

Pharming meldt behandeling eerste patiënt in klinische leniolisib-studie met kinderen van één tot zes jaar

De multinationale fase III-studie evalueert een nieuwe pediatrische gegranuleerde formulering van leniolisib bij kinderen van één tot zes jaar met APDS, een zeldzame primaire aandoening aan het immuunsysteem

Leiden, 21 november 2023: Pharming Group N.V. ("Pharming" of "de Onderneming") (EURONEXT Amsterdam: PHARM)/(Nasdaq: PHAR) maakt bekend dat de eerste patiënt is behandeld in haar Fase III klinische studie voor kinderen waarin een nieuwe pediatrische formulering van het kandidaat-geneesmiddel leniolisib - een orale, selectieve fosfoïnositide 3-kinase delta (PI3K δ) remmer - wordt geëvalueerd bij kinderen in de leeftijd van één tot zes jaar met geactiveerd fosfoïnositide 3-kinase delta syndroom (APDS).

Op locaties in de VS, Japan en de EU zal de enkelarmige, open-label, multinationale klinische studie de veiligheid, verdraagbaarheid en effectiviteit van leniolisib evalueren bij vijftien kinderen van één tot zes jaar met een bevestigde diagnose van APDS. Deze patiënten zullen een specifieke, pediatrische gegranuleerde formulering van leniolisib toegediend krijgen. De primaire en secundaire eindpunten van de studie zijn dezelfde welke gebruikt werden bij de evaluatie van de klinische resultaten in eerdere leniolisib Fase II/III APDS-studies met patiënten van twaalf jaar en ouder.

Dr. Eveline Wu, MD, MSCR, divisiehoofd kinderreumatologie en universitair hoofddocent kinderreumatologie en allergie/immunologie aan de University of North Carolina School of Medicine (VS), zegt:

"Ik heb als arts gezien wat een impact APDS op het leven van kinderen kan hebben. Daarom ben ik blij dat er binnenkort een gerichte behandeling beschikbaar komt voor nóg jongere patiënten. Terwijl standaard ondersteunende therapieën sommige van de progressieve, immuungerelateerde symptomen die kenmerkend zijn voor APDS kunnen verlichten, is leniolisib specifiek ontworpen om te helpen voorkomen dat deze symptomen zich voordoen. Dit zou de standaardzorg voor deze kinderen kunnen verbeteren, met de hoop op een meer volledige en plezierige deelname aan de gewone activiteiten die horen bij de kindertijd."

Anurag Relan, MD, MPH, Chief Medical Officer van Pharming, voegt toe:

"Met de eerste toegediende dosis aan een patiënt in dit pediatrische onderzoek naar leniolisib, met behulp van een nieuwe, gegranuleerde formulering, tonen we ons commitment bij het vinden van nieuwe behandelingsmogelijkheden voor jongere pediatrische patiënten met APDS. We zullen de benodigde ondersteunende data genereren die het indienen van aanvullende goedkeuringsaanvragen kunnen vergemakkelijken, waardoor patiënten in een zo breed mogelijke leeftijdsgroep hopelijk kunnen gaan profiteren van deze ziektemodificerende behandeling."

Dit is het tweede pediatrische klinische onderzoek dat Pharming dit jaar startte ter bestudering van leniolisib bij pediatrische patiënten met APDS. De eerste pediatrische studie, aangekondigd in februari 2023, loopt nog en zal vijftien kinderen van vier tot elf jaar oud evalueren die de tabletformulering van leniolisib toegediend krijgen als een onderzoeksbehandeling voor APDS.

Leniolisib, in de VS op de markt gebracht onder de merknaam Joenja®, werd in maart 2023 goedgekeurd door de Amerikaanse Food and Drug Administration (FDA) voor de behandeling van APDS bij volwassen en pediatrische patiënten van twaalf jaar en ouder.

