

Pharming Group maakt de goedkeuring bekend van Joenja® (leniolisib) in Japan voor de behandeling van APDS bij patiënten van 4 jaar en ouder

- Eerste goedgekeurde behandeling in Japan voor geactiveerd fosfoinositide 3-kinase δ -syndroom (APDS)
- De goedkeuring is gebaseerd op positieve fase III-gegevens uit multinationale en Japanse studies bij patiënten van 12 jaar en ouder, en uit een multinationale pediatrische studie bij kinderen van 4 tot en met 11 jaar
- Eerste goedkeuring van Joenja die ook kinderen van 4 tot 11 jaar met APDS omvat

Leiden, 24 maart 2026: Pharming Group N.V. ("Pharming" of "de Onderneming") (Euronext Amsterdam: PHARM / Nasdaq: PHAR) maakt vandaag bekend dat het Japanse Ministerie van Volksgezondheid, Arbeid en Welzijn (MHLW) Joenja® (leniolisib), een orale, selectieve fosfoinositide 3-kinase delta (PI3K δ)-remmer, heeft goedgekeurd voor de behandeling van geactiveerd fosfoinositide 3-kinase δ -syndroom (APDS) bij volwassen en pediatrische patiënten van 4 jaar en ouder.

Met deze goedkeuring wordt Joenja de eerste behandeling die in Japan specifiek voor APDS is goedgekeurd, en wereldwijd de eerste goedgekeurde behandeling voor kinderen van 4 tot 11 jaar met deze aandoening. Op basis van een overeenkomst met Pharming treedt OrphanPacific, Inc. op als houder van de handelsvergunning (Marketing Authorization Holder) voor Joenja in Japan en is het, in samenwerking met Pharming, verantwoordelijk voor de levering en distributie van het product. De lancering van Joenja wordt verwacht na overeenstemming met het MHLW over de geneesmiddelenprijs binnen het nationale zorgverzekeringssysteem.

Professor Hirokazu Kanegane, MD, PhD, afdeling Kindergeneeskunde en Ontwikkeling aan de Graduate School of Medical and Dental Sciences van het Institute of Science Tokyo, zegt:

"Patiënten met APDS in Japan waren tot nu toe grotendeels aangewezen op ondersteunende zorg, waardoor deze goedkeuring een belangrijke stap voorwaarts betekent voor de APDS-gemeenschap. Deze goedkeuring introduceert de eerste goedgekeurde, gerichte behandelingsoptie voor deze zeldzame primaire immuundeficiëntie in Japan en heeft het potentieel om de ziektelast voor patiënten en hun families te verminderen."

Leverne Marsh, Chief Commercial Officer van Pharming, vult aan:

"De goedkeuring van Joenja voor patiënten vanaf 4 jaar is een belangrijke mijlpaal voor de APDS-gemeenschap in Japan. Als eerste behandeling die in het land specifiek voor APDS is goedgekeurd, biedt Joenja de enige (doel)gerichte behandeloptie voor patiënten en families die met deze zeldzame en progressieve ziekte leven. Bovendien is dit de eerste goedkeuring wereldwijd voor kinderen van

4 tot en met 11 jaar met APDS. Samen met OrphanPacific gaan we ons inzetten om Joenja zo snel mogelijk beschikbaar te maken voor patiënten in Japan.”

Het MHLW baseerde de goedkeuring op gegevens uit het fase III-klinische programma van Pharming voor leniolisib bij APDS, waaronder de wereldwijde, gerandomiseerde, placebogecontroleerde studie bij patiënten van 12 jaar en ouder, waarin leniolisib zijn co-primaire eindpunten behaalde door lymfadenopathie significant te verminderen en het percentage naïeve B-cellen ten opzichte van het totaal aantal B-cellen significant te verhogen. Dit weerspiegelt een klinisch relevante impact op de immuundysregulatie en -deficiëntie die kenmerkend zijn voor APDS. Leniolisib werd over het algemeen goed verdragen, waarbij de meest voorkomende bijwerkingen (>10%) hoofdpijn, sinusitis en atopische dermatitis waren.

Aanvullend fase III-bewijs omvatte ook de open-label Japanse studie bij patiënten van 12 jaar en ouder, evenals positieve gegevens uit de open-label, multinationale fase III-studie bij kinderen van 4 tot en met 11 jaar, inclusief locaties in Japan. Deze studie liet over een periode van 12 weken verbeteringen zien in de vorm van verminderde lymfadenopathie en een verhoogd percentage naïeve B-cellen ten opzichte van het totaal aantal B-cellen.

