

Pharming Group presenteert nieuwe data over zeldzame ziekten tijdens jaarlijkse wetenschappelijke bijeenkomst van het American College of Allergy, Asthma & Immunology (ACAAI 2025)

Leiden, 20 oktober 2025: Pharming Group N.V. ("Pharming" of "de "Onderneming"), (Euronext: PHARM; Nasdaq: PHAR), meldt dat 12 zogeheten *abstracts* zijn geaccepteerd voor presentatie tijdens het jaarlijkse wetenschappelijke *American College of Allergy, Asthma & Immunology (ACAAI) Congress*, dat plaatsvindt van 6 tot 10 november in Orlando, Florida.

Vijf posters presenteren nieuwe positieve klinische, gezondheids-economische en vergelijkende data over RUCONEST® (recombinante C1-esteraseremmer) en de rol ervan bij de acute behandeling van erfelijk angio-oedeem (HAE). Daarnaast tonen zeven posters nieuw bewijs van de effectiviteit van Joenja® (leniolisib), waaronder aanvullende resultaten van de fase 3-studie bij kinderen, en geven zij meer inzicht in de ziektelast voor kinderen met het geactiveerd fosfoinositide 3-kinase delta (PI3Kδ)-syndroom (APDS) en hun verzorgers.

Anurag Relan, Chief Medical Officer van Pharming, zegt:

"We zijn trots dat onze wetenschappelijke bijdragen op het gebied van erfelijk angio-oedeem (HAE) en het geactiveerd fosfoinositide 3-kinase delta (PI3Kδ)-syndroom (APDS) erkenning hebben gekregen met een groot aantal geaccepteerde samenvattingen (abstracts), tijdens de ACAAI 2025. Deze resultaten onderstrepen de kwaliteit van ons onderzoek en onze inzet om de patiëntenzorg te verbeteren. We kijken ernaar uit deze nieuwe onderzoeksresultaten in november aan de medische wereld te presenteren."

Presentatiedetails:

RUCONEST®

Titel: *Indirect Treatment Comparison (ITC) of Recombinant C1 Inhibitor and Sebetralstat for HAE On-Demand Therapy*

Auteur: Dr. John Anderson, MD, AllerVie Health, Birmingham, AL, VS en University of Alabama at Birmingham, Birmingham, AL, VS

Datum/Tijd: Vrijdag 7 november 2025, 22:05 CET

Monitor: 14

Titel: *Cost-Effectiveness of rhC1-INH Versus Sebetralstat for Treatment of HAE Attacks*

Auteur: Dr. Jonathan A. Bernstein, MD, Advanced Allergy Services, LLC, Cincinnati, OH, VS en Bernstein Clinical Research Center, LLC, Cincinnati, OH, VS

Datum/Tijd: Vrijdag 7 november 2025, 22:05 CET

Monitor: 16

Titel: *Re-Analysis of rhC1-INH Clinical Data With Contemporary Time-to-Event Endpoint Definitions*

Auteur: Joseph R. Harper, PharmD, Pharming Healthcare, Inc. Warren, NJ, VS

Datum/Tijd: Vrijdag 7 november 2025, 23:05 CET

Monitor: 15

Titel: *Mapping Patient-Reported Outcome Measures Across Clinical Trials in HAE*

Auteur: Dr. Michael Manning, MD, Allergy Asthma & Immunology Associates, LTD, Scottsdale, AZ, VS en University of Arizona College of Medicine-Phoenix, Phoenix, AZ, VS

Datum/Tijd: Zondag 9 november 2025, 17:45 CET

Monitor: 13

Titel: *Clinician Perspectives on Modifiers of Observed Treatment Effect in On-Demand HAE Therapy Trials*

Auteur: Dr. Raffi Tachdjian, MD, MPH, Division of Allergy and Clinical Immunology, David Geffen School of Medicine, University of California, Los Angeles, CA, VS, en Division of Allergy & Immunology, Providence Saint John's Health Center, Santa Monica, CA, VS

