

Pharming Group ontvangt positief advies van CHMP voor Joenja® (leniolisib) voor de behandeling van APDS bij volwassen en pediatrische patiënten van 12 jaar en ouder

- Indien goedgekeurd, zou Joenja® (leniolisib) de eerste goedgekeurde behandeling in de Europese Unie worden voor het geactiveerd fosfoinositide 3-kinase delta (PI3Kδ)-syndroom (APDS), een zeldzame primaire immuundeficiëntie
- Besluit gebaseerd op fase II/III-klinische gegevens die een statistisch significante verbetering laten zien in parameters van immuundysregulatie en immuundeficiëntie
- Definitief besluit van de Europese Commissie wordt verwacht in het tweede kwartaal van 2026

Leiden, 27 maart 2026: Pharming Group N.V. ("Pharming" of "de Onderneming") (Euronext Amsterdam: PHARM / Nasdaq: PHAR) maakt vandaag bekend dat het Committee for Medicinal Products for Human Use (CHMP) van het Europees Geneesmiddelenbureau (EMA) een positief advies heeft uitgebracht, waarin wordt aanbevolen een handelsvergunning te verlenen voor Joenja® (leniolisib) voor de behandeling van geactiveerd fosfoinositide 3-kinase delta (PI3Kδ)-syndroom (APDS), een zeldzame primaire immuundeficiëntie bij volwassen en pediatrische patiënten van 12 jaar en ouder.

Een definitief besluit van de Europese Commissie over de handelsvergunning voor Joenja onder uitzonderlijke omstandigheden wordt binnen ongeveer twee maanden verwacht. Indien goedgekeurd, zou Joenja de eerste goedgekeurde behandeling voor APDS in de Europese Unie worden. De gecentraliseerde handelsvergunning zou geldig zijn in alle 27 lidstaten van de Europese Unie, evenals in Noorwegen, IJsland en Liechtenstein.

Chief Executive Officer Fabrice Chouraqui zei in reactie:

"Voor patiënten met APDS is er nog altijd sprake van een grote on vervulde medische behoefte. Door in te grijpen op de onderliggende oorzaak van de ziekte kan Joenja een belangrijke doorbraak betekenen in de behandeling van APDS in Europa. Het positieve CHMP-advies van vandaag, en de goedkeuring in Japan eerder deze week, weerspiegelt de kracht van de klinische data en de inzet van de patiënten, hun families en de artsen die aan de klinische studies deelnamen. Wij kijken uit naar het definitieve besluit van de Europese Commissie en naar samenwerking met de relevante autoriteiten in Europa om de toegang van patiëntente ondersteunen."

Het positieve CHMP-advies is gebaseerd op de resultaten van een multinationale, drievoudig geblindeerde, placebogecontroleerde, gerandomiseerde fase II/III klinische studie, waarin de werkzaamheid en veiligheid werden beoordeeld bij 31 patiënten van 12 jaar en ouder met de diagnose APDS. De studie liet een statistisch significant effect zien op immuundysregulatie en immuundeficiëntie. Als onderdeel van de aanvraag zijn ook gegevens ingediend uit een

langlopende, open-label extensiestudie, waarin 37 patiënten gedurende een mediane periode van drie jaar leniolisib kregen.

Virgil Dalm, MD, PhD, hoofd van de afdeling Allergologie & Klinische Immunologie van de afdeling Interne Geneeskunde en hoofdonderzoeker, Erasmus MC, Rotterdam, zegt:

“Het klinische programma voor leniolisib heeft bij patiënten met APDS consistente en betekenisvolle verbeteringen laten zien in zowel de markers van immuundysregulatie als van immuundeficiëntie. In combinatie met het gunstige veiligheidsprofiel wijzen deze resultaten erop dat Joenja een wezenlijke verandering teweeg kan brengen in het klinische perspectief voor mensen met deze zeldzame, complexe en progressieve aangeboren afweerstoornis. Als arts en onderzoeker binnen het klinische programma weet ik hoe belangrijk het is om behandelopties te hebben die de onderliggende oorzaak van de ziekte aanpakken en het potentieel hebben om echt verschil te maken voor patiënten en hun families. Ik ben trots dat de inzet van onderzoekers en patiënten die aan de studies hebben deelgenomen heeft bijgedragen aan deze mijlpaal, en ik zie uit naar het besluit van de Europese Commissie en de mogelijkheid voor patiënten in heel Europa om toegang te krijgen tot deze nieuwe gerichte therapie.”

Joenja is goedgekeurd in de Verenigde Staten en het Verenigd Koninkrijk en inmiddels op de markt gebracht voor APDS-patiënten van 12 jaar en ouder.

=== 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 δ), 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, en in Japan voor patiënten van 4 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 extensie-studiegegevens 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 haar medewerkers gevestigd in de Verenigde Staten.

Ga voor meer informatie naar www.pharming.com en vind ons op [LinkedIn](#).

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