

Pharming meldt indiening van registratiedossier voor toelating tot de Europese markt voor leniolisib bij het Europees Geneesmiddelenagentschap (EMA)

- Het registratiedossier is gebaseerd op gerandomiseerde, gecontroleerde en lange-termijn-extensie studiegegevens voor leniolisib als behandeling van APDS, een zeldzame primaire aandoening aan het immuunsysteem
- De indiening van het dossier volgt op de toekenning door het EMA van een ‘versnelde beoordeling’ van leniolisib, waardoor deze beoordeling zal worden afgerond na 150 i.p.v. 210 dagen

Leiden, 11 oktober 2022: [Pharming Group N.V.](#) (“Pharming” of “de Onderneming”), (EURONEXT Amsterdam: PHARM/Nasdaq: PHAR), maakt bekend dat het het registratiedossier voor leniolisib, benodigd voor de vergunningaanvraag voor toelating tot de markt (*Marketing Authorisation Application* (MAA)), heeft ingediend bij het Europees Geneesmiddelenagentschap EMA. Leniolisib is een orale, selectieve fosfoïnositide-3-kinase-delta (PI3K δ)-remmer voor de behandeling van geactiveerd fosfoïnositide 3-kinase-delta-syndroom (APDS), een zeldzame primaire aandoening aan het immuunsysteem bij volwassenen en adolescenten van 12 jaar of ouder.

Al op 1 augustus van dit jaar ontving Pharming van het *Committee for Medicinal Products for Human Use* (CHMP), het geneesmiddelen-beoordelingscomité van het EMA, de mededeling dat de toen nog in te dienen registratieaanvraag van leniolisib versneld zou worden beoordeeld. Dit verkort de beoordelingstermijn van 210 naar 150 dagen. Op verzoek verleent het EMA een ‘versnelde beoordeling’ van een vergunningaanvraag als het een product van groot belang acht voor de volksgezondheid, in het bijzonder vanuit het oogpunt van therapeutische innovatie. Marktgoedkeuring voor leniolisib in de Europese Economische Ruimte (EER) wordt verwacht in de eerste helft van 2023.

Anurag Relan, Chief Medical Officer van Pharming, zegt in reactie:

“De indiening van deze aanvraag in het kader van een versneld regulatorisch traject, is een belangrijke stap in de richting van goedkeuring van ons tweede product in Europa (EER) en benadrukt het commitment van Pharming om leniolisib verder te ontwikkelen als behandeling van patiënten met APDS. Er is een aanzienlijke onvervulde behoefte aan therapieën die de toestand van deze patiënten kan verbeteren. Zonder behandeling kan APDS leiden tot permanente longschade en lymfeklierkanker. Leniolisib is in potentie de eerste goedgekeurde therapie voor deze zeldzame en als ‘weesziekte’ aangewezen aandoening. We kijken uit naar voortzetting van onze samenwerking met alle belangrijke betrokkenen bij het beschikbaar krijgen voor patiënten van dit nieuwe medicijn.”

De aanvraag wordt ondersteund door de op 2 februari van die jaar gepubliceerde positieve data van een klinische fase II/III-studie met leniolisib, die voldeden aan de co-primaire eindpunten: vermindering van de grootte van de index-lymfeklieren en herstel van de afweerstoornis in de doel-populatie. Bovendien toonden veiligheidsgegevens uit het onderzoek aan dat leniolisib goed werd

verdragen door de deelnemers. Als onderdeel van de aanvraag werden ook gegevens ingediend van een langlopende, open-label klinische extensiestudie bij patiënten met APDS behandeld met leniolisib.

=== 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, is het originele Engelstalige persbericht leidend.

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 immuundeficiënties, 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 een genetische test.

Over leniolisib

Leniolisib is een kleinmoleculaire remmer van de delta-isoform van de 110 kDa katalytische subeenheid 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 totdat 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 valide en potentieel effectief therapeutisch *target* voor verschillende immuunziekten is. Tot op heden is gebleken dat leniolisib veilig is en goed werd verdragen tijdens zowel de fase 1 *first-in-human* studie bij gezonde proefpersonen als in de klinische fase II/III registratiestudie.

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 gentherapieën 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 of volg ons op [LinkedIn](#).

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 2021 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.

Neem voor meer informatie contact op met:

Pharming Group, Leiden

Heather Robertson, Investor Relations & Corporate Communications 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, VK

Victoria Foster Mitchell/Alex Shaw/Amy Byrne

T: +44 203 727 1000

VS PR:

Ethan Metelenis

T: +1 (917) 882 9038

E: Ethan.Metelenis@precisionvh.com

EU PR:

Dan Caley

T: +44 (0) 787 546 8942

E: Dan.caley@aprilsix.com