

Uitsluitend voor media en investeerders

Pharming ontvangt positieve aanbeveling van NICE voor Joenja® ▼ (leniolisib) ter behandeling van APDS

Joenja® is het eerste en enige geneesmiddel specifiek voor APDS dat wordt vergoed binnen de NHS

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

Leiden, 23 april 2025: Pharming Group N.V. ("Pharming" of "de Onderneming") (EURONEXT Amsterdam: PHARM/Nasdaq: PHAR) maakt bekend dat het National Institute for Health and Care Excellence (NICE) in een positieve definitieve richtlijn Joenja® (leniolisib) heeft aanbevolen voor vergoeding en gebruik binnen de National Health Service (NHS) in Engeland en Wales, voor de behandeling van het geactiveerde fosfoinositide 3-kinase delta (PI3Kδ)-syndroom (APDS) bij volwassenen en kinderen vanaf 12 jaar.

De NICE-aanbeveling is gebaseerd op het geheel aan beschikbare data, waaronder de Fase III klinische studie waarin leniolisib, een orale selectieve PI3Kδ-remmer, werd geëvalueerd bij patiënten met APDS, een zeldzame en progressieve primaire aandoening aan het immuunsysteem. In de primaire analyse leidde de behandeling met leniolisib tot significante verbeteringen in immuundeficiëntie en immuun-disregulatie in vergelijking met placebo. De Fase III studie toonde een verbetering van de klinische resultaten, die behouden bleef tijdens de behandeling op langere termijn in de open-label extensiestudie.

Fabrice Chouraqui, Chief Executive Officer van Pharming, zegt:

"Deze positieve aanbeveling van NICE voor Joenja® vormt een belangrijke mijlpaal voor patiënten met APDS in Engeland en Wales. Dit onderstreept de toewijding van Pharming om intensief samen te werken met goedkeuringsinstanties, verzekeraars, de medische immunologiegemeenschap en patiëntenorganisaties om deze eerste, gerichte behandeling beschikbaar te maken voor patiënten die hiervan kunnen profiteren."

Professor Sinisa Savic, hoogleraar klinische immunologie aan het St James's University Hospital in het Engelse Leeds, voegt toe:

"Data uit klinische studies toont aan dat leniolisib reële voordelen biedt voor patiënten met APDS, een zeldzame primaire immunodeficiëntie. APDS is een complexe en progressieve aandoening die leidt tot ontregeling van het immuunsysteem en terugkerende infecties, wat een aanzienlijke impact heeft op de levenskwaliteit van patiënten. De NICE-aanbeveling, die het voorschrijven van deze gerichte behandeling via de NHS mogelijk maakt, markeert een cruciale vooruitgang in het uitbreiden van behandelopties voor patiënten met deze aandoening."

Dr. Susan Walsh, Chief Executive Officer bij Immunodeficiency UK, zegt:

“Dit is een buitengewoon welkome beslissing die een groot verschil zal maken voor het leven van mensen met APDS en hun families, doordat het hun levenskwaliteit mogelijk verbetert. Leniolisib biedt nu een gerichte behandeling die de onderliggende oorzaak van de immuunproblemen bij APDS aanpakt – een enorme sprong voorwaarts. Wij zijn Pharming erkentelijk voor hun samenwerking met NICE om dit medicijn via de NHS toegankelijk te maken. Samen tonen zij aan dat zij daadwerkelijk investeren in behandelingen voor mensen met zeer zeldzame immuunaandoeningen.”

De definitieve NICE-aanbeveling sluit aan bij de eerdere goedkeuring van de Britse geneesmiddelenautoriteit MHRA en valt onder NICE's HST-programma (Highly Specialised Technologies), dat specifiek is voor evaluaties van behandelingen tegen zeer zeldzame en ernstige aandoeningen. Leniolisib is nu direct beschikbaar in Engeland via het Innovative Medicines Fund, waardoor patiënten onmiddellijk toegang hebben. In Wales wordt de vergoeding van leniolisib via de NHS naar verwachting binnen drie maanden geregeld, met beschikbaarheid in gespecialiseerde behandelcentra.

