

## **PHARMING PRESENTEERT POSITIEVE RESULTATEN FASE III KLINISCH ONDERZOEK VAN RHUCIN® PRIMAIRE EN SECUNDAIRE EINDPUNTEN VAN DE STUDIE ZIJN GEHAALD**

**Leiden, 30 augustus 2007.** Biotechbedrijf Pharming Group N.V. ("Pharming" of "het bedrijf") (Euronext: PHARM) maakte vandaag positieve resultaten bekend van het Europese placebogecontroleerde fase III klinisch onderzoek naar de veiligheid en werkzaamheid van Rhucin® bij de acute behandeling van erfelijk angioedeem (HAE). De positieve resultaten van een interim-analyse van het door het bedrijf uitgevoerde onderzoek volgen op eerdere studies die het sterk positieve effect van Rhucin® aantoonde gekoppeld aan een uitstekend veiligheidsprofiel.

Het fase III dubbelblinde placebogecontroleerde klinisch onderzoek met Rhucin® werd uitgevoerd in verschillende instellingen, verdeeld over heel Europa. Tijdens het onderzoek werden de veiligheid en werkzaamheid van Rhucin® beoordeeld bij patiënten met acute aanvallen van erfelijk angioedeem in verschillende delen van het lichaam. Bij de analyse zijn gegevens verwerkt van de eerste 28 patiënten die gerandomiseerd waren voor Rhucin® of een placebo. Patiënten die Rhucin® kregen meldde een eerste verlichting van de symptomen na een mediane tijd van 60 minuten vergeleken met 8,5 uur voor de patiënten die een placebo kregen. Het primaire eindpunt, de tijd tot het begin van de symptoomverlichting, was statistisch significant met een p-waarde van 0,0009 die werd bepaald met behulp van de zogenaamde log-rank-test, een methode die bij deze studies vaak wordt gebruikt voor de statistische analyse. Over het algemeen geldt dat de gegevens als statistisch significant worden beschouwd als de p-waarde lager is dan 0,05. De resultaten die bij het primaire eindpunt werden behaald, waren ook klinisch relevant.

Patiënten die Rhucin® kregen meldde een teruggang tot minimale symptomen bij een mediane tijd van 6,1 uur ten opzichte van 20,2 uur voor patiënten die een placebo kregen. Het secundaire eindpunt, waarbij de tijd tot de minimale symptomen werd berekend, bereikte statistische significantie met een p-waarde van 0,0038. De resultaten die bij het secundaire eindpunt werden bereikt, waren tevens klinisch relevant. De analyse toonde aan dat 100% van de patiënten in de Rhucin®-groep op de behandeling reageerden en dat bij al deze patiënten sprake was van aanhoudende verlichting zonder een terugval naar de verschijnselen van de aanval.

De ervaringen die tijdens het onderzoek zijn opgedaan op het gebied van veiligheid duiden erop dat Rhucin® zeer goed wordt verdragen en dat er geen bijwerkingen zijn gemeld die verband houden met het gebruik van Rhucin®. De zogenaamde "Independent Data Monitoring Committee" heeft deze resultaten bekeken en aanbevolen dat het bedrijf stopt met gerandomiseerde behandelingen om methodologische en ethische redenen. De gerandomiseerde behandelingen van het onderzoek zijn nu gestopt en de studie zal worden aangepast zodat patiënten Rhucin® kunnen blijven krijgen via zogenaamde open-label behandelingen.

De positieve resultaten van de studie zijn ter beschikking gesteld aan het Comité voor Geneesmiddelen van de EMEA ter ondersteuning voor de toelating van Rhucin® tot de Europese markt. Relevante gegevens van de analyse zijn tevens ingediend bij de FDA in de Verenigde Staten, waar een onafhankelijk placebo gecontroleerd klinisch onderzoek ter beoordeling van de veiligheid en werkzaamheid van Rhucin® naar verwachting de komende maanden zal worden afgerond.

