

Pharming Group NV

Sijmen de Vries
Voorzitter Raad van Bestuur

SRB Beleggersdag
Rotterdam

24 November 2018

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.

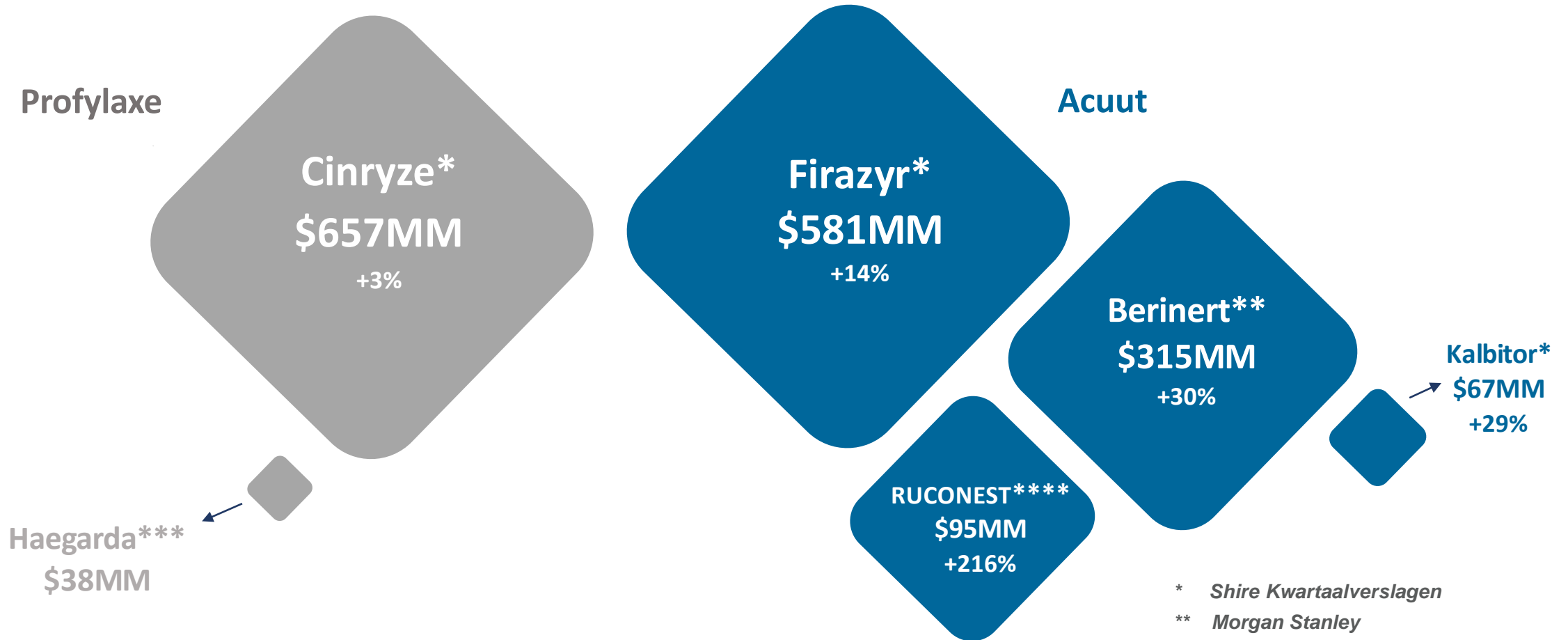
- Euronext: PHARM: ~€495 miljoen (~\$560 miljoen) met €0.80 per aandeel
- Hoofdkantoor in NL, R&D in France, EU en de VS: **170 medewerkers** in totaal
- 1e product is goedgekeurd en op de markt gebracht: RUCONEST®
 - Recombinante menselijke C1-esteraseremmer (enzymevervangingstherapie)
 - Voor acute angio-oedeem aanvallen bij patiënten met (HAE)
 - Op de markt gebracht in de VS, EU, Korea en Israël en meerdere gebieden in de toekomst
- Platform technologie maakt recombinante menselijke moleculen schoon en efficiënt
- Nieuwe Enzyme Replacement Therapies (ERT) voor andere genetische aandoeningen worden ingevoerd in klinieken



