

Pharming Group publiceert financiële vooruitzichten voor 2026 en belicht pijplijn zeldzame ziekten tijdens Investor Day

- Voortgang klinische pijplijn belicht, waaronder twee belangrijke waarde creërende programma's voor primaire immuundeficiënties (PIDs) met immuundisregulatie en door mtDNA veroorzaakte mitochondriale aandoeningen
- Introduceert napazimone (KL1333) als de stofnaam voor het programma voor door mtDNA veroorzaakte mitochondriale aandoeningen
- Omzetverwachting 2026 tussen US\$405 – US\$425 miljoen (8% tot 13% groei)
- Verwachte operationele kosten 2026 tussen US\$330 – US\$335 miljoen
- Investor Day vandaag live te zien vanaf 10:00 EST / 16:00 uur CET

Leiden, 3 februari 2026: Pharming Group N.V. ("Pharming" of "de Onderneming") (Euronext Amsterdam: PHARM/NASDAQ: PHAR) maakt de financiële vooruitzichten voor 2026 bekend en zal later vandaag tijdens een virtuele Investor Day de voortgang van de klinische pijplijn voor zeldzame ziekten toelichten, waaronder twee belangrijke waarde creërende programma's.

De Investor Day richt zich op de wetenschappelijke onderbouwing, klinische strategie en langetermijnpotentie van Pharmings programma's voor primaire immuundeficiënties (PIDs) met immuundisregulatie en door mitochondriaal DNA (mtDNA) veroorzaakte mitochondriale aandoeningen.

Chief Executive Officer Fabrice Chouraqui, zegt:

"Pharmings visie om uit te groeien tot een toonaangevend wereldwijde onderneming in zeldzame ziekten is gebaseerd op de kracht van onze twee commerciële producten en onze hoogwaardige pijplijn. Wij verwachten dat onze commerciële portfolio sterk blijft groeien, met een totale omzet tussen US\$405 miljoen en US\$425 miljoen in 2026. We kijken ernaar uit om vandaag tijdens de Investor Day te laten zien hoe breed en kwalitatief sterk onze pipeline is. Leniolisib en napazimone (KL1333) worden ontwikkeld voor grote, onderbediende patiëntengroepen met een aanzienlijke on vervulde medische behoefte. De programma's steunen op een stevig en groeiend fundament van biologisch en klinisch bewijs. Wij zijn ervan overtuigd dat beide programma's op lange termijn veel waarde voor Pharming kunnen creëren."

Financiële vooruitzichten 2026:

- Totale omzet tussen US\$405 - US\$425 miljoen (8% - 13% groei), gedreven door een sterke en versnellende groei van Joenja® en aanhoudende groei van RUCONEST®.
- Totale operationele kosten tussen US\$330 – US\$335 miljoen, voornamelijk gedreven door hogere R&D kosten gerelateerd aan de lopende fase II- studies met leniolisib- en de klinische goedkeuringsstudie met napazimone (KL1333).

Pijlpijnoverzicht:

Leniolisib – primaire immuundeficiënties met immuundisregulatie

Het management van Pharming zal de wetenschappelijke en klinische onderbouwing toelichten voor de uitbreiding van leniolisib naar bredere patiëntgroepen met primaire immuundeficiënties (PIDs) met immuundisregulatie, buiten de huidige goedgekeurde indicatie. Er lopen momenteel twee fase II proof-of-concept studies, één bij genetisch gedefinieerde PIDs gelinkt aan PI3K-signalering, en één bij common variable immunodeficiency (CVID) met immuundisregulatie. Topline resultaten van beide studies worden verwacht in de tweede helft van 2026.

Leniolisib is een orale, selectieve fosfoinositide 3-kinase delta (PI3K δ)-remmer die momenteel onder de naam Joenja is goedgekeurd en wordt verkocht in de Verenigde Staten, en ook in meerdere andere landen, als de eerste en enige gerichte behandeling voor a geactiveerd fosfoinositide 3-kinase δ -syndroom (APDS) ¹, een zeldzame en progressieve primaire immuundeficiëntie bij patiënten van 12 jaar en ouder. APDS is een genetisch gedefinieerde vorm binnen het bredere CVID--spectrum en dient als klinisch gevalideerd proof-of-concept voor het aangrijpen van door PI3K δ veroorzaakte immuundisregulatie. Dit ondersteunt de mogelijke toepassing van leniolisib bij veel grotere groepen patiënten met PID's en CVID.

