

## Pharming meldt bemoedigende resultaten met RUCONEST® bij COVID-19-patiënten

- Vijf in ziekenhuis opgenomen patiënten met bevestigde COVID-19-infecties kregen RUCONEST® toegediend voor de behandeling van gerelateerde ernstige longontsteking in een zogeheten ‘*compassionate use*’-programma
- Internationale, gerandomiseerde, gecontroleerde, door de onderzoeker geïnitieerde studie met maximaal 150 patiënten gepland

**Leiden, 21 april 2020:** Pharming Group NV ("Pharming" of "de Onderneming") (Euronext Amsterdam: PHARM) maakt bemoedigende resultaten bekend van de behandeling met RUCONEST® (recombinant humane C1-remmer) van vijf patiënten met bevestigde COVID-19 (SARS-CoV-2)-infecties, die in het ziekenhuis waren opgenomen met gerelateerde ernstige longontsteking. De behandeling vond plaats in het kader van een zogeheten ‘*compassionate use*’-programma in het Universitair Ziekenhuis Basel, Zwitserland.

Vier mannen en één vrouw in leeftijden tussen 53 en 85 jaar met COVID-19 en gerelateerde ernstige longontsteking, waarvan de situatie ondanks de standaardbehandeling met onder andere hydroxychloroquine en lopinavir/ritonavir, niet verbeterde, kregen RUCONEST® toegediend in een startdosis van 8400 U, en 4200 U in elk van de drie om de 12 uur daaropvolgend toegediende doses. Er werden geen allergische reacties, noch enige geneesmiddel-gerelateerde bijwerkingen gemeld.

Na behandeling met RUCONEST® verdween de koorts bij vier van de vijf patiënten binnen 48 uur en namen de ontstekingswaarden in het bloed aanzienlijk af (CRP, IL-6). Kort daarna werden de patiënten volledig hersteld uit het ziekenhuis ontslagen. Eén patiënt had een verhoogde zuurstofbehoefte en werd voor beademing tijdelijk naar de Intensive Care afdeling overgebracht, maar herstelde in de daaropvolgende dagen en is inmiddels weer van die afdeling af.

Na deze eerste resultaten is een multinationale, gerandomiseerde, gecontroleerde, door de onderzoeker geïnitieerde klinische studie gepland met maximaal 150 patiënten met bevestigde COVID-19-infecties en waarvoor ziekenhuisopname vereist is vanwege ernstige COVID-19 symptomen. De studie zal onder leiding staan van Dr. Michael Osthoff van het Universitair Ziekenhuis Basel, Zwitserland.

### **Dr. Michael Osthoff van het Universitair Ziekenhuis Basel, Zwitserland en behandelend arts, zegt:**

*“Hoewel dit een niet-gecontroleerde, beperkte behandeling betreft, tonen de resultaten de potentiële effectiviteit aan van het gebruik van RUCONEST® als ontstekingsremmende aanpak voor de remming van het complement- en het contactsystemen na infectie met SARS-CoV-2. We zijn nu bezig met het plannen van een multinationale, gerandomiseerde gecontroleerde studie met maximaal 150 patiënten voor een beter begrip van de veiligheid en werkzaamheid van deze aanpak bij het voorkomen van een verslechtering bij COVID-19-patiënten.”*

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

*"Sommige van de gevaarlijke biochemische processen die optreden tijdens de verergering van een COVID-19-infectie tot een levensbedreigende longontsteking, worden waarschijnlijk veroorzaakt door complementactivering als onderdeel van een systemisch hyper-inflammatoir syndroom, ook wel bekend als een 'cytokinestorm'. C1-remmer heeft talrijke ontstekingsremmende eigenschappen, waaronder remming van het complement- en het contactsysteem. Een 'compassionate use' behandeling bij enkele patiënten die leden aan COVID-19-longontsteking was daarom wetenschappelijk verantwoord en de voorlopige resultaten zijn zeer bemoedigend. We dienen onder andere nog het juiste tijdstip voor de start van de RUCONEST®-behandeling en het optimale doseringsregime beter te identificeren. Het geplande multinationale onderzoek onder leiding van de Universiteit van Basel is specifiek gericht op het verkrijgen van deze informatie."*

**=== EINDE PERSBERICHT ===**

**Over Pharming Group N.V.**

Pharming is een gespecialiseerde farmaceutische onderneming die innovatieve producten ontwikkelt voor de veilige, effectieve behandeling van zeldzame ziekten en onvervulde medische behoeften. Het belangrijkste product van Pharming, RUCONEST® (conestat alfa) is een recombinante humane C1-esteraseremmer die is goedgekeurd voor de behandeling van acute erfelijke angio-oedeemaanvallen ("HAE") bij patiënten in Europa, de VS, Israël en Zuid-Korea. Het product is op named-patient-basis beschikbaar in andere gebieden waar het nog geen marktvergunning heeft verkregen.

