

Pharming Group geeft update over goedkeuringstraject leniolisib bij EMA en is van plan een aanvraag voor goedkeuring in het VK in te dienen

Leiden, 10 november 2023: Pharming Group N.V. ("Pharming" of "de Onderneming") (EURONEXT Amsterdam: PHARM/Nasdaq: PHAR) maakt bekend dat het een tweede lijst met vragen (Day 180 Second List of Outstanding Issues (LoOI)) heeft ontvangen van het Comité voor Geneesmiddelen voor menselijk gebruik (CHMP) van het Europees Geneesmiddelenbureau (EMA) met betrekking tot haar vergunningaanvraag (MAA) van leniolisib voor volwassen en pediatrische patiënten van 12 jaar en ouder met APDS, een zeldzame primaire aandoening aan het immuunsysteem. Op basis van het tijdschema dat is opgenomen in de lijst met vragen van de CHMP, en rekening houdend met de beslissing van de CHMP om de *Ad-Hoc Expert Group* (AEG)-vergadering te verplaatsen naar eind november, verwacht Pharming nu dat de CHMP haar advies over de leniolisib-aanvraag in het eerste kwartaal van 2024 zal uitbrengen.

Pharming is nu van plan om een vergunningaanvraag in te dienen bij de U.K. *Medicines and Healthcare products Regulatory Agency* (MHRA) via de *International Recognition Procedure* (IRP) die de *European Commission Decision Recognition Procedure* (ECDRP) zal vervangen vanaf 1 januari 2024. Onder de IRP zal Pharming in het eerste kwartaal van 2024 een vergunningsaanvraag indienen voor leniolisib op basis van de goedkeuring van de Amerikaanse FDA. De MHRA heeft 110 dagen vanaf de datum dat de IRP-indiening is gevalideerd om tot een oordeel te komen en een besluit te nemen.

Over het geactiveerde fosfoïnositide 3-kinase δ syndroom (APDS)

APDS is een zeldzame primaire aandoening aan het immuunsysteem die voor het eerst werd gekarakteriseerd in 2013. APDS wordt veroorzaakt door varianten in een van de twee geïdentificeerde genen die bekend staan als *PIK3CD* of *PIK3R1*, die van vitaal belang zijn voor de ontwikkeling en functie van immuuncellen in het lichaam. Varianten van deze genen veroorzaken hyperactiviteit van de PI3K δ (phosphoïnositide 3-kinase delta) *pathway*, waardoor immuuncellen niet goed rijpen en functioneren, wat weer leidt tot immunodeficiëntie en ontregeling^{1,2,3} APDS wordt gekenmerkt door een verscheidenheid aan symptomen, waaronder ernstige, terugkerende sinopulmonale infecties, lymfoproliferatie, auto-immuniteit en enteropathie.^{4,5} Omdat deze symptomen geassocieerd kunnen worden met een verscheidenheid aan aandoeningen, waaronder andere primaire immuno-deficiënties, is bekend dat mensen met APDS vaak een onjuiste diagnose krijgen en een mediane diagnostische vertraging van 7 jaar oplopen.⁶ Omdat APDS een progressieve ziekte is, kan deze vertraging in de loop van de tijd leiden tot een opeenstapeling van schade, waaronder blijvende longschade en lymfeklierkanker.⁴⁻⁷ Een definitieve diagnose kan worden gesteld door middel van genetische testen. APDS treft wereldwijd ongeveer 1 tot 2 mensen per miljoen.

Over leniolisib

Leniolisib is een orale kleine molecule fosfoinositide 3-kinase delta (PI3Kδ)-remmer die in de VS is goedgekeurd als de eerste en enige gerichte behandeling van het geactiveerde fosfoinositide 3-kinase delta (PI3Kδ)-syndroom (APDS) bij volwassen en pediatrische patiënten van 12 jaar en ouder. Leniolisib remt de productie van fosfatidylinositol-3-4-5-trisfosfaat, dat dient als een belangrijke cellulaire boodschapper en een veelheid aan celfuncties reguleert, zoals proliferatie, differentiatie, cytokineproductie, celoverleving, angiogenese en metabolisme. Resultaten van een gerandomiseerde, placebogecontroleerde Fase II/III klinische studie toonden de klinische werkzaamheid van leniolisib aan in de primaire eindpunten; het toonde een statistisch significante impact op immuun-disregulatie en normalisatie van het immunofenotype bij deze patiënten, en tussentijdse open-label uitbreidingsgegevens ondersteunden de veiligheid en verdraagbaarheid van leniolisib toediening op lange termijn.⁸ Leniolisib wordt momenteel door het Europees Geneesmiddelenbureau gecontroleerd en er zijn plannen om verdere reglementaire goedkeuringen na te streven in het VK, Canada, Australië en Japan. Leniolisib wordt ook geëvalueerd in een Fase III klinische studie bij kinderen van 4 tot 11 jaar met APDS, met een verdere studie gepland bij kinderen van 1 tot 6 jaar met APDS.

Over Pharming Group N.V.

