



Pharming Group N.V.

Investor Tour

Rotterdam/ Eindhoven/ Utrecht/
Leiden/ Zwolle

Juli 2024

NASDAQ: **PHAR** | EURONEXT Amsterdam: **PHARM**

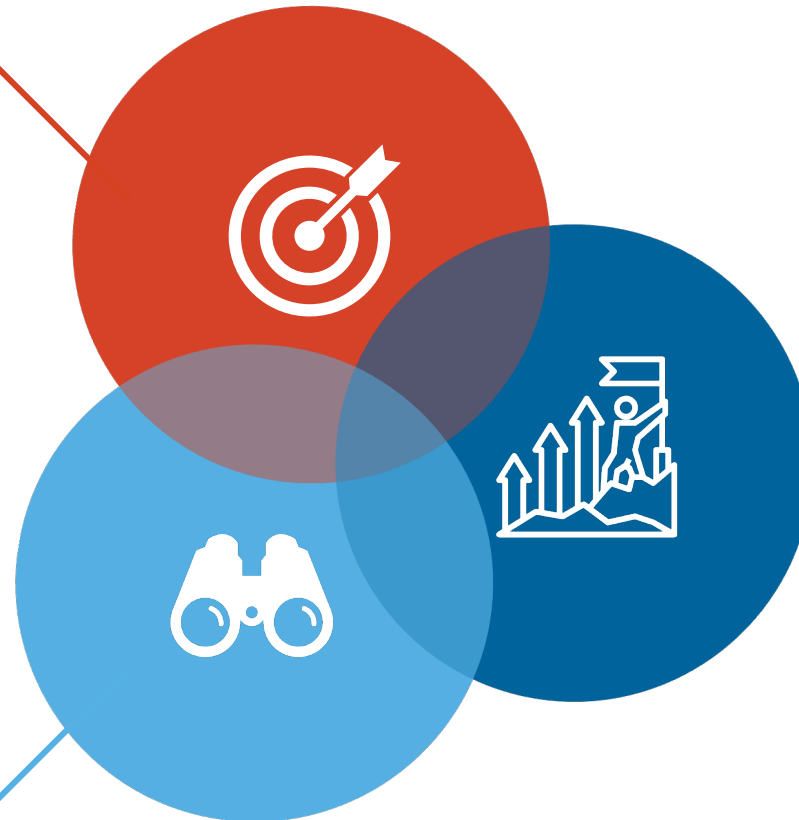
Deze presentatie kan toekomstgerichte uitspraken bevatten. Toekomstgerichte verklaringen zijn verklaringen over toekomstige verwachtingen die gebaseerd zijn op de huidige verwachtingen en aannames van het management en die bekende en onbekende risico's en onzekerheden met zich meebrengen die ertoe kunnen 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 Pharming's preklinische studies en klinische proeven van haar productkandidaten, Pharming's klinische en commerciële vooruitzichten, en Pharming's 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 Pharming's klinische proeven en vertakkingen voor de kosten daarvan; en klinische, wetenschappelijke, regelgevende, commerciële, concurrerende en technische ontwikkelingen. In het licht van deze risico's en onzekerheden, en andere risico's en onzekerheden die worden beschreven in Pharming's jaarverslag 2023 en het jaarverslag op Form 20-F voor het jaar eindigend op 31 december 2023, 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 de werkelijke resultaten van Pharming zouden wezenlijk en nadelig kunnen verschillen van de verwachte of geïmpliceerde resultaten. Alle toekomstgerichte verklaringen in deze presentatie worden uitdrukkelijk in hun geheel gekwalificeerd door de waarschuwende verklaringen die zijn opgenomen of waarnaar wordt verwezen in deze sectie. Lezers moeten niet overmatig vertrouwen op toekomstgerichte verklaringen. Eventuele toekomstgerichte verklaringen gelden alleen per de datum van deze presentatie en zijn gebaseerd op informatie waarover Pharming beschikt per de datum van deze presentatie. Pharming neemt geen verplichting op zich om toekomstgerichte verklaringen publiekelijk bij te werken of te herzien als gevolg van nieuwe informatie, toekomstige gebeurtenissen of andere informatie.

DOEL

Wij bedienen de niet-bediende patiënt lijdend aan een zeldzame aandoening

VISIE

Voorkeursoronderneming voor zeldzame ziekten worden



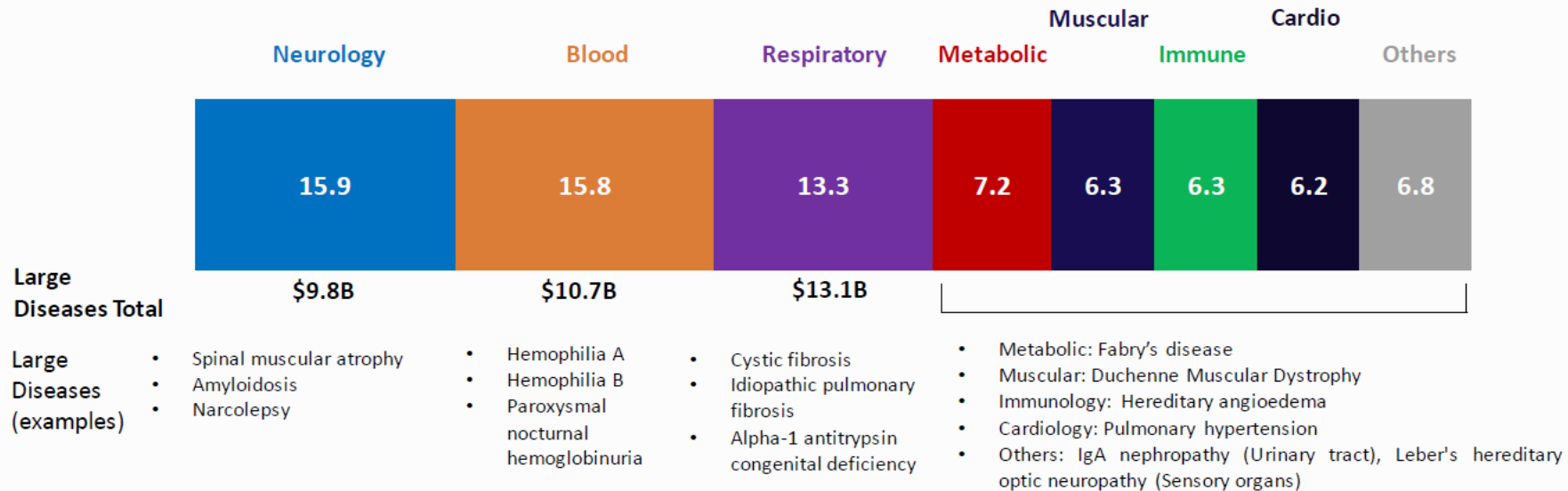
MISSIE

Wij bieden patiënten met zeldzame ziekten de oplossingen die ze nodig hebben

- Voortbouwen op eigen sterke punten
- Groei van productportefeuille
- We doen altijd het juiste










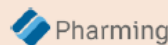













Rare disease is a \$78B market Neurology, blood, and respiratory alone represent 58% of total market

Rare disease revenue, 2022 (\$B)



Note: Rare disease revenue is defined as revenue generated by products with >50% of sales derived from rare indications in 2022, exclusive of oncology and anti-infectives; Others include: Hormone; Urinary tract; Gastro-intestinal; Hepatic & biliary; Sensory organs; Reproduction; Skin
 Source: EvaluatePharma, GLS Analysis

82 revenue companies are competing in the segment Pure-play players only control one third of the market

Company Type	Generalist (N=36) (>\$100M sales, Rare disease revenues <50%)	Commercial Pure-play (N=26) (>\$100M sales, Rare disease revenues >50%)	Emerging (N=20) (<\$100M sales)
Examples	        	       	     
Market share	\$52 B	\$25B	\$443 M

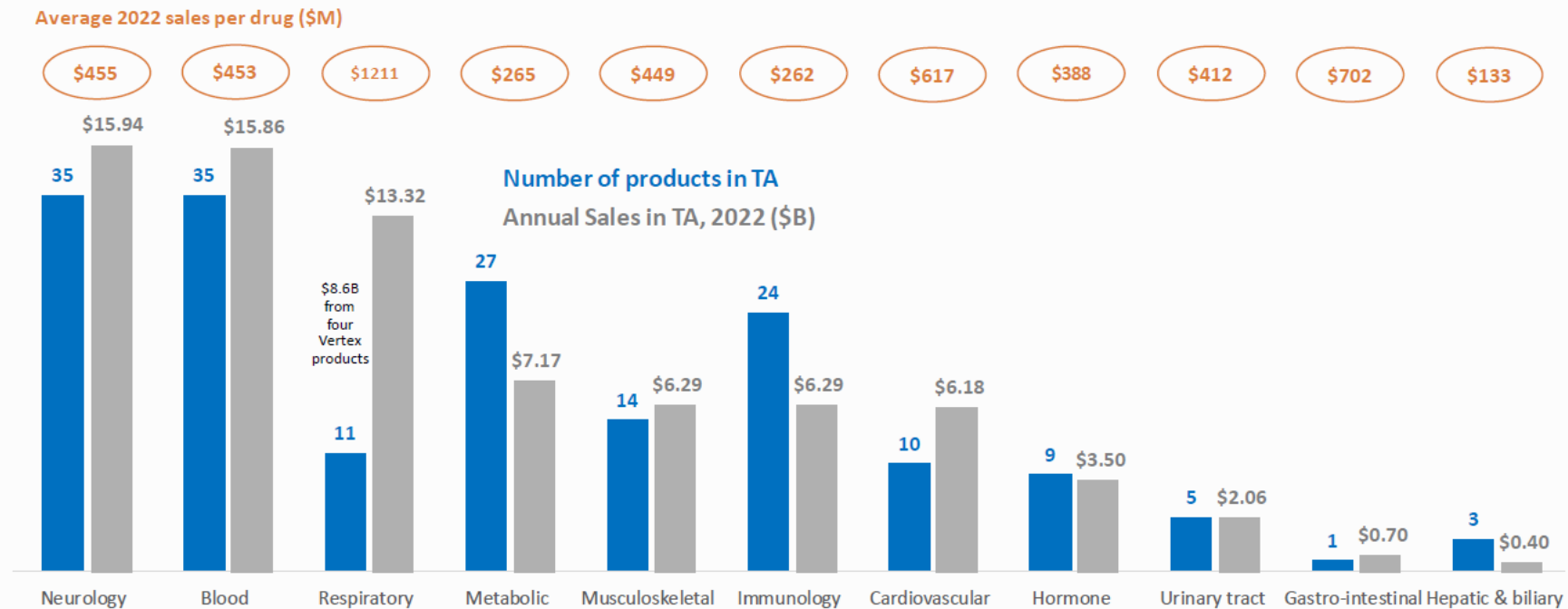


Note: Rare disease revenue is defined as revenue generated by products with >50% of sales derived from rare indications in 2022, exclusive of oncology and anti-infectives. 2 out of the 26 commercial pure-play companies have 2022 revenues of <\$100M but projected to exceed \$100M in 2023.

