

## Pharming Group presenteert tijdens het CIS-jaarcongres, waaronder pediatrie data van leniolisib bij APDS en klinische ervaring bij CVID en verwante aandoeningen

**Leiden, 7 mei 2026:** Pharming Group N.V. (“Pharming” of “de Onderneming”) (Euronext Amsterdam: PHARM/Nasdaq: PHAR) zal presentaties geven tijdens het jaarcongres van de Clinical Immunology Society (CIS) 2026, dat plaatsvindt van 6 tot en met 9 mei in New Orleans, Louisiana (VS).

Verspreid over meerdere presentaties zullen Pharming en zijn partners tussentijdse resultaten delen van een langetermijn-verlengingsstudie met leniolisib bij pediatrie patiënten in de leeftijd van 4 tot en met 11 jaar met geactiveerde fosfoinositide 3-kinase delta (PI3K $\delta$ ) syndroom (APDS). De presentaties omvatten ook klinische gegevens over het gebruik van leniolisib in het kader van een ‘*expanded access*’-programma voor de behandeling van immuun dysregulatie bij patiënten met Common Variable Immunodeficiency (CVID) en CVID-achtige aandoeningen, alsook nader inzicht in APDS en aanvullende primaire immuundeficiënties (PID’s) met immuun dysregulatie.

Er lopen momenteel twee fase II klinische studies (NCT06897358 en NCT06549114) om formeel de veiligheid en verdraagbaarheid van leniolisib te evalueren bij patiënten met CVID en PID’s met immuun dysregulatie buiten APDS te evalueren.

### Chief Medical Officer Anurag Relan zegt in reactie:

*“Wij zijn verheugd om op het CIS-congres data te presenteren die het begrip van APDS en andere primaire immuundeficiënties gekenmerkt door immuun dysregulatie verder verdiepen.*

*Deze bevindingen uit de klinische praktijkervaring ondersteunen de lopende klinische studies die leniolisib evalueren bij CVID en CVID-verwante aandoeningen, en wij kijken uit naar de resultaten in de tweede helft van dit jaar.”*

### Presentaties\*:

**Titel:** Tussentijdse resultaten van veiligheid en werkzaamheid van een open-label langetermijn-verlengingsstudie naar behandeling met de PI3K $\delta$ -remmer leniolisib bij pediatrie patiënten in de leeftijd van 4–11 jaar met geactiveerd PI3K $\delta$ -syndroom (APDS)

**Presenterende auteur:** Shanmuganathan Chandrakasan, MD, Division of Bone Marrow Transplant, Aflac Cancer and Blood Disorders Center, Children’s Healthcare of Atlanta, Emory University School of Medicine, Atlanta, GA, USA

**Soort sessie:** Poster

**Sessie datum/tijd:** vrijdag, 8 mei 2026, 11:00 – 11:30 uur (EDT)

**Abstract/poster nummer:** 218

**Titel:** *Klinische ervaringen met het gebruik van de PI3Kδ-remmer leniolisib voor de behandeling van immuun dysregulatie bij patiënten met CVID en CVID-gerelateerde aandoeningen*

**Presenterende auteur:** Jocelyn R. Farmer, MD, PhD, Department of Medicine, UMass Chan Medical School, Worcester, MA, USA, and Clinical Immunodeficiency Program of Beth Israel Lahey Health, Division of Allergy and Immunology, Lahey Hospital & Medical Center, Burlington MA, USA

**Soort sessie:** Poster

**Sessie datum/tijd:** donderdag, 7 mei 2026, 13:30-14:30 uur (EDT)

**Abstract/poster nummer:** 42

**Titel:** *Een fase II klinische studie naar leniolisib bij primaire immuundeficiënties met verhoogde PI3K-siginaaltransductie: studieontwerp en basismerken van de deelnemers*

**Presenterende auteur:** Gulbu Uzel, MD, National Institute of Allergy and Infectious Diseases, National Institutes of Health, Bethesda, MD, USA

**Soort sessie:** Poster

**Sessie datum/tijd:** vrijdag, 8 mei 2026, 14:10-15:10 uur (EDT)

**Abstract/poster nummer:** 194

**Titel:** *Geactiveerd fosfoinositide-3-kinase-deltasyndroom (APDS) bij kinderen en adolescenten: demografische en klinische bevindingen uit het APDS-CHOIR register*

