

## Pharming Group kondigt presentatie aan van nieuwe leniolisib-studiedata tijdens de ASH-jaarvergadering 2022

Presentatie van data uit lopende open-label extensiestudie met leniolisib, een PI3K $\delta$ -remmer voor de behandeling van APDS, een zeldzame primaire aandoening aan het immuunsysteem

**Leiden, 23 november 2022:** [Pharming Group N.V.](#) ("Pharming" of "de Onderneming") (EURONEXT Amsterdam: PHARM / Nasdaq: PHAR) maakt bekend dat nieuwe klinische data over leniolisib, de orale, selectieve fosfoïnositide 3-kinase delta (PI3K $\delta$ )-remmer voor de behandeling van het zeldzame primaire immunodeficiëntie-geactiveerde PI3K $\delta$ -syndroom (APDS), zal worden gepresenteerd door V. Koneti Rao, MD, FRCPA, stafarts in de Primary Immune Deficiency Clinic van het National Institute of Health in Bethesda, Maryland, tijdens de 64e American Society of Hematology (ASH) Annual Meeting and Exposition, in New Orleans, Louisiana (VS). ASH wordt gehouden van zaterdag 10 december tot en met dinsdag 13 december 2022.

Informatie over de presentatie vindt u hieronder en op de ASH-conferentiewebsite [www.hematology.org/meetings/annual-meeting](http://www.hematology.org/meetings/annual-meeting).

**Titel van de presentatie:** *Interim Analysis of Safety and Hematological Parameters of an Ongoing Long-Term Open-Label Extension Study of Investigational PI3K $\delta$  Inhibitor Leniolisib for Patients with Activated PI3K Delta Syndrome (APDS) through December 2021*

**Presentatie:** mondeling

**Naam van de sessie:** 203. Lymfocyten en verworven of aangeboren immunodeficiëntiestoornissen: afbakening van immuniteit van muizen tot mensen

**Abstract-nummer:** 608

**Datum en tijd van de sessie:** maandag 12 december 2022 van 17:30 – 19:30 CET

**Datum en tijd van de presentatie:** maandag 12 december 2022 om 17:45 CET

**Locatie:** Room: Ernest N. Morial Convention Center, 278-282

=== E I N D E P E R S B E R I C H T ===

### BELANGRIJKE INFORMATIE

Dit bericht is een vertaling van het originele Engelstalige persbericht. In geval van verschillen ten gevolge van vertaling of verschillen in interpretatie, is het originele Engelstalige persbericht leidend.

**Over geactiveerd fosfoïnositide-3-kinase—syndroom (APDS)**

APDS is een zeldzame primaire immunodeficiëntie die ongeveer één tot twee mensen per miljoen treft. Ook wel bekend als PASLI, wordt het veroorzaakt door varianten in een van de twee genen PIK3CD of PIK3R1 die de rijping van witte bloedcellen reguleren. Varianten van deze genen leiden tot hyperactiviteit van de PI3K $\delta$ -route (fosfoinositide 3-kinase-delta).<sup>1,2</sup> Gebalanceerde signalering in de PI3K $\delta$ -route is essentieel voor de fysiologische immuunfunctie. Wanneer deze route hyperactief is, kunnen immuuncellen niet rijpen en niet goed functioneren, wat leidt tot immuundeficiëntie en ontregeling.<sup>1,3</sup> APDS wordt gekenmerkt door ernstige, terugkerende sinopulmonale infecties, lymfoproliferatie, auto-immuniteit en enteropathie.<sup>4,5</sup> Omdat deze symptomen in verband kunnen worden gebracht met een verscheidenheid aan aandoeningen, waaronder primaire immuundeficiënties, wordt voor mensen met APDS vaak een onjuiste diagnose gesteld en hebben een mediane diagnostische vertraging van 7 jaar.<sup>6</sup> Aangezien APDS een progressieve ziekte is, kan deze vertraging in de loop van de tijd leiden tot een opeenstapeling van schade, waaronder permanente longschade en lymfeklierkanker.<sup>4-7</sup> De enige manier om deze aandoening definitief vast te stellen, is door middel van een genetische test.