Source: EvaluatePharma, GLS Analysis

Average product size is in the \$250m to \$500m range

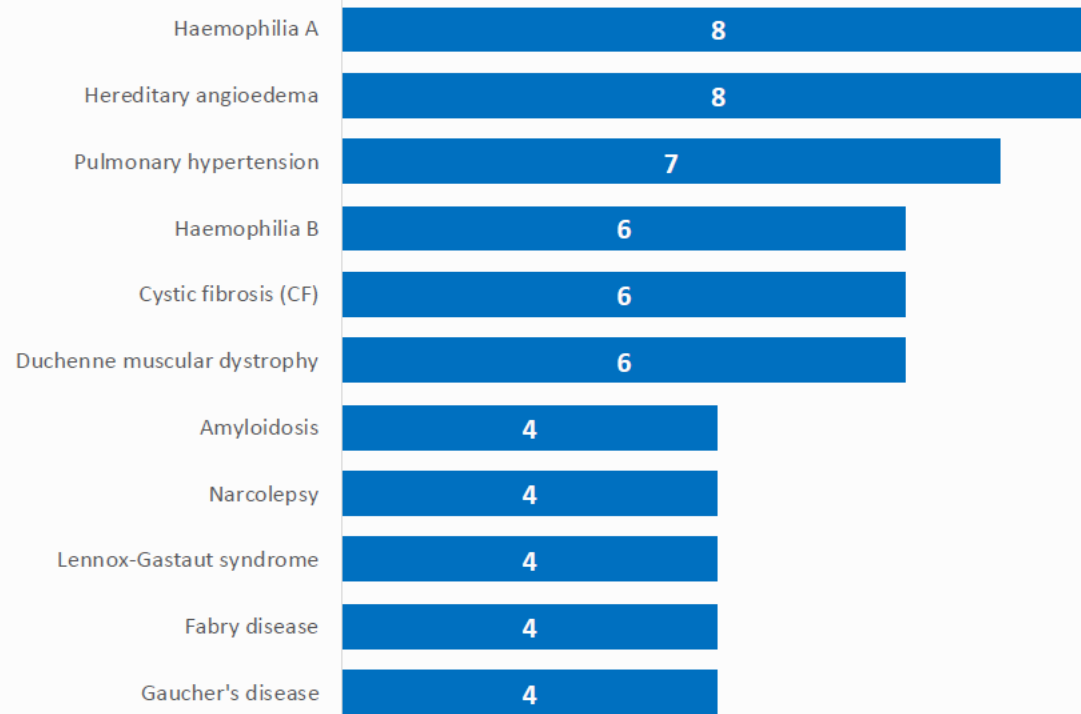
Number of products, total and average sales across different therapeutic areas, 2023



Note: Rare disease revenue is defined as revenue generated by products with >50% of sales derived from rare indications in 2022, exclusive of oncology and anti-infectives; Diabetes, Skin, GI, Reproduction each have only one product and are excluded from this graph
Source: EvaluatePharma, GLS Analysis

Some rare indications have become very competitive

Indications with most marketed drugs (2023)

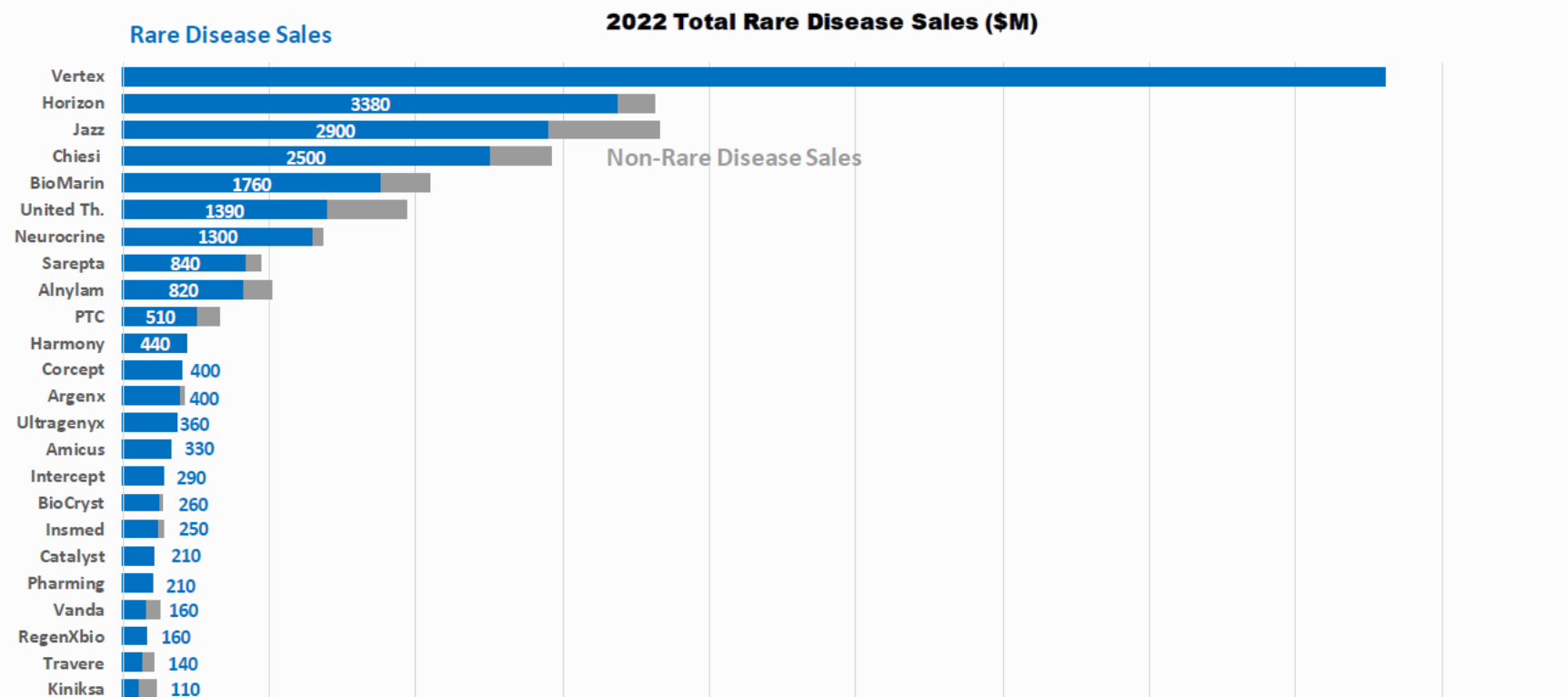


Collectively these Indications represent \$36 B in sales or 47% of the total rare disease segment



Note: A rare disease drug is defined as a drug with >50% of sales derived from rare indications in 2022, exclusive of oncology and anti-infectives
Source: EvaluatePharma, GLS Analysis

About 26 pharmas have material revenue and pursue a pure-play strategy

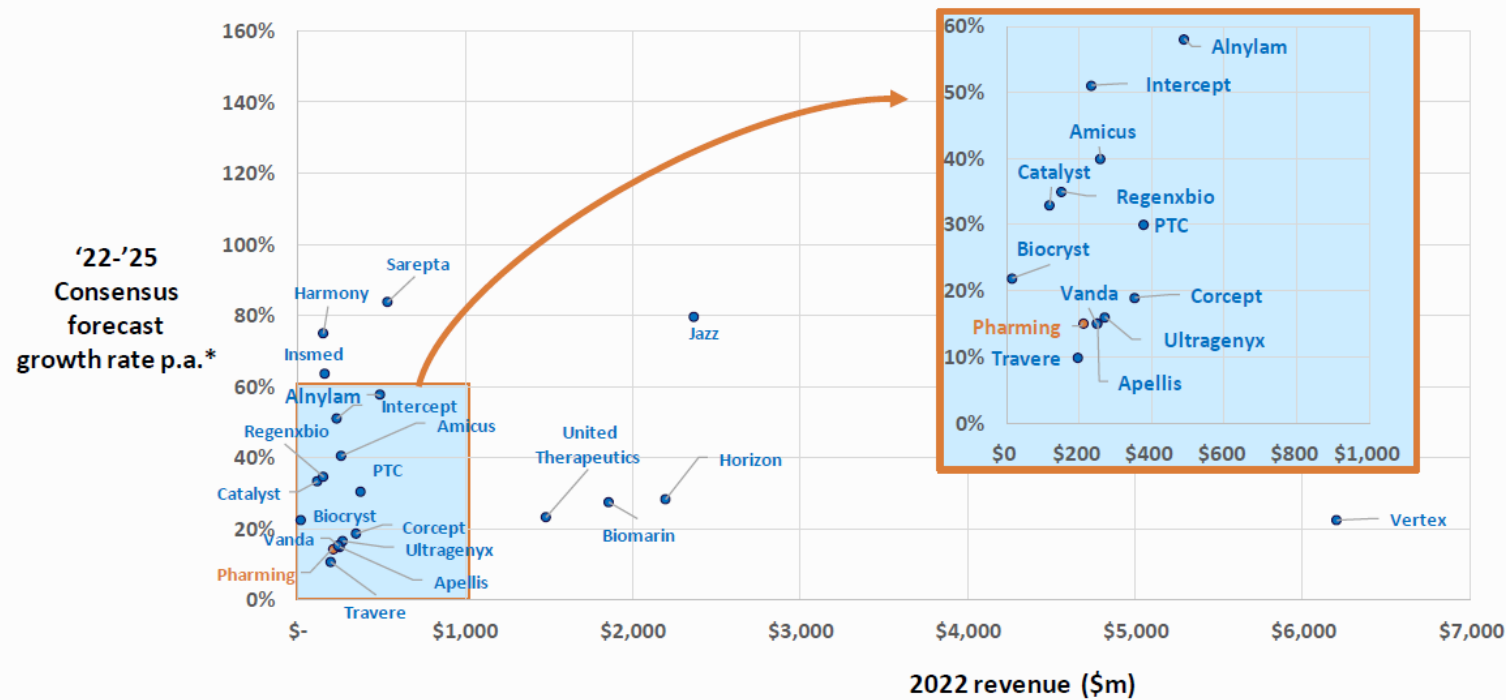


Note: Rare disease revenue is defined as revenue generated by products with >50% of sales derived from rare indications in 2022, exclusive of oncology and anti-infectives; Pure-play defined as Companies with 50%+ revenue from rare diseases. Apellis & Amylyx with 2022 revenues of <\$100M but 2023 projected revenues of >\$100M are excluded

