimentazione clinica nel **2q16**.



Trillium -TRIL

Mercato:

Nasdaq

Quotazione:

14,67\$

Cassa:

89M\$

Azioni:

15M

Trillium si avvicina sempre più all'inizio della sperimentazione clinica inerente l'anti-CD47 di loro esclusiva proprietà, anticipando la presentazione di una IND nel **3q15**. Il primo studio sarà rivolto a soggetti con tumori del sangue in fase avanzata della malattia, tuttavia l'idea di Trillium è di espandere l'impiego di SIRP α F anche verso tumori solidi, sia in monoterapia che in combinazione con altri agenti (la compagnia ad esempio cita Rituxan, Herceptin e Campath). L'evento più importante che ci si aspetta da Trillium non è quindi tanto l'inizio di uno studio clinico, quanto l'annuncio di potenziali collaborazioni con istituti di ricerca e, soprattutto, con altre aziende.

L'inizio della prima fase 1 è da attendersi presumibilmente per **1q16** e sarà caratterizzato da una prima porzione a dosaggio scalare su soggetti affetti da linfoma, mentre la fase di espansione coinvolgerà pazienti con AML e MDS.



Array -ARRY

Mercato:

Nasdaq

Quotazione:

5,62\$

Cassa:

185M\$

Azioni:

142M

Nel breve periodo l'evento più importante di Array è la decisione circa il partner europeo per i diritti di binimetinib ed encorafenib. La compagnia ha annunciato di essere in trattativa con più di un soggetto ed entro fine anno **(4q15)** sarà formalizzata la decisione. Questo fatto, unitamente alla capitalizzazione non certo elevata ed alla posizione di cassa confortevole (che presumibilmente aumenterà ancora in seguito all'accordo sopra citato) ed alla pipeline sterminata ne fanno un titolo da osservare con molta attenzione ed un ottimo investimento.

Ulteriori dati circa la combo dei due inibitori nello studio LOGIC-2 (melanoma BRAF+) verranno presentati all'ECC che si terrà dal **25 al 29 settembre**.

Per quanto riguarda gli studi registrativi dei programmi interamente posseduti da Array, NEMO dovrebbe restituire i dati ad nel **1q16**, con possibile richiesta di approvazione nel **2q16**. Per lo stesso tipo di popolazione, ossia pazienti affetti da melanoma NRAS+, i dati della combo binimetinib e LEE011 (CDK inibitore) verranno anch'essi presentati all'ECC **25 al 29 settembre**.. Meno chiare le tempistiche di COLUMBUS, studio registrativo di binimetinib ed encorafenib nel trattamento del melanoma BRAF+, i cui dati sono attesi nel 2016. Ultimo studio potenzialmente registrativo è MILO, con dati attesi nel 2017.

Altri studi registrativi sono in corso e condotti da AstraZeneca. Dopo il fallimento di SUMIT (melanoma metastatico uveale) proseguono ASTRA (cancro alla tiroide), NF1 (neurofibromatosi) e SELECT-1 (tumore al polmone KRAS+). Per quest'ultimo studio i dati sono



attesi nel 2016, maggiore incertezza per quanto riguarda gli altri.

Ad ASH (5 – 8 dicembre 2015) probabilmente Array porterà inoltre ulteriori dati inerenti il KSP inibitore filanesib, attualmente in fase 2 nel mieloma multiplo sia da solo che in combinazione con Kyprolis.



Karyopharm -KPTI

Mercato:

Nasdaq

Quotazione:

13,98\$

Cassa:

256M\$

Azioni:

35M

Dopo il crollo causato dalla notizia dell'emendamento allo studio SOPRA a causa del quale il dosaggio di Selinexor impiegato è stato rivisto al ribasso, Karyopharm annuncia che i dati preclinici relativi a KPT-350 verranno presentati sia all'ANA (American Neurological Association) il **26 settembre** che al SFN (Society for Neuroscience) il **18 e 19 ottobre**.