**Presenterende auteur:** Kelli Williams, MD, MPH, Department of Pediatrics, Medical University of South Carolina, Charleston, SC, USA

**Soort sessie:** Poster

**Sessie datum/tijd:** donderdag, 7 mei 2026, 13:30-14:30 uur (EDT)

**Abstract/poster nummer:** 86

**Titel:** *Door verzorgers en behandelend artsen gerapporteerde symptomen bij pediatrische patiënten met APDS die leniolisib krijgen*

**Presenterende auteur:** Shanmuganathan Chandrakasan, MD, Division of Bone Marrow Transplant, Aflac Cancer and Blood Disorders Center, Children's Healthcare of Atlanta, Emory University School of Medicine, Atlanta, GA, USA

**Soort sessie:** Poster

**Sessie datum/tijd:** donderdag, 7 mei 2026, 13:30-14:30 uur (EDT)

**Abstract/poster nummer:** 35

**Titel:** *Veranderingen in symptomen bij pediatrische patiënten met geactiveerd fosfoinositide 3-kinase delta-syndroom (APDS) die leniolisib krijgen*

**Presenterende auteur:** Amanda Harrington, PhD, Pharming Healthcare Inc., Warren, NJ, USA

**Soort sessie:** Poster

**Sessie datum/tijd:** donderdag, 7 mei 2026, 13:30-14:30 uur (EDT)

**Abstract/poster nummer:** 105

**Titel:** *Gebruik van sirolimus en immunoglobulinevervangende (IRT) bij patiënten met geactiveerd fosfoinositide 3-kinase delta-syndroom (APDS): een systematisch literatuuronderzoek (SLR)*

**Presenterende auteur:** Nicholas Hartog, MD, Cornwell Health Pediatric Allergy and Immunology, Grand Rapids, MI, US

**Soort sessie:** Poster

**Sessie datum/tijd:** donderdag, 7 mei 2026, 13:30-14:30 uur (EDT)

**Abstract/poster nummer:** 112

**Titel:** *Verzorgers van kinderen met APDS combineren complexe medische zorg met gezinstaken en werkverantwoordelijkheden*

**Presenterende auteur:** Kristie Cline, MBA, Pharming Healthcare Inc., Warren, NJ, USA

**Soort sessie:** Poster

**Sessie datum/tijd:** vrijdag, 8 mei 2026, 14:10-15:10 uur (EDT)

**Abstract/poster nummer:** 115

*\*Alle presentatietijden zijn weergegeven in Eastern Daylight Time (EDT), de tijdzone aan de Amerikaanse oostkust tijdens de zomertijd (6 uur achter op Nederland).*

**=== 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 $\delta$ -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 $\delta$ -signaalroute (fosfoinositide 3-kinase delta), waardoor immuuncellen niet goed rijpen en functioneren, wat leidt tot immundeficiëntie en ontregeling.<sup>1,2,3</sup> APDS wordt gekenmerkt door een verscheidenheid aan symptomen, waaronder ernstige, terugkerende sinopulmonale infecties, lymfproliferatie, auto-immuniteit en enteropathie.<sup>4,5</sup> 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.<sup>6</sup> 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.<sup>4-7</sup> Een definitieve diagnose kan worden gesteld door middel van genetische testen. APDS treft wereldwijd ongeveer 1 tot 2 mensen per miljoen.<sup>8</sup>

## Over leniolisib

Leniolisib is een orale kleine molecuul fosfoinositide 3-kinase delta (PI3K $\delta$ )-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 (PI3K $\delta$ )-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.<sup>9,10</sup>

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 immuun dysregulatie. De veiligheid en werkzaamheid van leniolisib zijn niet vastgesteld voor PID's met immuun dysregulatie 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. Pharming ontwikkelt en commercialiseert innovatieve geneesmiddelen, waaronder kleine moleculen en biologische geneesmiddelen. Pharming heeft zijn hoofdkantoor in Leiden, met activiteiten in de VS en Europa.

Ga voor meer informatie naar [www.pharming.com](http://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 2025 van Pharming en het jaarverslag op formulier 20-F voor het jaar eindigend op 31 december 2025, 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.*

## 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 and Capital Markets

T: +1 (908) 705 1696

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

### Media Relations

Global: Saskia Mehring, Head of Corporate Communications

T: +31 6 28 32 60 41

E: [media.relations@pharming.com](mailto: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