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 immunodeficiëntie die voor het eerst werd gekarakteriseerd in 2013. APDS wordt veroorzaakt door varianten in één van de twee geïdentificeerde genen die bekend staan als *PIK3CD* of *PIK3R1*; deze zijn van vitaal belang zijn voor de ontwikkeling en functie van immuuncellen in het lichaam. Varianten van deze genen leiden tot hyperactiviteit van de PI3K δ (fosfoïnositide 3-kinase delta) signaalroute, waardoor immuuncellen 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 verschillende aandoeningen, waaronder andere primaire immuundeficiënties, is bekend dat mensen met APDS vaak een onjuiste diagnose krijgen en de mediane duur tot een diagnose 7 jaar is.⁶ Omdat APDS een progressieve ziekte is, kan dit oponthoud in de loop van de tijd leiden tot een opeenstapeling van schade, waaronder blijvende longschade en lymfoom.⁴⁻⁷ Een definitieve diagnose kan worden gesteld door middel van genetische testen. APDS treft wereldwijd ongeveer 1 tot 2 mensen per miljoen.

Over Joenja® (leniolisib)

Joenja® (leniolisib) is een orale kleine-molecule-fosfoïnositide 3-kinase delta (PI3K δ)-remmer die is goedgekeurd in de VS, het VK, Australië en Israël als de eerste en enige gerichte behandeling van het geactiveerde fosfoïnositide 3-kinase delta (PI3K δ)-syndroom (APDS) bij volwassen en

pediatrische patiënten van 12 jaar en ouder. Joenja® remt de productie van fosfatidylinositol-3-4-5-trisfosfaat (PIP3), dat fungeert als een belangrijke cellulaire boodschapper en een veelheid aan celfuncties reguleert, zoals proliferatie, differentiatie, cytokineproductie, celoverleving, angiogenese en metabolisme. De resultaten van een gerandomiseerde, placebo-gecontroleerde klinische studie in Fase III toonden een statistisch significante verbetering aan in de belangrijkste eindpunten, wat een gunstige invloed aantoonde op de ontregeling van het immuunsysteem en de deficiëntie die bij deze patiënten wordt waargenomen. Tussentijdse open-label extensiestudie gegevens hebben de veiligheid en verdraagbaarheid van de toediening van leniolisib op lange termijn bevestigd.^{8,9} Leniolisib wordt momenteel door geneesmiddelenautoriteiten geëvalueerd voor behandeling van APDS in de Europese Economische Ruimte, Canada en verscheidene andere landen, met plannen voor verdere goedkeuring in Japan. Leniolisib wordt ook geëvalueerd in twee Fase III klinische studies bij kinderen met APDS en in twee Fase II klinische studies bij primaire immunodeficiënties (PID's) met immuundisregulatie. De veiligheid en werkzaamheid van leniolisib is niet vastgesteld voor PID's met immuundisregulatie buiten de APDS-aandoening.

Over Pharming Group N.V.

Pharming Group N.V. (EURONEXT Amsterdam: PHARM/Nasdaq: PHAR) is een wereldwijd opererende biofarmaceutische onderneming die zich richt op het transformeren van het leven van patiënten met zeldzame, slopende en levensbedreigende ziekten. Pharming commercialiseert en ontwikkelt een portfolio van innovatieve geneesmiddelen, waaronder kleine moleculen en biologische geneesmiddelen. Pharming heeft haar hoofdkantoor in Leiden. Medewerkers over de hele wereld bedienen patiënten 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 uitspraken

Dit persbericht kan toekomstgerichte uitspraken bevatten. Toekomstgerichte uitspraken 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,

commerciële, concurrerende en technische ontwikkelingen. In het licht van deze risico's en onzekerheden, en andere risico's en onzekerheden die worden beschreven in Pharmings jaarverslag 2024 en het jaarverslag op Form 20-F voor het jaar eindigend op 31 december 2024, 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 Pharming's 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 die beschikbaar is voor Pharming 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.

Voorwetenschap

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. Elkaïm 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.

Neem voor meer informatie contact op 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

Simon Conway/Alex Shaw/Amy Byrne

T: +44 203 727 1000

PR VS

Christina Skrivan

T: +1 (917) 882 9038

E: Christina.Skrivan@precisionaq.com