

Dank u!



Geachte aanwezigen,

Dank voor uw komst naar Zwolle.

Als u nog vragen heeft, aarzel dan niet om deze naar investor@pharming.com te sturen. Wij zullen zo snel mogelijk contact met u opnemen.

Met vriendelijke groet,

Pharming Investor Relations Team

- ◆ 19:00 – Ontvangst
- ◆ 19:25 uur – Welkomstwoord
- ◆ 19:30 uur – **Sijmen de Vries: korte corporate presentatie**
- ◆ 20:30 uur – Vragen uit het publiek
- ◆ 21:00 uur – Borrel
- ◆ 22:00 uur – Einde

De slides van vandaag staan op de USB in uw Pharming tas.

Pharming Group N.V.

Sijmen de Vries

Chief Executive Officer

Investor Tour Zwolle

9 januari 2020

Safe Harbour Statement



The information contained in this document and communicated verbally to you (together the "Presentation") is being supplied to you solely for your information and may not be copied, reproduced or further distributed to any person or published, in whole or in part, for any purpose.

The Presentation does not form any part of an offer of, or invitation to apply for, securities in Pharming Group N.V. (the "Company").

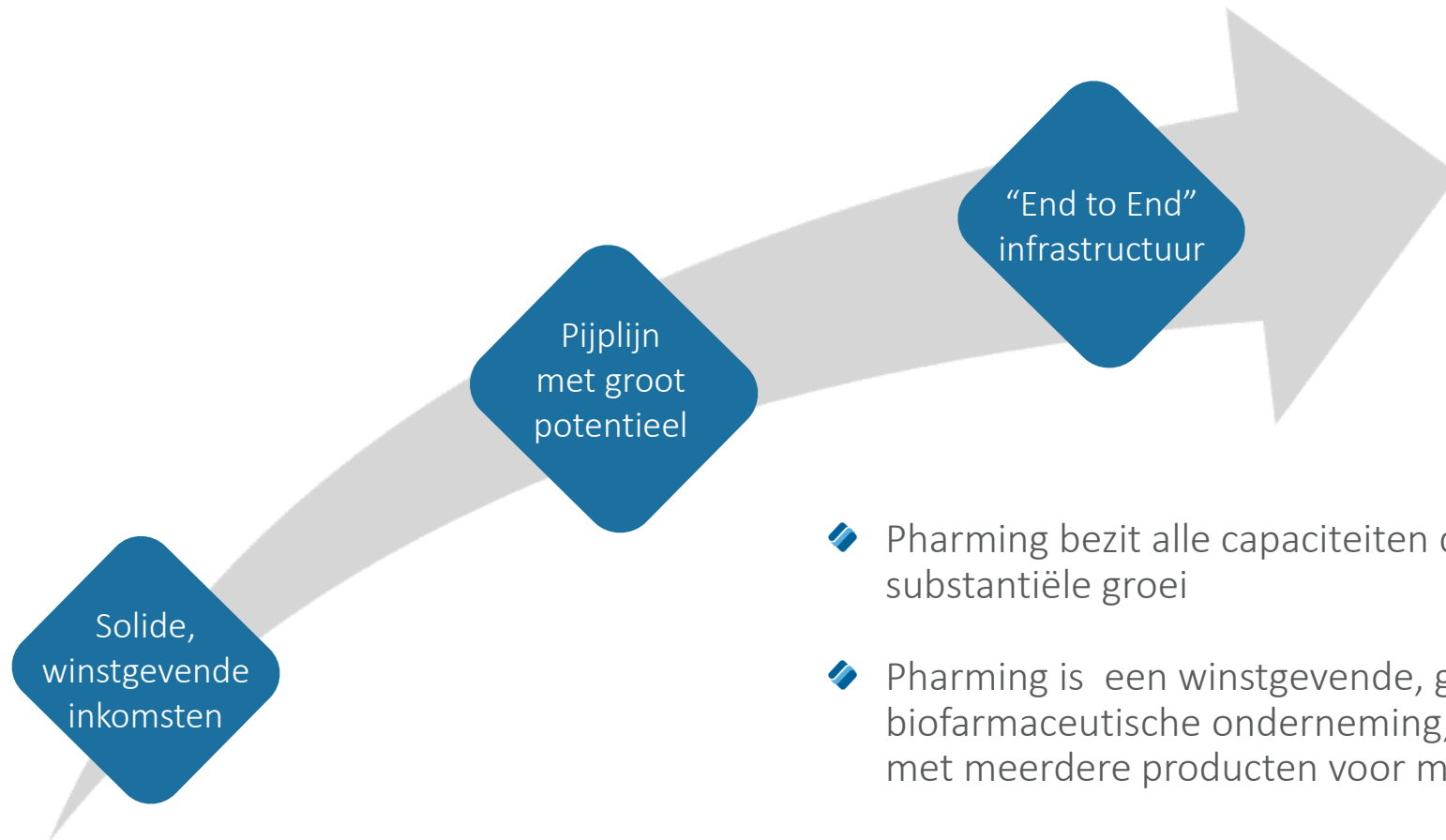
The Presentation speaks as of the date shown on the front cover. The Company assumes no obligation to notify or inform the recipient of any developments or changes occurring after the date of this document that might render the contents of the Presentation untrue or inaccurate in whole or in part. In addition, no representation or warranty, express or implied, is given as to the accuracy of the information or opinions contained in the Presentation and no liability is accepted for any use of any such information or opinions given by the Company or by any of its directors, members, officers, employees, agents or advisers.

The Presentation contains forward-looking statements, including statements about our beliefs and expectations. These statements are based on our current plans, estimates and projections, as well as our expectations of external conditions and events. Forward-looking statements involve inherent risks and uncertainties and speak only as of the date they are made. The Company undertakes no duty to update these and will not necessarily update any of them in light of new information or future events, except to the extent required by applicable law.

The Company's securities have not been and will not be registered under the U.S. Securities Act of 1933, as amended (the "Securities Act"), and may not be offered or sold in the United States absent registration under the Securities Act or an available exemption from, or transaction not subject to, the registration requirements of the Securities Act.

