

Pharming meldt behandeling eerste patiënt in Amerikaanse trial voor de behandeling van COVID-19 met RUCONEST®

- **Eerste patiënt behandeld in tweede wereldwijde klinische studie waarin het gebruik van RUCONEST® wordt bestudeerd ter voorkoming van ernstige SARS-CoV-2-infecties bij ziekenhuispatiënten met bevestigde COVID-19**
- **Uitbreiding naar meerdere klinische centra in de VS gepland**

Leiden, 10 december 2020: Pharming Group NV ("Pharming" of "de `Onderneming") (Euronext Amsterdam: PHARM) maakt bekend dat de eerste patiënt in een gerandomiseerde, open label, parallelle groep, gecontroleerde, pilot, klinische trial bij maximaal 120 voor COVID-19 in het ziekenhuis opgenomen patiënten, is behandeld met RUCONEST® (recombinant humane C1-remmer) voor de preventie van ernstige COVID-19 (SARS-CoV-2)-infecties in het Valley Hospital in Ridgewood, New Jersey in de Verenigde Staten.

Het voornemen is om de trial verder uit te breiden naar meerdere centra in de VS. Deze klinische studie volgt op een lopende, door de onderzoeker geïnitieerde, multinationale, multicenter-studie onder leiding van Dr. Michael Osthoff van het Universitair Ziekenhuis Bazel (Zwitserland) naar het gebruik van RUCONEST® bij de preventie van ernstige COVID-19 (SARS-CoV-2) infecties bij in het ziekenhuis met gerelateerde longontsteking opgenomen patiënten. Pharming maakte in augustus van dit jaar de behandeling van de eerste patiënt in deze trial bekend.

=== EINDE PERSBERICHT ===

BELANGRIJKE INFORMATIE

Dit bericht vormt een inhoudelijke samenvatting/vertaling van het originele Engelstalige persbericht. In geval van verschillen ten gevolge van vertaling of verschillen in interpretatie, is het originele Engelstalige persbericht leidend.

RUCONEST® en COVID-19

RUCONEST® is een recombinante C1-esteraseremmer (C1INH) die is goedgekeurd voor de behandeling van erfelijk angio-oedeem (HAE) in de EU en de VS. C1INH is een eiwit dat van nature in het menselijk lichaam voorkomt. Het reguleert verschillende ontstekingsroutes in het lichaam door bepaalde eiwitten te remmen die deel uitmaken van het menselijke immuunsysteem. Bij ziekten zoals HAE leidt een tekort aan functionele C1-remmer tot overmatige activering van het complementsysteem en andere immunologische en hemostatische routes, waardoor angio-oedeemaanvallen ontstaan. Bij HAE worden deze aanvallen gekenmerkt door acute en pijnlijke zwellingen van zachte weefsels. Toediening van C1-remmer kan de lage C1 INH-spiegels normaliseren en angio-oedeemaanvallen stoppen.

Systemische hyperinflammatie is een kenmerk van ernstigere stadia van COVID-19 die leiden tot *acuut respiratory distress syndrome* (ARDS), beademing en uiteindelijk de dood. Behandeling met RUCONEST® kan; 1) ongecontroleerde complementactivering en daar uit voortvloeiende longschade remmen, 2) lekkage van de capillaire bloedvaten beperken, alsmede het daaropvolgend longoedeem door directe remming van het kallikreïne-kininesysteem, en 3) de vorming van micro-thrombi (stolsels) reduceren door remming van door MASP-1 geïnduceerde stolsel vorming en Factor XII versterkte thrombo-inflammatie.

C1-remmer is een acute fase-reactant, wat betekent dat het lichaam van nature de productie verhoogt tijdens ontstekingsaandoeningen, zoals infecties. Desondanks kan er een relatief tekort optreden en gaat complementactivering ongecontroleerd door, wat vaak leidt tot een cytokinestorm, een gevaarlijk biochemisch proces dat de complicaties van COVID-19-infectie verergert, zoals orgaan-falen en overlijden.

Deze klinische studies bij ziekenhuispatiënten met COVID-19 trachten te identificeren of de dosering van extra C1INH (RUCONEST®) het systemische hyperinflammatiesyndroom of de cytokinestorm, kan beheersen of stoppen. De belangrijkste data zullen worden gepubliceerd zodra de resultaten van een tussentijdse analyse beschikbaar zijn of nadat alle patiënten zijn behandeld.

Over Pharming Group N.V.

Pharming Group N.V. is een wereldwijd actief biofarmaceutisch bedrijf in de commerciële fase dat innovatieve eiwitvervangende therapieën en precisiegeneesmiddelen ontwikkelt voor de behandeling van zeldzame ziekten en onvervulde medische behoeften.

Ons belangrijkste *compound* betreft onze recombinante humane C1-esteraseremmer, of rhC1INH. C1INH is een natuurlijk voorkomend eiwit dat de complementcascade reguleert om zwelling in aangetaste weefsels te beheersen.

Ons hoofdproduct, RUCONEST®, is de eerste en enige plasmavrije rhC1INH-eiwitvervangings therapie. Het is goedgekeurd voor de behandeling van acuut erfelijk angio-oedeem of HAE-aanvallen. We commercialiseren RUCONEST® in de Verenigde Staten, de Europese Unie en het Verenigd Koninkrijk via onze eigen verkoop- en marketingorganisatie, en de rest van de wereld via ons distributienetwerk.

We ontwikkelen ook rhC1INH voor nieuwe indicaties, waaronder pre-eclampsie, acuut nierfalen en we onderzoeken ook de klinische werkzaamheid van rhC1INH in COVID-19.

Daarnaast onderzoeken we ons orale precisiegeneesmiddel, leniolisib (een fosfoinositide 3-kinase-delta of PI3K-delta-remmer), voor de behandeling van geactiveerd PI3K-deltasyndroom, of APDS, in een fase 2/3 registratiestudie in de VS en Europa.

Bovendien maken we ook gebruik van onze transgene productietechnologie voor de ontwikkeling van de volgende generatie eiwitvervangende therapieën, met name voor de ziekte van Pompe, welk programma zich momenteel in de preklinische fase bevindt.

Ga voor meer informatie naar www.pharming.com

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 Pharming's 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 Pharming's 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 2019 van Pharming en het verslag voor de zes maanden eindigend op 30 juni 2020, 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

Contacten

Pharming Group, Leiden

Sijmen de Vries, CEO: T: +31 71 524 7400

Susanne Embleton, Investor Relations Manager: T: +31 71 524 7400 E: investor@pharming.com

LifeSpring Life Sciences Communication, Amsterdam

Leon Melens

T: +31 6 53 81 64 27 E: pharming@lifespring.nl

FTI Consulting, Londen

Victoria Foster Mitchell/Alex Shaw/Mary Whittow

T: +44 203 727 1000