

Pharming meldt presentatie van studie met RUCONEST® tijdens de jaarlijkse bijeenkomst van de American Academy of Allergy, Astma & Immunology (AAAAI)

Pharming gaat het Michael M. Frank, MD, Lectoraat van de AAAAI Foundation financieel ondersteunen

Leiden, 25 februari 2019, Pharming Group N.V. ("Pharming" of "de Onderneming") (Euronext Amsterdam: PHARM) maakt de presentatie bekend van een 'abstract' van een studie naar het gebruik van RUCONEST® ter preventie van erfelijk angio-oedeem (HAE) voorafgaand aan een tandheelkundige behandeling. De presentatie vond plaats tijdens de jaarlijkse bijeenkomst van de American Academy of Allergy, Astma & Immunology (AAAAI) van 22-25 februari in San Francisco.

Daarnaast gaat Pharming het Michael M. Frank, MD Lectoraat van de AAAAI Foundation financieel ondersteunen.

De presentatie van de studie was genaamd: *Recombinant humane C1-esteraseremmer als kortetermijnprofylaxe voorafgaand aan tandheelkundige procedures bij patiënten met erfelijk angio-oedeem: A Case Series*, door Anna Valeriewa, MD, PhD et al. Het betrof een retrospectieve studie bij patiënten met erfelijk angio-oedeem uit Europa en de Verenigde Staten die RUCONEST® (C1-esteraseremmer [recombinant]) toegediend kregen ter preventie van een HAE-aanval voorafgaand aan een tandheelkundige behandeling. De auteurs concludeerden dat kortdurende profylaxe met RUCONEST®, toegediend bij volwassenen binnen zo'n zestig minuten voorafgaand aan de ingreep, werkzaam en veilig was en dat het risico op een aanval na de ingreep was afgenomen.

De betreffende presentatie kan [hier](#) worden bekeken.

Pharming maakt daarnaast bekend een van de nieuwe lectoraten van de AAAAI-stichting financieel te gaan ondersteunen. Het lectoraat financiert onderzoek dat moet leiden tot de preventie en genezing van astma en allergische en immunologische aandoeningen. Dit jaar eert de AAAAI Foundation het levenswerk van Dr. Michael Frank met de oprichting van het *Michael M. Frank MD, FAAAAI Lectoraat*.

"Michael Frank heeft zijn carrière gewijd aan het verbeteren van de levens van HAE-patiënten, waardoor hij de uitgelezen kandidaat was voor dit lectoraat", zegt Jonathan Bernstein, MD, FAAAAI-Lectureships en Major Gifts Chair AAAAI Foundation. *We zijn Pharming dankbaar voor de steun bij de start van dit Michael Frank-lectorat*".

Bovengenoemde presentatie zal na afloop van het congres ook op de website van Pharming worden gepubliceerd www.pharming.com.

=== EINDE PERSBERICHT ===

BELANGRIJKE INFORMATIE

Dit bericht is een vertaling van het originele Engelstalige persbericht. In geval van verschillen ten gevolge van vertaling of verschillen in interpretatie, geldt het originele Engelstalige persbericht als leidend.

Over erfelijk angio-oedeem

Erfelijk angio-oedeem (HAE) is een zeldzame genetische aandoening. De symptomen zijn spontane en terugkerende perioden van zwelling (oedeemaanvallen) van de huid in verschillende delen van het lichaam, evenals in de luchtwegen en interne organen. Oedeem van de huid beïnvloedt meestal de ledematen, het gezicht en de geslachtsorganen. Patiënten die aan dit soort oedemen lijden, trekken zich vaak terug uit het sociale leven vanwege de vervorming, het ongemak en de pijn die deze symptomen kunnen veroorzaken. Bijna alle HAE-patiënten lijden aan aanvallen van hevige buikpijn, misselijkheid, braken en diarree veroorzaakt door zwelling van de darmwand.

Oedeem van de keel, neus of tong kan bijzonder gevaarlijk zijn, omdat dit kan leiden tot obstructie van de luchtwegpassages en mogelijk levensbedreigend kan zijn. Hoewel er momenteel geen remedie voor HAE bekend is, is het mogelijk om de symptomen die gepaard gaan met oedeemaanvallen te behandelen. HAE treft ongeveer 1 op 10.000 tot 1 op 50.000 mensen. Wereldwijd denken experts dat veel patiënten nog steeds naar de juiste diagnose zoeken. Hoewel HAE (in principe) eenvoudig te diagnosticeren is, wordt het vaak pas laat of helemaal niet ontdekt.

De reden dat voor HAE vaak een onjuiste diagnose wordt gesteld, is omdat de symptomen vergelijkbaar zijn met die van veel andere vaak voorkomende aandoeningen zoals allergieën of blindedarmontsteking. Tegen de tijd dat de diagnose correct wordt gesteld, heeft de patiënt vaak een langdurige beproeving doorstaan.

Over RUCONEST®

US INDICATION

RUCONEST® (C1 esterase inhibitor [recombinant]) is indicated for the treatment of acute attacks in adult and adolescent patients with hereditary angioedema (“HAE”). Effectiveness in clinical studies was not established in HAE patients with laryngeal attacks.