Napazimone (KL1333) – door mtDNA veroorzaakte mitochondriale aandoeningen

Het management van Pharming zal de wetenschappelijke en klinische onderbouwing toelichten voor napazimone (KL1333), de nieuwbenoemde stof die wordt ontwikkeld voor door mtDNA veroorzaakte mitochondriale aandoeningen. Dit kan bij goedkeuring de eerste standaardbehandeling worden voor deze indicatie. De FALCON-klinische goedkeuringsstudie loopt momenteel en de resultaten worden in 2027 verwacht.

Napazimone (KL1333) is een experimentele therapie in ontwikkeling voor volwassen patiënten met primaire mitochondriale ziekte veroorzaakt door mutaties in het mitochondriale DNA (mtDNA), een zeldzame en invaliderende aandoening die wordt gekenmerkt door verminderde energieproductie, ernstige vermoeidheid en spierzwakte (myopathie), en een verkorte levensverwachting.

Perspectieven van klinische experts

Tijdens de Investor Day zullen vooraanstaande klinische experts presentaties verzorgen over de biologie van de ziekten, onervulde medische behoeften en de mogelijke rol van Pharmings programma's:

- Jocelyn Farmer, MD, PhD, Lahey Hospital & Medical Center – internationaal erkend expert op het gebied van CVID en immuundisregulatie
- Amel Karaa, MD, Massachusetts General Hospital, Harvard Medical School – internationaal erkend expert op het gebied van mitochondriale geneeskunde

¹ FDA-persbericht gepubliceerd op 24 maart, 2023. FDA approves first treatment for activated phosphoinositide 3-kinase delta syndrome. Beschikbaar via: <https://www.fda.gov/drugs/news-events-human-drugs/fda-approves-first-treatment-activated-phosphoinositide-3-kinase-delta-syndrome>

Webcast-informatie Investor Day

De Investor Day vindt vandaag plaats dinsdag 3 februari, van 10:00 tot 12:00 uur EST (16:00–18:00 uur CET). Registratie en livestream via: <https://www.pharming.com/pharming-investor-day-2026>

Een replay is kort na afloop beschikbaar op Pharming.com.

=== EINDE PERSBERICHT ===

BELANGRIJKE INFORMATIE

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

Over Pharming Group N.V.

Pharming Group N.V. (EURONEXT Amsterdam: PHARM/Nasdaq: PHAR) is een wereldwijd opererende biofarmaceutische onderneming die zich toelegt op het transformeren van het leven van patiënten met zeldzame, slopende en levensbedreigende ziekten. Pharming ontwikkelt en commercialiseert een portfolio van innovatieve geneesmiddelen, waaronder kleine moleculen en biologische geneesmiddelen. Pharming heeft zijn hoofdkantoor in Leiden. Een aanzienlijk deel van de medewerkers is gevestigd in de VS.

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", "anticiperen", "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 haar productkandidaten, Pharmings klinische en commerciële vooruitzichten, en Pharmings verwachtingen met betrekking tot haar 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.

Voorwetenschap

Dit persbericht heeft betrekking op de openbaarmaking van informatie die voorkennis is of kan zijn in de zin van artikel 7, lid 1, van de EU-verordening marktmisbruik.

Voor meer informatie kunt u contact opnemen met:

Investor Relations

Michael Levitan, VP Investor Relations & Corporate Communications

T: +1 (908) 705 1696

E: investor@pharming.com

Media Relations

Wereldwijd: Saskia Mehring, Corporate Communications Manager

T: +31 6 28 32 60 41

E: media.relations@pharming.com

Nederland: Leon Melens (LifeSpring Life Sciences Communication namens Pharming)

T: +31 6 53 81 64 27

VS: Ethan Metelenis (Precision AQ namens Pharming)

T: +1 (917) 882-9038