Datum/Tijd: Zaterdag 8 november 2025, 18:15 CET

Monitor: 13

Joenja® (leniolisib)

Titel: *Effectiveness of Leniolisib in Reducing Infections Among Patients With APDS*

Auteur: Dr. Niraj C. Patel, MD, MS, Division of Pediatric Allergy and Immunology, Duke University, Durham, NC, VS

Datum/Tijd: Vrijdag 7 november 2025, 21:50 CET

Monitor: 20

Titel: *Impact of Leniolisib on Healthcare Utilization in Patients With APDS*

Auteur: Ami Claxton, PhD, MS, Pharming Healthcare, Inc., Warren, NJ, VS

Datum/Tijd: Vrijdag 7 november 2025, 22:05 CET

Monitor: 20

Titel: *Symptoms/Quality of Life in Pediatric Patients With APDS Receiving Leniolisib*

Auteur: Jason Bradt, MD, Pharming Healthcare, Inc., Warren, NJ, VS

Datum/Tijd: Vrijdag 7 november 2025, 22:35 CET

Monitor: 20

Titel: *Adult/Pediatric Perspectives and Experiences With APDS and Leniolisib: APPEAL*

Auteur: Amanda Harrington, PhD, Pharming Healthcare Inc., Warren, NJ, VS

Datum/Tijd: Vrijdag 7 november 2025, 20:35 CET

Monitor: 20

Titel: *APDS Burden of Illness: Pediatric and Adolescent Caregiver Perspectives*

Auteur: Dr. Joud Hajjar, MD, PhD, MS, Section of Immunology, Allergy and Retrovirology, Department of Pediatrics, Baylor College of Medicine, Houston, TX, VS

Datum/Tijd: Vrijdag 7 november 2025, 22:20 CET

Monitor: 20

Titel: *Real-World Adherence and Persistence With Leniolisib in Patients With APDS*

Auteur: Jessica Kuivinen, PharmD, PANTHERx Rare Pharmacy, Pittsburgh, PA, VS

Datum/Tijd: Zaterdag 8 november 2025, 18:15 CET

Monitor: 17

Titel: *Characterization of Activated Phosphoinositide 3-Kinase Delta Syndrome in the APDS-CHOIR Clinical Outcomes Registry*

Auteur: Kelli Williams, MD, Department of Pediatrics, Medical University of South Carolina, Charleston, SC, VS

Datum/Tijd: Vrijdag 7 november 2025, 20:50 CET

Monitor: 20

Alle ePosters zijn naast de fysieke presentatie ook online beschikbaar voor geregistreerde deelnemers vanaf donderdag 6 november 2025 om 14:00 CET via de [ACAAI-website](#).

=== E I N D E P E R S B E R I C H T ===

BELANGRIJKE INFORMATIE

Dit persbericht is een vertaling van het oorspronkelijke Engelstalige bericht. Bij eventuele verschillen als gevolg van deze vertaling of interpretatie geldt de originele Engelse versie als leidend.

Over erfelijk angio-oedeem (HAE)

Erfelijk angio-oedeem (HAE) is een zeldzame genetische aandoening¹ die wordt veroorzaakt door een tekort aan het C1-esterase-inhibitor-eiwit, dat normaal in het bloed aanwezig is en helpt bij het reguleren van ontstekingen (zwellingen) en onderdelen van het immuunsysteem. Wanneer dit eiwit niet goed functioneert, ontstaat er een biochemisch onevenwicht dat leidt tot de productie van peptiden die ervoor zorgen dat vocht uit de haarvaten in het omliggende weefsel lekt, wat zwelling (oedeem) veroorzaakt.²

HAE wordt gekenmerkt door spontane en terugkerende zwellingen van de huid op verschillende plaatsen in het lichaam, evenals in de luchtwegen en interne organen. Zwellingen van de huid treffen meestal de ledematen, het gezicht en de geslachtsdelen. Vrijwel alle HAE-patiënten ervaren ernstige buikpijn, misselijkheid, braken en diarree als gevolg van zwelling van de darmwand.³