RUCONEST® wordt door Pharming verkocht in de VS en in Europa, en de onderneming bezit alle andere commercialiseringsrechten in andere landen die hieronder niet worden vermeld. In sommige van deze andere landen vindt distributie plaats in samenwerking met het HAEi Global Access Program (GAP). RUCONEST® wordt gedistribueerd in Argentinië, Colombia, Costa Rica, de Dominicaanse Republiek, Panama en Venezuela door Cytobiotech, in Zuid-Korea door HyupJin Corporation en in Israël door Kamada.

RUCONEST® wordt ook geëvalueerd voor verschillende aanvullende indicaties. Het technologieplatform van Pharming omvat een uniek productieproces dat heeft bewezen in staat te zijn om industriële hoeveelheden pure hoogwaardige recombinante menselijke eiwitten op een meer economische en minder immunogene manier te produceren in vergelijking met de huidige celmethoden.

Leads voor enzymvervangingstherapie ("ERT") voor de ziekten van Pompe en Fabry worden momenteel ook geproduceerd en geoptimaliseerd.

Pharming heeft onlangs leniolisib in licentie gekregen van Novartis. Leniolisib is een klein molecuul en selectieve PI3Kδ-remmer, die deel uitmaakt van een registratiestudie voor geactiveerd PI3K-delta-syndroom (APDS), een zeldzame vorm van primaire immuundeficiëntie.

Pharming heeft een langetermijnpartnerschap met het China State Institute of Pharmaceutical Industry ("CSIPI"), een Sinopharm-onderneming, voor gezamenlijke wereldwijde ontwikkeling van nieuwe producten, beginnend met recombinante humane factor VIII voor de behandeling van hemofilie A. Preklinische ontwikkeling en productie zullen plaatsvinden volgens wereldwijde standaarden bij CSIPI en haar dochterondernemingen en worden gefinancierd door CSIPI. Klinische ontwikkeling wordt gedeeld tussen de partners, waarbij elke partner de kosten voor zijn grondgebied draagt in het kader van het partnerschap.

### **Toekomstgerichte verklaringen**

*Dit persbericht van Pharming Group NV en haar dochterondernemingen ("Pharming", de "Onderneming" of de "Groep") kan toekomstgerichte verklaringen bevatten, waaronder, maar niet beperkt tot die met betrekking tot Pharmings financiële projecties, marktverwachtingen, ontwikkelingen, partnerschappen, plannen, strategieën en kapitaaluitgaven.*

*De Onderneming waarschuwt dat dergelijke vooruitblikkende verklaringen bepaalde risico's en onzekerheden kunnen inhouden en dat de werkelijke resultaten kunnen verschillen. Risico's en onzekerheden omvatten, zonder beperking, het effect van concurrerende, politieke en economische factoren, juridische claims, het vermogen van het bedrijf om intellectueel eigendom te beschermen, schommelingen in wisselkoersen en rentetarieven, wijzigingen in belastingwetten of -tarieven, wijzigingen in wetgeving of boekhoudpraktijken en het vermogen om nieuwe producten, markten of technologieën te identificeren, ontwikkelen en met succes te commercialiseren.*

*Dientengevolge kunnen de werkelijke prestaties, positie en financiële resultaten en verklaringen van de Onderneming wezenlijk verschillen van de plannen, doelstellingen en verwachtingen die zijn uiteengezet in dergelijke toekomstgerichte verklaringen. De Onderneming neemt geen verplichting op zich om toekomstgerichte verklaringen of informatie bij te werken, die moeten worden genomen vanaf de respectieve uitgiftegegevens, tenzij vereist door wet- of regelgeving.*

### **Contact**

#### **Pharming Group N.V.**

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

Susanne Embleton, Manager Investor Relations: T: +31 71 524 7400

#### **LifeSpring Life Sciences Communication, Amsterdam**

Leon Melens :

T: +31 6 538 16 427

lmelens@lifespring.nl

#### **FTI Consulting, Londen**

Victoria Foster Mitchell

T: +44 203 727 1136