

Pharming meldt behandeling eerste patiënt in klinische multicenter fase IIb-studie met RUCONEST® ter preventie van acuut nierfalen na hartinfarct

- Klinische studie volgt op bemoedigende resultaten van een fase II studie die een statistisch significante verbetering van biomarkers voor nierfalen lieten zien bij patiënten die coronaire angiografie (met contrastvloeistof) ondergingen na behandeling met RUCONEST®
- Eerste patiënt in het Zwitserse Universitair Ziekenhuis Bazel behandeld; meerdere klinische centra in Zwitserland zullen zich bij de studie aansluiten

Leiden, 22 april 2021: Pharming Group N.V. ("Pharming" of "de Onderneming") (Euronext Amsterdam: PHARM/Nasdaq: PHAR) maakt bekend dat de eerste patiënt is behandeld in een dubbelblinde, gerandomiseerde, gecontroleerde fase IIb-studie naar de werkzaamheid van RUCONEST® voor de preventie van acuut nierfalen na een zogeheten non-ST-elevatie-myocardinfarct (non-STEMI), in het Universitair Ziekenhuis Bazel, Zwitserland.

In oktober 2018 publiceerde Pharming positieve resultaten van een door een onafhankelijke onderzoeker gestarte dubbelblinde, placebogecontroleerde klinische studie met RUCONEST® (recombinant humane C1-esteraseremmer of "rhC1INH") bij patiënten met een risico op acuut nierfalen na coronaire angiografie (onderzoek met contrastvloeistof). De positieve resultaten waren vooral duidelijk in de subgroep van patiënten die percutane coronaire interventies ondergingen, zoals het inbrengen van een stent.

De *intent-to-treat*-analyse in deze groep toonde aan dat patiënten na toediening van RUCONEST® binnen 48 uur een mediane procentuele verandering in de piek van urinaire neutrofiële gelatinase-geassocieerde lipocaline (NGAL), het primaire eindpunt voor het onderzoek en een algemeen erkende vroege marker van acuut nierfalen, vertoonden van 11,3% in de RUCONEST®-arm en 205,2% in de placebo-arm ($p = 0,001$). De algemene beoordeling van de studie toonde ook trends aan dat patiënten die meer invasieve interventies en procedures ondergingen waarvoor grotere hoeveelheden contrastmiddel nodig waren, meer baat hadden bij de behandeling met RUCONEST®.

Na deze bemoedigende resultaten zagen Pharming en de behandelend arts dr. Michael Osthoff van het Universitair Ziekenhuis van Bazel, de potentie voor een grotere, gerandomiseerde, gecontroleerde multicenter-studie naar de volledige rol van RUCONEST® bij de preventie van acuut nierfalen na percutane coronaire interventie bij een myocardinfarct. Indien effectief zou dit kunnen leiden tot de verdere ontwikkeling van RUCONEST® voor de preventie van acuut nierfalen ontstaan door allerlei oorzaken.

Prof. Bruno Giannetti, Chief Medical Officer van Pharming zegt:

"We zijn zeer verheugd over de start van deze belangrijke studie met RUCONEST® en hopen op een snelle verdere rekrutering van patiënten. Het ontwerp van deze klinische studie stelt ons in staat om belangrijke NGAL-niveaus te beoordelen, evenals een groot aantal klinische en laboratoriumparameters die waardevolle informatie zullen opleveren, niet alleen bij de beoordeling van acuut nierfalen door een myocardinfarct, maar ook in de toekomst door andere oorzaken. Als RUCONEST® effectief blijkt te zijn kan dit een belangrijke bijdrage leveren aan het

Over de studie

De dubbelblinde, gerandomiseerde, gecontroleerde studie naar de werkzaamheid van RUCONEST® ter preventie van acuut nierfalen na een non-ST-elevatie myocardinfarct (NSTEMI) omvat maximaal 220 patiënten. Het primaire eindpunt is het evalueren van de werkzaamheid van rhC1INH in vergelijking met placebo na percutane coronaire interventie (PCI) bij NSTEMI-patiënten door onderzoek van de piektoename van urinaire NGAL (urinaire neutrofiele gelatinase-geassocieerde lipocaline) binnen 24 uur na de behandeling. Bovendien zal de studie trachten een juiste dosering te vinden voor mogelijke toekomstige studies. Additionele eindpunten in de studie zijn onder meer de incidentie van acuut nierfalen gedefinieerd door een stijging van het serumcreatinine binnen 72 uur na angiografie, evenals cardiovasculaire en renale voorvallen en het gebruik van medische zorg en hulpmiddelen gedurende 6 maanden in verband met ziekenhuisopname. Het onderzoek zal worden uitgevoerd in verschillende centra in Zwitserland.

Over Acuut Nierfalen (AKI)

Acute nierinsufficiëntie (acuut nierfalen) treft ongeveer 20% van alle patiënten die in het ziekenhuis worden opgenomen. Het is gedefinieerd als snel verlopende nierschade en dysfunctie. Het is een belangrijke complicatie die zowel op de korte, maar ook op de lange termijn gevolgen kan hebben voor de patiënten. De incidentie kan tot meer dan 50% toenemen in zwaar zieke patiënten of wanneer er sprake is van risicofactoren zoals chronisch nierlijden, diabetes mellitus en medicijngebruik met schadelijke bijwerkingen op de nieren. Wanneer optredend als gevolg van een hartinfarct, kan acuut nierfalen veroorzaakt worden via verschillende oorzaken, zoals nierbeschadigende bijwerkingen van de gebruikte contrastvloeistof, maar ook zogenaamde ischemie- reperfusie-schade (ischemie) als gevolg van de plaatsing van stents.

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 complement- en contactcascade 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 fosfoïnositide 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 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 2020 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.

Neem voor meer informatie contact op met:

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

FTI Consulting, Londen

Victoria Foster Mitchell/Mary Whittow,

T: +44 203 727 1000

LifeSpring Life Sciences Communication, Amsterdam



Leon Melens

T: +31 6 53 81 64 27

E: pharming@lifespring.nl