Il focus dell'azienda rimane sull'onco-ematologia, ambito nel quale vedrà la nascita uno studio potenzialmente registrativo di Selinexor nel trattamento del liposarcoma nel **4q15**.

I prossimi dati di un certo interesse potrebbero arrivare ad ASH15 a **dicembre**, anche se è prematuro sbilanciarsi riguardo cosa verrà presentato.

I primi dati di SOPRA saranno annunciato a fine **2q15**, mentre quelli definitivi nel **4q16**.

Sempre per fine **2q16** sono attesi i primi dati dello studio STORM (mieloma multiplo recidivo/refrattario) e per fine anno prossimo (**4q16**) i dati finali di SADAL e SIRRT, nel trattamento del linfoma diffuso a grandi cellule B recidivo/refrattario e nella sindrome di Richter rispettivamente.



Affimed- AFMD

Mercato:

Nasdaq

Quotazione:

9,26\$

Cassa:

66M\$

Azioni:

24M

Affimed prevede di rilasciare i dati della fase 2a di AFM13 nel trattamento di pazienti con linfoma di Hodgkin nella prima metà del prossimo anno, probabilmente nel **2q16**. Uno studio condotto da investigatori indipendenti inizierà poi nel **4q15** su soggetti affetti da linfomi cd30+, mentre nella prima metà del 2016 inizierà uno studio di combinazione di AFM13 con un checkpoint inibitore (presumibilmente anti-PD1).

I dati del secondo bi-specifico di Affimed, AFM11, sono attesi con un deciso ritardo per la seconda metà del **2016** a causa di un cambio sostanziale nel disegno dello studio clinico.

In **4q15** Affimed deciderà anche il nuovo candidato per il progetto anti-EGFRvIII, che presumibilmente sfrutterà la possibilità di legarsi a CD16A, come da dati presentati lo scorso ASCO.



Onconova -ONTX

Mercato:

Nasdaq

Quotazione:

1,50\$

Cassa:

25M\$

Azioni:

21M

Onconova ha recentemente annunciato l'intenzione di condurre una fase 3 di rigosertib denominata INSIPRE su soggetti affetti da sindromi mielodisplastiche (MDS) ad alto rischio che hanno fallito una precedente linea terapeutica a base di agenti ipometilanti. L'inizio dell'arruolamento di questo studio che, potenzialmente, getta le basi per un'approvazione sia in USA che in Europa, è atteso per **4q15**. Metà dei costi saranno sostenuti da Baxalta (Baxter) fino al raggiungimento di un determinato tetto, mentre per quanto riguarda il Giappone sarà l'altro partner SymBio ad occuparsi dell'arruolamento dei pazienti, in modo da accelerare una futura approvazione anche nel Sol levante. La scarsa posizione di cassa suggerisce l'urgenza nel reperire nuovi fondi e, in mancanza di possibili nuovi partner per altri assetti, l'unico modo è attraverso l'emissione di nuovi titoli.

Entro fine anno (**4q15**) sono attesi i dati del trial 09-08 (rigosertib per via orale in pazienti con MDS e AML) per quanto riguarda la fase 2, dopo che i dati della prima porzione di studio sono stati già illustrati all'International Symposium on Myelodysplastic Syndromes.

Sempre per 4q15 si attendono i dati finali di ONTIME, fase 3 fallita ad inizio 2014. I dati non hanno nessuna importanza se non per illustrare i motivi che portano Onconova a credere che ci sia un futuro per il farmaco in determinate sub popolazioni di pazienti (convinzione che ha portato alla fase 3 che inizierà a breve).



ARQL **Pro** 48M\$ in cassa, pipeline differenziata con focus su malattie rare con alta esigenza di nuove opzioni terapeutiche, capitalizza pochissimo ed entro fine anno è attesa la conclusione dell'arruolamento di METIV-HCC, fase 3 di tivantinib

Contro L'ipotesi di usare un MET inibitore finora non ha portato a nessun risultato apprezzabile, anche in popolazioni scelte con biomarker, ma il problema si porrà solo il prossimo anno.