Het Japanse geneesmiddelenagentschap (Pharmaceuticals and Medical Devices Agency, PMDA) heeft de aanvraag beoordeeld via de versnelde beoordelingsprocedure (Priority Review), nadat het MHLW in mei 2023 de status van weesgeneesmiddel (Orphan Drug Designation) had verleend. Joenja® is goedgekeurd en wordt op de markt gebracht in de Verenigde Staten en het Verenigd Koninkrijk voor patiënten van 12 jaar en ouder met APDS.

=== EINDE PERSBERICHT ===

BELANGRIJKE INFORMATIE

**Dit persbericht is een vertaling van het oorspronkelijke Engelstalige bericht.
Bij eventuele verschillen als gevolg van vertaling of interpretatie geldt de originele
Engelse versie als leidend.**

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

APDS is een zeldzame aangeboren afweerstoornis die voor het eerst werd gekarakteriseerd in 2013. APDS wordt veroorzaakt door varianten in een van de twee geïdentificeerde genen, bekend als *PIK3CD* of *PIK3R1*, die van vitaal belang zijn voor de ontwikkeling en functie van immuuncellen in het lichaam. Varianten van deze genen leiden tot hyperactiviteit van de PI3K δ -signaalroute (fosfoinositide 3-kinase delta), waardoor immuuncellen niet goed rijpen en functioneren, wat leidt tot immuundeficiëntie en ontregeling.^{1,2,3} APDS wordt gekenmerkt door een verscheidenheid aan

symptomen, waaronder ernstige, terugkerende sinopulmonale infecties, lymfproliferatie, auto-immuniteit en enteropathie.^{4,5} Omdat deze symptomen in verband kunnen worden gebracht met een verscheidenheid aan aandoeningen, waaronder andere aangeboren afweerstoornissen, is bekend dat mensen met APDS vaak een onjuiste diagnose krijgen en gemiddeld 7 jaar vertraging oplopen bij de diagnose.⁶ Aangezien APDS een progressieve ziekte is, kan deze vertraging leiden tot een opeenstapeling van schade in de loop van de tijd, waaronder blijvende longschade en lymfeklierkanker.⁴⁻⁷ Een definitieve diagnose kan worden gesteld door middel van genetische testen. APDS treft wereldwijd ongeveer 1 tot 2 mensen per miljoen.⁸

Over leniolisib

Leniolisib is een orale kleine molecuul fosfoinositide 3-kinase delta (PI3Kδ)-remmer die in de VS, het VK, Australië en Israël is goedgekeurd als de eerste en enige gerichte behandeling van geactiveerd fosfoinositide 3-kinase delta (PI3Kδ)-syndroom (APDS) bij volwassen en pediatrische patiënten van 12 jaar en ouder. Leniolisib remt de productie van fosfatidylinositol-3-4-5-trisfosfaat, dat dient als een belangrijke cellulaire boodschapper en een groot aantal celfuncties reguleert, zoals proliferatie, differentiatie, cytokineproductie, celoverleving, angiogenese en metabolisme. De resultaten van een gerandomiseerde, placebogecontroleerde fase III-klinische studie toonden een statistisch significante verbetering aan in de co-primaire eindpunten, wat een gunstig effect aantoont op de ontregeling van het immuunsysteem en -deficiëntie die bij deze patiënten wordt waargenomen. Tussentijdse open-label extensiestudiegegevens ondersteunen de veiligheid en verdraagbaarheid van langdurige toediening van leniolisib.^{9,10}

Leniolisib wordt momenteel beoordeeld voor de behandeling van APDS door de geneesmiddelenautoriteiten in de Europese Economische Ruimte, Canada en verscheidene andere landen. Leniolisib wordt ook geëvalueerd in twee fase II-klinische studies bij primaire immuundeficiënties (PID's) met immuundysregulatie. De veiligheid en werkzaamheid van leniolisib zijn niet vastgesteld voor PID's met immuundysregulatie buiten de APDS-aandoening.

Over Pharming Group N.V.

Pharming Group N.V. (EURONEXT Amsterdam: PHARM/Nasdaq: PHAR) is een wereldwijd opererende biofarmaceutische onderneming die zich toelegt op het transformeren van het leven van patiënten met zeldzame, slopende en levensbedreigende ziekten. Wij ontwikkelen en commercialiseren een portfolio van innovatieve geneesmiddelen, waaronder kleine moleculen en biologische geneesmiddelen. Pharming heeft zijn hoofdkantoor in Leiden met een aanzienlijk deel van zijn medewerkers gevestigd in de Verenigde Staten.