Markt van de VS voor HAE medicijnen



~\$1.7 miljard verkopen in 2017 (jaar-op-jaar groei van 17%)



* Shire Kwartaalverslagen
** Morgan Stanley
*** Evaluatie Pharma
**** Pharming rapporteerde de netto verkoop

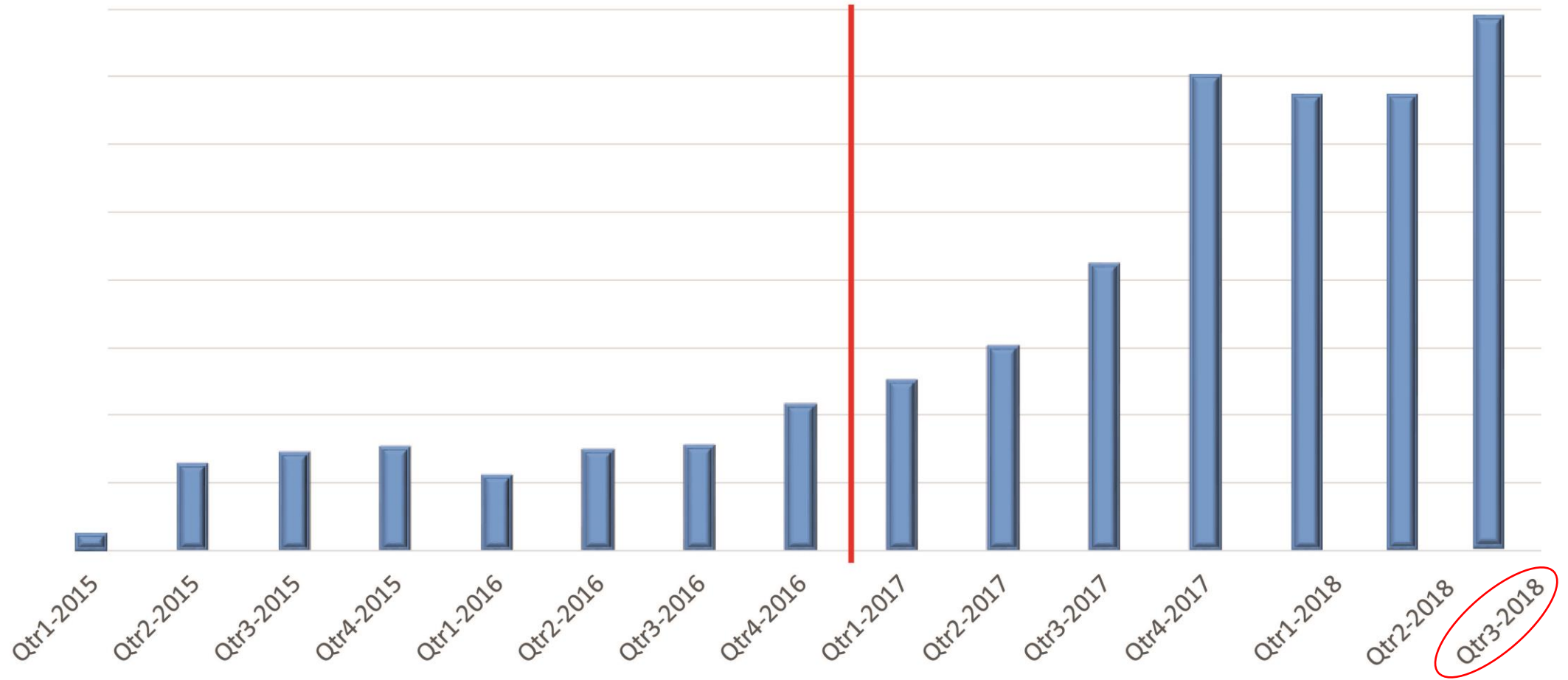
Eerste 9 maanden 2018: Financiële Resultaten



