

Pharming meldt acceptatie van ingediend registratiedossier leniolisib door Europees Geneesmiddelenagentschap (EMA) onder versneld beoordelingsregime

Toelating tot de markt in de Europese Economische Ruimte verwacht in het eerste halfjaar van 2023

Leiden, 28 oktober 2022: [Pharming Group N.V.](#) ("Pharming" of "het bedrijf") (EURONEXT Amsterdam: PHARM/Nasdaq: PHAR) maakt bekend dat het ingediende registratiedossier bij de vergunningaanvraag voor toelating tot de markt (*Marketing Authorisation Application* (MAA)) van leniolisib is geaccepteerd voor wetenschappelijke evaluatie onder versnelde beoordeling door het *Committee for Medicinal Products for Human Use* (CHMP), het geneesmiddelen-beoordelingscomité van het Europees Geneesmiddelenagentschap (EMA). Het dossier dat eerder in oktober werd ingediend, betreft het kandidaat-medicijn leniolisib, een orale, selectieve fosfoinositide 3-kinase-delta (PI3K δ)-remmer, voor de behandeling voor geactiveerd fosfoinositide 3-kinase-deltasyndroom (APDS), een zeldzame primaire aandoening aan het immuunsysteem bij adolescenten en volwassenen van 12 jaar of ouder.

In augustus 2022 maakte Pharming bekend dat het registratiedossier van leniolisib door EMA's CHMP versneld zou worden beoordeeld. Dit verkort de beoordelingstermijn van 210 naar 150 dagen. Op verzoek verleent het EMA een 'versnelde beoordeling' van een registratiedossier 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.

De aanvraag wordt ondersteund door de op 2 februari van dit 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.

Anurag Relan, MD, MPH, Chief Medical Officer van Pharming, zegt:

"De acceptatie door het EMA van ons ingediende registratie voor wetenschappelijke evaluatie onder versnelde beoordeling benadrukt het commitment van Pharming om leniolisib verder te ontwikkelen als behandeling voor volwassenen en adolescenten van 12 jaar of ouder met APDS. Leniolisib zal voorzien in een onvervulde behoefte van patiënten met APDS, die momenteel afhankelijk zijn van ondersteunende therapieën ter behandeling van hun primaire symptomen. Deze beoordeling vormt een belangrijke mijlpaal voor de inspanningen van Pharming om zorgverleners en hun patiënten wereldwijde toegang tot leniolisib te geven. We zien uit naar de samenwerking met het EMA tijdens het regulatoire proces."

=== 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 immunofunctie. Wanneer deze route hyperactief is, kunnen immuuncellen niet rijpen en niet goed functioneren, wat leidt tot immunodeficiëntie 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 een genetische test.

Over leniolisib

Leniolisib is een kleinmoleculaire 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 toel expressie worden gebracht, worden PI3K δ en PI3K γ voornamelijk toel 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 toelgt 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 toel 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 kan toekomstgerichte verklaringen bevatten. Toekomstgerichte verklaringen zijn verklaringen van toekomstverwachtingen die zijn gebaseerd op de huidige verwachtingen en veronderstellingen van het management en die bekende en onbekende risico's en onzekerheden met zich meebrengen, die ertoe kunnen leiden dat de werkelijke resultaten, prestaties of gebeurtenissen wezenlijk verschillen van die welke in deze verklaringen worden uitgedrukt of geïmpliceerd. Deze toekomstgerichte verklaringen worden geïdentificeerd door hun gebruik van termen en uitdrukkingen zoals "streven", "ambitie", "anticiperen", "geloven", "kunnen", "schatten", "verwachten", "doelen", "van plan", "misschien", "mijlpalen", "doelstellingen", "vooruitzichten", "plan", "waarschijnlijk", "project", "risico's", "planning", "zoeken", "moeten", "doel", "zal" en soortgelijke termen en uitdrukkingen. Voorbeelden van toekomstgerichte verklaringen kunnen verklaringen zijn met betrekking tot de timing en voortgang van Pharmings preklinische studies en klinische onderzoeken van zijn productkandidaten, de klinische en commerciële vooruitzichten van Pharming en de verwachtingen van Pharming met betrekking tot zijn verwachte werkkapitaalvereisten en contante middelen, welke verklaringen onderhevig zijn aan op een aantal risico's, onzekerheden en veronderstellingen, waaronder, maar niet beperkt tot, de omvang, voortgang en uitbreiding van de klinische onderzoeken van Pharming en de 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 zijn beschreven in Pharmings Jaarverslag 2021 en het Jaarverslag op Form 20-F over het jaar eindigend op 31 december 2021, ingediend bij de U.S. Securities and Exchange Commission, zijn de gebeurtenissen en omstandigheden die in dergelijke toekomstgerichte verklaringen worden besproken, kunnen zich niet voordoen, en de werkelijke resultaten van Pharming kunnen wezenlijk en nadelig verschillen van de verwachte of geïmpliceerde resultaten. Alle toekomstgerichte verklaringen in dit persbericht worden uitdrukkelijk in hun geheel gekwalificeerd door de waarschuwende verklaringen die in deze sectie zijn opgenomen of waarnaar in deze sectie wordt verwezen. Lezers mogen niet overmatig vertrouwen op toekomstgerichte verklaringen. Toekomstgerichte verklaringen gelden alleen op de datum van dit persbericht en zijn gebaseerd op informatie die beschikbaar is voor Pharming op de datum van dit persbericht. Pharming neemt geen enkele verplichting op zich om toekomstgerichte verklaringen publiekelijk bij te werken of te herzien als gevolg van nieuwe informatie, toekomstige gebeurtenissen of andere informatie.

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