Source: EvaluatePharma, GLS Analysis

Growth expectation of pure-play companies are generally high

Growth expectation for commercial pure-play companies, 2022-2025 (\$M)

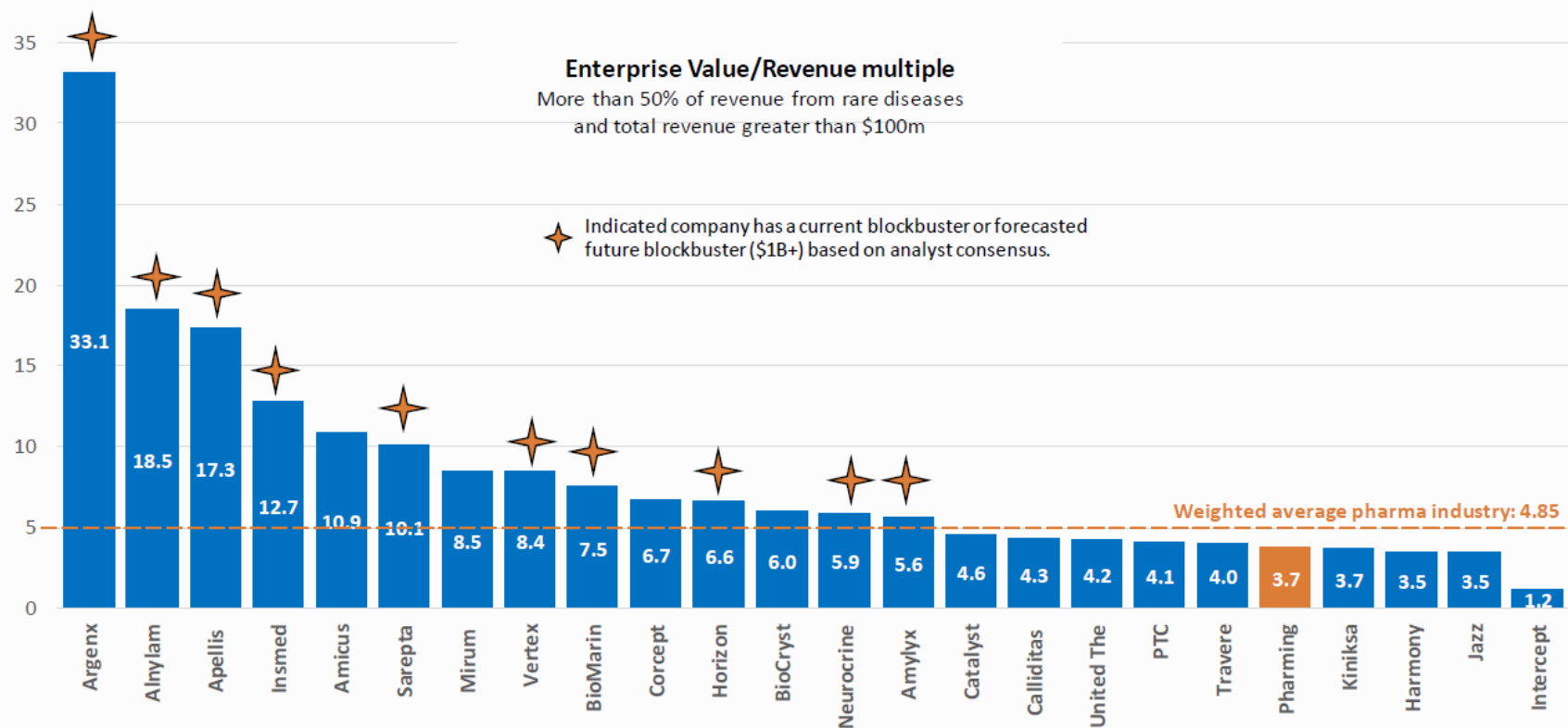


Note: Publicly traded companies with 50%+ revenue from rare diseases and total sales projected to be greater than \$100m



Source: EvaluatePharma, Pitchbook, GLS Analysis

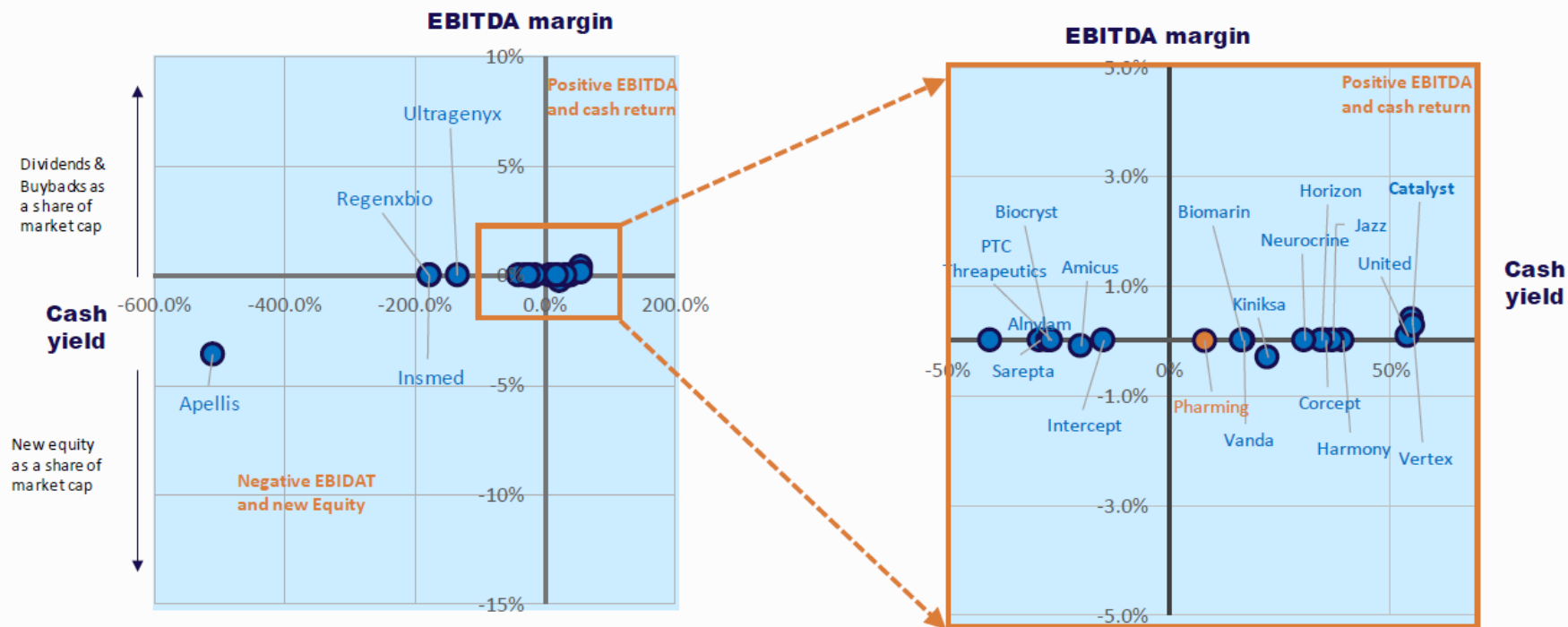
Most (but not all) high multiple companies have a blockbuster drug or a pipeline asset forecasted to be one



Source: EvaluatePharma, GLS Analysis

No pure-play companies return much cash to shareholders, some generate a positive EBITDA

June 2023 (trailing 12 months)



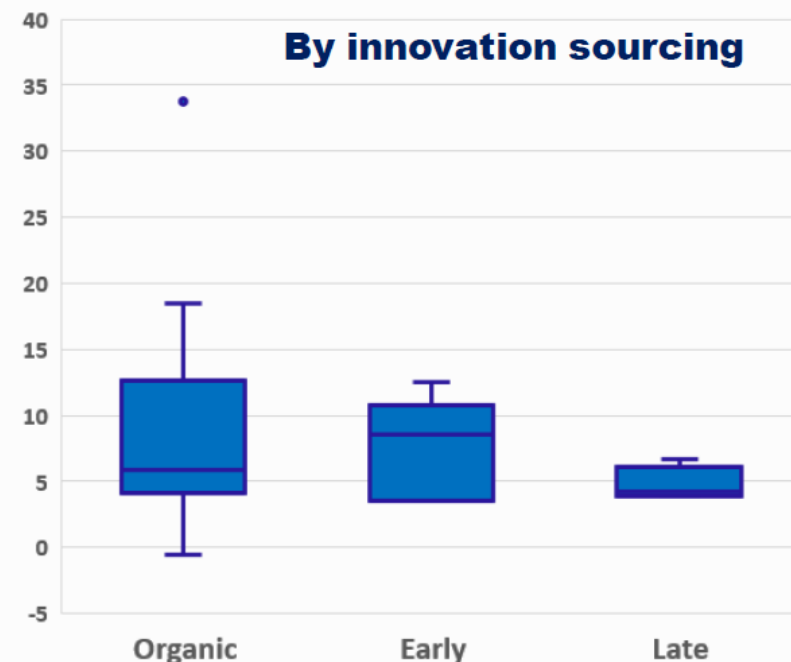
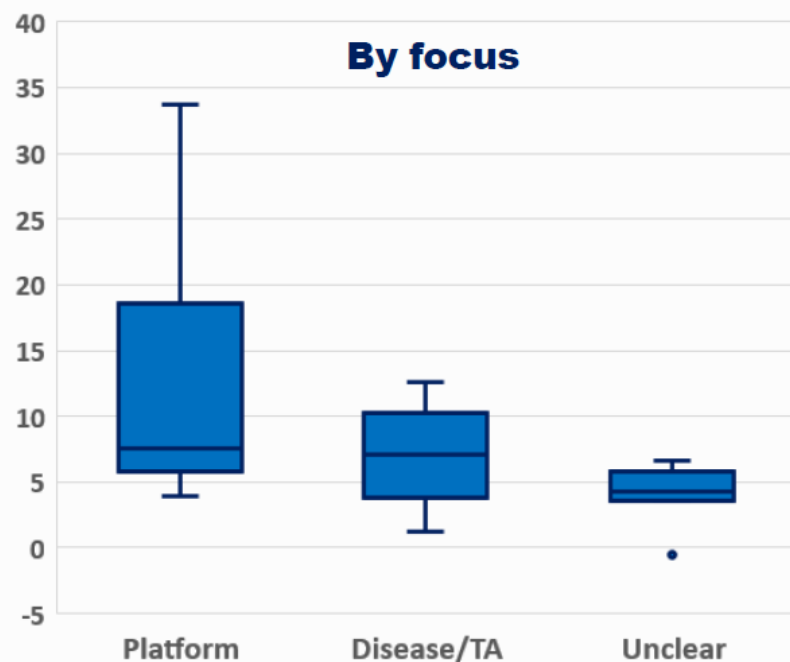
Most likely endgame for pure-plays is acquisition