- ◆ **Beurs:** Euronext: PHARM: ~€939 miljoen (~\$1.0 biljoen)
- ◆ **Locatie:** Nederland, ~210 werknemers wereldwijd
- ◆ **Focus:** Ontwikkeling en commercialisering van zeldzame en zeer zeldzame aandoeningen
- ◆ **Leidend product: RUCONEST®**
 - Recombinante humane C1-esteraseremmer (enzymvervangingstherapie)
 - Tegen acute angio-oedeemaanvallen bij patiënten met hereditair angio-oedeem (HAE)
 - Distributie in de VS, EU, LatAm, Korea en Israël. Uitbreiding naar andere landen wordt voorzien
- ◆ **Netto winst in 9M2019 € 24 miljoen, omzet € 123 miljoen. Verwachting: een voortgaande groei van de verkopen**





- ❖ Pharming bezit alle capaciteiten die nodig zijn voor duurzame, substantiële groei
- ❖ Pharming is een winstgevende, groeiende en volledig geïntegreerde biofarmaceutische onderneming, van platform tot commercialisatie, met meerdere producten voor meerdere indicaties
- ❖ Hieruit kunnen we duurzame extra groei stimuleren door het ontwikkelen van innovatieve oplossingen voor geselecteerde zeldzame, ultra-zeldzame en specifieke aandoeningen

