

Pharming ontvangt voor leniolisib goedkeuring voor pediatrisch onderzoeksplan (PIP) en aanduiding als veelbelovend innovatief medicijn (PIM) van Britse toezichthouder voor geneesmiddelen

PIP bestrijkt het regulatoire traject voor marktgoedkeuring van leniolisib ter behandeling van kinderen met APDS

Een Promising Innovative Medicine (PIM)-aanduiding is een vroege indicatie dat leniolisib mogelijk al vóór marktgoedkeuring door patiënten mag worden gebruikt

Leiden, 26 april 2022: Pharming Group N.V. (“Pharming” of “de Onderneming”) (EURONEXT Amsterdam: PHARM/Nasdaq: PHAR) heeft een positieve beslissing ontvangen van de Britse Medicines and Healthcare Products Regulatory Agency (MHRA) over een ingediend Pediatric Investigation Plan (PIP) voor leniolisib, een orale, selectieve fosfoinositide-3-kinase-delta (PI3K δ)-remmer, voor de behandeling van geactiveerd fosfoinositide 3-kinase-delta-syndroom (APDS) bij patiënten van 1 tot 18 jaar. Daarnaast heeft de MHRA de zogeheten Promising Innovative Medicine (PIM)-status toegekend aan leniolisib voor de behandeling van APDS.

Een PIP is een ontwikkelingsplan dat ervoor moet zorgen dat de benodigde gegevens worden verkregen ter ondersteuning van de vergunning voor het in de handel brengen van een geneesmiddel bij de pediatrische populatie. Voor alle aanvragen voor het in de handel brengen van nieuwe geneesmiddelen bij kinderen zijn de resultaten van onderzoeken nodig zoals beschreven in een overeengekomen PIP, tenzij het geneesmiddel is vrijgesteld vanwege uitstel of ontheffing. De PIP met leniolisib omvat twee geplande wereldwijde klinische onderzoeken bij pediatrische patiënten met APDS, de eerste bij kinderen van 4-11 jaar en de tweede bij kinderen van 1-6 jaar. Pharming verwacht in de tweede helft van 2022 de rekrutering van patiënten voor dit pediatrische onderzoek te starten.

Een PIM-aanduiding geeft aan dat een geneesmiddel een veelbelovende kandidaat is voor het Early Access to Medicines Scheme (EAMS) van de MHRA. EAMS biedt voor patiënten voorafgaand aan marktgoedkeuring toegang tot producten die bedoeld zijn voor de behandeling, diagnose of preventie van een levensbedreigende of ernstig slopende aandoening en die het potentieel hebben om in een onvervulde medische behoefte te voorzien.

Anurag Relan MD, Pharmings Chief Medical Officer, zegt in reactie:

“We zijn bijzonder verheugd over de goedkeuring van deze PIP en toekenning van de PIM-aanduiding door de Britse toezichthouder MHRA, twee voor Pharming belangrijke regulatoire mijlpalen. Tegelijkertijd blijven we leniolisib verder ontwikkelen voor de behandeling van APDS, een zeldzame, vaak slopende en soms dodelijke aandoening. De overeengekomen PIP, alsmede de PIM-aanduiding ondersteunen voorts ons vertrouwen in het potentieel van leniolisib voor de aanpak van APDS en bieden ons een weg naar een vergunning voor het in de handel brengen in het Verenigd Koninkrijk. We zien uit naar voortgaande samenwerking met toezichthoudende instanties wereldwijd voor een zo snel als mogelijke marktintroductie van leniolisib voor patiënten met deze belangrijke onvervulde medische behoefte.”

Leniolisib, dat in Europa de status van weesgeneesmiddel werd toegekend, ontving op 30 januari 2018 dezelfde status van de Amerikaanse Food and Drug Administration.

Zoals eerder aangekondigd, is Pharming voornemens om in het tweede kwartaal van 2022 te starten met het indienen van wereldwijde registratieaanvragen voor leniolisib en, onder voorbehoud van goedkeuring, in het eerste kwartaal van 2023 met de lancering van de behandeling in de VS en een reeks Europese lanceringen in de tweede helft van 2023.

