

Pharming krijgt marktgoedkeuring voor Joenja® (leniolisib) in het Verenigd Koninkrijk

Toegelaten voor volwassen en pediatrische patiënten van 12 jaar en ouder met geactiveerd fosfoïnositide 3-kinase delta (PI3Kδ)-syndroom (APDS)

Leiden, 26 september 2024: Pharming Group N.V. ("Pharming" of "de Onderneming") (EURONEXT Amsterdam: PHARM/Nasdaq: PHAR) maakt bekend dat de *Medicines and Healthcare products Regulatory Agency* (MHRA) in het Verenigd Koninkrijk (VK) vergunning heeft verleend voor het in de handel brengen van Joenja® (leniolisib) voor de behandeling van geactiveerd fosfoïnositide 3-kinase delta (PI3Kδ) syndroom (APDS) bij volwassen en pediatrische patiënten van 12 jaar en ouder.

Leniolisib, een orale, selectieve PI3Kδ-remmer, is de eerste behandeling die in het Verenigd Koninkrijk specifiek is goedgekeurd voor APDS, een zeldzame en progressieve primaire aandoening aan het immuunsysteem. Leniolisib wordt momenteel door het *National Institute for Health and Care Excellence* (NICE) beoordeeld met betrekking tot vergoeding binnen de National Health Service (NHS) in Engeland.

Sijmen de Vries, Chief Executive Officer van Pharming, zegt:

"De goedkeuring door het MHRA van Joenja®, de eerste behandeling specifiek geïndiceerd voor APDS, betekent een belangrijke doorbraak voor mensen in het Verenigd Koninkrijk die leven met deze slopende ziekte. Tot op heden was de behandeling van APDS gericht op de behandeling van de diverse symptomen van APDS. Voor sommige patiënten was een hematopoëtische stamceltransplantatie noodzakelijk. We zijn daarom verheugd dat dit product nu is goedgekeurd in het Verenigd Koninkrijk. Het betreft tegelijkertijd Pharmings derde goedkeuring voor APDS in een bepaald land, wat ons dichterbij ons doel brengt om mondiaal een toonaangevende onderneming gericht op zeldzame aandoeningen te worden speciaal voor patiëntgroepen met onvervulde medische behoeften."

De MHRA beoordeelde de aanvraag voor een vergunning voor het in de handel brengen (MAA) van leniolisib via de internationale erkenningsprocedure (IRP) op basis van de goedkeuring door de Amerikaanse Food and Drug Administration (FDA) die in maart 2023 werd ontvangen.

Belangrijke veiligheidsinformatie

De volledige samenvatting van de productkenmerken (SPC/SmPC) voor Joenja® (leniolisib) is beschikbaar op de MHRA-website op <https://products.mhra.gov.uk/>.

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 afweercellen in het lichaam. Varianten van deze genen leiden tot hyperactiviteit van de PI3Kδ (phosphoïnositide 3-kinase delta) signaalroute, waardoor afweercellen

niet goed rijpen en functioneren, wat 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 afwijkingen aan het immuunsysteem, is gemeld dat mensen met APDS vaak een verkeerde 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 (PI3K δ)-remmer die is goedgekeurd in de VS, het VK en Israël als de eerste en enige gerichte behandeling geïndiceerd voor geactiveerd fosfoinositide 3-kinase delta (PI3K δ)-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 III klinische studie toonden een statistisch significante verbetering in de belangrijkste eindpunten, wat een gunstige invloed weerspiegelt op de immuun-disregulatie en -deficiëntie bij deze patiënten, en tussentijdse open-label extensie studiegegevens hebben de veiligheid en verdraagbaarheid van langdurige toediening van leniolisib bevestigd.^{8,9} Leniolisib wordt momenteel door toezichthouders geëvalueerd in de Europese Economische Ruimte, Canada en Australië, met plannen voor verdere goedkeuringen in Japan en Zuid-Korea. Leniolisib wordt ook geëvalueerd in twee Fase III klinische studies bij kinderen met APDS.

Over Pharming Group N.V.

Pharming Group N.V. (EURONEXT Amsterdam: PHARM/Nasdaq: PHAR) is een wereldwijd biofarmaceutisch bedrijf dat 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 en biologische geneesmiddelen. Pharming heeft haar hoofdkantoor in Leiden, Nederland, en heeft werknemers 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 naar [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 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 op de toekomstgerichte verklaringen in dit persbericht worden uitdrukkelijk in hun geheel gekwalificeerd door de waarschuwendende verklaringen die in dit gedeelte zijn opgenomen of waarnaar in dit gedeelte wordt verwezen. 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 verplichting op zich om toekomstgerichte verklaringen publiekelijk bij te werken of te herzien als gevolg van nieuwe informatie, toekomstige gebeurtenissen of andere informatie.

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. 2020 Dec;59(3):323-333.
7. Condliffe AM, Chandra A. Front Immunol. 2018;9:338.
8. Rao VK, et al. Bloed. 2023 Mar 2;141(9):971-983.
9. Rao VK, et al. J Allergy Clin Immunol 2024;153:265-74.

Voor meer informatie kunt u contact opnemen met:

Pharming Group, Leiden,

Michael Levitan, VP Investor Relations & Corporate Communication

T: +1 (908) 705 1696

E: investor@pharming.com

LifeSpring Life Sciences Communication, 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
Christina Renfroe
[E: Christina.Renfroe@precisionaq.com](mailto:Christina.Renfroe@precisionaq.com)
T: +1 (636) 352-7883