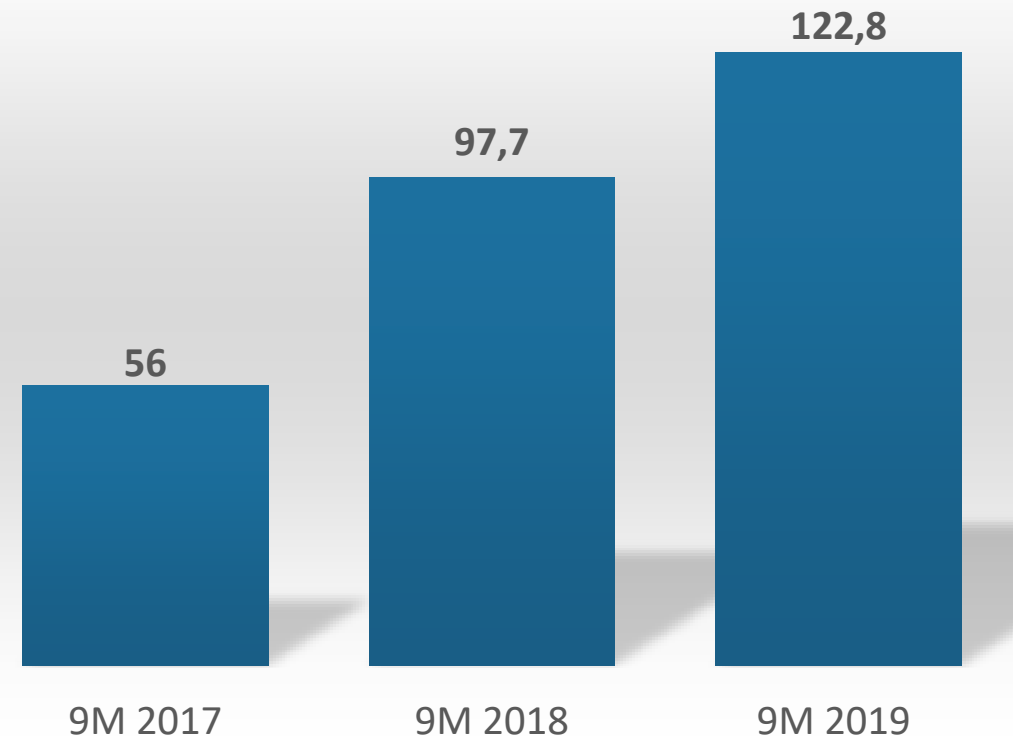
Solide,
winstgevende
omzet

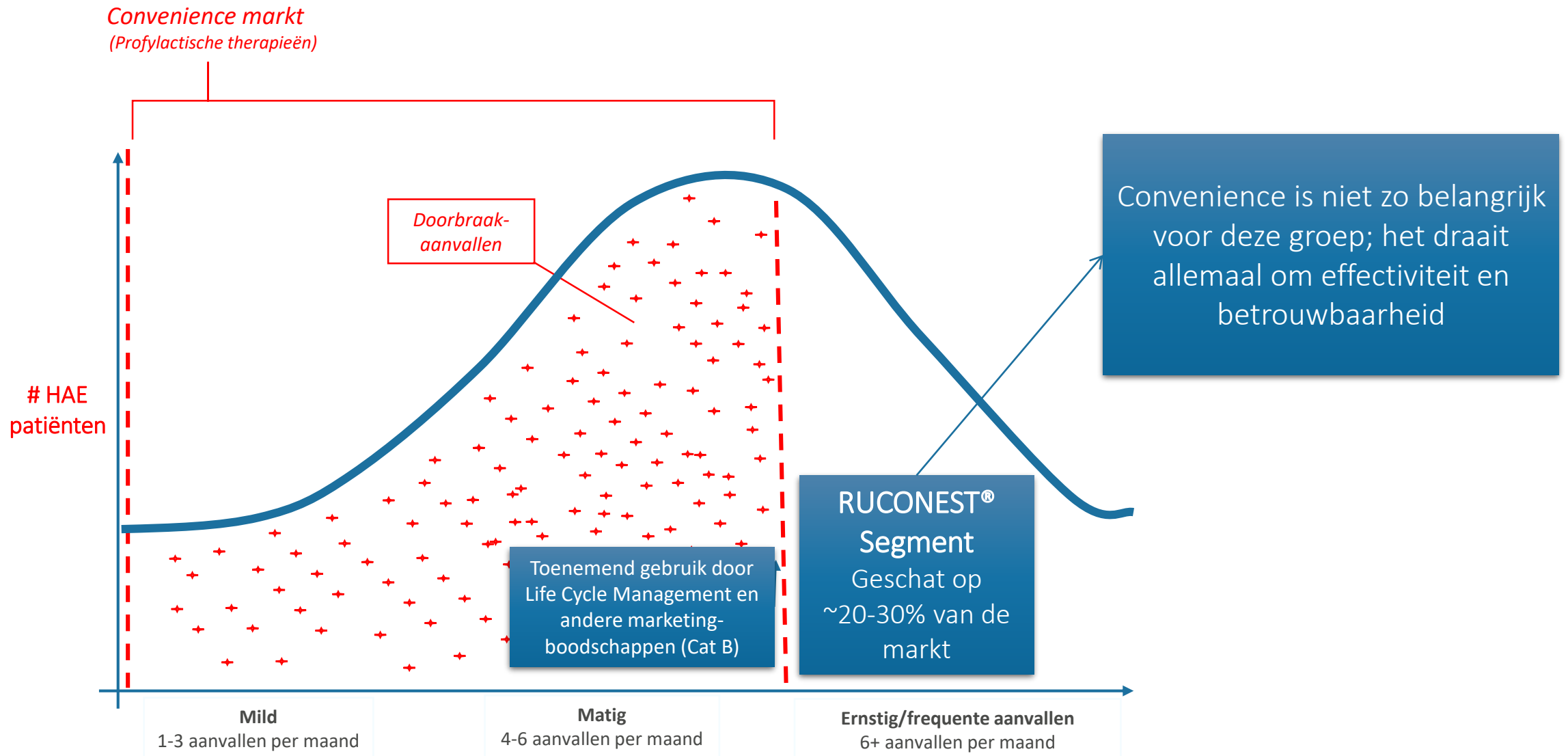


- ❖ HAE is een complexe, ernstige ziekte met vele specifieke eigenschappen en een gediversifieerde markt. De huidige goedgekeurde therapieën hebben allemaal betrekking op bepaalde specifieke segmenten/fenotypes van HAE
- ❖ RUCONEST® bedient als enige recombinante eiwit vervangende therapie **dankzij dosering en wijze van toediening** een segment waartoe andere therapieën niet altijd adequaat in staat zijn
- ❖ Door de kracht van RUCONEST® heeft Pharming een sterke balans met een groeiende kaspositie
- ❖ Na de Q3 resultaten is al bijna het niveau van geheel 2018 bereikt

Pharming is uitstekend gepositioneerd voor verdere groei

RUCONEST® verkopen (€ miljoenen)

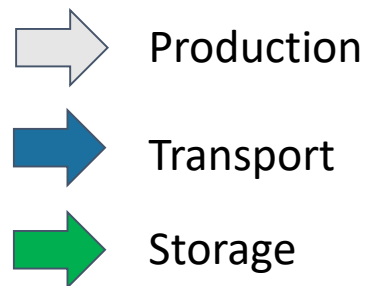
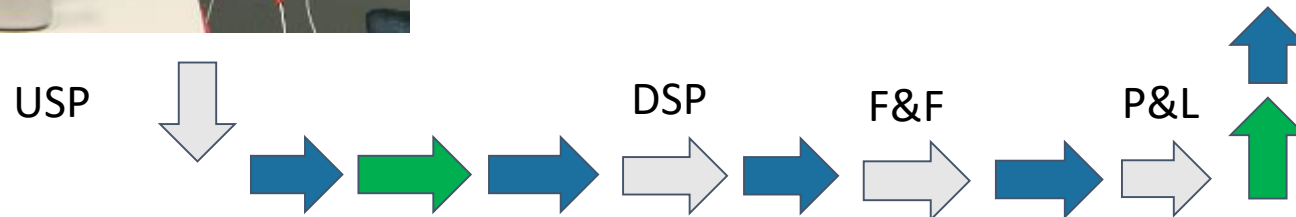




End to End Infrastructuur

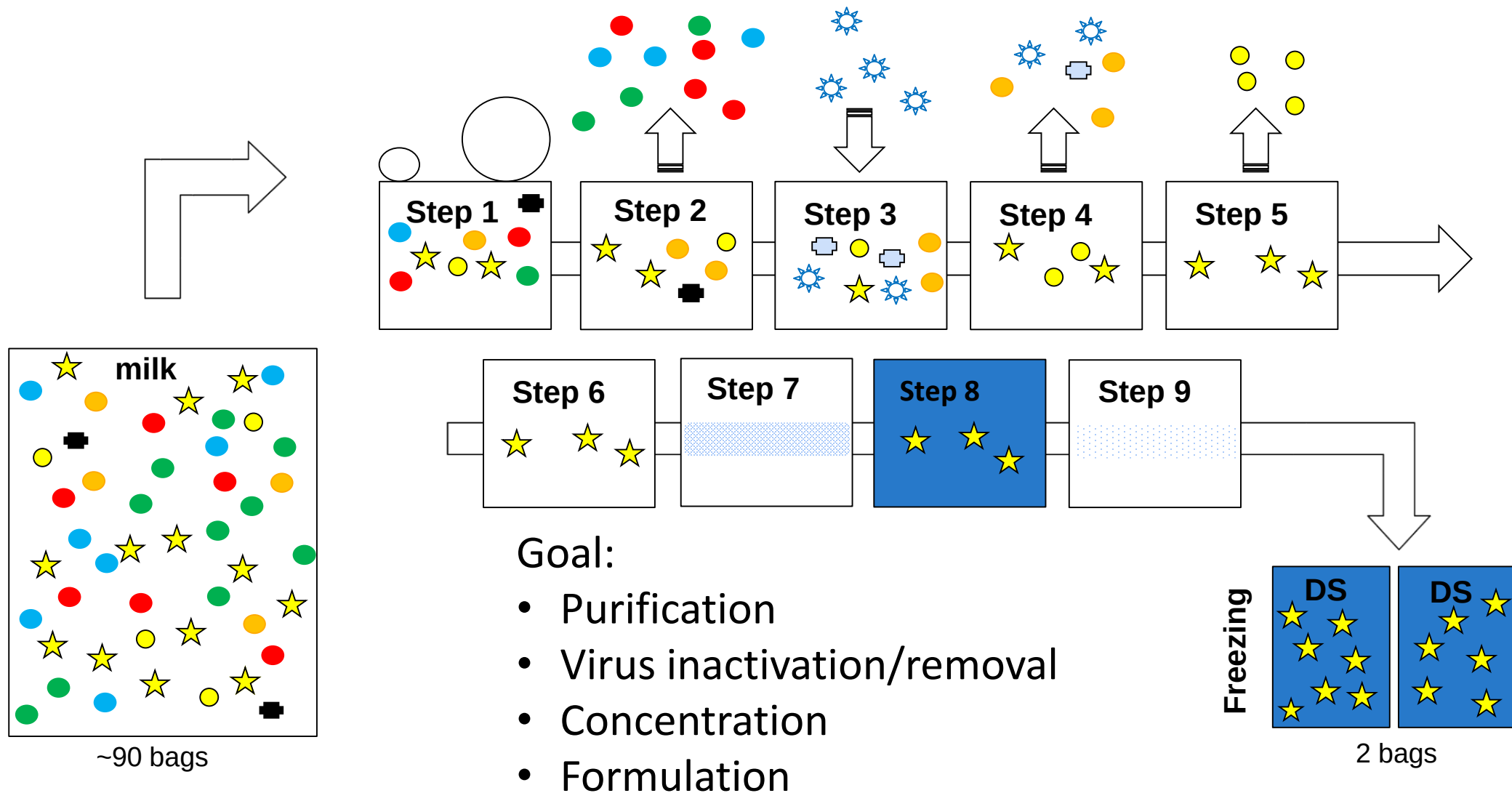


From Milk to Medicine



11 stappen
Ongeveer 9 maanden

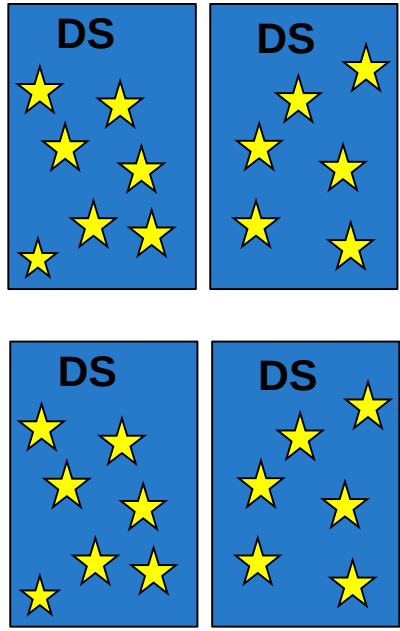
Downstream Processing (DSP)