IMPORTANT SAFETY INFORMATION

- RUCONEST® (C1 esterase inhibitor [recombinant]) is contraindicated in:
 - Patients with a history of allergy to rabbits or rabbit-derived products.
 - Patients with a history of life-threatening immediate hypersensitivity reactions to C1 esterase inhibitor preparations, including anaphylaxis.
- **Hypersensitivity:** Severe hypersensitivity reactions may occur. Should symptoms occur, discontinue RUCONEST and administer appropriate treatment. Because hypersensitivity reactions may have symptoms similar to HAE attacks, treatment methods should be carefully considered.
- **Thromboembolic Events:** Serious arterial and venous thromboembolic (TE) events have been reported at the recommended dose of plasma-derived C1 esterase inhibitor products in patients with risk factors. Risk factors may include the presence of an indwelling venous catheter/access device, prior history of thrombosis, underlying atherosclerosis, use of oral contraceptives or certain androgens, morbid obesity, and immobility. Monitor patients with known risk factors for TE events during and after RUCONEST administration.
- **Intravenous Use:** RUCONEST is for intravenous use after reconstitution only. No more than 2 doses should be administered within a 24-hour period.
- **Pregnancy and Nursing:** RUCONEST has not been studied in pregnant women; therefore, it should only be used during pregnancy if clearly needed. Advise patients to notify their physician if they are breastfeeding or plan to breastfeed.
- **Adverse reactions:** The serious adverse reaction in clinical studies of RUCONEST was anaphylaxis.

- **Common adverse reactions:** The most common adverse reactions (incidence $\geq 2\%$) were headache, nausea, and diarrhoea.

Please see Full Prescribing Information for RUCONEST® as applicable for various jurisdictions:
[FDA: RUCONEST®\[1\]](#) / [EMA: RUCONEST®\[2\]](#)

Over Pharming Group N.V.

Pharming is een gespecialiseerde farmaceutische onderneming die innovatieve producten ontwikkelt voor de veilige, effectieve behandeling van zeldzame ziekten en onervulde medische behoeften. Pharmings leidende product, RUCONEST® (conestat alfa), is een recombinante menselijke C1-esteraseremmer die is goedgekeurd voor de behandeling van acute erfelijke angio-oedeem ("HAE") -aanvallen bij patiënten in Europa, de VS, Israël en Zuid-Korea. Het product is beschikbaar op naam-patiëntbasis in andere gebieden waar het nog geen handelsvergunning heeft verkregen.

RUCONEST® wordt gedistribueerd door Pharming in Oostenrijk, Frankrijk, Duitsland, Luxemburg, Nederland, het Verenigd Koninkrijk en de Verenigde Staten van Amerika. Pharming houdt commercialisatierechten in Algerije, Andorra, Bahrein, België, Ierland, Jordanië, Koeweit, Libanon, Marokko, Oman, Portugal, Qatar, Syrië, Spanje, Zwitserland, Tunesië, de Verenigde Arabische Emiraten en Jemen. In sommige van deze landen wordt de distributie uitgevoerd in samenwerking met het HAEi Global Access Program (GAP).

RUCONEST® wordt gedistribueerd door de Zweedse Orphan Biovitrum AB (publ) (SS: SOBI) in de andere EU-landen, en in Azerbeidzjan, Wit-Rusland, Georgië, IJsland, Kazachstan, Liechtenstein, Noorwegen, Rusland, Servië en Oekraïne.

RUCONEST® wordt gedistribueerd in Cytobioteck in Colombia, Costa Rica, de Dominicaanse Republiek, Panama en Venezuela, in Zuid-Korea door HyupJin Corporation en in Israël door Kamada.

RUCONEST® wordt ook onderzocht voor goedkeuring voor de behandeling van HAE bij jonge kinderen (2-13 jaar oud) en geëvalueerd voor verschillende aanvullende vervolgingindicaties.

Het technologieplatform van Pharming bevat een uniek, GMP-compatibel, gevalideerd proces voor de productie van pure recombinante menselijke eiwitten waarvan bewezen is dat ze industriële hoeveelheden van hoogwaardige recombinante menselijke eiwitten kunnen produceren op een meer economische en minder immunogenetische manier in vergelijking met de huidige cellijnmethoden.

Leads voor enzymvervangings therapie ("ERT") voor de ziekten van Pompe en Fabry worden momenteel geoptimaliseerd, waarbij aanvullende programma's zonder ERT ook in een vroeg stadium worden verkend.

Pharming heeft een langetermijnpartnerschap met het China State Institute of Pharmaceutical Industry ("CSIPI"), een bedrijf van Sinopharm, voor gezamenlijke wereldwijde ontwikkeling van nieuwe producten, te beginnen met recombinante menselijke factor VIII voor de behandeling van hemofilie A. Preklinische ontwikkeling en productie vindt plaats naar wereldwijde standaarden op CSIPI en wordt gefinancierd door CSIPI. Klinische ontwikkeling zal worden gedeeld tussen de partners waarbij elke partner de kosten voor hun territoria onder het partnerschap neemt.

Aanvullende informatie is beschikbaar op de Pharming-website: www.pharming.com

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 Pharming's 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 uitgiftedata, tenzij vereist door wet- of regelgeving.

Voor vragen van de media:

Pharming Group N.V.

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

Dr Bruno Giannetti: T: +31 71 524 7170

LifeSpring Life Sciences Communication, Amsterdam

Leon Melens, Tel: +31 6 53 81 64 27

FTI Consulting, London, VK

Julia Phillips/ Victoria Foster Mitchell, T: +44 203 727 1136