9 months to 30 September

<i>Amounts in €m except per share data</i>	<i>2018 3rd Quarter</i>	<i>2018 1st 9 months</i>	<i>2017 1st 9 months</i>	<i>% Change</i>
<i>Income Statement</i>				
Revenue from product sales	38.6	97.7	56.0	74%
Other revenue	0.2	0.6	0.7	(14%)
Total revenue	38.8	98.3	56.7	73%
Gross profit	32.4	82.4	48.8	69%
Operating result	14.7	31.0	12.7	144%
Net result	5.4	11.7	(37.7)	131%
<i>Balance Sheet</i>				
Cash & marketable securities	72.2	72.2	38.6	87%
<i>Share Information</i>				
Earnings per share (€): - Undiluted	0.009	0.019	(0.077)	125%
- Fully diluted	0.008	0.017	n/a	

Kwartaalomzetontwikkeling in volumes in de VS



Drie horizonten van groei

RUCONEST®
een beter
HAE product
maken

- Laag volume IV
- Subcutaan
- Intramusculair
- Pijnloos intradermaal
- Profylaxe voor HAE



Voeg meer HAE
verkopen toe

Andere onvervulde
medische behoeften
met hetzelfde
product

- Pre-eclampsie
- Anderen, zoals contrast geïnduceerde Nefropathie, Vertraagde Graaftfunctie en Hypovolemische Shock



Voeg meer RUCONEST®
verkopen toe

Andere onvervulde
medische behoeften
met een ander
product

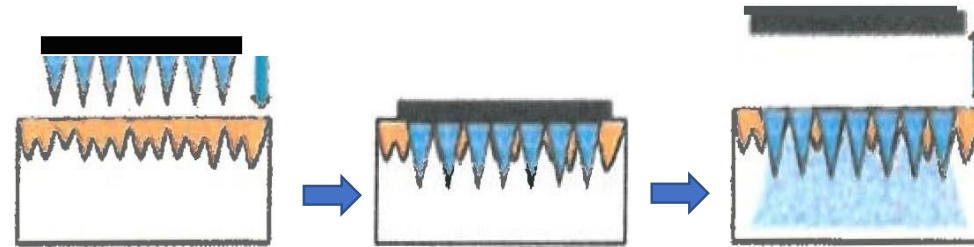
- α -glucosidase (Pompe)
- α -galactosidase (Fabry)
- Anderen



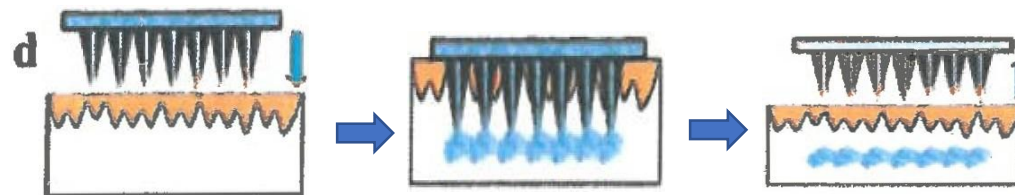
Voeg meer producten
voor verkoop toe

- De “vloeibare RUCONEST®” formule (14ml → 3ml) kan als startmateriaal worden gevraagd voor de generatie van **subcutane, intra-musculaire & intradermale** applicatie systemen
- Nieuwe gepatenteerde ‘pijnloze’ intradermale toedieningstoepassingen worden ontwikkeld:

- Dissolving point device:



- Reservoir device:



- Deze pijnloze versies zouden RUCONEST® moet differentieren van concurrenten, wiens injecties allemaal pijnlijk zijn

Eerste Therapeutische Indicaties:

Nieuwe Potentiële Indicaties met gebruik van bestaande formules

- Orgaanschade na contrastmiddeltoepassing: - Contrast-geïnduceerde Nefropathie (CIN) recente positieve resultaten door de onderzoeker-gesponsorde studie
- Weefselschade na giftige gebeurtenis:- Pre-Eclampsie; studie start in Q4 2018
- Weefselschade na Hypoxic gebeurtenis:- Uitgestelde graftfunctie (nieuw onderzoeker-geïnitieerd onderzoek)
- Shock reactive na trauma:- Hypovolemische Shock – lopende preklinische onderzoeksprojecten met het Amerikaanse leger en de Amerikaanse luchtmacht