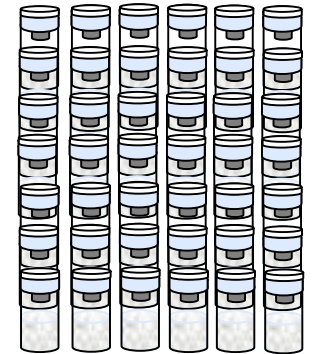
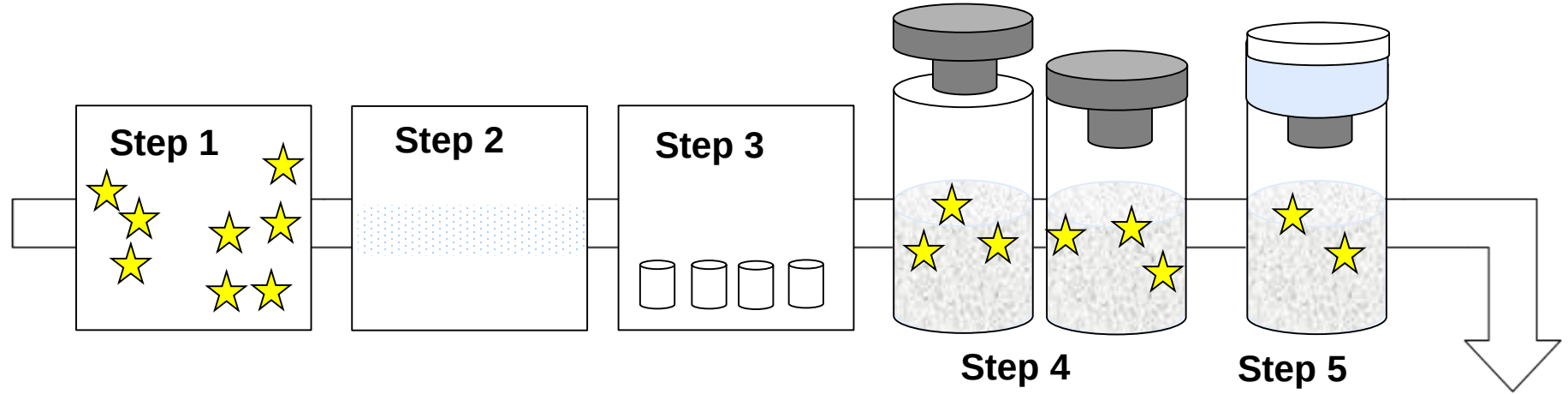
Downstream Processing (DSP)



Fill & Finish (F&F)

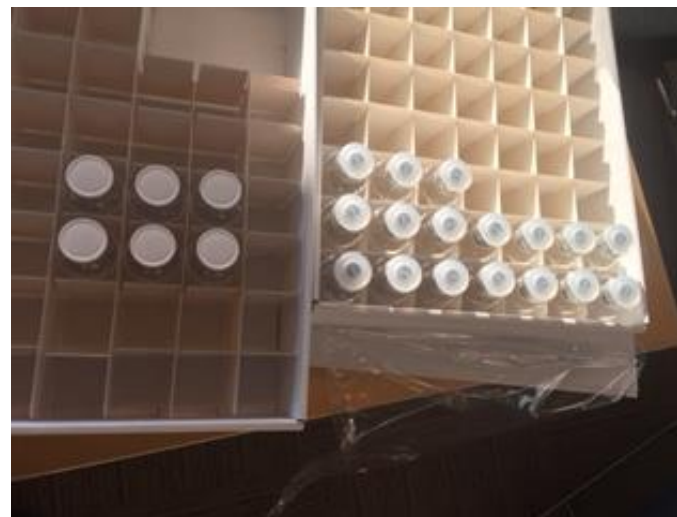


4 bags



~2500 vials

Fill & Finish (F&F)



