

Pharming geeft update over beoordeling leniolisib door EMA in de Europese Economische Ruimte

Tijdschema beoordeling EMA-aanvraag voor marktvergunning leniolisib gewijzigd naar 'standaard'

Leiden, 16 februari 2023: Pharming Group N.V. ("Pharming" of "de Onderneming") (EURONEXT Amsterdam: PHARM/Nasdaq: PHAR), maakt bekend dat het Comité voor geneesmiddelen voor menselijk gebruik (CHMP) van het Europees Geneesmiddelenbureau (EMA), heeft besloten het tijdschema voor beoordeling van de aanvraag voor een vergunning voor het in de handel brengen (MAA) van leniolisib te wijzigen naar 'standaard'. Leniolisib, dat momenteel wordt beoordeeld door zowel de FDA alsook de EMA, is een orale selectieve fosfoïnositide 3-kinase delta (PI3K δ)-remmer voor de behandeling van geactiveerd fosfoïnositide 3-kinase delta-syndroom (APDS), een zeldzame primaire aandoening aan het immuunsysteem bij adolescenten en volwassenen van 12 jaar en ouder.

Pharming heeft een lijst met vragen van het EMA ontvangen met daarin een verzoek om bijgewerkte gegevens in te dienen van de lopende lange-termijn-extensiestudie die zijn verzameld na de tussentijdse analyse, welke ook in de oorspronkelijke aanvraag was opgenomen. Op basis van het tijdschema voor de antwoorden verwacht Pharming dat het CHMP zijn advies over de vergunning voor het in de handel brengen van leniolisib in het tweede halfjaar van 2023 zal uitbrengen.

Sijmen de Vries, CEO van Pharming, zegt:

"We blijven via het MAA-beoordelingsproces samenwerken met het EMA en ons inzetten voor het verkrijgen van marktgoedkeuring voor leniolisib binnen de Europese Economische Ruimte. In de VS blijft de prioriteitsbeoordeling van de aanvraag voor marktgoedkeuring voor leniolisib door de FDA op schema, met een PDUFA-doeldatum van 29 maart 2023. We zullen ons nadrukkelijk blijven richten op het verkrijgen van goedkeuring door toezichthouders en het beschikbaar maken van leniolisib voor patiënten met APDS wereldwijd."

Na de toekenning van de versnelde beoordelingsstatus in augustus 2022, valideerde de EMA Pharmings aanvraag voor toelating tot de markt van leniolisib in oktober 2022 onder een versnelde beoordeling door de CHMP. De aanvraag wordt ondersteund door positieve data van een fase II/III-studie met leniolisib, gepubliceerd op 2 februari 2022. De studie behaalde zijn co-primaire eindpunten: vermindering van de lymfeklier grootte en toename van het percentage naïeve B-cellen bij patiënten met APDS. Bovendien toonden de veiligheidsdata van het onderzoek aan dat leniolisib door de deelnemers goed werd verdragen. Als onderdeel van de oorspronkelijke aanvraag van de vergunning voor het in de handel brengen, werden ook gegevens ingediend van een langer-lopend,

open-label klinisch extensie-onderzoek bij patiënten met APDS die worden behandeld met leniolisib.

=== EINDE PERSBERICHT ===

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 fosfoinositide-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 δ -route (fosfoinositide 3-kinase-delta).^{1,2} Gebalanceerde signalering in de PI3K δ -route is essentieel voor de fysiologische immuun-functie. Wanneer deze route hyperactief is, kunnen immuuncellen niet rijpen en niet goed functioneren, wat leidt tot immuundeficiëntie en ontregeling.^{2,4} APDS wordt gekenmerkt door ernstige, terugkerende sinopulmonale infecties, lymfoproliferatie, auto-immuniteit en enteropathie.^{5,6} 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 zij een mediane diagnostische vertraging van 7 jaar.⁷ 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.⁵⁻⁸ De enige manier om deze aandoening definitief vast te stellen, is door middel van een genetische test.

Over leniolisib

Leniolisib is een klein-moleculaire remmer van de delta-isovorm van de 110 kDa katalytische sub-eenheid 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 α en PI3K β die alom tot expressie worden gebracht, worden PI3K δ en PI3K γ voornamelijk tot expressie gebracht in cellen van hematopoëtische oorsprong. De centrale rol van PI3K δ 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 δ 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 of volg ons op [LinkedIn](#).