Many of Traveer's assets were acquired by Mirum Pharmaceuticals
 Source: EvaluatePharma, Pitchbook, GLS Analysis

Focused companies with early-stage innovation command high valuations

Enterprise value/revenue multiplier



Note: 1. All companies with 50%+ revenue from rare diseases and total sales above

Source: EvaluatePharma, GLS Analysis




Sijmen de Vries, MD
CEO, Pharming Group N.V.

**VRAGEN EN
ANTWOORDEN**

Bouwen aan een toonaangevend wereldwijd opererend biofarmaceutische onderneming voor zeldzame ziekten

 RUCONEST® op de markt brengen voor acute HAE-aanvallen in belangrijke markten - focus VS

 Wereldwijde goedkeuring en commercialisering van Joenja® (leniolisib) voor APDS

 Lopende pijlpijnontwikkeling en beheer van activa voor zeldzame ziekten



Positieve kasstroom uit RUCONEST® inkomsten financiert Joenja® (leniolisib) lanceringen en pijlpijnontwikkeling

- ◆ FY23 inkomsten US\$227.1M
- ◆ 1Q24 omzet US\$46.0M (+8%)
- ◆ Groei door toename van patiënten en voorschrijvers
- ◆ Patiënten afhankelijk van RUCONEST® ondanks toegenomen behandelingsmogelijkheden

Succesvolle commercialisering van Joenja® (leniolisib) - eerste en enige door de FDA goedgekeurde behandeling voor APDS - lancering in de VS april 2023

- ◆ Inkomsten FY23 US\$18.2M
- ◆ 1Q24 US\$9.6M (+21% vs. 4Q23)
- ◆ Sterke focus op het vinden van patiënten
- ◆ Goedkeuring Israël (april 2024)
- ◆ Dossier onder evaluatie in EUR, U.K., CAN, AUS
- ◆ Klinische onderzoeken bij kinderen en in Japan

Interne projecten bevorderen en licentie- en acquisitiestrategie voor zeldzame ziekten

- ◆ Ontwikkeling van leniolisib voor PID's met immuundisregulatie buiten APDS - Ph2 voorbereiden
- ◆ BD richt zich op klinische programma's in immunologie, hematologie, respiratoire en gastro-enterologie

2024 omzetverwachting - \$280 - \$295M (14 - 20% groei)

Gedreven door Joenja®

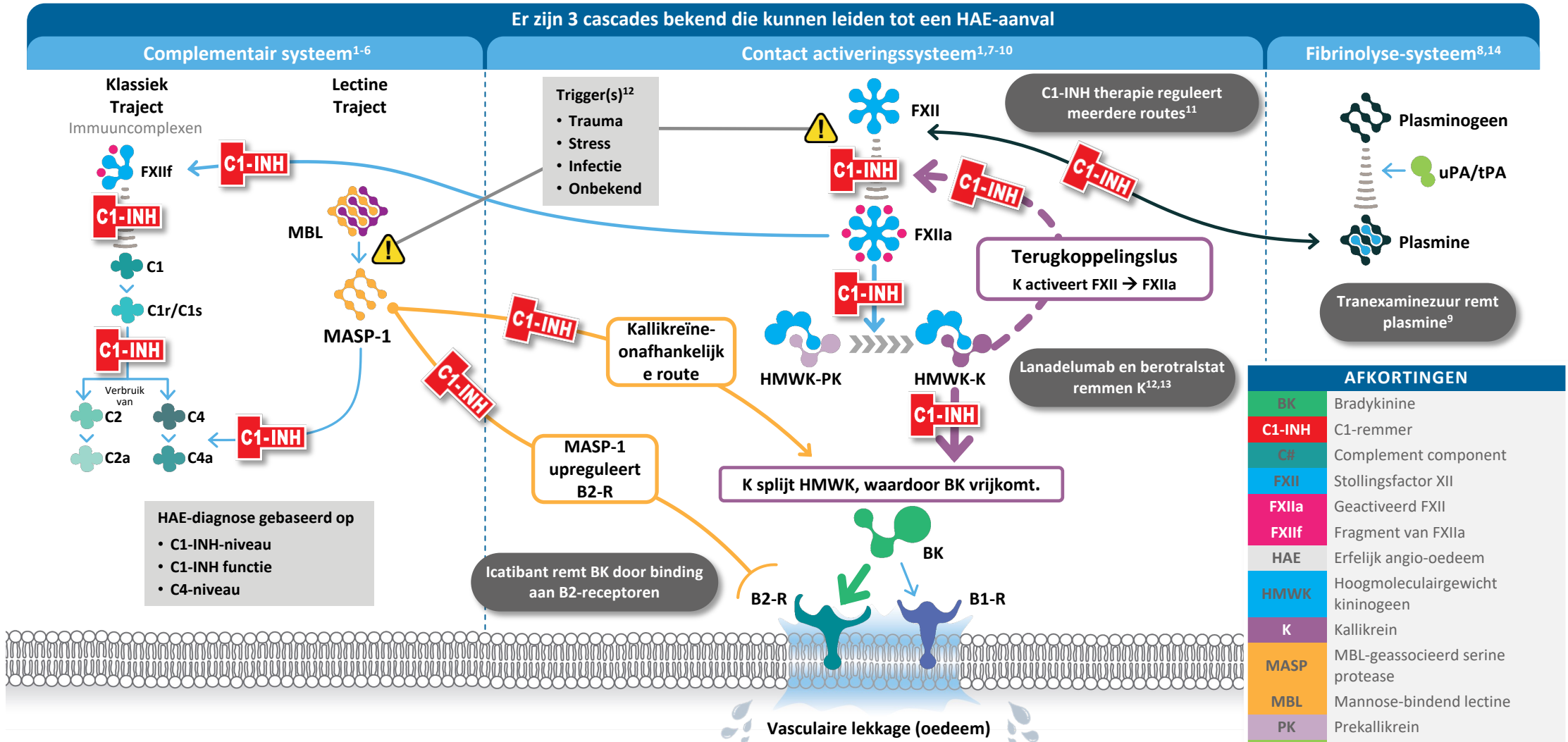
Joenja [®] VS (APDS)	Leniolisib (APDS)	Leniolisib voor primaire immunodeficiënties (PID's)
<ul style="list-style-type: none">• Verhandeld (12+)• Een aanzienlijk deel van de geïdentificeerde patiënten krijgt vergoede therapie• Groeipotentieel door het vinden van patiënten en VUS-inspanningen	<ul style="list-style-type: none">• Patiënten in early access/ named patient programs• Wereldwijde uitbreiding / evaluatie van toelatingsdossier in diverse geografieën• Pediatriche onderzoeken / labeluitbreiding	<ul style="list-style-type: none">• Fase II POC-studie in PID's met immuundisregulatie gekoppeld aan PI3Kδ signalering• Symptomen die lijken op APDS• Op zoek naar feedback van regelgevende instanties over derde PID-indicatie

- ❖ APDS wereldwijde prevalentie: ~1,5 patiënten / miljoen
~2.000 patiënten
- ❖ PID's met immuundisregulatie (PI3K δ) wereldwijde prevalentie: ~5 patiënten / miljoen



RUCONEST®

C1-INH pakt de hoofdoorzaak van Erfelijk Angio-oedeem aan



AFKORTINGEN	
BK	Bradykinine
C1-INH	C1-remmer
C#	Complement component
FXII	Stollingsfactor XII
FXIIa	Geactiveerd FXII
FXIIIF	Fragment van FXIIa
HAE	Erfelijk angio-oedeem
HMWK	Hoogmoleculairgewicht kinogeen
K	Kallikrein
MASP	MBL-geassocieerd serine protease
MBL	Mannose-bindend lectine
PK	Prekallikrein
tPA	Weefselplasminogeen activator
uPA	Urokinase plasminogeen activator

Aangepast van een klinische cascade ontwikkeld in samenwerking met Dr. Allen Kaplan. Dit is een huidig wetenschappelijk begrip van de cascades. Klinische implicaties zijn onbekend.

RUCONEST® (rhC1INH): vertrouwde hoeksteenbehandeling voor HAE



De enige recombinante behandeling die de hoofdoorzaak van HAE aanpakt door ontbrekende of disfunctionele C1-INH te vervangen



2e meest voorgeschreven product voor acute aanvallen
Typische patiënt: icatibant (BK inh) mislukt en op profylactische Tx (K inh)



Goed verdragen en effectieve behandelingsoptie voor acuut erfelijk angio-oedeem (HAE) - inclusief doorbraakaanvallen



97%: had slechts 1 dosis RUCONEST® nodig¹
93%: acute aanvallen gestopt met RUCONEST® gedurende minstens 3 dagen²



Sterke vraag op de Amerikaanse markt - Nieuwe inschrijvingen met 25% gestegen in FY23
Bijna 70 inschrijvingen in 1Q24



Presteert goed in toonaangevende omzetparameter in de V.S.: actieve patiënten, verzonden injectieflacons, voorschrijvende artsen (744, +15 t.o.v. 2023)



Verkopen:
FY23 US\$227,1M (+10%)
1Q24 US\$46,0M (+8%)



Aanhoudende groei in 2024, sterke positionering ten opzichte van acute orals in laat ontwikkelingsstadium



Sijmen de Vries, MD
CEO, Pharming Group N.V.