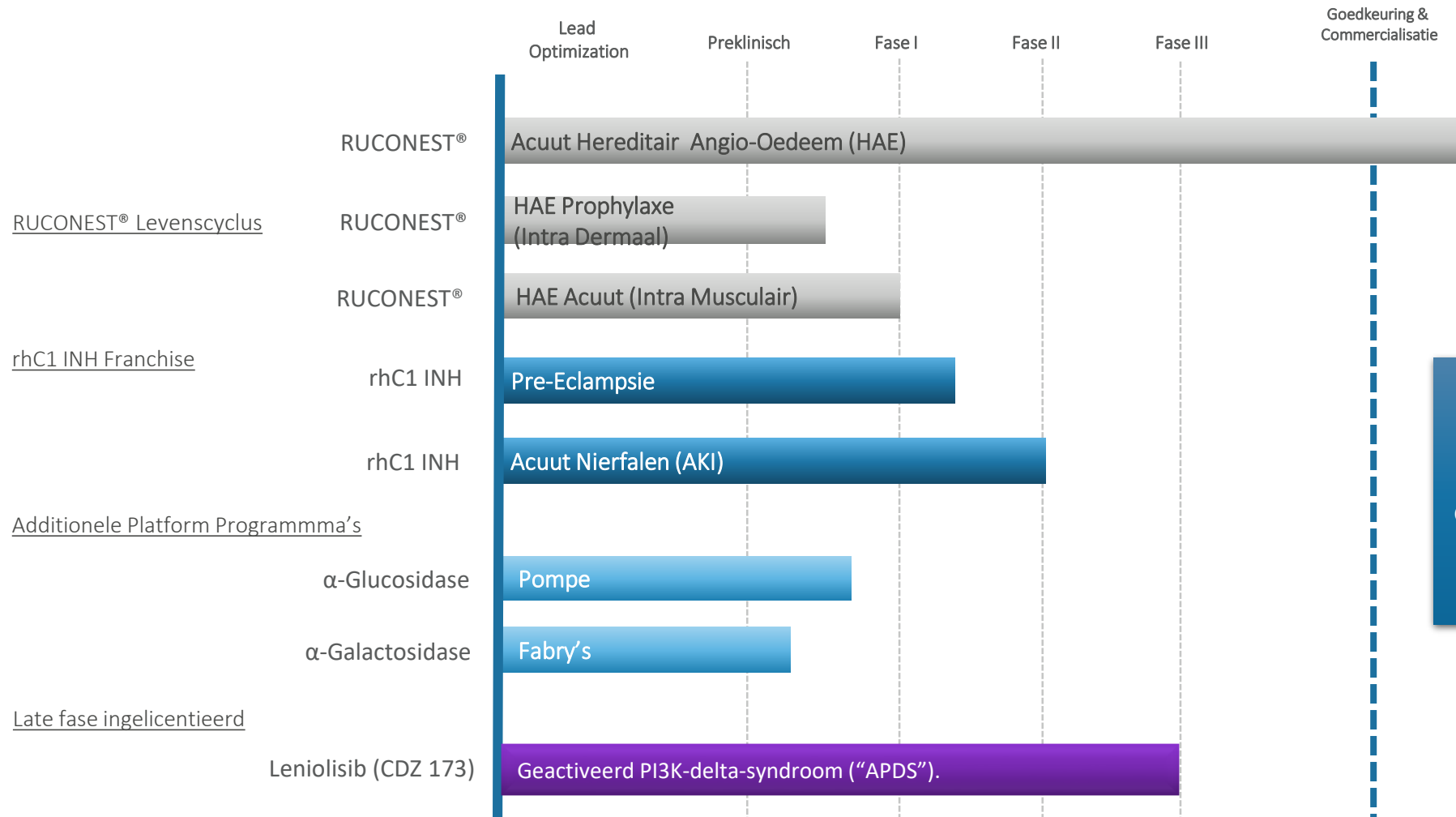
Packaging & Labeling (P&L)



Pijp
lijn
met groot
potentieel



Pijp lijn met hoog potentieel



Alle ontwikkelingsplannen hebben een sterke wetenschappelijke onderbouwing en voorzien in grote onvervulde medische behoeften



Acuut Nierfalen (AKI)

Acuut nierfalen (AKI) als gevolg van contrastvloeistof (CM)

- ❖ Voor het eerst beschreven in 1950's
- ❖ Röntgencontrastmiddel is verantwoordelijk voor 11% van de gevallen van in het ziekenhuis opgelopen nierinsufficiëntie, de op twee na meest voorkomende oorzaak van nierfalen na verminderde nierdoorbloeding en het gebruik van voor nieren giftige medicijnen.
- ❖ AKI door contrastvloeistof is verantwoordelijk voor 1 op de 3 gevallen van acuut nierfalen (AKI) die in het ziekenhuis worden opgelopen. Het treft tussen 1% en 2% van de bevolking en tot 50% in hoog-risico subpopulaties na een hartkatheterisatie of een dotteringreep.¹

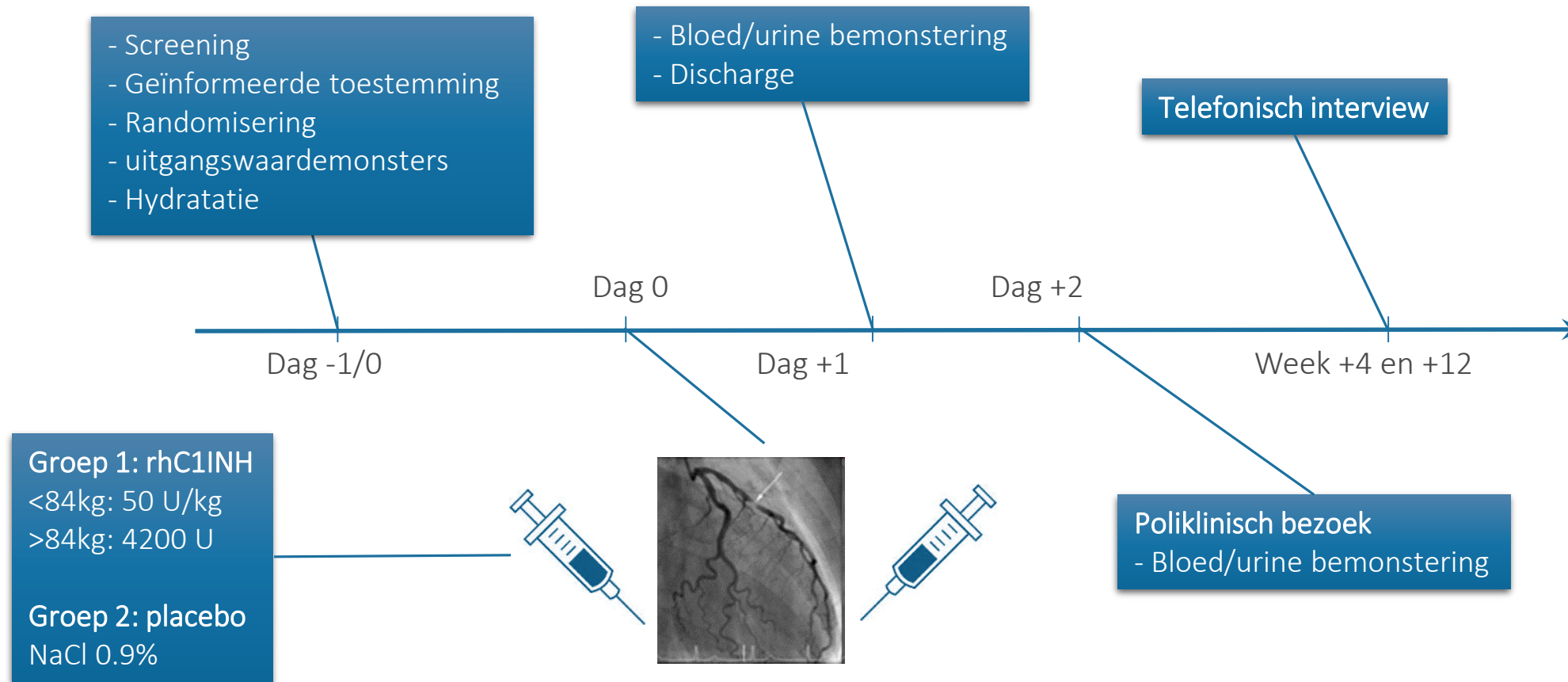
Table 1 | Risk factors for the development of CIN