=== EINDE PERSBERICHT ===**Over geactiveerd fosfoinositide-3-kinase--syndroom (APDS)**

APDS is een zeldzame primaire immunodeficiëntie die ongeveer één tot twee mensen per miljoen treft. Ook wel bekend als PASLI, wordt het veroorzaakt door varianten in een van de twee genen PIK3CD of PIK3R1 die de rijping van witte bloedcellen reguleren. Varianten van deze genen leiden tot hyperactiviteit van de PI3K δ -route (fosfoinositide 3-kinase-delta).^{1,2} Gebalanceerde signalering in de PI3K δ -route is essentieel voor de fysiologische immuunfunctie. Wanneer deze route hyperactief is, kunnen immuuncellen niet rijpen en niet goed functioneren, wat leidt tot immuundeficiëntie en ontregeling.^{1,3} APDS wordt gekenmerkt door ernstige, terugkerende sinopulmonale infecties, lymfoproliferatie, auto-immuniteit en enteropathie.^{4,5} Omdat deze symptomen in verband kunnen worden gebracht met een verscheidenheid aan aandoeningen, waaronder primaire immunodeficiënties, wordt voor mensen met APDS vaak een onjuiste diagnose gesteld en hebben een mediane diagnostische vertraging van 7 jaar.⁶ Aangezien APDS een progressieve ziekte is, kan deze vertraging in de loop van de tijd leiden tot een opeenstapeling van schade, waaronder permanente longschade en lymfeklierkanker.⁴⁻⁷ De enige manier om deze aandoening definitief vast te stellen, is door middel van genetisch onderzoek.

Over Leniolisib

Leniolisib is een kleinmoleculige remmer van de delta-isoform van de 110 kDa katalytische sub-eenheid van klasse IA PI3K met immunomodulerende en mogelijk antineoplastische activiteiten. Leniolisib remt de productie van fosfatidylinositol-3-4-5-trisfosfaat (PIP3). PIP3 dient als een belangrijke cellulaire boodschapper die specifiek AKT activeert (via PDK1) en reguleert een groot aantal celfuncties zoals proliferatie, differentiatie, cytokineproductie, celoverleving, angiogenese en metabolisme. In tegenstelling tot PI3K α en PI3K β die alom tot expressie worden gebracht, worden PI3K δ en PI3K γ voornamelijk tot expressie gebracht in cellen van hematopoëtische oorsprong. De centrale rol van PI3K δ bij het reguleren van talrijke cellulaire functies van het adaptieve immuunsysteem (B-cellen en in mindere mate T-cellen) en het aangeboren immuunsysteem (neutrofielen, mestcellen en macrofagen), geeft sterk aan dat PI3K δ een geldig en potentieel effectief therapeutisch doelwit voor verschillende immuunziekten is.

Tot op heden is gebleken dat leniolisib veilig is en goed werd verdragen tijdens de fase 1 first-in-human studie bij gezonde proefpersonen en in de 12 weken durende dosis-escalatiestudie bij APDS-patiënten.

Over Pharming Group N.V.

Pharming Group N.V. (EURONEXT Amsterdam: PHARM/Nasdaq: PHAR) is een wereldwijd biofarmaceutisch bedrijf dat zich toelegt op het transformeren van het leven van patiënten met zeldzame, slopende en levensbedreigende aandoeningen. Pharming commercialiseert en ontwikkelt een innovatief portfolio van eiwitvervangende therapieën en precisiegeneesmiddelen, waaronder kleine moleculen, biologische geneesmiddelen en genterapieën die zich in een vroeg tot laat stadium van ontwikkeling bevinden. Pharming heeft zijn hoofdkantoor in Leiden en heeft medewerkers over de hele wereld die patiënten bedienen in meer dan 30 markten in Noord-Amerika, Europa, het Midden-Oosten, Afrika en Azië-Pacific. 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.

Noten:

1. Lucas CL, et al. Nat Immunol. 2014;15:88-97.
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. 2019;May 21.
7. Condliffe AM, Chandra A. Front Immunol. 2018;9:338.

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, London, VK

Victoria Foster Mitchell/Alex Shaw: T: +44 203 727 1000

FTI Consulting, USA

Jim Polson: T: +1 (312) 553-6730



US PR:

Emily VanLare

E: Emily.VanLare@precisionvh.com

T: +1 (203) 985 5596

EU PR:

Dan Caley

E: Dan.caley@aprilsix.com

T: +44 (0) 787 546 8942