Over het geactiveerde fosfoïnositide 3-kinase δ syndroom (APDS)

APDS is een zeldzame primaire aandoening aan het immuunsysteem die voor het eerst werd gekarakteriseerd in 2013. APDS wordt veroorzaakt door varianten in een van de twee geïdentificeerde genen die bekend staan als *PIK3CD* of *PIK3R1*, die van vitaal belang zijn voor de ontwikkeling en functie van immuuncellen in het lichaam. Varianten van deze genen veroorzaken hyperactiviteit van de PI3K δ (fosfoïnositide 3-kinase delta) *pathway*, waardoor immuuncellen niet goed rijpen en functioneren, wat weer leidt tot immunodeficiëntie en ontregeling^{1,2,3} APDS wordt gekenmerkt door een verscheidenheid aan symptomen, waaronder ernstige, terugkerende sinopulmonale infecties, lymfoproliferatie, auto-immuniteit en enteropathie.^{4,5} Omdat deze symptomen geassocieerd kunnen worden met een verscheidenheid aan aandoeningen, waaronder andere primaire immuno-deficiënties, is bekend dat mensen met APDS vaak een onjuiste diagnose krijgen en een mediane diagnostische vertraging van zeven jaar oplopen.⁶ Omdat APDS een progressieve ziekte is, kan deze vertraging in de loop van de tijd leiden tot een opeenstapeling van schade, waaronder blijvende longschade en lymfeklierkanker.^{4,7} Een definitieve diagnose kan worden gesteld door middel van genetische testen. APDS treft wereldwijd ongeveer één tot twee mensen per miljoen.

Over leniolisib

Leniolisib is een orale kleine molecule fosfoïnositide 3-kinase delta (PI3K δ)-remmer die in de VS is goedgekeurd als de eerste en enige gerichte behandeling van het geactiveerde fosfoïnositide 3-kinase delta (PI3K δ)-syndroom (APDS) bij volwassen en pediatriche patiënten van twaalf jaar en ouder. Leniolisib remt de productie van fosfatidylinositol-3-4-5-trisfosfaat, dat dient als een belangrijke cellulaire boodschapper en een veelheid aan celfuncties reguleert, zoals proliferatie, differentiatie, cytokineproductie, celoverleving, angiogenese en metabolisme. Resultaten van een gerandomiseerde, placebogecontroleerde Fase II/III klinische studie toonden de klinische werkzaamheid van leniolisib aan in de primaire eindpunten; het toonde een statistisch significante impact op immuun-disregulatie en normalisatie van het immunofenotype bij deze patiënten, en tussentijdse open-label uitbreidingsgegevens ondersteunden de veiligheid en verdraagbaarheid van leniolisib toediening op lange termijn.⁸ Leniolisib wordt momenteel door het Europees Geneesmiddelenbureau gecontroleerd en er zijn plannen om verdere reglementaire goedkeuringen na te streven in het VK, Canada, Australië en Japan. Leniolisib wordt ook

geëvalueerd in een Fase III klinische studie bij kinderen van vier tot elf jaar met APDS, met een verdere studie gepland bij kinderen van één tot zes jaar met APDS.

Over Pharming Group N.V.

Pharming Group N.V. (EURONEXT Amsterdam: PHARM/Nasdaq: PHAR) is een wereldwijd biofarmaceutische onderneming die zich richt op het transformeren van het leven van patiënten met zeldzame, slopende en levensbedreigende ziekten. Pharming commercialiseert en ontwikkelt een innovatieve portfolio van eiwitvervangingstherapieën en precisiegeneesmiddelen, waaronder kleine moleculen, biologische geneesmiddelen en getherapieën die zich in een vroeg tot laat ontwikkelingsstadium bevinden. Pharming heeft haar hoofdkantoor in Leiden, en medewerkers over de hele wereld die patiënten bedienen in meer dan dertig markten in Noord-Amerika, Europa, het Midden-Oosten, Afrika en Azië-Pacific.