Fixed (non-modifiable) risk factors	Modifiable risk factors
Older age	Volume of CM
Diabetes mellitus	Hypotension
Pre-existing renal failure	Anemia and blood loss
Advanced CHF	Dehydration
Low LVEF	Low serum albumin level (<35 g/l)
Acute myocardial infarction	ACE inhibitors
Cardiogenic shock	Diuretics
Renal transplant	Non-steroidal anti-inflammatory drugs
	Nephrotoxic antibiotics
	IABP

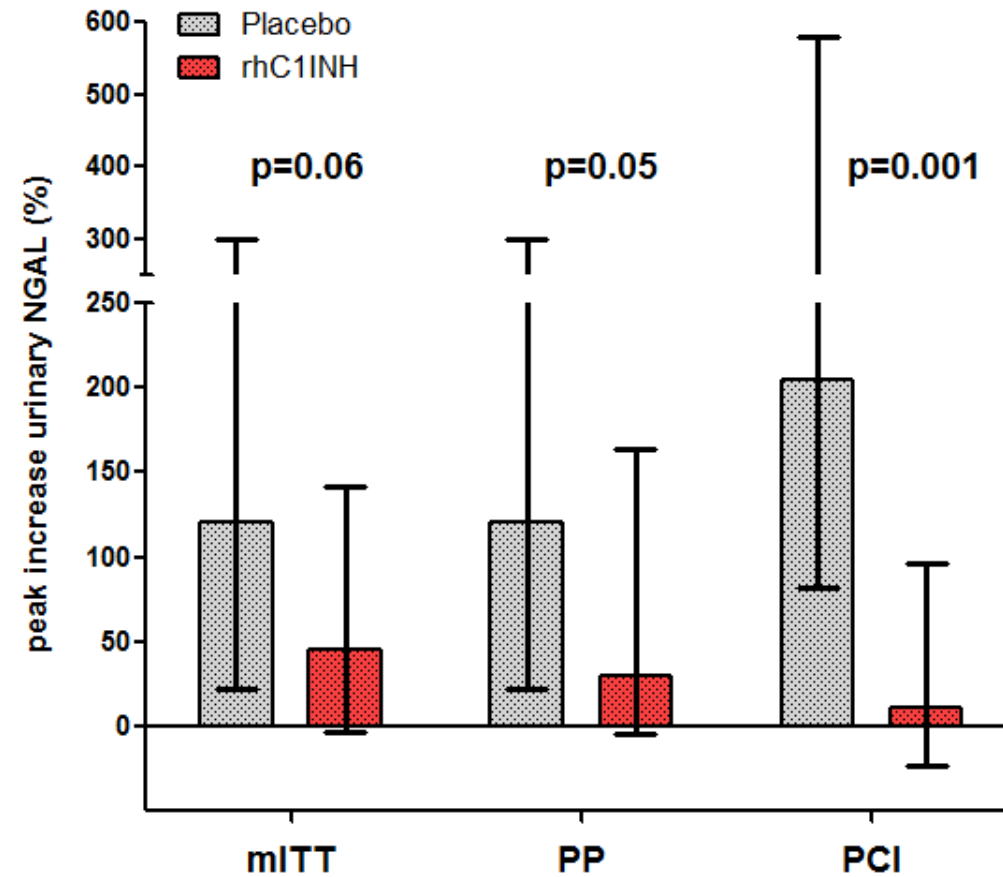
Abbreviations: ACE, angiotensin-converting enzyme; CHF, congestive heart failure; CIN, contrast-induced nephropathy; CM, contrast media; IABP, intra-aortic balloon pump; LVEF, left ventricular ejection fraction.

¹ Mehran R, Nikolsky E. Contrast-induced nephropathy: definition, epidemiology, and patients at risk. *Kidney Int Suppl* 2006:S11–15
CIN= Contrast induced nephropathy

Acuut nierfalen (AKI) als gevolg van contrastvloeistof



Relative urine NGAL peak increase 48 h, (%)





Pre-Eclampsie (PE) Zwangerschapsvergiftiging

- Zwangerschapsvergiftiging (PE) heeft een prevalentie van 1-17% wereldwijd. Schatting van jaarlijkse gevallen van PE in de VS alleen: 120.000+.
(Steegers et al., 2010; Osungbade and Ige, 2011)
- Momenteel is bevallen de enige therapie tegen PE, maar dit is geen optie voor vroege PE (vanaf week 20 van de zwangerschap).
- Het belangrijkste doel van de behandeling is om een veilige zwangerschap voor PE-patiënten zo lang mogelijk te verlengen ter vergroting van de kans op een goede uitkomst van de bevalling.

Panel 1: Maternal and fetal complications in severe pre-eclampsia

Maternal complications

- Abruption placentae (1–4%)
- Disseminated coagulopathy/HELLP syndrome (10–20%)
- Pulmonary oedema/aspiration (2–5%)
- Acute renal failure (1–5%)
- Eclampsia (<1%)
- Liver failure or haemorrhage (<1%)
- Stroke (rare)
- Death (rare)
- Long-term cardiovascular morbidity

Neonatal complications

- Preterm delivery (15–67%)
- Fetal growth restriction (10–25%)
- Hypoxia-neurologic injury (<1%)
- Perinatal death (1–2%)
- Long-term cardiovascular morbidity associated with low birthweight (fetal origin of adult disease)

Table 1 Analytical data (mean $\pm$ 1 SD) in normal pregnancy, preeclampsia and in non-pregnant women

	(A) Normal pregnancy (n = 20)	(B) Mild preeclampsia (n = 17)	(C) Moderate preeclampsia (n = 10)	(D) Non-pregnant women (n = 20)
C1-INH activity (%)	74.3 $\pm$ 15.5	64.4 $\pm$ 14.0	55.5 $\pm$ 15.8	95.1 $\pm$ 10.8
C1-INH antigen (%)	68.2 $\pm$ 10.4	62.7 $\pm$ 13.3	53.1 $\pm$ 8.8	86.5 $\pm$ 12.2