Ga voor meer informatie naar www.pharming.com en vind ons op [LinkedIn](https://www.linkedin.com/company/pharming).

Toekomstgerichte verklaringen

Dit persbericht kan toekomstgerichte verklaringen bevatten. Toekomstgerichte verklaringen zijn verklaringen over toekomstige verwachtingen die zijn gebaseerd op de huidige verwachtingen en aannames van het management en die bekende en onbekende risico's en onzekerheden met zich meebrengen die ertoe kunnen leiden dat de werkelijke resultaten, prestaties of gebeurtenissen

wezenlijk verschillen van die welke in deze verklaringen worden uitgedrukt of geïmpliceerd. Deze toekomstgerichte verklaringen zijn te herkennen aan het gebruik van termen en uitdrukkingen als "doel", "ambitie", "verwachten", "geloven", "zouden", "schatten", "verwachten", "doelstellingen", "van plan zijn", 'kan', 'mijlpalen', 'doelstellingen', 'vooruitzichten', 'plan', 'waarschijnlijk', 'project', 'risico's', 'schema', 'streven', 'zou moeten', 'doel', 'zal' en soortgelijke termen en uitdrukkingen. Voorbeelden van toekomstgerichte verklaringen zijn onder meer verklaringen met betrekking tot de timing en voortgang van Pharmings preklinische studies en klinische proeven van zijn productkandidaten, Pharmings klinische en commerciële vooruitzichten, en Pharmings verwachtingen met betrekking tot zijn verwachte werkkapitaalbehoeften en kasmiddelen, welke verklaringen onderhevig zijn aan een aantal risico's, onzekerheden en aannames, met inbegrip van, maar niet beperkt tot, de omvang, voortgang en uitbreiding van Pharmings klinische proeven en de gevolgen daarvan voor de kosten daarvan; en klinische, wetenschappelijke, regelgevende, commerciële, concurrentiële en technische ontwikkelingen. In het licht van deze risico's en onzekerheden, en andere risico's en onzekerheden die worden beschreven in het jaarverslag 2024 van Pharming en het jaarverslag op formulier 20-F voor het jaar eindigend op 31 december 2024, ingediend bij de Amerikaanse Securities and Exchange Commission, is het mogelijk dat de gebeurtenissen en omstandigheden die in dergelijke toekomstgerichte verklaringen worden besproken, zich niet voordoen en dat de werkelijke resultaten van Pharming wezenlijk en negatief kunnen afwijken van de resultaten die daarin worden verwacht of geïmpliceerd. Alle toekomstgerichte verklaringen in dit persbericht worden uitdrukkelijk in hun geheel gekwalificeerd door de voorbehoudende verklaringen die in deze sectie zijn opgenomen of waarnaar daarin wordt verwezen. Lezers dienen geen ongepast vertrouwen te stellen in toekomstgerichte verklaringen. Alle toekomstgerichte verklaringen hebben uitsluitend betrekking op de datum van dit persbericht en zijn gebaseerd op informatie die Pharming op de datum van dit persbericht ter beschikking stond. Pharming neemt geen enkele verplichting op zich om toekomstgerichte verklaringen publiekelijk bij te werken of te herzien naar aanleiding van nieuwe informatie, toekomstige gebeurtenissen of andere informatie.

Voorwetenschap

Dit persbericht heeft betrekking op de openbaarmaking van informatie die voorkennis is of kan zijn in de zin van artikel 7, lid 1, van de EU-verordening marktmisbruik.

Referenties

1. Lucas CL, et al. Nat Immunol. 2014;15(1):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. 2020 Dec;59(3):323-333.
7. Condliffe AM, Chandra A. Front Immunol. 2018;9:338.
8. Vanselow S, et al. Frontiers in Immunology. 2023;14:1208567.
9. Rao VK, et al Blood. 2 maart 2023;141(9):971-983.
10. Rao VK, et al. J Allergy Clin Immunol 2024;153:265-74.

Voor meer publieke informatie kunt u contact opnemen met:

Investor Relations

Michael Levitan, VP Investor Relations & Corporate Communications

T: +1 (908) 705 1696

E: investor@pharming.com

Media Relations

Global: Saskia Mehring, Corporate Communications Manager

T: +31 6 28 32 60 41

E: media.relations@pharming.com

Nederland: Leon Melens (LifeSpring Life Sciences Communication namens Pharming)

T: +31 6 53 81 64 27

V.S.: Ethan Metelenis (Precision AQ namens Pharming)

T: +1 (917) 882-9038