



Blueprint Medicines inicia el ensayo clínico VOYAGER fase 3 de Avapritinib (BLU-285) en pacientes contumores del estroma gastrointestinal avanzado

<https://www.prnewswire.com/news-releases/blueprint-medicines-initiates-voyager-phase-3-clinical-trial-of-avapritinib-in-patients-with-advanced-gastrointestinal-stromal-tumors-300670048.html>

CAMBRIDGE, Mass. , 21 de junio de 2018 / PRNewswire / - Blueprint Medicines Corporation (NASDAQ: [BPMC](#)), un líder en el descubrimiento y desarrollo de medicamentos dirigidos a quinasas para pacientes con enfermedades genómicamente definidas, anunció hoy que ha dosificado al primer paciente en el VOYAGER Fase 3 ensayo clínico, que está evaluando la seguridad y eficacia de avapritinib en comparación con regorafenib en pacientes con tumores estromales gastrointestinales (GIST) avanzados. El ensayo VOYAGER está diseñado para inscribir pacientes previamente tratados con imatinib y uno o dos inhibidores adicionales de la tirosina quinasa (TKI).

"El inicio de la prueba VOYAGER fase 3 representa un hito importante para Blueprint Medicines, a medida que avanzamos en los esfuerzos para lograr el registro de avapritinib en una amplia población GIST", dijo Andy Boral , MD, Ph.D., Director Médico de Blueprint Medicines . "Con convincentes datos clínicos de Fase 1 que muestran respuestas objetivas y una supervivencia libre de progresión prolongada en pacientes muy pretratados, creemos que avapritinib tiene el potencial de ofrecer un mejor control de la enfermedad a los pacientes con GIST avanzado de tercera línea y posterior".

Avapritinib es un inhibidor potente y selectivo de quinasas mutantes KIT y PDGFRA activadas. Los TKI actualmente aprobados por la Administración de Drogas y Alimentos de los EE. UU. (FDA) para el tratamiento del GIST avanzado solo se unen a las conformaciones inactivas de KIT y PDGFRA, mientras que avapritinib está diseñado exclusivamente para unir e inhibir la conformación activa de estas proteínas quinasas. Esto permite una potente inhibición de mutaciones tanto primarias como secundarias que desplazan la quinasa hacia su conformación activa. En pacientes con GIST metastásico recidivante cuya enfermedad ha progresado después del tratamiento con imatinib, las mutaciones de resistencia en el bucle de activación se acumulan con mayor frecuencia, lo que limita la efectividad de TKI aprobados.

Acerca del ensayo clínico VOYAGER fase 3

El ensayo clínico VOYAGER es un ensayo aleatorizado, abierto, de fase 3, global, diseñado para evaluar la seguridad y eficacia de avapritinib frente a regorafenib en pacientes con GIST avanzados de tercera o cuarta línea. Los pacientes elegibles habrán recibido previamente imatinib y uno o dos inhibidores adicionales de tirosina quinasa. El ensayo está diseñado para reclutar aproximadamente 460 pacientes aleatorizados 1: 1 para recibir avapritinib dosificado a 300 mg una vez al día (QD) o regorafenib dosificado a 160 mg QD durante tres semanas, seguido de una semana de descanso, en varios sitios en los Estados Unidos, Unión Europea, Australia y Asia. Los pacientes que se asignan al azar para recibir regorafenib y experimentan progresión de la enfermedad confirmada por la revisión de radiología central se les puede ofrecer la oportunidad de pasar al brazo de tratamiento con avapritinib. El objetivo principal de eficacia es la supervivencia libre de progresión determinada por la evaluación radiológica central según los criterios de evaluación de respuesta modificados en tumores sólidos (RECIST) versión 1.1. Los puntos finales secundarios incluyen la tasa de respuesta objetiva, la supervivencia general y las medidas de resultado de la calidad de vida. Regorafenib, también conocido como Stivarga®, es un inhibidor oral de las multi-quinasa aprobado por la Administración de Alimentos y Medicamentos de los EE. UU. Para el tratamiento de pacientes con GIST de tercera línea.