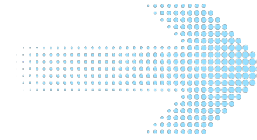
**VRAGEN EN
ANTWOORDEN**



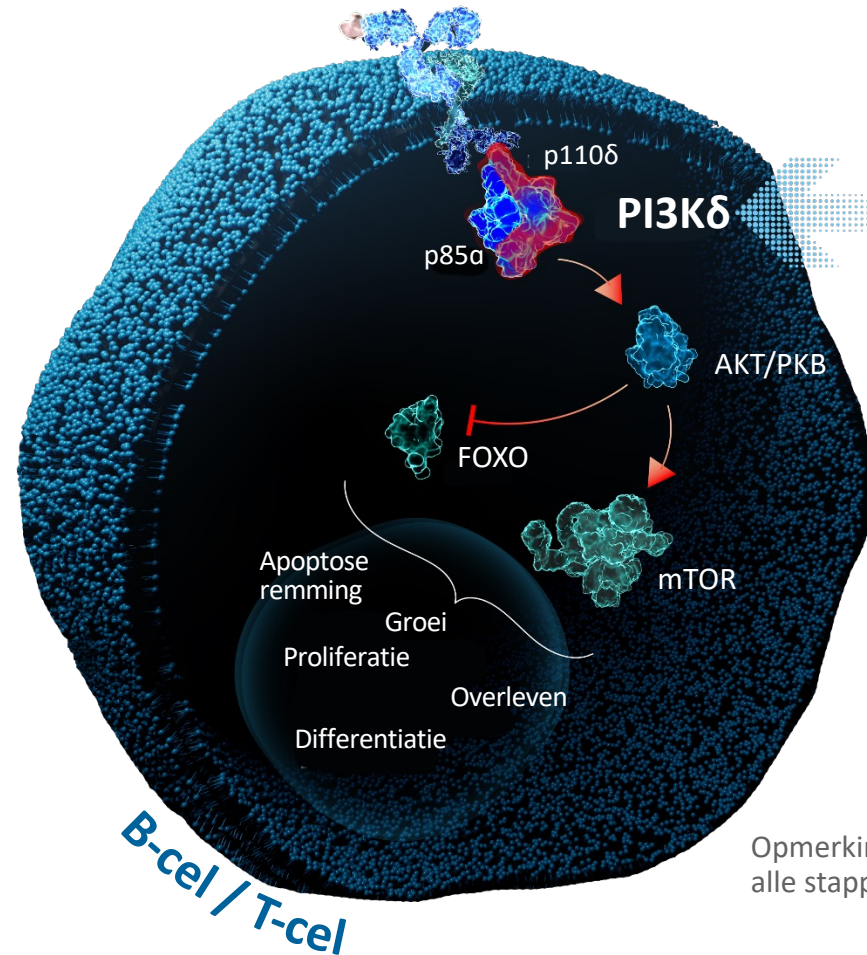
Joenja[®] (leniolisib)

APDS is een zeldzame primaire immunodeficiëntie (PID). Genetisch defect leidt tot hyperactiviteit van PI3K δ

Hyperactieve PI3K δ leidt tot ontregelde ontwikkeling van B- en T-cellen¹⁻³



Onbalans van het immuunsysteem leidt tot verschillende tekenen en symptomen^{1,4-6}



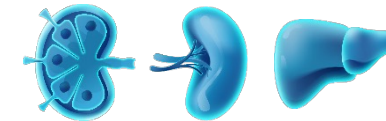
Het PI3K δ enzym staat aan het begin van een complexe signaalroute

Opmerking: De illustratie bevat niet alle stappen in de signaalroute.



Ernstige, terugkerende, aanhoudende infecties

- Sinopulmonaal
- Herpesvirus (vooral EBV en CMV)

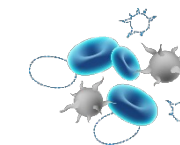


Lymfoproliferatie

- Lymfadenopathie
- Splenomegalie/hepatomegalie
- Nodulaire lymfoïde hyperplasie



Enteropathie



Auto-immuniteit

- Cytopenieën
- Auto-immuunziekten
- Auto-inflammatoire aandoeningen



Bronchiëctasieën



Lymfoom

FOXO, forkhead box O; mTOR, mammalian target of rapamycin; PI3K δ , phosphoinositide 3-kinase delta; PKB, protein kinase B.

1. Lucas CL, et al. *Nat Immunol.* 2014;15(1):88-97. 2. Fruman DA, et al. *Cell.* 2017;170(4):605-635. 3. Okkenhaug K, Vanhaesebroeck B. *Nat Rev Immunol.* 2003;3(4):317-330. 4. Coulter TI, et al. *J Allergy Clin Immunol.* 2017;139(2):597-606. 5. Elkaim E, et al. *J Allergy Clin Immunol.* 2016;138(1):210-218. 6. Jamee M, et al. *Clin Rev Allergy Immunol.* 2020;59(3):323-333.

Lancering in de VS van Joenja®: eerste en enige goedgekeurde therapie voor APDS, corrigeert het onderliggende immuundefect



Joenja® (leniolisib) is een geneesmiddel op recept dat wordt gebruikt voor de behandeling van geactiveerd fosfoïnositide 3-kinase delta (PI3K δ)-syndroom (APDS) bij volwassen en pediatrische patiënten van 12 jaar en ouder.

APDS is een complex syndroom veroorzaakt door pathogene varianten van het PI3K δ enzym, met een aanzienlijke mortaliteit

Joenja® is een orale, selectieve PI3K δ -remmer die is ontwikkeld om de hyperactieve signaalroute te helpen reguleren.



Goedkeuring FDA (maart 2023) gebaseerd op gerandomiseerde pivotale studie en OLE-studie. Lancering in de VS (april 2023)

Joenja® is een orale immuunmodulator die zich richt op de hoofdoorzaak van APDS

- Normaliseert de hyperactieve PI3K δ -route om het onderliggende immuundefect bij APDS-patiënten te corrigeren
- Helpt bij zowel immuundeficiëntie als immuundisregulatie

Geen geneesmiddel-gerelateerde ernstige bijwerkingen of terugtrekking uit onderzoek in Joenja®-onderzoeken
Klinische gegevens en verdraagbaarheid voor langdurige behandeling

Strategie voor het vinden van patiënten




Medische voorlichting om APDS meer bekendheid te geven en leniolisib-gegevens te delen

- ◆ Conferenties en congressen
- ◆ Samenvattingen
- ◆ Publicaties



Genetische testen

- ◆ Gesponsord, gratis testprogramma 
- ◆ Hulp van genetisch consulenten
- ◆ Samenwerken met genetische testbedrijven om APDS-patiënten te identificeren



Familietesten

- ◆ Erfelijke ziekte* maar de meeste APDS-patiënten hebben geen gediagnosticeerde familieleden
- ◆ Samenwerken met klinici om het testen van gezinnen voor te lichten/aan te moedigen
- ◆ Genetische tests aangeboden door partner Genome Medical



VUS resolutie

- ◆ Validatiestudies met verschillende laboratoria om te bevestigen welke Varianten van Onzekere Betekenis (VUS's) moeten worden geclassificeerd als APDS
- ◆ Meer APDS-patiënten diagnosticeren onder degenen met klinische symptomen en een VUS-testresultaat (>1.100 patiënten in de VS)**.
- ◆ Curatie van varianten (ClinGen, Genomenon)
- ◆ Functioneel testen (PI3K pathway activiteit)
- ◆ Multiplexed assays of variant effect (MAVE) studies
- ◆ Afronding studies in 4Q24

*APDS genen zijn autosomaal dominant, wat betekent dat er 50% kans is dat een bloedverwant van een APDS patiënt ook drager is van dat gen en op zijn beurt APDS heeft.

**Tot op heden heeft Pharming in de VS meer dan 1100 patiënten met VUS geïdentificeerd. Naarmate de resultaten beschikbaar komen, kunnen patiënten met gevalideerde varianten gediagnosticeerd worden met APDS en in aanmerking komen voor behandeling met Joenja®.

Joenja® VS (APDS)	Leniolisib (APDS)	Leniolisib voor primaire immunodeficiënties (PID's)
<ul style="list-style-type: none"> • Verhandeld (12+) • Gevonden >220 van ~500 patiënten • 83 patiënten met betaalde therapie / 5 in behandeling • >50 gediagnosticeerde patiënten (12+) nog niet ingeschreven en >50 pediatrische • Groeipotentieel door het vinden van patiënten en VUS-inspanningen 	<ul style="list-style-type: none"> • Wereldwijd >840 patiënten gevonden • Wereldwijde uitbreiding / evaluatie van toelatingsdossier • Pediatrische onderzoeken / labeluitbreiding (>25% patiënten) • 138 patiënten op therapie (toegangsprogramma's en klinische studies) 	<ul style="list-style-type: none"> • Fase II POC-studie in PID's met immuundisregulatie gekoppeld aan PI3Kδ signalering • Vergelijkbaar met APDS • Op zoek naar feedback van regelgevende instanties over derde PID-indicatie
<p>Prevalentie: ~1,5 / miljoen ~2.000 patiënten</p>		<p>~5 / miljoen</p>

- ❖ Joenja® U.S. en Europa / RoW toegangsprogramma inkomsten ondersteunen 2024 begeleiding
- ❖ Prijzen VS: Levering voor 30 dagen \$47.220, jaarlijkse kosten (WAC) \$566.640
- ❖ Wereldwijde uitbreiding gericht op Europa, Groot-Brittannië, Japan, Azië-Pacific, het Midden-Oosten en Canada



**Europa - CHMP-beoordeling
verlengd tot januari 2026**
Eén openstaand CMC-verzoek
Positieve klinische voordelen en veiligheid
geconcludeerd/ bevestigd



**Klinische studie in Japan:
Inschrijving van patiënten is nu
voltooid**
Indiening bij PMDA na voltooiing van
geschikte klinische onderzoeken