Gloednieuw IP:

- Nieuw Pharming patent ingediend in 2018 voor de Nieuwe indicaties
- Patent dekt alle vormen van rhC1INH

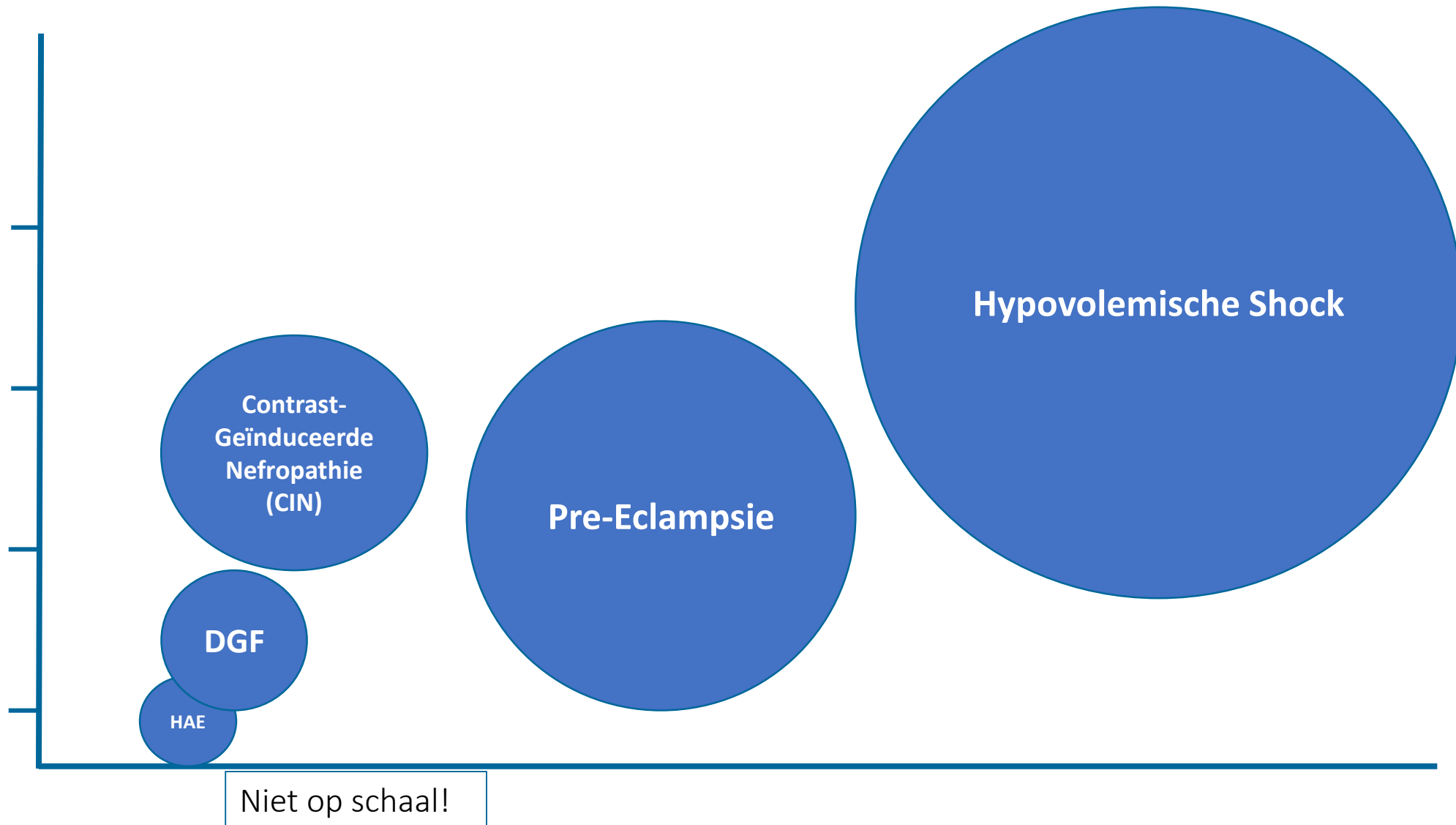
Positieve resultaten van een Fase II onderzoeker-geïnitieerd onderzoek van RUCONEST®