Los pacientes y médicos interesados en el ensayo VOYAGER fase 3 pueden comunicarse con el director de estudio de Blueprint Medicines en studydirector@blueprintmedicines.com o 1-617-714-6707. Para obtener más información sobre la prueba VOYAGER, visite www.voyagertrial.com. Detalles adicionales también están disponibles en www.clinicaltrials.gov (ClinicalTrials.gov Identificador: NCT03465722).

Acerca de Avapritinib

Avapritinib es un inhibidor de KIT y PDGFRA disponible por vía oral, potente y altamente selectivo. En ciertas enfermedades, un espectro de mutaciones clínicamente relevantes fuerza a las proteínas quinasa KIT o PDGFRA a un estado cada vez más activo. Avapritinib está diseñado exclusivamente para unir e inhibir la conformación activa de estas proteínas, que incluyen PDGFR α D842V y KIT D816V a una potencia sub nanomolar. Blueprint Medicines inicialmente está desarrollando avapritinib, un medicamento de investigación, para el tratamiento de pacientes con GIST avanzada y mastocitosis sistémica.

En junio de 2017, avapritinib recibió la Designación de Terapia Avanzada de la FDA para el tratamiento de pacientes con GIST no resecables o metastásicos que albergan la mutación PDGFR α D842V. Previamente, la FDA otorgó la designación de fármaco huérfano a

avapritinib para GIST y mastocitosis y designación de vía rápida para avapritinib para GIST. Además, la Comisión Europea ha otorgado la designación de medicamento huérfano a avapritinib para GIST. En mayo de 2018, Blueprint Medicines anunció planes para presentar una nueva solicitud de medicamentos a la FDA para avapritinib para el tratamiento de GIST PDGFR α D842V en la primera mitad de 2019. En junio de 2018 Blueprint Medicines anunció un acuerdo exclusivo de colaboración y licencia con CStone Pharmaceuticals para el desarrollo y la comercialización de avapritinib y otros medicamentos candidatos en China continental, Hong Kong, Macao y Taiwán.

Acerca de GIST

GIST es un sarcoma, o tumor de hueso o tejido conjuntivo, del tracto gastrointestinal (GI). Los tumores surgen de las células en la pared del tracto GI y se producen con mayor frecuencia en el estómago o el intestino delgado. La mayoría de los pacientes son diagnosticados entre las edades de 50 a 80 años, y el diagnóstico generalmente se desencadena por hemorragia digestiva, hallazgos incidentales durante la cirugía o por imágenes y, en casos excepcionales, ruptura del tumor o obstrucción GI.

La mayoría de los casos de GIST son causados por un espectro de mutaciones clínicamente relevantes que fuerzan a las KIT de proteína KIT o PDGFRA a un estado cada vez más activo. Además, las mutaciones de resistencia en el ciclo de activación se acumulan con mayor frecuencia en pacientes muy pretratados. Debido a que las terapias actualmente disponibles solo se unen a las conformaciones de proteínas inactivas, ciertas mutaciones primarias y secundarias típicamente conducen a la resistencia al tratamiento y la progresión de la enfermedad.

Las opciones de tratamiento para los pacientes con GIST inducidos por KIT cuya enfermedad progresa o desarrolla resistencia son actualmente limitadas, con terapias aprobadas que proporcionan una supervivencia libre de progresión de hasta seis meses y una tasa de respuesta entre cinco y siete por ciento. No hay opciones de tratamiento efectivas para pacientes con GIST dirigido por PDGFRA D842V, y la progresión a menudo ocurre en tan solo tres meses con opciones de tratamiento disponibles.

Acerca de Blueprint Medicines

Blueprint Medicines está desarrollando una nueva generación de medicamentos dirigidos y potentes con quinasa para mejorar las vidas de los pacientes con enfermedades genómicamente definidas. Su enfoque se basa en una comprensión profunda del modelo genético del cáncer y otras enfermedades causadas por la activación anormal de las

quinasas. Blueprint Medicines está avanzando en múltiples programas en desarrollo clínico para subconjuntos de pacientes con tumores del estroma gastrointestinal, carcinoma hepatocelular, mastocitosis sistémica, cáncer de pulmón de células no pequeñas, cáncer de tiroides medular y otros tumores sólidos avanzados, así como múltiples programas de investigación y desarrollo preclínico. Para obtener más información, visite www.blueprintmedicines.com.