Toekomstgerichte verklaringen

Dit persbericht kan toekomstgerichte verklaringen bevatten. Toekomstgerichte verklaringen zijn verklaringen van toekomstige verwachtingen die zijn gebaseerd op de huidige verwachtingen en veronderstellingen van het management en bevatten bekende en onbekende risico's en onzekerheden die ertoe kunnen leiden dat de werkelijke resultaten, prestaties of gebeurtenissen wezenlijk verschillen van die uitgedrukt of geïmpliceerd in deze verklaringen. Deze toekomstgerichte verklaringen worden geïdentificeerd door het gebruik van termen en uitdrukkingen zoals "doel", "ambitie", "anticiperen", "geloven", "zouden kunnen", "schatten", "verwachten", "doelen", "van plan", "misschien", "mijlpalen", "doelstellingen", "vooruitzichten", "plannen", "waarschijnlijk", "project", "risico's", "plannen", "zoeken", "zou moeten", "doel", "zal" en soortgelijke termen en uitdrukkingen. Voorbeelden van toekomstgerichte verklaringen zijn verklaringen met betrekking tot de timing en voortgang van Pharmings preklinische onderzoeken en klinische proeven van haar productkandidaten, Pharming's klinische en commerciële vooruitzichten en Pharming's verwachtingen met betrekking tot haar verwachte werkkapitaalvereisten en kasmiddelen, welke verklaringen onderhevig zijn aan op een aantal risico's, onzekerheden en veronderstellingen, inclusief maar niet beperkt tot de reikwijdte, voortgang en uitbreiding van de klinische onderzoeken van Pharming en de 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 Pharming's jaarverslag 2021 en het jaarverslag op formulier 20-F voor het jaar eindigend op 31 december 2021, ingediend bij de U.S. Securities and Exchange Commission, de gebeurtenissen en omstandigheden die in dergelijke toekomstgerichte verklaringen worden besproken, doen zich mogelijk niet voor en de daadwerkelijke resultaten van Pharming kunnen wezenlijk en nadelig verschillen van de verwachte of geïmpliceerde resultaten. Alle toekomstgerichte verklaringen in dit persbericht worden uitdrukkelijk in hun geheel gekwalificeerd door de waarschuwende verklaringen die in deze sectie zijn opgenomen of waarnaar wordt verwezen. Lezers mogen niet overmatig vertrouwen op toekomstgerichte verklaringen. 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. Pharming neemt geen enkele verplichting op zich om deze publiekelijk bij te werken of te herzien.

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.

Noten

1. Rao VK, et al. Blood. 2022. <https://doi.org/10.1182/blood.2022018546>.
2. Lucas CL, et al. Nat Immunol. 2014;15:88-97.
3. Elkaim E, et al. J Allergy Clin Immunol. 2016;138(1):210-218.
4. Nunes-Santos C, Uzel G, Rosenzweig SD. J Allergy Clin Immunol. 2019;143(5):1676-1687.
5. Coulter TI, et al. J Allergy Clin Immunol. 2017;139(2):597-606.
6. Maccari ME, et al. Front Immunol. 2018;9:543.
7. Jamee M, et al. Clin Rev Allergy Immunol. 2019;May 21.
8. Condliffe AM, Chandra A. Front Immunol. 2018;9:338.

Neem voor meer informatie contact op met:

Pharming Group, Leiden

Michael Levitan, VP Investor Relations & Corporate Communications

T: +1 (908) 705 1696

Heather Robertson, Investor Relations & Corporate Communications Manager

E: investor@pharming.com

LifeSpring Life Sciences Communication, Amsterdam

Leon Melens

T: +31 6 53 81 64 27

E: pharming@lifespring.nl

FTI Consulting, London, VK

Victoria Foster Mitchell/Alex Shaw/Amy Byrne

T: +44 203 727 1000

VS PR

Ethan Metelenis

E: Ethan.Metelenis@precisionvh.com

T: +1 (917) 882 9038

EU PR

Dan Caley

E: Dan.caley@aprilsix.com

T: +44 (0) 787 546 8942