- In een DBPC studie met 75 patiënten vertoonde RUCONEST® een statistisch effect ($p=0.038$) bij het verminderen van Neutrofiel Gelatinase-Geassocieerde Lipocaline (NGAL).
- Duidelijke resultaten in sub-groepen van patiënten ($n=30$) die PCI ondergaan.
- Mediane stijging van NGAL piek-urinaire concentratie binnen 48 uur van 1,8 ng/ml vergeleken met een toename van 26,2 ng/ml in de placebo-arm ($p=0.04$).
- Mediane procentuele verandering in het piek-urinaire NGAL-niveau binnen 48 uur van 11.3% versus 205.2% in de placebo arm ($p=0.001$).
- Over het algemeen hadden patiënten die invasieve ingrepen ondergingen waarbij grote hoeveelheden contrastmedia nodig waren, een sterker voordeel van de RUCONEST® behandeling.

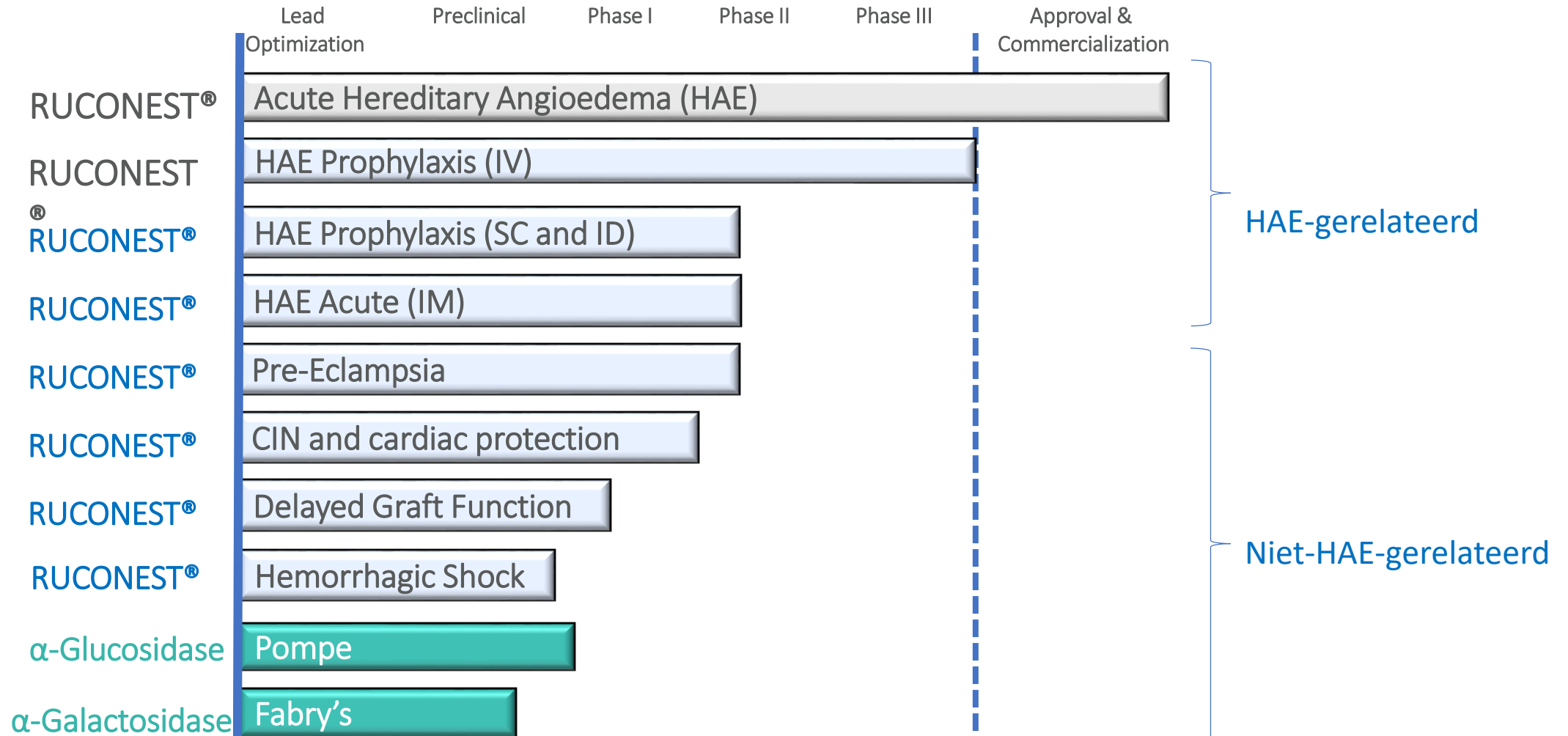
Volgende stap:

- Het ontwerp van aanvullende klinische ontwikkeling om de werkzaamheid en efficiëntie van RUCONEST® behandeling vast te stellen in patiëntgroepen die waarschijnlijk het grootste voordeel zullen hebben.

Potentiële adresseerbare toekomstige markten



Uitbreiding van pijnlij naar meerdere producten en markten



Drie horizonten van groei

RUCONEST®
een beter
HAE product
maken

- Laag volume IV
- Subcutaan
- Intramusculair
- Pijnloos intradermaal
- Profylaxe voor HAE



Voeg meer HAE
verkopen toe

Andere onvervulde
medische behoeften
met hetzelfde
product

- Pre-eclampsie
- Anderen, zoals contrast geïnduceerde Nefropathie, Vertraagde Graaftfunctie en Hypovolemische Shock



Voeg meer RUCONEST®
verkopen toe

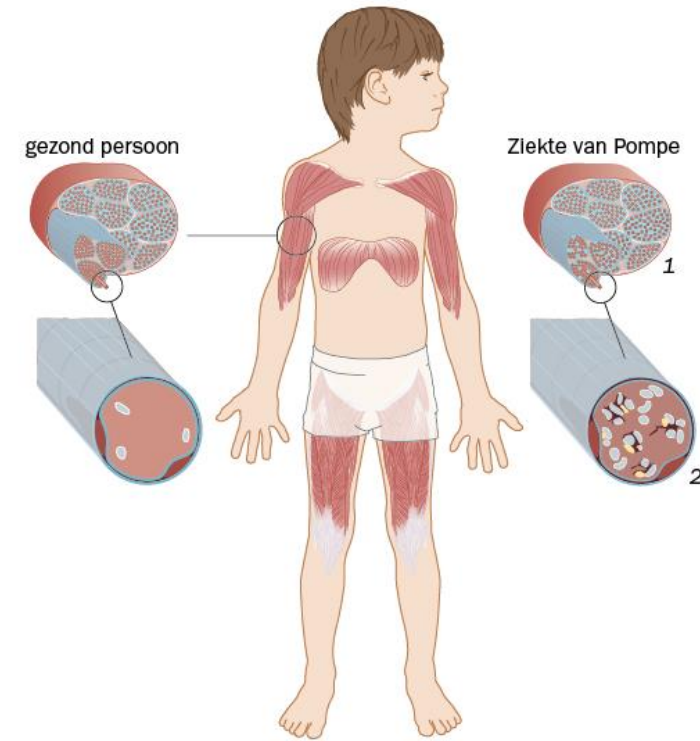
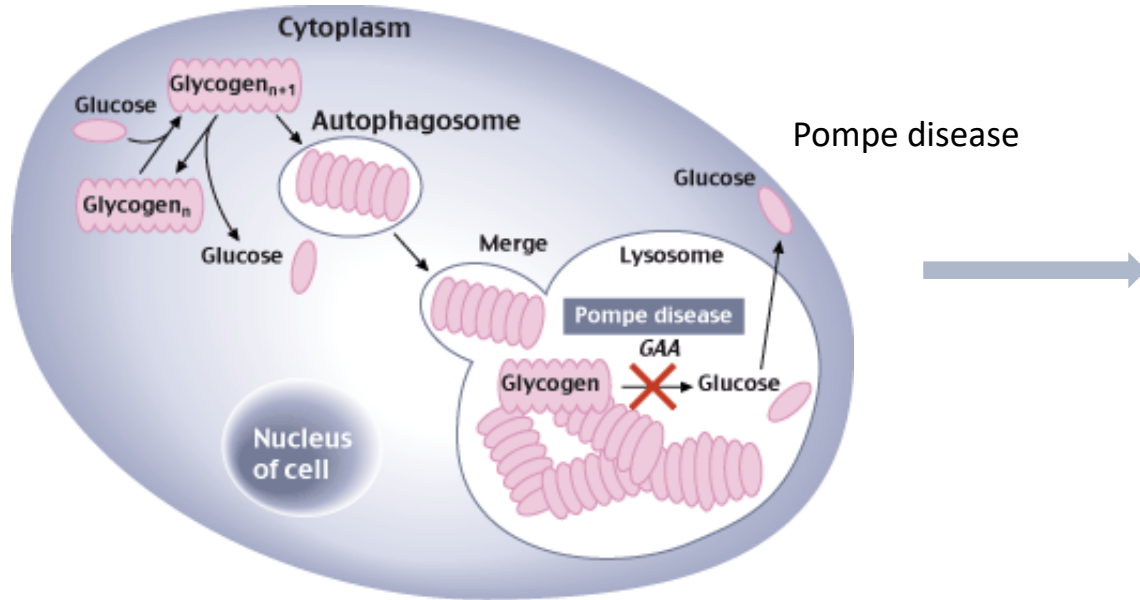
Andere onvervulde
medische behoeften
met een ander
product