INFI **Pro** Partner importante e dati di duvelisib convincenti. La chiusura degli arruolamenti per DYNAMO e DUO è prevista per 4q15 e comporterà il pagamento di 130M\$ di milestones.

Contro Concorrenza feroce e track record poco invidiabile, con alle spalle numerosi farmaci falliti. Pipeline monodimensionale.

ADAP **Pro** Tecnologia potenzialmente rivoluzionaria. Un partner importante.

Contro Pochi eventi a breve, non capitalizza poco. Royalties provenienti da GSK non molto remunerative.

ENUM **Pro** Capitalizza pochissimo, si occupa di checkpoint inibitori da un punto di vista poco convenzionale.

Contro Si trova in OTC, ha poca visibilità e non ha partner di peso. Praticamente non ha cassa.

STML **Pro** Dati intriganti e una chiara indicazione verso approvazione in un mercato che



potrebbe conquistare velocemente. Capitalizza relativamente poco.

Contro Qualche dubbio sulla tollerabilità, studi condotti su pochi pazienti. L'ipotesi sul colpire le cellule staminali cancerogene finora non si è dimostrata particolarmente utile.



**Disclaimer:
leggere
attentamente
le avvertenze**

La presente pubblicazione è distribuita da Officina Biotech. Pur ponendo la massima cura nella predisposizione della presente pubblicazione e considerando affidabili i suoi contenuti, Officina Biotech non si assume tuttavia alcuna responsabilità in merito all'esattezza, completezza e attualità dei dati e delle informazioni nella stessa contenuti ovvero presenti sulle pubblicazioni utilizzate ai fini della sua predisposizione. Di conseguenza si declina ogni responsabilità per errori od omissioni.

La presente pubblicazione viene a Voi fornita per meri fini di informazione ed illustrazione, non costituendo in nessun caso offerta al pubblico di prodotti finanziari ovvero promozione di servizi e/o attività di investimento nei confronti di persone residenti in Italia né di persone residenti in altre giurisdizioni, a maggior ragione quando tale offerta e/o promozione non sia autorizzata in tali giurisdizioni e/o sia contra legem se rivolta alle suddette persone.

Officina Biotech non potrà essere ritenuta responsabile, in tutto o in parte, per i danni (inclusi, a titolo meramente esemplificativo, il danno per perdita o mancato guadagno, interruzione dell'attività, perdita di informazioni



o altre perdite economiche di qualunque natura) derivanti dall'uso, in qualsiasi forma e per qualsiasi finalità, dei dati e delle informazioni presenti nella presente pubblicazione.

La presente pubblicazione può essere riprodotta unicamente nella sua interezza ed esclusivamente citando il nome di Officina Biotech, restandone in ogni caso vietato ogni utilizzo commerciale. La presente pubblicazione è destinata all'utilizzo ed alla consultazione da parte degli iscritti alla newsletter di Officina Biotech ai quali viene indirizzata, e, in ogni caso, non si propone di sostituire il giudizio personale dei soggetti a cui si rivolge.

Officina Biotech ha la facoltà di agire in base a/ovvero di servirsi di qualsiasi elemento sopra esposto e/o di qualsiasi informazione a cui tale materiale si ispira ovvero è tratto anche prima che lo stesso venga pubblicato e messo a disposizione della sua clientela.

Officina Biotech può occasionalmente, a proprio insindacabile giudizio, assumere posizioni lunghe o corte con riferimento ai prodotti finanziari eventualmente menzionati nella presente pubblicazione. In nessun caso e per nessuna ragione Officina Biotech sarà tenuto, nell'ambito dello svolgimento della propria attività, sia essa individuale o collettiva, ad agire conformemente, in tutto o in parte, alle opinioni riportate nella presente pubblicazione.



Officina Biotech non potrà essere ritenuto responsabile in nessuna forma per aver copiato questo disclaimer da altri.