Zwelling van de keel, neus of tong is bijzonder gevaarlijk en potentieel levensbedreigend, omdat het de luchtwegen kan blokkeren.⁴

Hoewel er momenteel geen genezing bestaat voor HAE, kunnen de symptomen van angio-oedeemaanvallen wel behandeld worden.⁵ HAE treft wereldwijd ongeveer 1 op de 10.000 tot 1 op de 50.000 mensen ⁶ en wordt vaak verkeerd gediagnosticeerd vanwege de gelijkenis met andere aandoeningen zoals allergieën of blindedarmontsteking, wat leidt tot vertraging in de diagnose.⁷

Over RUCONEST®

RUCONEST® is een recombinant C1-esterase-inhibitor (rhC1INH) eiwitvervangings therapie die is geïndiceerd voor de behandeling van acute aanvallen bij volwassen en adolescente patiënten met erfelijk angio-oedeem (HAE). RUCONEST® is goedgekeurd in de VS, Europa en het VK en is wereldwijd de enige recombinant C1-esterase-remmer.

RUCONEST® wordt intraveneus toegediend en is direct en volledig biologisch beschikbaar, waardoor snelle interventie mogelijk is bij het begin van een HAE-aanval. Bij de aanbevolen dosis van 50 U/kg is aangetoond dat RUCONEST® de activiteit van C1INH normaliseert, wat klinisch relevant is voor de behandeling van HAE. Door irreversibel te binden aan en het deactiveren van belangrijke mediators zoals stollingsfactor FXII en kallikreïne, stopt RUCONEST® de productie van bradykinine en andere ontstekingspeptiden, waardoor de aanval wordt gestopt. RUCONEST® is niet geïndiceerd voor de behandeling van laryngeale aanvallen, aangezien de werkzaamheid bij deze patiëntengroep niet is vastgesteld in klinische studies.⁸

Raadpleeg de volledige voorschrijfinformatie en patiënteninformatie [hier](#)

Over het geactiveerd fosfoinositide 3-kinase δ -syndroom (APDS)

APDS is een zeldzame aangeboren afweerstoornis die voor het eerst werd gekarakteriseerd in 2013. APDS wordt veroorzaakt door varianten in een van de twee geïdentificeerde genen, bekend als *PIK3CD* of *PIK3R1*, die van vitaal belang zijn voor de ontwikkeling en functie van immuuncellen in het lichaam. Varianten van deze genen leiden tot hyperactiviteit van de PI3K δ -signaalroute (fosfoinositide 3-kinase delta), waardoor immuuncellen niet goed rijpen en functioneren, wat leidt tot immuundeficiëntie en ontregeling.^{9,10,11} APDS wordt gekenmerkt door een verscheidenheid aan symptomen, waaronder ernstige, terugkerende sinopulmonale infecties, lymfoproliferatie, auto-immuniteit en enteropathie.^{12,13}

Omdat deze symptomen in verband kunnen worden gebracht met een verscheidenheid aan aandoeningen, waaronder andere aangeboren afweerstoornissen, is bekend dat mensen met APDS vaak een onjuiste diagnose krijgen en gemiddeld 7 jaar vertraging oplopen bij de diagnose.¹⁴ Aangezien APDS een progressieve ziekte is, kan deze vertraging leiden tot een opeenstapeling van schade in de loop van de tijd, waaronder blijvende longschade en lymfeklierkanker.¹²⁻¹⁵ Een definitieve diagnose kan worden gesteld door middel van genetische testen. APDS treft wereldwijd circa 1 tot 2 mensen per miljoen.