Ga voor meer informatie naar www.pharming.com en vind ons op [LinkedIn](https://www.linkedin.com/company/pharming).

Toekomstgerichte verklaringen

Dit persbericht kan toekomstgerichte uitspraken bevatten. Toekomstgerichte verklaringen zijn verklaringen over toekomstige verwachtingen die gebaseerd zijn 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 uitgedrukt of geïmpliceerd in deze verklaringen. Deze toekomstgerichte verklaringen zijn te herkennen aan het gebruik van termen en uitdrukkingen als "streven", "ambitie", "anticiperen", "geloven", "zouden kunnen", "schatten", "verwachten", "doelen", "voornemen", "kunnen", "mijlpalen", "doelstellingen", "vooruitzicht", "plan", "waarschijnlijk", "project", "risico's", "planning", "streven", "zouden moeten", "doel", "zullen" en soortgelijke termen en zinnen. Voorbeelden van toekomstgerichte verklaringen zijn verklaringen met betrekking tot de timing en voortgang van Pharmings preklinische studies en klinische proeven van haar kandidaat-producten, Pharmings klinische en commerciële vooruitzichten, en Pharmings verwachtingen met betrekking tot haar verwachte behoefte aan werkkapitaal en kasmiddelen, welke verklaringen onderhevig zijn aan een aantal risico's, onzekerheden en veronderstellingen, met inbegrip van, maar niet beperkt tot de omvang, voortgang en uitbreiding van Pharmings klinische proeven en vertakkingen 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 Pharmings jaarverslag 2022 en het jaarverslag op Form 20-F voor het jaar eindigend op 31 december 2022, ingediend bij de Amerikaanse Securities and Exchange Commission, is het mogelijk dat de gebeurtenissen en omstandigheden die worden besproken in dergelijke toekomstgerichte verklaringen zich niet voordoen, en Pharmings werkelijke resultaten zouden wezenlijk en nadelig kunnen verschillen van die verwacht of geïmpliceerd daardoor. Alle toekomstgerichte uitspraken in dit persbericht worden uitdrukkelijk in hun geheel gekwalificeerd door de waarschuwende uitspraken die zijn opgenomen of waarnaar wordt

verwezen in deze sectie. Lezers moeten niet overmatig vertrouwen op toekomstgerichte verklaringen. Eventuele toekomstgerichte verklaringen gelden alleen op de datum van dit persbericht en zijn gebaseerd op informatie waarover Pharming beschikt op de datum van dit bericht. Pharming neemt geen enkele verplichting op zich om deze verklaringen publiekelijk bij te werken of te herzien.

Voorkennis

Dit persbericht heeft betrekking op de openbaarmaking van informatie die gekwalificeerd kan worden of gekwalificeerd zou kunnen zijn als voorwetenschap in de zin van artikel 7(1) van de EU Marktmissbruik Verordening.

Referenties

1. Lucas CL, et al. Nat Immunol. 2014;15(1):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.
8. RAO VK, et al Blood. 2023 mrt 2;141(9):971-983

Voor meer informatie kunt u contact opnemen met:

Pharming Group, Leiden

Michael Levitan, VP Investor Relations & Communications

T: +1 (908) 705 1696

Heather Robertson, Investor Relations & Corporate Communications Manager

E: investor@pharming.com

LifeSpring Life Sciences Communicatie, Amsterdam

Leon Melens

T: +31 6 53 81 64 27

E: pharming@lifespring.nl

FTI Consulting, Londen, Verenigd Koninkrijk

Victoria Foster Mitchell/Alex Shaw/Amy Byrne

T: +44 203 727 1000

PR VS

Ethan Metelenis

E: Ethan.Metelenis@precisionvh.com

T: +1 (917) 882 9038



EU PR

Claire Dobbs

E: claire.dobbs@solarishealth.com

T: +44 7864 640093