**Pediatrisch onderzoek voor 4 tot
11 jaar**
Inschrijving voltooid



**Uitgebreide toegang en op
naam gestelde
patiëntenprogramma's**



**Israël vergunning voor het in de
handel brengen ontvangen 30
april 2024**



**UK, CAN, AUS dossier
onder evaluatie**
Goedkeuringen in 2024-25* **



**Pediatrisch onderzoek voor
1 tot 6 jaar aan de gang**
Eerste patiënt gedoseerd november 2023,
inschrijvingen gaan door zoals gepland



**Ontwikkeling van leniolisib
starten voor PID's met
immuundisregulatie (Fase II
studie)**

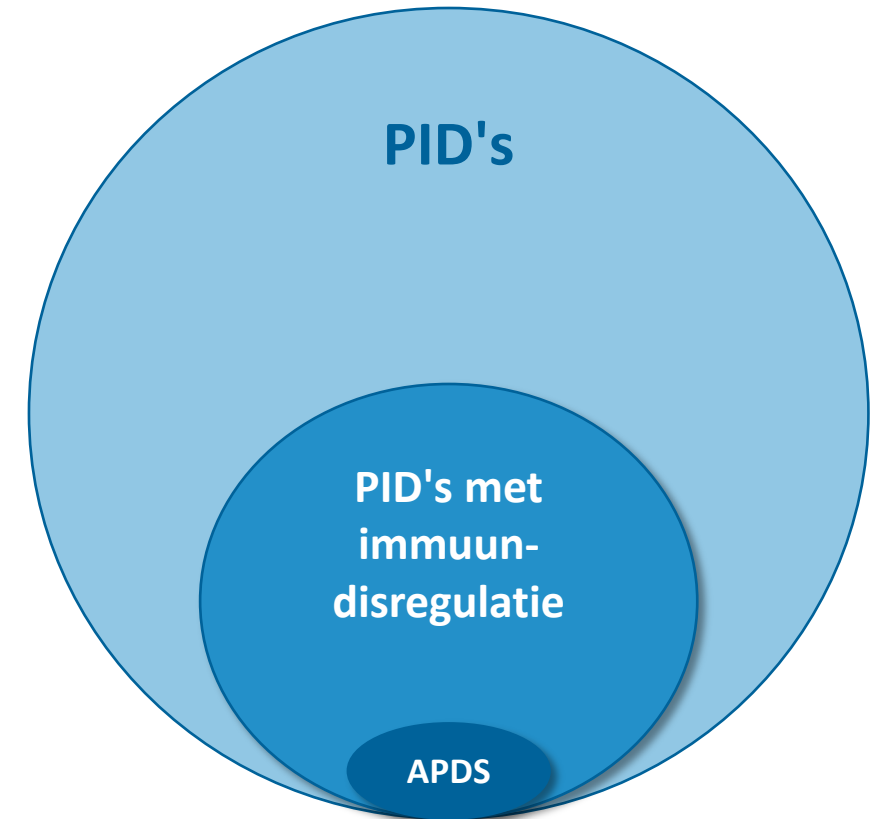
* In Groot-Brittannië heeft Pharming op 12 maart 2024 een MAA ingediend via de International Recognition Procedure (IRP) op basis van goedkeuring door de FDA. De MAA werd gevalideerd op 17 april 2024. De MHRA heeft 110 dagen vanaf de datum dat de IRP indiening is gevalideerd, met een optionele klokstop op dag 70, om het te beoordelen en een beslissing te nemen.

** Verwacht regelgevende actie in 2024 voor Canada en in 2025 voor Australië.

PID's zijn een brede groep aandoeningen¹ met belangrijke kenmerken:

- ❖ Genetische basis, d.w.z. niet secundair veroorzaakt door een andere ziekte '*Inborn Errors of Immunity*' (IEI) wordt door elkaar gebruikt met PID
- ❖ Een verhoogd infectierisico kan de belangrijkste manifestatie zijn van immuundisfunctie
- ❖ PID-patiënten kunnen een overheersende immuundisregulatie hebben, bijvoorbeeld: lymfoproliferatie en auto-immuniteit.²
- ❖ Hoge morbiditeit en mortaliteit

APDS is een voorbeeld van een PID met immuundisregulatie



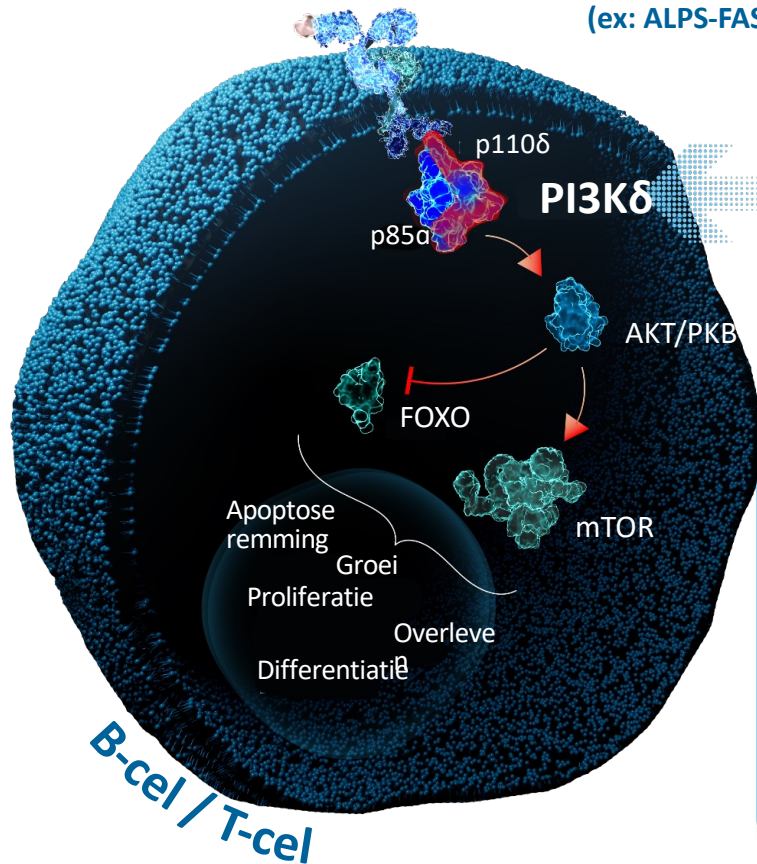
Niet op schaal met bevolkingsaantallen

1. Bousfiha et al 2022 IUIS categorisatie
2. Chan en Torgerson 2020 Curr Opin Allergy Clin Immunol 20(6): 582-590

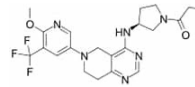
Gezien het belang van PI3K δ in B & T cellen, kan immuundisregulatie in PIDs optreden via veranderingen in PI3K δ signalering

Gestoorde PI3K δ signalering kan voorkomen in meerdere PID genetische aandoeningen buiten APDS

(ex: ALPS-FAS, CTLA4, PTEN) ¹⁻⁴



leniolisib



Grote overvulde medische behoefte

- geen andere goedgekeurde therapieën dan Joenja[®] (leniolisib) voor APDS: SOC-immunosuppressiva (bijv. rapamycine) hebben een beperkte werkzaamheid en aanzienlijke problemen met de verdraagbaarheid

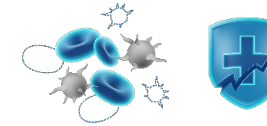
Klinische verschijnselen, begin van de ziekte en ernst vergelijkbaar met APDS

5-8



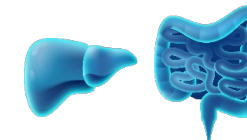
Lymfoproliferatie

- Lymfadenopathie
- Splenomegalie/hepatomegalie
- Nodulaire lymfoïde hyperplasie



Auto-immuniteit

- Cytopenieën
- Auto-immuunziekten
- Auto-inflammatie



GI-ziekte

- Auto-immuun enteropathie
- Nodulaire regeneratieve hyperplasie



Longziekte

- GLILD
- Bronchiëctasieën



Infecties

- Sinopulmonaal
- Herpesvirus



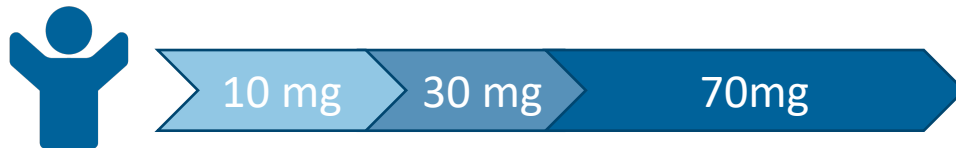
Lymfoom

Opmerking: De illustratie bevat niet alle stappen in de signaalroute.

FOXO, forkhead box O; mTOR, mammalian target of rapamycin; PI3K δ , phosphoinositide 3-kinase delta; PKB, protein kinase B.

1. Volkl et al. *Bloed* 2016; 128(2):227-238. 2. Tsujita, et al. *J Allergy Clin Immunol.* 2016;138(6):1872-80. 3. Browning et al. *J Med Genet.* 2015;52(12):856-59. 4. Heindl et al. *Gastroenterology* 2012;142:1093-96. 5. Coulter TI, et al. *J Allergy Clin Immunol.* 2017;139(2):597-606. 6. Rao VK en Oliveria JB. *Blood* 2011; 118(22):5741-51. 7. Westerman-Clark et al 2021; Schwab C, Gabrys A, Olbrich P, Patiño V, Warnatz K, et al. *J Allergy Clin Immunol.* 2018;142(6):1932-1946. 8. Eissing M, Ripken L, Schriebelt G, Westdorp H, Ligtenberg M, Netea-Maier R, Netea MG, de Vries IJM, Hoogerbrugge N. *Transl Oncol.* 2019;12(2):361-367

Fase II 'proof of concept' klinische studie - enkel arm, open-label, dosis range-finding studie (N=12)



- Patiënten met PID's gekoppeld aan PI3K δ -signalering, bijv. ALPS-FAS¹, CTLA4 haploinsufficiëntie², PTEN-deficiëntie³ (behandelbare populatie ~5/miljoen)
- Primair: Veiligheid en verdraagbaarheid
- Secundair/verkennd: PK/PD, werkzaamheidsmetingen
- 10/30/70 mg: respectievelijk 4/4/12 weken behandeling
- Kies het beste doseringsschema voor fase III



National Institute of Allergy and Infectious Diseases

Hoofdonderzoeker: Gulbu Uzel, arts, senior onderzoeksarts

Co-onderzoeker: V. Koneti Rao, M.D., FRCPA, Senior Onderzoeksarts

Kliniek voor primaire immuundeficiëntie (ALPS-kliniek)

