

## Pharming ondersteunt de 10<sup>de</sup> jaarlijkse "hae day :-)"

**Leiden, 17 mei 2021:** Pharming Group NV (Euronext Amsterdam: PHARM/ NASDAQ: PHAR) ondersteunt de 10<sup>de</sup> jaarlijkse "hae day :-)", de wereldwijde dag van bewustmaking van erfelijk angio-oedeem (HAE), een zeldzame levensbedreigende aandoening.

Op 16 mei verenigde de HAE-gemeenschap zich om HAE bij het publiek en de medische gemeenschap onder de aandacht te brengen, zodat uiteindelijk iedere patiënt verzekerd zal zijn van een snellere en juiste diagnose, maar ook van de zorg die hij of zij nodig heeft voor verbetering van de kwaliteit van leven. Nationale ledenorganisaties en patiëntengroepen over de hele wereld ondersteunen het evenement onder leiding van HAE International (HAEi), de wereldwijde overkoepelende organisatie voor HAE-patiëntengroepen.

### **Sijmen de Vries, Chief Executive Officer van Pharming, zegt over hae day :-)**

*"We zijn trots de tiende hae day :-) te kunnen ondersteunen om aandacht te vestigen op HAE en op de noodzaak van verbetering van de levenskwaliteit van patiënten en hun families over de hele wereld. HAE is een zeldzame genetische aandoening die ernstige zwelling van weefsels veroorzaakt, met een soms fatale afloop. Patiënten krijgen vaak een onjuiste diagnose omdat de symptomen lijken op meer algemene aandoeningen. Pharming blijft zich inzetten om voor patiënten met deze zeldzame levensbedreigende aandoening het positieve verschil te kunnen maken."*

Ga voor meer informatie naar <https://haeday.org/>

### **Over Erfelijk angio-oedeem (HAE)**

Erfelijk angio-oedeem (HAE) is een zeldzame genetische aandoening. De aandoening wordt veroorzaakt door een tekort aan het C1-esteraseremmer-eiwit dat gewoonlijk in het bloed aanwezig is en helpt bij het beheersen van ontstekingen (zwelling) en delen van het immuunsysteem. Een gebrekkige C1-remmer vervult zijn regulerende functie onvoldoende. Dit kan leiden tot een biochemische onbalans en een productie van ongewenste peptiden die de capillairen ertoe aanzetten vocht te lekken naar het omringende weefsel, waardoor zwelling of oedeem wordt veroorzaakt.

HAE wordt gekenmerkt door spontane en terugkerende episodes van zwelling (oedeemaanvallen) van de huid in verschillende delen van het lichaam, evenals in de luchtwegen en inwendige organen. Oedeem van de huid treft meestal de ledematen, het gezicht en de geslachtsorganen. Patiënten die aan dit soort oedeem lijden, trekken zich vaak terug uit hun sociale leven vanwege de misvorming, het ongemak en de pijn die deze symptomen kunnen veroorzaken. Bijna alle HAE-patiënten lijden aan periodes van hevige buikpijn, misselijkheid, braken en diarree veroorzaakt door zwelling van de darmwand.

Oedeem van de keel, neus of tong is bijzonder gevaarlijk en mogelijk levensbedreigend omdat het kan leiden tot obstructie van de luchtwegen. Hoewel er momenteel geen medicijn voorhanden is tegen HAE, is het mogelijk om de symptomen die gepaard gaan met angio-oedeemaanvallen te behandelen.

HAE treft ongeveer 1 op de 10.000 tot 50.000 mensen wereldwijd. Deskundigen denken dat veel patiënten nog steeds niet juist worden gediagnosticeerd, hoewel HAE in principe eenvoudig is vast te stellen, wordt het vaak pas laat of helemaal niet ontdekt. De reden dat HAE vaak verkeerd wordt gediagnosticeerd, is omdat de symptomen vergelijkbaar zijn met die van andere veel voorkomende aandoeningen, zoals allergieën of blindedarmontsteking. Tegen de tijd dat de diagnose juist is gesteld, heeft de patiënt vaak veel beproevingen moeten doorstaan.