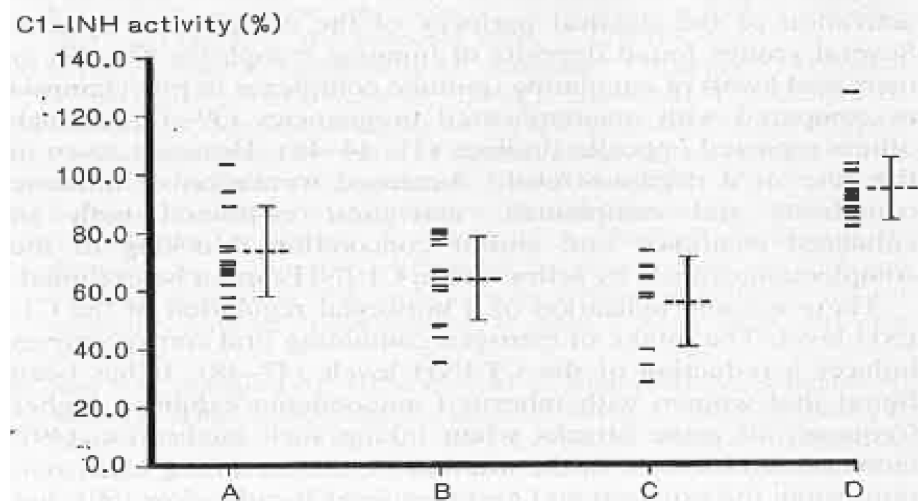
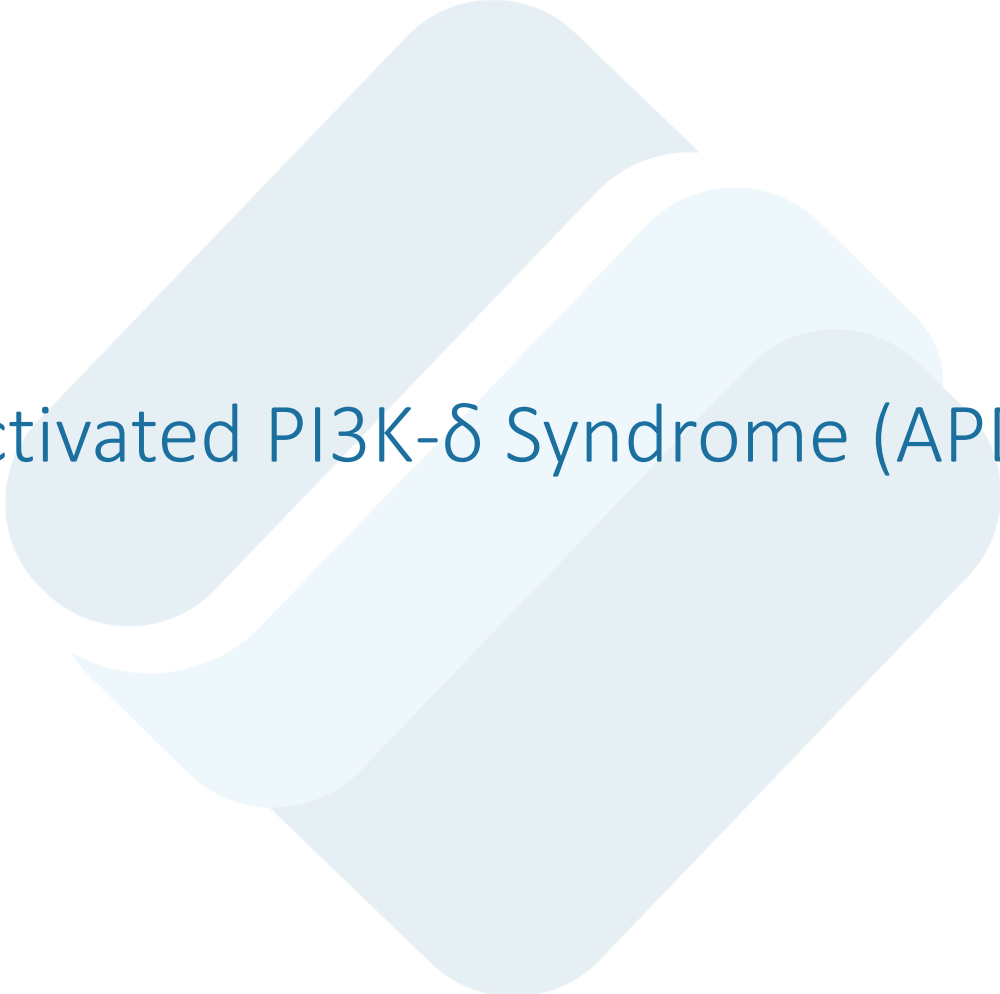


Fig. 2 Scattergram of C1-INH activities. Uncomplicated pregnancies (A), mild preeclampsia (B), moderate preeclampsia (C) and non-pregnant controls (D)

- ◆ Grote onervulde medische behoefte waarvoor geen behandeling voorhanden is
- ◆ Aanzienlijke kosten voor gezondheidszorg en gezinnen
- ◆ Aandoening uitdagend voor onderzoek; vereist een doordachte, ethische benadering
- ◆ Eerste klinische studie gestart (Nederland en Australië)



Activated PI3K- δ Syndrome (APDS)

- Primary immunodeficiencies (PID) leidt tot ontregeling van het immuunsysteem, wat leidt tot veel complicaties
 - Frequentie van 1 in 1200
 - Meer dan 300 genen zijn bekend die PID's veroorzaken
 - Zeer uiteenlopende klinische verschijningsvormen, maar een grotere gevoeligheid voor infecties is veel voorkomend bij de meeste PID's
- Geactiveerd PI3K-delta-syndroom (APDS) is een PID
 - Veroorzaakt door autosomaal dominante mutaties
 - Verhoogde activiteit van phosphoinositide-3-kinase δ (PI3K δ)
 - Geschatte prevalentie van 1-2/million
 - Meer dan 240 gevallen beschreven in literatuur
 - Screening in subset van PID patiënten heeft een ratio van: 5/669 (1%) en 17/184 (9%)
 - Commercieel beschikbare genetische testen

- Terugkerende infecties
- Abnormale vergroting van organen
- Kwaadaardigheid
- Auto-immuniteit