Pharming Group N.V. (EURONEXT Amsterdam: PHARM/Nasdaq: PHAR) is een wereldwijd biofarmaceutische onderneming die zich richt op het transformeren van het leven van patiënten met zeldzame, slopende en levensbedreigende ziekten. Pharming commercialiseert en ontwikkelt een innovatieve portfolio van eiwitvervangingstherapieën en precisiegeneesmiddelen, waaronder kleine moleculen, biologische geneesmiddelen en gentherapieën die zich in een vroeg tot laat ontwikkelingsstadium bevinden. Pharming heeft haar hoofdkantoor in Leiden, en medewerkers over de hele wereld die patiënten bedienen in meer dan 30 markten in Noord-Amerika, Europa, het Midden-Oosten, Afrika en Azië-Pacific.

Ga voor meer informatie naar www.pharming.com en vind ons op [LinkedIn](#).

Toekomstgerichte verklaringen

Dit persbericht kan toekomstgerichte uitspraken bevatten. Toekomstgerichte verklaringen zijn verklaringen over toekomstige verwachtingen die gebaseerd zijn op de huidige verwachtingen en aannames van het management en die bekende en onbekende risico's en onzekerheden met zich meebrengen die ertoe kunnen leiden dat de werkelijke resultaten, prestaties of gebeurtenissen wezenlijk verschillen van die uitgedrukt of geïmpliceerd in deze verklaringen. Deze toekomstgerichte verklaringen zijn te herkennen aan het gebruik van termen en uitdrukkingen als "streven", "ambitie", "anticiperen", "geloven", "zouden kunnen", "schatten", "verwachten", "doelen", "voornemen", "kunnen", "mijlpalen", "doelstellingen", "vooruitzicht", "plan", "waarschijnlijk", "project", "risico's", "planning", "streven", "zouden moeten", "doel", "zullen" en soortgelijke termen en zinnen. Voorbeelden van toekomstgerichte verklaringen zijn verklaringen met betrekking

tot de timing en voortgang van Pharmings preklinische studies en klinische proeven van haar kandidaat-producten, Pharmings klinische en commerciële vooruitzichten, en Pharmings verwachtingen met betrekking tot haar verwachte behoefte aan werkkapitaal en kasmiddelen, welke verklaringen onderhevig zijn aan een aantal risico's, onzekerheden en veronderstellingen, met inbegrip van, maar niet beperkt tot de omvang, voortgang en uitbreiding van Pharmings klinische proeven en vertakkingen voor de kosten daarvan; en klinische, wetenschappelijke, regelgevende en technische ontwikkelingen. In het licht van deze risico's en onzekerheden, en andere risico's en onzekerheden die worden beschreven in Pharmings jaarverslag 2022 en het jaarverslag op Form 20-F voor het jaar eindigend op 31 december 2022, ingediend bij de Amerikaanse Securities and Exchange Commission, is het mogelijk dat de gebeurtenissen en omstandigheden die worden besproken in dergelijke toekomstgerichte verklaringen zich niet voordoen, en Pharmings werkelijke resultaten zouden wezenlijk en nadelig kunnen verschillen van die verwacht of geïmpliceerd daardoor. Alle toekomstgerichte uitspraken in dit persbericht worden uitdrukkelijk in hun geheel gekwalificeerd door de waarschuwende uitspraken die zijn opgenomen of waarnaar wordt verwezen in deze sectie. Lezers moeten niet overmatig vertrouwen op toekomstgerichte verklaringen. Eventuele toekomstgerichte verklaringen gelden alleen op de datum van dit persbericht en zijn gebaseerd op informatie waarover Pharming beschikt op de datum van dit bericht. Pharming neemt geen enkele verplichting op zich om deze verklaringen publiekelijk bij te werken of te herzien.

Voorkennis

Dit persbericht heeft betrekking op de openbaarmaking van informatie die gekwalificeerd kan worden of gekwalificeerd zou kunnen zijn als voorwetenschap in de zin van artikel 7(1) van de EU Marktmisbruik Verordening.

Referenties

1. Lucas CL, et al. Nat Immunol. 2014;15(1):88-97.
2. Elkaim E, et al. J Allergy Clin Immunol. 2016;138(1):210-218.
3. Nunes-Santos C, Uzel G, Rosenzweig SD. J Allergy Clin Immunol. 2019;143(5):1676-1687.
4. Coulter TI, et al. J Allergy Clin Immunol. 2017;139(2):597-606.
5. Maccari ME, et al. Front Immunol. 2018;9:543.
6. Jamee M, et al. Clin Rev Allergy Immunol. 2019;May 21.
7. Condliffe AM, Chandra A. Front Immunol. 2018;9:338.
8. RAO VK, et al Blood. 2023 mrt 2;141(9):971-983

Voor meer informatie kunt u contact opnemen met:

Pharming Group, Leiden

Michael Levitan, VP Investor Relations & Communications

T: +1 (908) 705 1696

Heather Robertson, Investor Relations & Corporate Communications Manager

E: investor@pharming.com

LifeSpring Life Sciences Communicatie, Amsterdam

Leon Melens

T: +31 6 53 81 64 27

E: pharming@lifespring.nl

FTI Consulting, Londen, Verenigd Koninkrijk

Victoria Foster Mitchell/Alex Shaw/Amy Byrne

T: +44 203 727 1000

PR VS

Ethan Metelenis

E: Ethan.Metelenis@precisionvh.com

T: +1 (917) 882 9038

EU PR

Claire Dobbs

E: claire.dobbs@solarishealth.com

T: +44 7864 640093