

## Pharming maakt publicatie in een peer-reviewed tijdschrift bekend van studiegegevens uit *compassionate use*-studie met RUCONEST® bij vijf COVID-19-patiënten

**Leiden, 17 augustus 2020:** Pharming Group N.V. (“Pharming” of “de Onderneming”) (Euronext Amsterdam: PHARM), een gespecialiseerde farmaceutische onderneming die innovatieve producten ontwikkelt voor de veilige, effectieve behandeling van zeldzame aandoeningen en onvervulde medische behoeften, maakt de publicatie bekend in het peer-reviewed tijdschrift [Frontiers in Immunology](#) van de resultaten van een compassionate use-programma met vijf patiënten met bevestigde COVID-19 (SARS-CoV-2)-infecties. De patiënten waren in het Universitair Ziekenhuis in het Zwitserse Basel opgenomen met aan COVID-19 gerelateerde ernstige longontsteking en werden behandeld met RUCONEST® (recombinant humane C1-remmer, conestat alfa).

Zoals gemeld in ons persbericht op 21 april 2020, verdween de koorts bij vier van de vijf patiënten binnen 48 uur na behandeling met RUCONEST® en namen de ontstekingswaarden in het bloed significant af (CRP, IL-6). Kort daarna werden vier van de vijf patiënten volledig hersteld uit het ziekenhuis ontslagen. Eén patiënt had een verhoogde zuurstofbehoefte en werd tijdelijk overgebracht naar de Intensive Care Unit voor intubatie, maar herstelde de daaropvolgende dagen volledig.

### Retrospectieve vergelijking controlegroep

Aangezien het hier een kleine populatie betrof, werden de uitkomsten retrospectief vergeleken met een overeenkomende controlepopulatie van vijftien patiënten. Baseline-kenmerken, bloedwaarden bij opname en toegediende behandelingen waren in beide groepen vergelijkbaar. Beide groepen ontvingen de standaardbehandeling en experimentele therapieën, waaronder antivirale en anti-cytokine-gerichte medicatie. Echter, acht van de vijftien patiënten (53%) in de controlepopulatie, hadden mechanische beademing nodig en vier van deze patiënten overleden. In de RUCONEST®-groep daarentegen had slechts één patiënt (20%) mechanische beademing nodig en was er geen sprake van sterfgevallen. Over het algemeen werd de behandeling met in totaal vijf reguliere doses RUCONEST® gedurende 48 uur goed verdragen.

De publicatie in *Frontiers of Immunology* is ook te vinden op [www.pharming.com](http://www.pharming.com)

### Over Pharming Group N.V.

Pharming is een gespecialiseerde farmaceutische onderneming die innovatieve medicijnen ontwikkelt voor de veilige, effectieve behandeling van zeldzame ziekten en onvervulde medische behoeften. Het belangrijkste product van Pharming, RUCONEST® (conestat alfa), is een recombinante humane C1-esteraseremmer die is goedgekeurd voor de behandeling van acute aanvallen van angio-oedeem bij patiënten met erfelijk angio-oedeem (HAE) in; Europa voor volwassenen, adolescenten en kinderen vanaf twee jaar; in de VS voor volwassenen en adolescenten, en in Israël en Zuid-Korea. Het medicijn is beschikbaar op *named-patient* basis in andere gebieden waar het nog geen marktlicentie heeft verkregen.

RUCONEST® wordt gedistribueerd door Pharming in de Verenigde Staten en in Europa en de Onderneming bezit alle andere commercialiseringsrechten in andere landen die hieronder niet gespecificeerd zijn. In sommige van deze landen vindt distributie plaats in samenwerking met het HAEi Global Access Program (GAP). RUCONEST® wordt gedistribueerd in Argentinië, Colombia, Costa Rica, de Dominicaanse Republiek, Panama en Venezuela door Cytobioteck, in Zuid-Korea door HyupJin Corporation en in Israël door Kamada.

