

Pharming meldt nieuwe ICD-10 code voor APDS, een zeldzame aandoening aan het immuunsysteem

De diagnosecode, geïmplementeerd door de Centers for Disease Control and Prevention, identificeert nauwkeurig Amerikaanse patiënten met APDS en ondersteunt daarmee zorg- en onderzoek

Leiden, 2 augustus 2022: [Pharming Group N.V.](#) (“Pharming” of “de Onderneming”) (EURONEXT Amsterdam: PHARM/Nasdaq: PHAR) maakt bekend dat een nieuwe diagnosecode voor het rapporteren van gevallen van geactiveerd fosfoinositide 3-kinase delta syndroom (APDS), een zeldzame primaire aandoening aan het immuunsysteem, zal worden toegevoegd aan de *International Classification of Diseases, 10th Revision, Clinical Modification* (ICD-10-CM) door de Amerikaanse Centers for Disease Control and Prevention (CDC). De diagnosecode, D81.82 – *Activated Phosphoinositide 3-kinase Delta Syndrome* (APDS), wordt van kracht vanaf 1 oktober 2022.

Anurag Relan, Chief Medical Officer van Pharming, zegt in reactie:

“Met de toewijzing van deze ICD-10-CM-code erkent het CDC formeel APDS als een nieuwe afzonderlijke aandoening aan het immuunsysteem. Dit gaat voor mensen die door de aandoening zijn en nog zullen worden getroffen een groot verschil maken. De introductie van deze unieke diagnostische code voor het identificeren van zowel huidige als komende nieuwe patiënten met APDS, zal voor artsen de mogelijkheden tot zorg verbeteren. Het zal bijdragen aan een groter wereldwijd begrip van de prevalentie (hoe vaak komt APDS voor per duizend of honderdduizend mensen) en van de mechanismen en resultaten van deze progressieve en slopende aandoening. Voor artsen betekent deze nieuwe code dat zij patiënten met een eenvoudige interventie een stuk sneller en beter kunnen helpen.”

De toewijzing van de ICD-10-CM-code stelt artsen, payers en verzekeraars in de VS voor het eerst in staat om een diagnose van APDS toe te voegen aan de medische dossiers van patiënten, wat hen zal helpen in contact te komen met onderzoekers die de prevalentie en het beloop van de ziekte bestuderen. Bovendien kan de nieuwe ICD-10-CM-code door een specifieke diagnose toe te kennen, helpen bij het vaststellen van de medische noodzaak bij individuele patiënten, waardoor hun toegang tot relevante zorg via Amerikaanse ziektekostenverzekeringen wordt verbeterd.

Met verschillende genetische varianten die ongeveer een tot twee mensen per miljoen treffen, veroorzaakt APDS aanzienlijke lymfoproliferatie, een niet goed functionerend immuunsysteem, evenals een verhoogd risico op lymfeklierkanker. Er bestaat momenteel geen goedgekeurde therapie voor de ziekte en de behandeling blijft over het algemeen beperkt tot ondersteunende zorg, zoals antibiotica en immunoglobuline-vervangingstherapie. Artsen en belangengroepen voor patiënten die gespecialiseerd zijn in immuundeficiëntiestoornissen, verwachten samen met Pharming dat het besluit de bewustwording over deze zeldzame aandoening zal vergroten.

Vicki en Fred Modell, mede-oprichters van de [Jeffrey Modell Foundation](#), zeiden:

“We zijn verheugd dat de Amerikaanse regelgevende instanties APDS een ICD-10-CM-code hebben toegewezen. Als stichting die zich toelegt op vroege diagnose, zinvolle behandelingen en genezingen van aandoeningen aan het immuunsysteem met onbekende oorzaak, zijn we ons bewust van de fysieke en emotionele uitdagingen waarmee mensen met APDS worden geconfronteerd als gevolg van een onjuiste diagnose van hun ziekte. Door de herkenning van de aandoening te vergroten, verwachten we dat de nieuwe diagnostische code ervoor zal zorgen dat elke patiënt in beeld komt voor passende en zinvolle behandelingen voor APDS.”

Over geactiveerd fosfoinositide-3-kinase--syndroom (APDS)

APDS is een zeldzame primaire immunodeficiëntie die ongeveer een 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 immunofunctie. Wanneer deze route hyperactief is, kunnen immuuncellen niet rijpen en niet goed functioneren, wat leidt tot immunodeficiëntie en ontregeling.^{1,3} APDS wordt gekenmerkt door ernstige, terugkerende sinopulmonale infecties, lymfoproliferatie, auto-immuniteit en enteropathie.^{4,5} Omdat deze symptomen in verband kunnen worden gebracht met een verscheidenheid aan aandoeningen, waaronder primaire immunodeficiënties, wordt voor mensen met APDS vaak een onjuiste diagnose gesteld en hebben een mediane diagnostische vertraging van 7 jaar.⁶ 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.⁴⁻⁷ De enige manier om deze aandoening definitief vast te stellen, is door middel van een genetische test.

=== 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 Pharming Group N.V.

Pharming Group N.V. (EURONEXT Amsterdam: PHARM/Nasdaq: PHAR) is een wereldwijd opererend 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.

Over de Jeffrey Modell Foundation

Vicki en Fred Modell richtten in 1987 de Jeffrey Modell Foundation (JMF) op ter nagedachtenis aan hun zoon Jeffrey, die op 15-jarige leeftijd overleed aan complicaties van primaire immunodeficiëntie (PI) - een genetische aandoening die chronisch, ernstig en vaak dodelijk is. JMF is een wereldwijde non-profitorganisatie die zich inzet voor vroege diagnose, zinvolle behandelingen en uiteindelijk, genezingen door middel van onderzoek, artseducatie, publieke bewustwording, belangenbehartiging, patiëntondersteuning, screening van pasgeborenen en genetische sequentiëring.

Ga voor meer informatie naar www.info4pi.org.

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 gekwalificeerd 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, Manager Investor Relations & Corporate Communications

T: +31 71 524 7400

E: investor@pharming.com

FTI Consulting, Londen, VK

Victoria Foster Mitchell/Alex Shaw/Amy Byrne

T: +44 203 727 1000

LifeSpring Life Sciences Communication, Amsterdam

Leon Melens

T: +31 6 53 81 64 27

E: pharming@lifespring.nl

VS PR:

Emily VanLare

T: +1 (203) 985 5596

E: Emily.VanLare@precisionvh.com

EU PR:

Dan Caley

T: +44 (0) 787 546 8942

E: Dan.caley@aprilsix.com