### Over leniolisib

Leniolisib is een kleinmoleculaire remmer van de delta-isoform van de 110 kDa katalytische subeenheid van klasse IA PI3K met immunomodulerende en mogelijk antineoplastische activiteiten. Leniolisib remt de productie van fosfatidylinositol-3-4-5-trisfosfaat (PIP3). PIP3 dient als een belangrijke cellulaire boodschapper die specifiek AKT activeert (via PDK1) en reguleert een groot aantal celfuncties zoals proliferatie, differentiatie, cytokineproductie, celoverleving, angiogenese en metabolisme. In tegenstelling tot PI3K $\alpha$  en PI3K $\beta$  die alomtdoende tot expressie worden gebracht, worden PI3K $\delta$  en PI3K $\gamma$  voornamelijk tot expressie gebracht in cellen van hematopoëtische oorsprong. De centrale rol van PI3K $\delta$  bij het reguleren van talrijke cellulaire functies van het adaptieve immuunsysteem (B-cellen en in mindere mate T-cellen) en het aangeboren immuunsysteem (neutrofielen, mestcellen en macrofagen), geeft sterk aan dat PI3K $\delta$  een valide en potentieel effectief therapeutisch *target* voor verschillende immuunziekten is. Tot op heden is gebleken dat leniolisib veilig is en goed werd verdragen tijdens zowel de fase 1 *first-in-human* studie bij gezonde proefpersonen als in de klinische fase II/III registratiestudie.

### Over Pharming Group N.V.

Pharming Group N.V. (Euronext Amsterdam: PHARM/Nasdaq: PHAR) is een wereldwijd biofarmaceutisch bedrijf dat zich toelegt op het transformeren van het leven van patiënten met zeldzame, slopende en levensbedreigende aandoeningen. Pharming commercialiseert en ontwikkelt een innovatief portfolio van eiwitvervangende therapieën en precisiegeneesmiddelen, waaronder kleine moleculen, biologische geneesmiddelen en genterapieën die zich in een vroeg tot laat stadium van ontwikkeling bevinden. Pharming heeft zijn hoofdkantoor in Leiden en heeft medewerkers over de hele wereld die patiënten bedienen in meer dan 30 markten in Noord-Amerika, Europa, het Midden-Oosten, Afrika en Azië-Pacific.

Ga voor meer informatie naar [www.pharming.com](http://www.pharming.com) of volg ons op [LinkedIn](#).

### 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 2021 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 gekwalificeert heeft, als voorwetenschap in de zin van artikel 7 (1) van de Europese Verordening Marktmissbruik.

### Noten

1. Lucas CL, et al. Nat Immunol. 2014;15:88-97.
2. Elkaim 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. 2019;May 21.
7. Condliffe AM, Chandra A. Front Immunol. 2018;9:338.

### Neem voor meer informatie contact op met:

*Pharming Group, Leiden*

Heather Robertson, Investor Relations & Corporate Communications Manager

T: +31 71 524 7400

E: [investor@pharming.com](mailto:investor@pharming.com)

LifeSpring Life Sciences Communication, Amsterdam

Leon Melens

T: +31 6 53 81 64 27

E: [pharming@lifespring.nl](mailto:pharming@lifespring.nl)

FTI Consulting, Londen, VK

Victoria Foster Mitchell/Alex Shaw/Amy Byrne

T: +44 203 727 1000

VS PR:

Ethan Metelenis

T: +1 (917) 882 9038

E: [Ethan.Metelenis@precisionvh.com](mailto:Ethan.Metelenis@precisionvh.com)

EU PR:

Dan Caley

T: +44 (0) 787 546 8942

E: [Dan.caley@aprilsix.com](mailto:Dan.caley@aprilsix.com)