- α -glucosidase (Pompe)
- α -galactosidase (Fabry)
- Anderen



Voeg meer producten
voor verkoop toe

Normale situatie



- Progressieve afname van spierkracht beginnend met de benen en bewegend naar kleinere spieren in de romp en armen, zoals het diafragma en andere spieren die benodigd zijn voor. Hartfalen en ademhalingsfalen zijn de meest voorkomende doodsoorzaken.

α -glucosidase

Het Markt potentieel voor Pharming is meer dan **\$1 miljard per jaar** in elke indicatie

- Aantrekkelijke markt:
 - Alle huidige producten hebben ernstige tekortkomingen en **waarschuwingen in boxen**, maar samen verkopen ze voor meer dan \$1 miljard
 - Tweede generatie producten hebben hun eigen tekortkomingen
 - Veel patiënten zijn niet in therapie vanwege **antilichavorming of ongewenste reacties**
 - rhC1INH RUCONEST (even sterk geglycosyleerd) van ons transgene (konijn) platform genereert **geen relevante antilichavormingen**
 - Een klein klinisch onderzoek van 36 weken bij kinderen met eerdere transgene (van konijn afgeleide) rhaGLU vertoonde goede efficiëntie en gaf geen veiligheidszorgen aan (2001)*




α -glucosidase

De novo gepatenteerde constructie voor ons konijnenplatform voor rhaGLU is ontwikkeld en een nieuw recombinant rhaGLU wordt geproduceerd voor de eerste leveringen van klinische proeven

- Nieuwe versie is dichterbij natuurlijk **natural α -glucosidase** dan enige andere geteste recombinante versie tot nu toe
- α -glucosidase voor de ziekte van Pompe zit nu in de laatste delen van de productie en opschaaft de productie om klinisch testmateriaal te produceren
- IND verwacht te starten in het begin van 1H2019