1. Rao VK en Oliveria JB. Hoe ik het auto-immuun lymfoproliferatief syndroom behandel. Bloed 2011; 118(22):5741-51

2. Westerman-Clark et al 2021; Schwab C, Gabrysch A, Olbrich P, Patiño V, Warnatz K, et al. Fenotype, penetrantie en behandeling van 133 cytotoxische T-lymfocyten antigeen 4-insufficiënten. J Allergy Clin Immunol. 2018;142(6):1932-1946

3. Eissing M, Ripken L, Schreibelt G, Westdorp H, Ligtenberg M, Netea-Maier R, Netea MG, de Vries IJM, Hoogerbrugge N. PTEN Hamartoma Tumor Syndrome and Immune Dysregulation. Transl Oncol. 2019;12(2):361-367



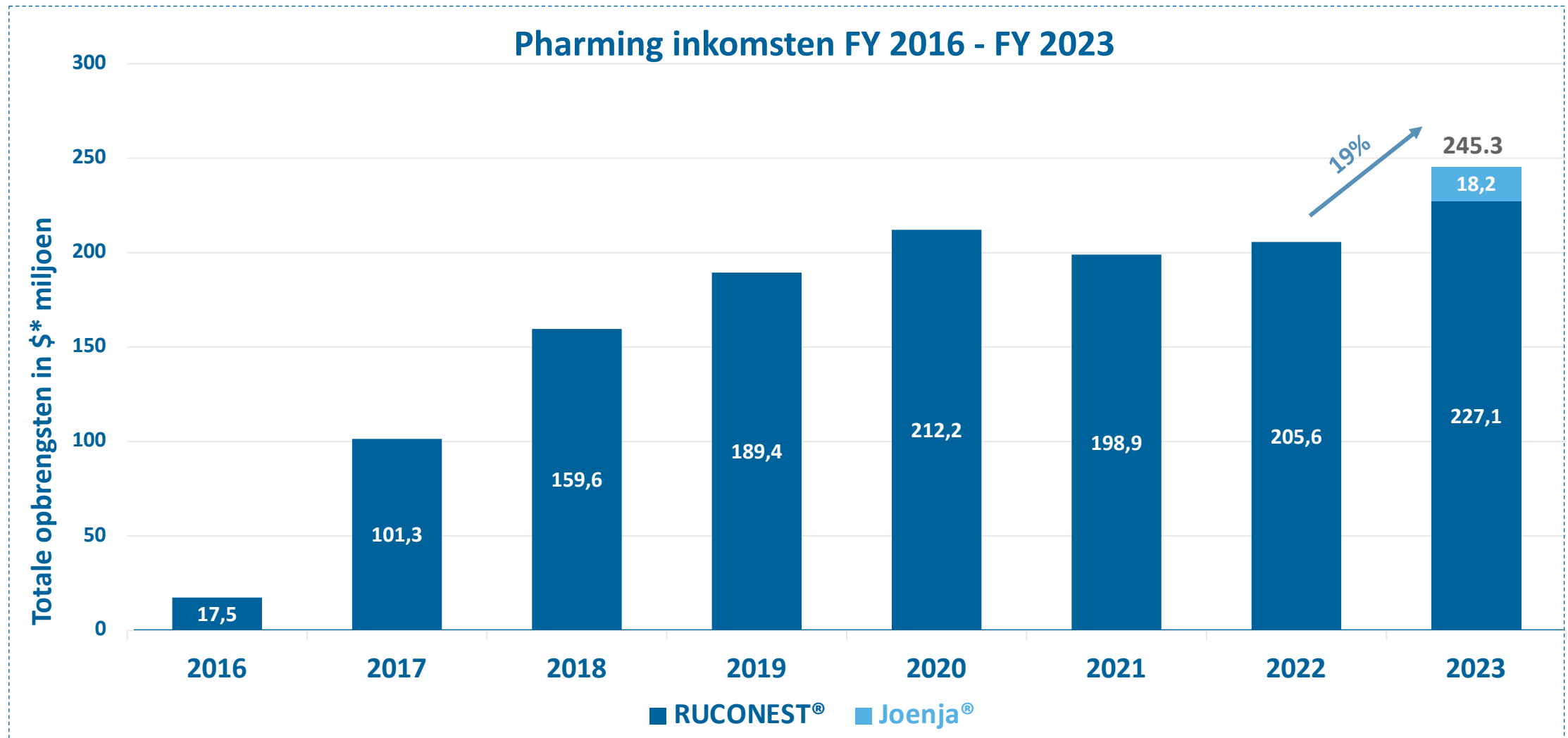
Sijmen de Vries, MD
CEO, Pharming Group N.V.

**VRAGEN EN
ANTWOORDEN**



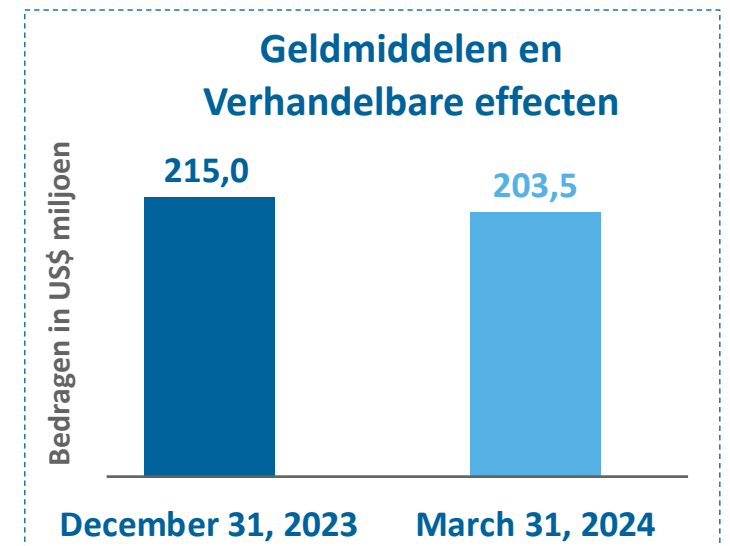
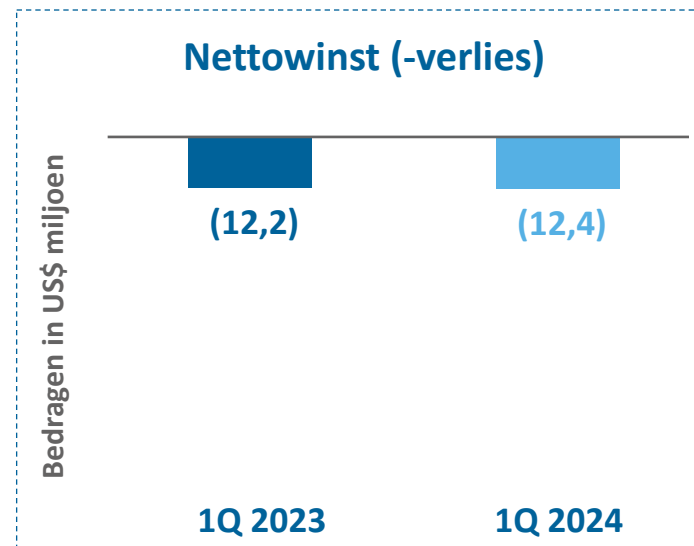
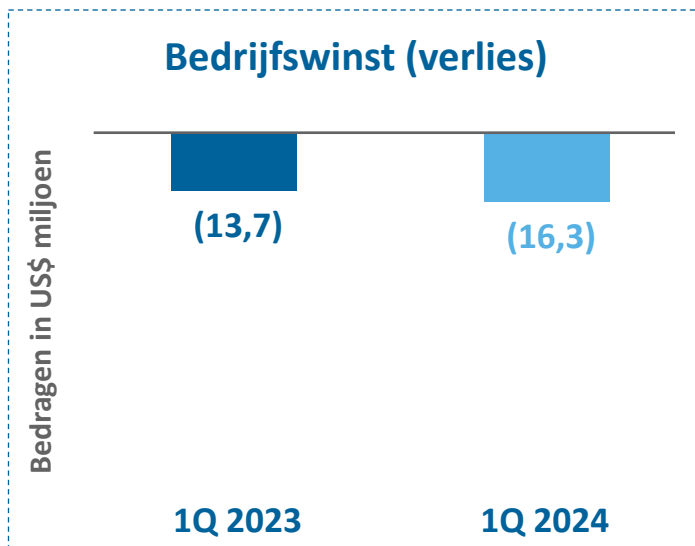
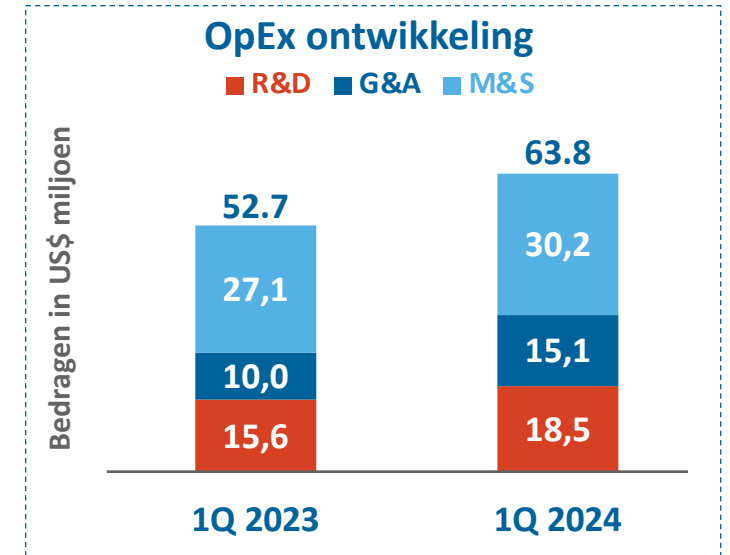
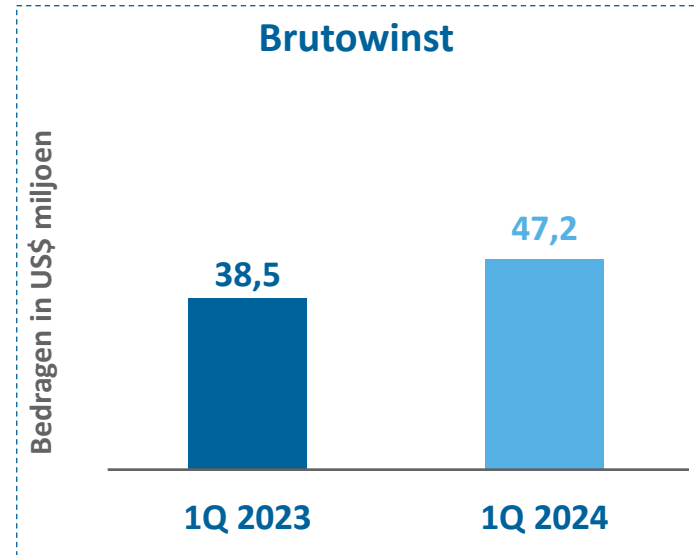
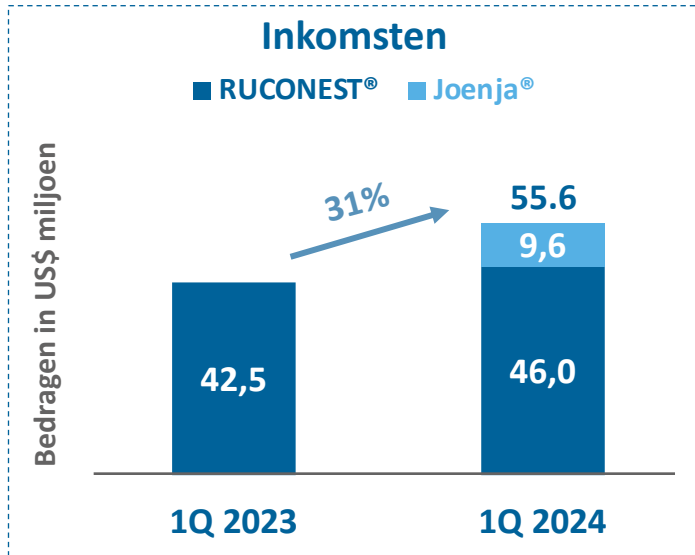
Cijfers en vooruitzichten