Over leniolisib

Leniolisib is een orale kleine molecuul fosfoinositide 3-kinase delta (PI3Kδ)-remmer die in de VS, het VK, Australië en Israël is goedgekeurd als de eerste en enige gerichte behandeling van geactiveerd fosfoinositide 3-kinase delta (PI3Kδ)-syndroom (APDS) bij volwassen en pediatrische patiënten van 12 jaar en ouder. Leniolisib remt de productie van fosfatidylinositol-3-4-5-trisfosfaat, dat dient als een belangrijke cellulaire boodschapper en een groot aantal celfuncties reguleert, zoals proliferatie, differentiatie, cytokineproductie, celoverleving, angiogenese en metabolisme. De resultaten van een gerandomiseerde, placebogecontroleerde fase III-klinische studie toonden een statistisch significante verbetering aan in de co-primaire eindpunten, wat een gunstig effect aantoont op de ontregeling van het immuunsysteem en -deficiëntie die bij deze patiënten wordt waargenomen. Tussentijdse open-label extensie-studiegegevens ondersteunen de veiligheid en verdraagbaarheid van langdurige toediening van leniolisib.^{16,17} Leniolisib wordt momenteel beoordeeld voor de behandeling van APDS door de geneesmiddelenautoriteiten in de Europese Economische Ruimte, Japan, Canada en verscheidene andere landen. Leniolisib wordt ook geëvalueerd in twee fase III-klinische studies bij kinderen met APDS en in twee fase II-klinische studies bij primaire immuundeficiënties (PID's) met immuundisregulatie. De veiligheid en werkzaamheid van leniolisib zijn niet vastgesteld voor PID's met immuundisregulatie buiten de APDS-aandoening.

Over Pharming Group N.V.

Pharming Group N.V. (EURONEXT Amsterdam: PHARM/Nasdaq: PHAR) is een wereldwijd opererende biofarmaceutische onderneming die zich richt op het transformeren van het leven van patiënten met zeldzame, slopende en levensbedreigende ziekten. Wij commercialiseren en ontwikkelen een portfolio van innovatieve geneesmiddelen, waaronder kleine moleculen en biologische geneesmiddelen. Pharming heeft haar hoofdkantoor in Leiden, met een aanzienlijk deel van zijn medewerkers actief in de Verenigde Staten.

Ga voor meer informatie naar www.pharming.com en vind ons op [LinkedIn](#).

Toekomstgerichte verklaringen

Dit persbericht kan toekomstgerichte verklaringen bevatten. Toekomstgerichte verklaringen zijn verklaringen over toekomstige verwachtingen die zijn gebaseerd op de huidige verwachtingen en aannames 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 zijn te herkennen aan het gebruik van termen en uitdrukkingen als "doel", "ambitie", "verwachten", "geloven", "zouden", "schatten", "verwachten", "doelstellingen", "van plan zijn", 'kan', 'mijlpalen', 'doelstellingen', 'vooruitzichten', 'plan', 'waarschijnlijk', 'project', 'risico's', 'schema', 'streven', 'zou moeten', 'doel', 'zal' en soortgelijke termen en uitdrukkingen. Voorbeelden van toekomstgerichte verklaringen zijn onder meer verklaringen met betrekking tot de timing en voortgang van Pharmings preklinische studies en klinische proeven van zijn productkandidaten, Pharmings klinische en commerciële vooruitzichten, en Pharmings

