

FDA start versnelde beoordeling Pharming-aanvraag voor markttoelating leniolisib bij jonge APDS-patiënten van 4 – 11 jaar

- *Bij goedkeuring wordt leniolisib eerste en enige behandeling voor kinderen met APDS, een zeldzame primaire aandoening aan het immuunsysteem*
- *Beslissing gebaseerd op positieve resultaten uit multinationale fase III-studie bij kinderen van 4 tot 11 jaar met APDS*
- *Besluit van FDA wordt uiterlijk 31 januari 2026 verwacht*

Leiden, 1 oktober 2025: Pharming Group N.V. ("Pharming" of "de Onderneming") (Euronext: PHARM; Nasdaq: PHAR), maakt bekend dat de Amerikaanse *Food and Drug Administration* (FDA) de aanvullende aanvraag voor markttoelating (sNDA) heeft geaccepteerd voor leniolisib, een orale, selectieve fosfoinositide 3-kinase delta (PI3Kδ)-remmer als behandeling van kinderen van 4 tot 11 jaar met APDS, een zeldzame aandoening aan het immuunsysteem. De aanvraag krijgt een versnelde beoordeling (Priority Review). Uiterlijk 31 januari 2026 wordt een besluit verwacht op grond van de *Prescription Drug User Fee Act* (PDUFA).

De sNDA die bij de FDA is ingediend, is gebaseerd op positieve data uit de multinationale, eenarmige fase III-studie bij kinderen van 4 tot 11 jaar, die gedurende 12 weken verbeteringen liet zien in twee klinisch relevante kenmerken van de aandoening, namelijk verminderde lymfadenopathie en toename van naïeve B-cellen. Samen wijst dit op een correctie van het onderliggende immuun-defect. De aanvraag omvatte ook veiligheidsdata van 8 maanden behandeling.

De FDA kent versnelde beoordeling toe aan aanvragen voor geneesmiddelen die, indien goedgekeurd, een aanzienlijke verbetering zouden betekenen voor de effectiviteit of veiligheid van de behandeling, preventie of diagnose van ernstige aandoeningen.¹ Er zijn wereldwijd geen goedgekeurde behandelingen voor kinderen jonger dan 12 jaar met APDS.

Fabrice Chouraqui, Chief Executive Officer van Pharming, zegt in reactie:

“APDS is een zeldzame, complexe en progressieve aangeboren aandoening aan het immuunsysteem. De ziekte begint doorgaans in de vroege kinderjaren en veroorzaakt immuundisregulatie, terugkerende infecties en mogelijk permanente longschade en lymfeklierkanker. Vroegtijdige toegang tot gerichte therapieën kan het ziekteverloop bij jonge patiënten veranderen. De toekenning van de Priority Review-status vandaag is een belangrijke stap voor kinderen van 4 tot 11 jaar met APDS in de VS.”

Leniolisib, dat in de VS onder de merknaam Joenja® op de markt wordt gebracht, kreeg in maart 2023 goedkeuring van de Amerikaanse FDA voor de behandeling van APDS bij volwassen en pediatrische patiënten van 12 jaar en ouder.

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.^{2, 3, 4} APDS wordt gekenmerkt door een verscheidenheid aan symptomen, waaronder ernstige, terugkerende sinopulmonale infecties, lymfoproliferatie, auto-immuniteit en enteropathie.^{5, 6} 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.⁷ 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.⁵⁻⁸ Een definitieve diagnose kan worden gesteld door middel van genetische testen. APDS treft wereldwijd ongeveer 1 tot 2 mensen per miljoen.

Over leniolisib

Leniolisib is een orale kleine molecuul fosfoinositide 3-kinase delta (PI3K δ)-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 (PI3K δ)-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 extensiestudiegegevens ondersteunen de veiligheid en verdraagbaarheid van langdurige toediening van leniolisib.^{9,10} 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 toelegt op het transformeren van het leven van patiënten met zeldzame, slopende en levensbedreigende ziekten. Wij ontwikkelen en

commercialiseren een portfolio van innovatieve geneesmiddelen, waaronder kleine moleculen en biologische geneesmiddelen. Pharming heeft zijn hoofdkantoor in Leiden met een aanzienlijk deel van zijn medewerkers gevestigd 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 Pharming's 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.

Referenties

1. FDA. Priority Review. Beschikbaar op: <https://www.fda.gov/patients/fast-track-breakthrough-therapy-accelerated-approval-priority-review/priority-review> geraadpleegd in oktober 2025.
2. Lucas CL, et al. Nat Immunol. 2014;15(1):88-97.
3. Elkaim E, et al. J Allergy Clin Immunol. 2016;138(1):210-218.
4. Nunes-Santos C, Uzel G, Rosenzweig SD. J Allergy Clin Immunol. 2019;143(5):1676-1687.
5. Coulter TI, et al. J Allergy Clin Immunol. 2017;139(2):597-606.
6. Maccari ME, et al. Front Immunol. 2018;9:543.
7. Jamee M, et al. Clin Rev Allergy Immunol. 2020 Dec;59(3):323-333.
8. Condliffe AM, Chandra A. Front Immunol. 2018;9:338.
9. Rao VK, et al Blood. 2 maart 2023;141(9):971-983.
10. Rao VK, et al. J Allergy Clin Immunol 2024;153:265-74.

Voor meer publieke informatie kunt u contact opnemen met:

Pharming Group, 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

PR VS

Ethan Metelenis

T: +1 (917) 882-9038

E: Ethan.Metelenis@precisionag.com