RUCONEST® wordt ook geëvalueerd op verschillende aanvullende indicaties. Het technologieplatform van Pharming omvat een uniek GMP-conform gevalideerd proces voor de productie van pure recombinante menselijke eiwitten, dat heeft bewezen in staat te zijn industriële hoeveelheden hoogwaardige recombinante menselijke eiwitten op een meer economische en minder immunogenetische wijze te produceren in vergelijking met de huidige cellijngebaseerde methoden.

Ter aanvulling op RUCONEST® en verschillende varianten van recombinante menselijke C1-esterase-remmers, heeft Pharming recentelijk Leniolisib van Novartis ingelicenseerd, een klein molecuul dat in een registratie-studie is voor APDS, een vorm van Primaire Immunodeficiëntie.

Leads voor enzymvervangings therapie ("EVT") voor de ziekten van Pompe en Fabry worden op dit moment geoptimaliseerd, terwijl aanvullende programma's waarbij EVT niet betrokken is, momenteel ook in een vroeg stadium worden onderzocht.

Pharming heeft in 2019 leniolisib van Novartis gelicenseerd, een klein molecuul en selectieve PI3K $\delta$ -remmer, waarvoor thans een registratiestudie plaatsvindt voor geactiveerd PI3K-delta-syndroom (APDS), een zeldzame vorm van primaire immunodeficiëntie.

Pharming heeft een langdurig alliantie met het China State Institute of Pharmaceutical Industry ("CSIPI"), een Sinopharm-bedrijf, voor gezamenlijke wereldwijde ontwikkeling van nieuwe producten, te beginnen met recombinante humane factor VIII voor de behandeling van hemofilie A. Preklinische ontwikkeling en productie zal plaatsvinden bij CSIPI volgens wereldwijde standaarden en worden gefinancierd door CSIPI. Klinische ontwikkeling wordt gedeeld tussen de partners, waarbij elke partner de kosten voor zijn grondgebied draagt in het kader van het partnerschap.

Aanvullende informatie is beschikbaar op de website van Pharming: [www.pharming.com](http://www.pharming.com)

### **Toekomstgerichte verklaringen**

*Dit persbericht van Pharming Group NV en haar dochterondernemingen ("Pharming", de "Onderneming" of de "Groep") kan toekomstgerichte verklaringen bevatten, waaronder, maar niet beperkt tot die met betrekking tot Pharming's financiële projecties, marktverwachtingen, ontwikkelingen, partnerschappen, plannen, strategieën en kapitaaluitgaven.*

*De Onderneming waarschuwt dat dergelijke vooruitblikkende verklaringen bepaalde risico's en onzekerheden kunnen inhouden en dat de werkelijke resultaten kunnen verschillen. Risico's en onzekerheden omvatten, zonder beperking, het effect van concurrerende, politieke en economische factoren, juridische claims, het vermogen van het bedrijf om intellectueel eigendom te beschermen, schommelingen in wisselkoersen en rentetarieven, wijzigingen in belastingwetten of -tarieven, wijzigingen in wetgeving of boekhoudpraktijken en het vermogen om nieuwe producten, markten of technologieën te identificeren, ontwikkelen en met succes te commercialiseren.*

*Dientengevolge kunnen de werkelijke prestaties, positie en financiële resultaten en verklaringen van de Onderneming wezenlijk verschillen van de plannen, doelstellingen en verwachtingen die zijn uiteengezet in dergelijke toekomstgerichte verklaringen. De Onderneming neemt geen verplichting op zich om toekomstgerichte verklaringen of informatie bij te werken, die moeten worden genomen vanaf de respectieve uitgiftedata, tenzij vereist door wet- of regelgeving.*

**Contacten:**

**Pharming Group N.V.**

Sijmen de Vries, CEO, Tel: +31 71 524 7400

Susanne Embleton, Investor Relations Manager: +31 71 524 7400

**LifeSpring Life Sciences Communication, Amsterdam**

Leon Melens, Tel: +31 6 53 81 64 27

pharming@lifespring.nl

**FTI Consulting, London, VK:**

Victoria Foster Mitchell/Mary Whittow,

T: +44 203 727 1000