RUCONEST® en Joenja® stimuleren omzetgroei



- Van FY 2016 - FY 2020 rapporteerde Pharming Group inkomsten in EUR. Inkomsten gedurende deze periode zijn omgezet naar USD. In 2021 begon Pharming Group met het rapporteren van inkomsten in USD.
- 4Q 2020 en 1Q 2021 kwartaalfunctuaties en volatiliteit van COVID-19.

Financiële hoogtepunten: 1Q 2024 vs 1Q 2023



Opbrengsten uitgesplitst per product en geografisch segment

Bedragen in miljoenen US dollars	1Q 2024			1Q 2023		
	RUCONEST®	Joenja®	Totaal	RUCONEST®	Joenja®	Totaal
Inkomsten						
US	44.8	8.5	53.3	40.9	-	40.9
Europa en RoW	1.2	1.1	2.3	1.6	-	1.6
Totaal inkomsten	46.0	9.6	55.6	42.5	-	42.5



Totale inkomsten tussen US\$280 en US\$295 miljoen (14% tot 20% groei), met verwachte schommelingen per kwartaal.



Joenja[®] (leniolisib) VS: Voortgezette vooruitgang in het vinden van bijkomende APDS-patiënten, ondersteund door familietests en VUS-validatie-inspanningen, en vervolgens het converteren van patiënten naar betaalde therapie.



Leniolisib buiten VS: Toenemende inkomsten uit commerciële beschikbaarheid of via ons Named Patient Program en andere gefinancierde programma's voor vroege toegang in belangrijke wereldwijde markten.



Voltooiing van de klinische studies met leniolisib ter ondersteuning van de registratie voor goedkeuring in Japan en uitbreiding van het pediatrische label in belangrijke wereldwijde markten.



Vooruitgang op weg naar reglementaire goedkeuringen voor leniolisib in de EER, het Verenigd Koninkrijk, Canada en Australië.



Een Fase II klinische studie starten en uitvoeren voor leniolisib in PIDs met immuundisregulatie gekoppeld aan PI3K δ signalering om het commerciële potentieel van leniolisib op lange termijn aanzienlijk uit te breiden.



Blijven focussen op mogelijke acquisities en in-licensing van klinische mogelijkheden in zeldzame ziekten (bijv. immunologie, hematologie, respiratoire en gastro-enterologie)



Sijmen de Vries, MD
CEO, Pharming Group N.V.

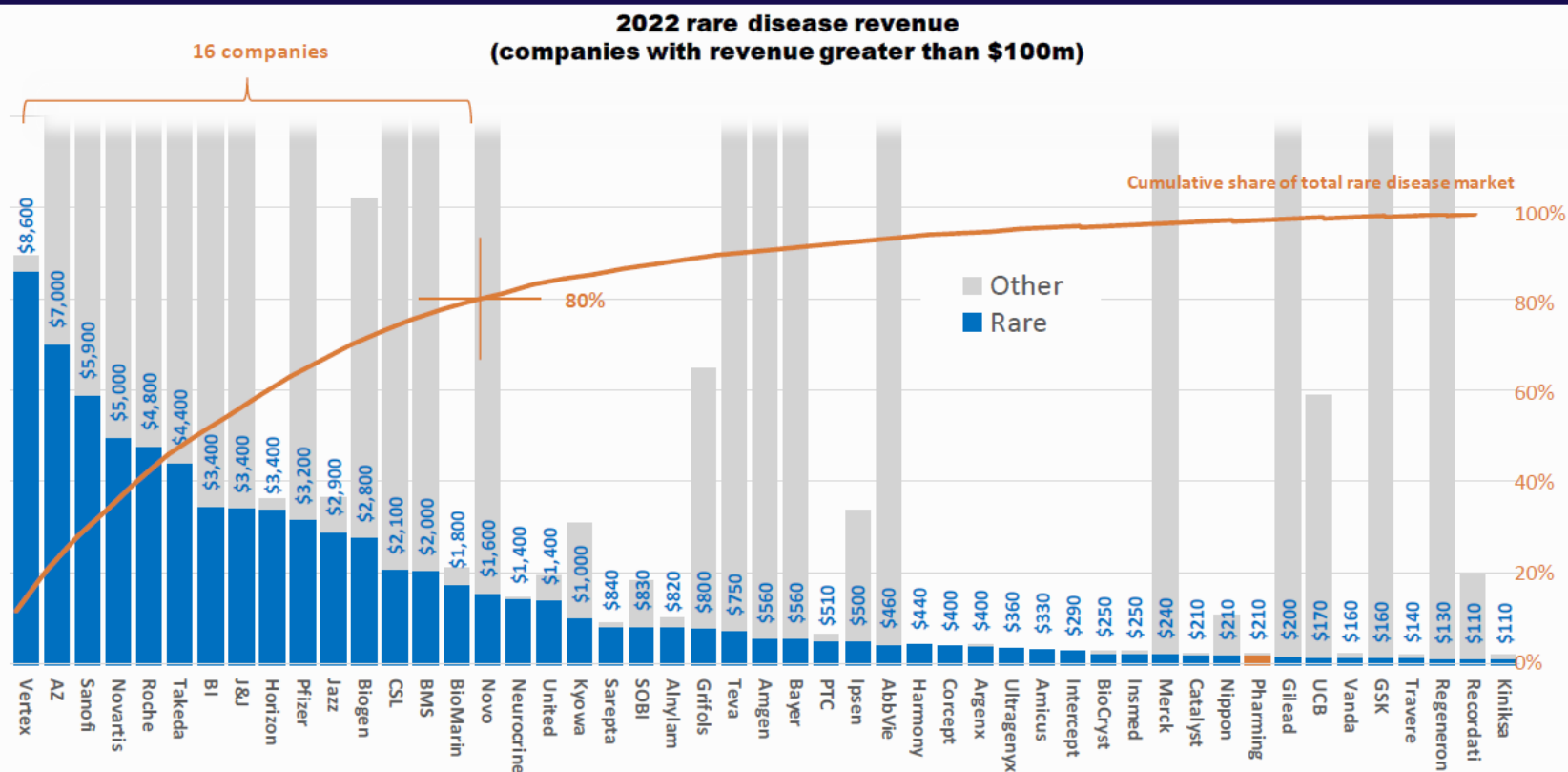
**VRAGEN EN
ANTWOORDEN**



www.pharming.com

NASDAQ: **PHAR** | EURONEXT Amsterdam: **PHARM**

Rare disease space dominated by generalists And revenue concentrated among 10-20 companies



Note: Rare disease revenue is defined as revenue generated by products with >50% of sales derived from rare indications in 2022, exclusive of oncology and anti-infectives; Only showing companies with more than \$100m in revenue

Source: EvaluatePharma, GLS Analysis

PID's gekoppeld aan PI3K δ -signalering - prevalentie bij patiënten

Epidemiologie van PID's gekoppeld aan PI3K-signalering suggereert behandelbare populatie van ~5/miljoen¹

Patiënten geïdentificeerd tot nu toe opgenomen in onderstaande tabel

Genetisch PID-type	Publicatie/cohort/register	Cohortgrootte
ALPS-FAS	NIH-protocol cohort	~500
	ESID-register ²	236
	Prijs et al. 2014 ³	150
CTLA4	Ei et al. 2022 ⁴	173
	Schwab et al 2018 ⁵	133
	NIH-protocol cohort	~100
	ESID-register ²	38
PTEN	Alle PTEN PID patiënten gerapporteerd in publicaties	~88 ⁶

1. Schatting van 5 patiënten per miljoen is gebaseerd op literatuuronderzoek door Pharming, feedback van KOL's en beoordeling van patiëntenregisters. Schatting gebaseerd op deel van ALPS-FAS en CTLA4 haploinsufficiëntie patiënten die geacht worden in aanmerking te komen voor behandeling.
2. Thalhammer et al J Allergy Clin Immunol 2021;148:1332-41
3. Price et al. Blood. 2014;123:1989-1999
4. Ei et al. J Allergy Clin Immunol 2022;149:736-746
5. Schwab et al. J Allergy Clin Immunol 2018;142:1932-1946
6. PTEN PID-tabel met patiëntenaantallen uit niet-gepubliceerde literatuurstudie van Pharming, voltooid in februari 2023. Patiënten kunnen dubbel geteld zijn indien gerapporteerd in meer dan 1 publicatie.