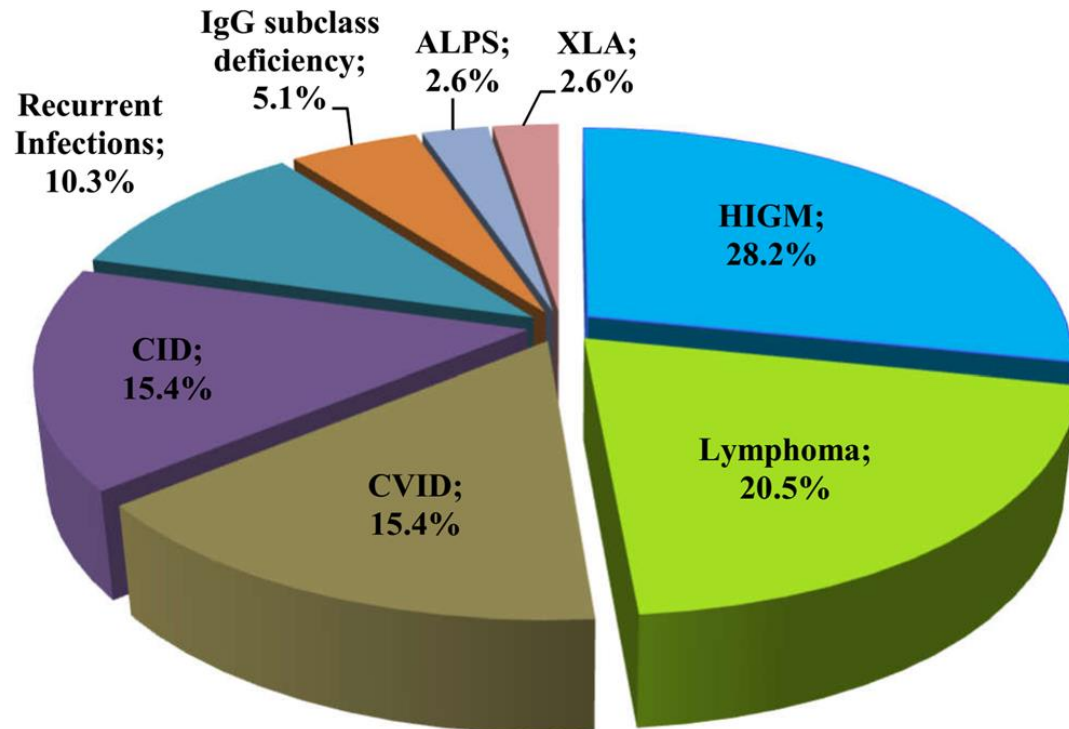


ADPS Patient Cohort Study, n=53

Modified from: Coulter TI, et al. JACI. Vol 139:2, 2017.

 = Presence of a complication

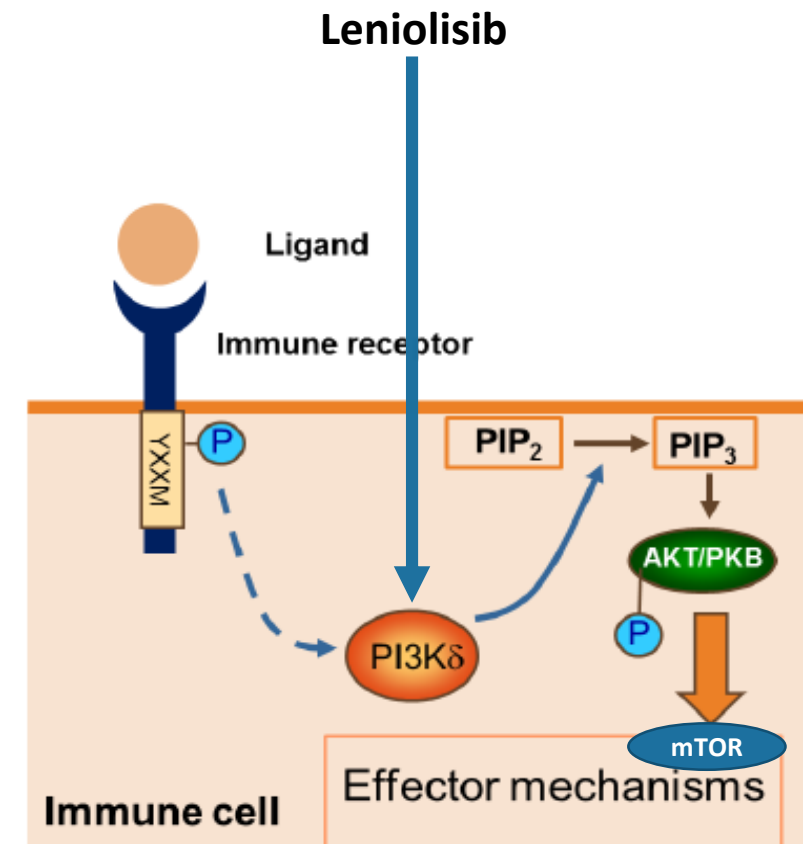
Verdeling van primaire klinische diagnose van APDS-patiënten



Beoordeling van 243 gepubliceerde APDS patiënten

- Symptomen starten vanaf 1-2 jaar
- Mediane leeftijdsdiagnose: 12 jaar
- Familiegeschiedenis van PID: 39%

- Huidige behandelingsopties voor APDS:
 - Behandeling van symptomen d.m.v. antibiotica
 - Immunoglobuline vervangingstherapie (IVIG/SCIG)
 - Stamceltransplantatie
 - Rapportage van mTOR remmer rapamycine
- Leniolisib
 - Krachtige, selectieve PI3K δ remmer
 - Behandelt de oorzaak van APDS
 - Oraal bio beschikbaar– tablet/capsule
 - Directe PK/PD relatie opgemerkt
 - Momenteel in registratie-studie
 - Bij goedkeuring, verwachten we het medicijn op de markt in 1H 2022



Financiële
performance
& vooruitzichten
2020



Derde kwartaal 2019: Financiële resultaten

9 maanden tot 30 september

<i>Bedragen in € miljoenen behalve per aandeel</i>	<i>2019 3^{de} kwartaal</i>	<i>2019 1^{ste} 9 maanden</i>	<i>2018 1st 9 maanden</i>	<i>% Verandering</i>
<i>Winst- en Verliesrekening</i>				
Omzet	45,3	122,8	97,7	26%
Overige inkomsten	0,2	0,6	0,6	
Totale omzet	45,5	123,4	98,3	26%
Brutowinst	39,3	107,1	82,4	30%
Operationeel (bedrijfs-) resultaat	18,1	42,7	31,0	38%
Nettowinst	10,5	24,1	13,9	85%
<i>Balans</i>				
Liquide middelen en verhandelbare effecten	64,4	64,4	72,2	(11%)
<i>Informatie per aandeel</i>				
Winst per aandeel (€): - Gewoon	0,013	0,034	0,023	79%
- Fully diluted	0,012	0,032	0,020	88%





Vragen uit het publiek?

- ◆ 19:00 – Ontvangst
- ◆ 19:25 uur – Welkomstwoord
- ◆ 19:30 uur – Sijmen de Vries: korte corporate presentatie
- ◆ 20:30 uur – Vragen uit het publiek
- ◆ **21:00 uur – Borrel**
- ◆ 22:00 uur – Einde

De slides van vandaag staan op de USB in uw Pharming tas.



www.pharming.com

ENXTAM: PHARM

Bloomberg: PHAR.AS