### Over Pharming

Pharming Group N.V. is een wereldwijd actief biofarmaceutisch bedrijf in de commerciële fase dat innovatieve eiwitvervangende therapieën en precisiegeneesmiddelen ontwikkelt voor de behandeling van zeldzame ziekten en onvervulde medische behoeften.

Ons belangrijkste *compound* betreft onze recombinante humane C1-esteraseremmer, of rhC1INH. C1INH is een natuurlijk voorkomend eiwit dat de complement- en contactcascade reguleert om zwelling in aangetaste weefsels te beheersen.

Ons hoofdproduct, RUCONEST®, is de eerste en enige plasmavrije rhC1INH-eiwitvervangings therapie. Het is goedgekeurd voor de behandeling van acuut erfelijk angio-oedeem of HAE-aanvallen. We commercialiseren RUCONEST® in de Verenigde Staten, de Europese Unie en het Verenigd Koninkrijk via onze eigen verkoop- en marketingorganisatie, en de rest van de wereld via ons distributienetwerk.

We ontwikkelen ook rhC1INH voor nieuwe indicaties, waaronder pre-eclampsie, acuut nierfalen en we onderzoeken ook de klinische werkzaamheid van rhC1INH in COVID-19.

Daarnaast onderzoeken we ons orale precisiegeneesmiddel, leniolisib (een fosfoinositide 3-kinase-delta of PI3K-delta-remmer), voor de behandeling van geactiveerd PI3K-deltasyndroom, of APDS, in een fase 2/3 registratiestudie in de VS en Europa.

Bovendien maken we ook gebruik van onze transgene productietechnologie voor de ontwikkeling van de volgende generatie eiwitvervangende therapieën, met name voor de ziekte van Pompe, welk programma zich momenteel in de preklinische fase bevindt.

Ga voor meer informatie naar [www.pharming.com](http://www.pharming.com)

### Toekomstgerichte verklaringen

*Dit persbericht bevat toekomstgerichte verklaringen, onder meer met betrekking tot de timing en voortgang van de preklinische onderzoeken en klinische onderzoeken van Pharming met haar productkandidaten, de klinische en commerciële vooruitzichten van Pharming, het vermogen van Pharming om de uitdagingen van de COVID-19-pandemie voor het gedrag te overwinnen van haar activiteiten, en Pharmings verwachtingen met betrekking tot haar verwachte werkkapitaalvereisten en kasmiddelen, welke verklaringen onderhevig zijn aan een aantal risico's, onzekerheden en veronderstellingen, inclusief, maar niet beperkt tot de reikwijdte, voortgang en uitbreiding van Pharmings klinische onderzoeken en gevolgen 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 het jaarverslag 2020 van Pharming, is het mogelijk*

*dat de gebeurtenissen en omstandigheden die in dergelijke toekomstgerichte verklaringen worden besproken, zich niet voordoen en werkelijke resultaten kunnen wezenlijk en nadelig verschillen van de resultaten die daardoor worden verwacht of geïmpliceerd. Alle toekomstgerichte verklaringen gelden alleen op de datum van dit persbericht en zijn gebaseerd op informatie waarover Pharming beschikt op de datum van dit persbericht.*

### **Voorwetenschap**

*Dit persbericht heeft betrekking op de openbaarmaking van informatie die kwalificeert, of mogelijk gekwalificeerd heeft, als voorwetenschap in de zin van artikel 7 (1) van de Europese Verordening Marktmissbruik.*

### **Neem voor meer informatie contact op met:**

#### **Pharming Group, Leiden**

Sijmen de Vries, CEO: T: +31 71 524 7400  
Susanne Embleton, Investor Relations Manager:  
T: +31 71 524 7400  
E: investor@pharming.com

#### **FTI Consulting, Londen**

Victoria Foster Mitchell/Mary Whittow,  
T: +44 203 727 1000

#### **LifeSpring Life Sciences Communication, Amsterdam**

Leon Melens  
T: +31 6 53 81 64 27  
E: pharming@lifespring.nl