Dr. Bruno Giannetti, COO van Pharming, gaf als commentaar: "We zijn bijzonder blij met de uitkomsten van deze analyse. De gegevens bevestigen de resultaten die uit eerdere studies zijn verkregen en tonen aan dat Rhucin® een snel werkend product is dat naar onze verwachting grote therapeutische voordelen zal hebben voor patiënten met erfelijk angioedeem. Bij de meeste patiënten verlicht het de vaak zeer pijnlijke symptomen al binnen enkele minuten na het begin van de behandeling. Het product heeft ook een uitstekend veiligheidsprofiel, dat is gebaseerd op de resultaten van verschillende studies waarbij in totaal ruim 100

infusies aan mensen zijn gegeven. Heel belangrijk, we hebben nooit een terugval van de aanvallen gezien. We hebben het vertrouwen dat de klinische gegevens die tot dusverre zijn verkregen samen met de andere preklinische en overige gegevens en onze recent verkregen GMP-status een solide basis zullen vormen voor de registratie van Rhucin® in Europa en elders zodat we het product beschikbaar kunnen maken voor patiënten die aan deze ernstige zieke lijden.”

Voor het bespreken van de resultaten die in dit persbericht zijn samengevat wordt op 30 augustus om 10:30 uur (Engelse tijd) een bijeenkomst gehouden voor de pers en analisten op het kantoor van Financial Dynamics in Londen. Kopieën van de presentatie en de gepresenteerde gegevens komen bij het begin van deze bijeenkomst beschikbaar op de website van Pharming.

## **Over Rhucin® en HAE**

Rhucin® (recombinant human C1 esterase inhibitor) is een menselijk proteïne ontwikkeld uit melk van transgene konijnen met gebruikmaking van een aan Pharming toebehorende technologie. Rhucin® wordt momenteel ontwikkeld om acute aanvallen van erfelijk angio-oedeem (HAE) te behandelen, een ziekte die gekarakteriseerd wordt en gepaard gaat met pijnlijke (en soms dodelijke) zwellingen van zacht weefsel die wel vijf dagen kunnen aanhouden. De ziekte wordt veroorzaakt door een tekort aan werkzame C1 esterase inhibitor. In de Westerse wereld komt de ziekte voor bij ongeveer 1 op de 30.000 mensen die gemiddeld ongeveer 7 aanvallen per jaar hebben

## **Over Pharming Group N.V.**

Pharming Group NV richt zich op de ontwikkeling van innovatieve producten voor de behandeling van genetische ziekten en ouderdomsziekten. Daarnaast ontwikkelt Pharming ook medische en speciale producten voor chirurgische indicaties en tussenproducten voor diverse toepassingen waaronder voeding. Pharming heeft twee producten in een vergevorderd stadium van ontwikkeling - Rhucin® (recombinant humaan C1 remmer) voor erfelijk angio-oedeem (ter beoordeling bij EMEA) en humaan lactoferrine voor voedingstoepassing (GRAS-aanvraag ter beoordeling bij FDA). Pharming's geavanceerde technologieën omvatten ondermeer de productie van therapeutische eiwitten, alsmede de zuivering, formulering en toepassing van deze biofarmaceutica. Daarnaast heeft Pharming toegang tot technologieplatforms op het gebied van weefselherstel via haar samenwerking met NovaThera en op het gebied van DNA-schade en herstel dankzij de overname van DNage. Meer informatie is verkrijgbaar op de Pharming website: <http://www.pharming.com> en op <http://www.dnage.nl>.

*Dit persbericht bevat op de toekomst gerichte verklaringen. Door voorspelbare en niet voorspelbare risico's, onzekerheden en andere factoren kunnen de uiteindelijke resultaten daarvan materieel verschillen. Het persbericht verschijnt ook in het Engels. In geval van tegenstrijdigheden zal de Engelse versie prevaleren.*

---

### **Contact:**

Carina Hamaker  
Investor Voice  
T: 06 537 49959  
T: 071 524 7431

Julia Philips  
Financial Dynamics  
T: +44 (0)20 7269 7148  
T: +44 (0)7747 602 739

Rein Strijker (EU)  
Pharming Group N.V.  
T: 071 5247400

Samir Singh (US)  
Pharming Group N.V.  
T : +1 908 720 6224