Notas de precaución con respecto a las declaraciones prospectivas

Este comunicado de prensa contiene declaraciones a futuro dentro del significado de la Ley de Reforma de Litigios de Valores Privados de 1995, según enmendada, incluidas, entre otras, declaraciones sobre planes para lograr el registro de avapritinib en una amplia población de GIST; expectativas con respecto a los beneficios potenciales de avapritinib en el tratamiento de pacientes con GIST, incluidos los pacientes con GIST avanzada de tercera línea y posterior; y la estrategia, los planes comerciales y el enfoque de Blueprint Medicines. Las palabras "puede", "voluntad", "podría", "debería", "debería", "esperar", "planificar", "anticipar", "pretender", "creer", "estimar", "predecir", "proyecto", "potencial", "continuar", "objetivo" y expresiones similares están destinadas a identificar declaraciones prospectivas, aunque no todas las declaraciones prospectivas contienen estas palabras identificativas. Todas las declaraciones prospectivas en este comunicado de prensa se basan en las expectativas y creencias actuales de la administración y están sujetas a una serie de riesgos, incertidumbres y factores importantes que pueden causar que los eventos o resultados reales difieran materialmente de los expresados o implícitos por cualquier visión prospectiva declarada contenida en este comunicado de prensa, que incluyen, entre otros, riesgos e incertidumbres relacionados con la demora de cualquier ensayo clínico actual o planificado o el desarrollo de candidatos a medicamentos de Blueprint Medicines, incluidos avapritinib, BLU-554, BLU-667 y BLU-782; El avance de Blueprint Medicines de múltiples esfuerzos iniciales; Blueprint Medicines' capacidad para demostrar con éxito la seguridad y eficacia de sus candidatos a medicamentos; los resultados preclínicos y clínicos de los candidatos a medicamentos de Blueprint Medicines, que pueden no respaldar un mayor desarrollo de dichos fármacos candidatos; las acciones de las agencias reguladoras, que pueden afectar el inicio, el momento y el progreso de los ensayos clínicos; La capacidad de Blueprint Medicines para desarrollar y comercializar pruebas complementarias de diagnóstico para sus candidatos a fármacos actuales y futuros, incluidas las pruebas de diagnóstico complementarias para BLU-554 para el carcinoma hepatocelular dirigido por FGFR4, avapritinib para PDGFR α D842V y BLU-667 para RET - cáncer de pulmón de células pequeñas; el éxito de las colaboraciones actuales y futuras de Blueprint Medicines, incluida su colaboración en inmunoterapia contra el cáncer con F. Hoffmann-La Roche Ltd y Hoffmann-La Roche Inc. y su colaboración con CStone Pharmaceuticals. Estos y otros riesgos e incertidumbres se describen con mayor detalle en la sección titulada "Factores de riesgo" en el informe trimestral de Blueprint Medicines en el Formulario 10-Q para el trimestre terminado 31 de marzo de 2018, tal como se presentó

ante la Comisión de Bolsa y Valores (SEC) el 2 de mayo de 2018 , y cualquier otra presentación que Blueprint Medicines haya realizado o pueda realizar con la SEC en el futuro. Las declaraciones a futuro contenidas en este comunicado de prensa representan las opiniones de Blueprint Medicines solo a partir de la fecha del presente y no se debe considerar que representan sus puntos de vista en una fecha posterior. Con excepción de lo requerido por la ley, Blueprint Medicines niega explícitamente cualquier obligación de actualizar cualquier declaración prospectiva.

FUENTE Blueprint Medicines

enlaces relacionados

<http://www.blueprintmedicines.com>

Usted acaba de leer:

Blueprint Medicines inicia el ensayo clínico VOYAGER fase 3 de Avapritinib en pacientes con tumores del estroma gastrointestinal avanzado

NOTICIAS PROPORCIONADAS POR

[Blueprint Medicines](#)

21 de junio de 2018 a las 08:00 ET