verwachtingen met betrekking tot zijn verwachte werkkapitaalbehoeften en kasmiddelen, welke verklaringen onderhevig zijn aan een aantal risico's, onzekerheden en aannames, met inbegrip van, maar niet beperkt tot, de omvang, voortgang en uitbreiding van Pharmings klinische proeven en de gevolgen daarvan voor de kosten daarvan; en klinische, wetenschappelijke, regelgevende, commerciële, concurrentiële en technische ontwikkelingen. In het licht van deze risico's en onzekerheden, en andere risico's en onzekerheden die worden beschreven in het jaarverslag 2024 van Pharming en het jaarverslag op formulier 20-F voor het jaar eindigend op 31 december 2024, ingediend bij de Amerikaanse Securities and Exchange Commission, is het mogelijk dat de gebeurtenissen en omstandigheden die in dergelijke toekomstgerichte verklaringen worden besproken, zich niet voordoen en dat de werkelijke resultaten van Pharming wezenlijk en negatief kunnen afwijken van de resultaten die daarin worden verwacht of geïmpliceerd. Alle toekomstgerichte verklaringen in dit persbericht worden uitdrukkelijk in hun geheel gekwalificeerd door de voorbehoudende verklaringen die in deze sectie zijn opgenomen of waarnaar daarin wordt verwezen. Lezers dienen geen ongepast vertrouwen te stellen in toekomstgerichte verklaringen. Alle toekomstgerichte verklaringen hebben uitsluitend betrekking op de datum van dit persbericht en zijn gebaseerd op informatie die Pharming op de datum van dit persbericht ter beschikking stond. Pharming neemt geen enkele verplichting op zich om toekomstgerichte verklaringen publiekelijk bij te werken of te herzien naar aanleiding van nieuwe informatie, toekomstige gebeurtenissen of andere informatie.

Referenties

1. Busse PJ, et al. J Allergy Clin Immunol Pract 2021;9:132-50.
2. Nature Reviews Drug Discovery. (2025). *Targeting plasma kallikrein in hereditary angioedema*. Nature Portfolio. <https://www.nature.com/articles/d41573-025-00114-x>
3. GARD – Genetic and Rare Diseases Information Center. (n.d.). *Hereditary angioneurotic edema*. U.S. National Institutes of Health. <https://rarediseases.info.nih.gov/diseases/5979/hereditary-angioneurotic-edema>
4. MedlinePlus Genetics. (n.d.). *Hereditary angioedema type 3*. U.S. National Library of Medicine. <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/medgen/346653>
5. Beard, N., Frese, M., Smertina, E., Mere, P., Katelaris, C., & Mills, K. (2022). *Interventions for the long-term prevention of hereditary angioedema attacks*. Cochrane Database of Systematic Reviews, 11, CD013403. <https://doi.org/10.1002/14651858.CD013403.pub2>
6. Nature Reviews Drug Discovery. (2025). *Hereditary angioedema: A rare disease with unmet needs*. Nature Portfolio. <https://www.nature.com/articles/d41573-025-00151-6>
7. Nature Reviews Drug Discovery. (2024). *Improving diagnosis of hereditary angioedema*. Nature Portfolio. <https://www.nature.com/articles/d41573-024-00101-8>
8. RUCONEST. Prescribing Information. Pharming Healthcare, Inc. 2020.
9. Lucas CL, et al. Nat Immunol. 2014;15(1):88-97.
10. Elkaim E, et al. J Allergy Clin Immunol. 2016;138(1):210-218.
11. Nunes-Santos C, Uzel G, Rosenzweig SD. J Allergy Clin Immunol. 2019;143(5):1676-1687.
12. Coulter TI, et al. J Allergy Clin Immunol. 2017;139(2):597-606.
13. Maccari ME, et al. Front Immunol. 2018;9:543.

14. Jamee M, et al. Clin Rev Allergy Immunol. 2020 Dec;59(3):323-333.
15. Condliffe AM, Chandra A. Front Immunol. 2018;9:338.
16. Rao VK, et al Blood. 2023 Mar 2;141(9):971-983.
17. Rao VK, et al. J Allergy Clin Immunol 2024;153:265-74.

Neem voor meer informatie contact op met:

Pharming Group N.V., Leiden

Michael Levitan, VP Investor Relations & Corporate Communications

T: +1 (908) 705 1696

Saskia Mehring, Corporate Communications Manager

T: +31 6 28 32 60 41

E: investor@pharming.com

LifeSpring Life Sciences Communication, Amsterdam

Leon Melens

T: +31 6 53 81 64 27

E: pharming@lifespring.nl

VS PR

Ethan Metelenis

T: +1 (917) 882-9038

E: Ethan.Metelenis@precisionaq.com