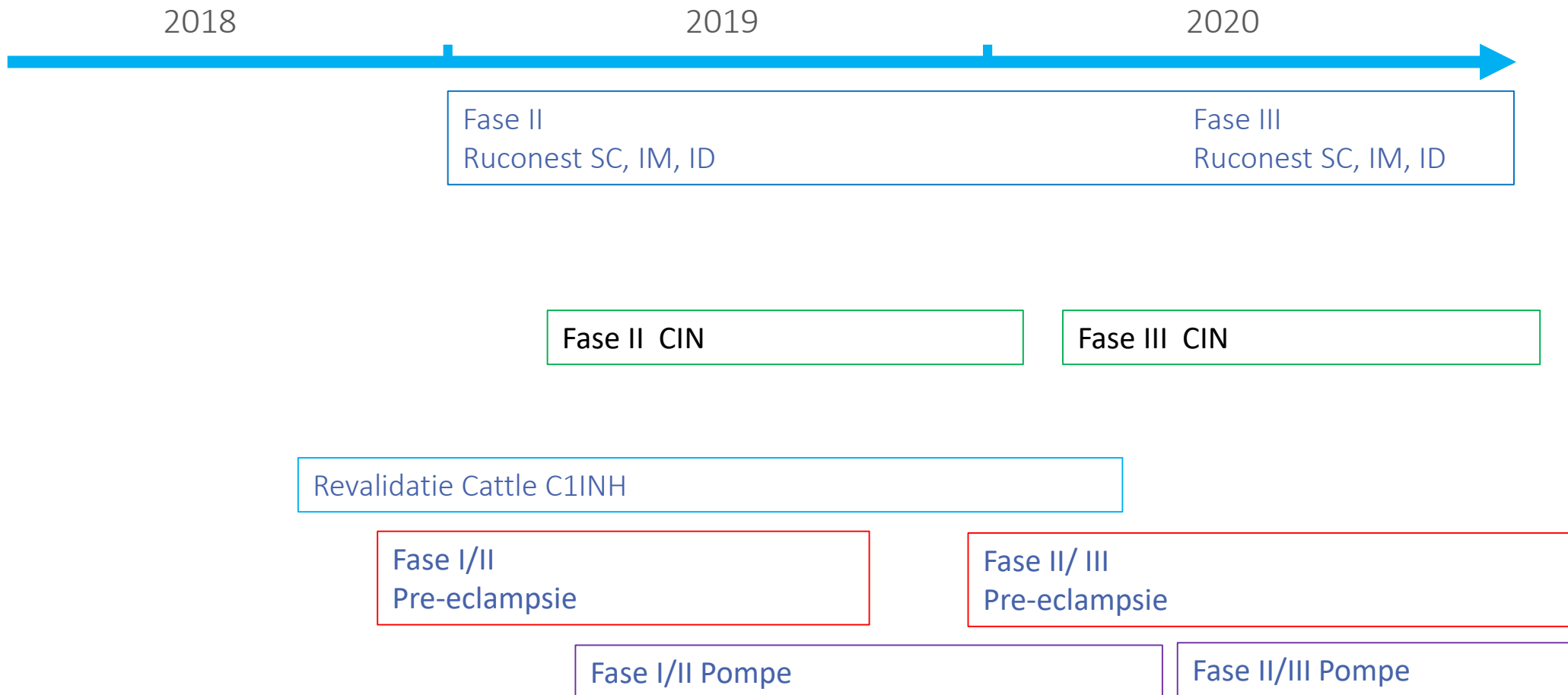


- FY 2018 omzet uit productverkoppen ligt binnen het bereik van de meeste analistenvoorspellingen en voor de resultaten van het vierde kwartaal binnen hetzelfde bereik van het derde kwartaal, gedreven door een doorgaands onderliggende vraag in evenwicht door het toenemen van de concurrentie
- Het bereik van een aanhoudend positief nettoresultaat, voortgezette bedrijfswinst en een positieve cashflow voor het resterende kwartaal
- Voortgezette investering in de productie van RUCONEST® om de continuïteit van toevoer naar de groeiende markt naar de VS, Europa en de RoW te verzekeren
- Goedkeuring voor de pre-eclampsie studie en de start van deze studie
- Voortgaande en verbeterde ondersteuning voor patiënten in alle gebieden, wij blijven geloven dat RUCONEST® een snelle, effectieve, vertrouwelijke en veilige therapie optie representeert voor alle HAE patiënten, ondanks hun situaties
- Voortzetting van de voortgang van nieuwe pijnpijnprogramma's in de ziekte van Pompe en Fabry's en aanvullende ontwikkelingskansen en aanwinsten op het moment dat deze zich voordoen



Toenemende
verkoop en vervolg
met positieve
resultaten

Alleen voor het doel van het diagram vastgesteld: positieve resultaten van studies



www.pharming.com

ENXTAM: PHARM

Bloomberg: PHAR.AS