

## Pharming meldt eerste commerciële verzendingen van Joenja® (leniolisib) naar patiënten in de V.S.

**Leiden, 11 april 2023:** Pharming Group N.V. ("Pharming") (Euronext Amsterdam: PHARM/ Nasdaq: PHAR) meldt de eerste commerciële verzendingen naar patiënten in de V.S. van Joenja®, een orale, selectieve PI3Kδ-remmer. Joenja® is de eerste en enige behandeling die is goedgekeurd in de V.S. voor geactiveerd fosfoinositide 3-kinase delta (PI3Kδ) syndroom (APDS), een zeldzame en progressieve primaire aandoening aan het immuunsysteem bij volwassen en pediatrische patiënten van 12 jaar en ouder.

Onder de voorwaarden van Pharmings exclusieve licentieovereenkomst met Novartis voor leniolisib uit 2019, leidt de overeenkomstige eerste commerciële verkoop van Joenja® tot een mijlpaalbetaling van US\$10 miljoen door Pharming aan Novartis.

### **Stephen Toor, Chief Commercial Officer van Pharming, merkte op:**

*"We zijn verheugd te kunnen aankondigen dat de eerste zendingen van Joenja® ongeveer twee weken na de goedkeuring door de FDA aan patiënten werden geleverd, met vergoeding door de verzekeraar. Hiermee is een belangrijke mijlpaal bereikt voor patiënten die lijden aan APDS. We kijken ernaar uit om Joenja® overall in de VS beschikbaar te maken als de eerste en enige goedgekeurde behandeling voor patiënten met APDS."*

=== EINDE PERSBERICHT ===

### **Over Geactiveerd Fosfoinositide 3-Kinase δ Syndroom (APDS)**

APDS is een zeldzame primaire immunodeficiëntie die in 2013 voor het eerst werd gekarakteriseerd. APDS wordt veroorzaakt door varianten in één van de twee geïdentificeerde genen, PIK3CD of PIK3R1, die van vitaal belang zijn voor de ontwikkeling en de functie van immuuncellen in het lichaam. Varianten van deze genen leiden tot hyperactiviteit van de PI3Kδ (phosphoinositide 3-kinase delta) *pathway*, waardoor immuuncellen niet goed rijpen en functioneren, wat leidt tot immunodeficiëntie en ontregeling.<sup>1,2,3</sup> APDS wordt gekenmerkt door verschillende symptomen, waaronder ernstige, terugkerende sinopulmonale infecties, lymfoproliferatie, auto-immuniteit en enteropathie.<sup>4,5</sup> Omdat deze symptomen in verband kunnen worden gebracht met verschillende aandoeningen, waaronder andere primaire immunodeficiënties, wordt bij mensen met APDS vaak een onjuiste diagnose gesteld, met een gemiddelde vertraging van 7 jaar.<sup>6</sup> Omdat APDS een progressieve ziekte is, kan deze vertraging leiden tot een opeenstapeling van schade in de tijd, waaronder permanente longschade en lymfoom.<sup>4-7</sup> Een definitieve diagnose kan worden gesteld door middel van genetische tests. APDS treft wereldwijd ongeveer 1 tot 2 mensen per miljoen.

### **Over Joenja® (leniolisib)**

Joenja® (leniolisib) is een orale kleine molecuule fosfoinositide 3-kinase delta (PI3Kδ)-remmer die in de VS is goedgekeurd als de eerste en enige gerichte behandeling van het geactiveerd fosfoinositide 3-kinase delta (PI3Kδ)-syndroom (APDS) bij volwassen en pediatrische patiënten van 12 jaar en ouder. Joenja® remt de productie van fosfatidylinositol-3-4-5-trisfosfaat, dat dient als een belangrijke cellulaire boodschapper en een groot aantal celfuncties regelt, zoals proliferatie, differentiatie, cytokineproductie, celoverleving, angiogenese en metabolisme. Resultaten van een

gerandomiseerde, placebogecontroleerde Fase II/III klinische studie toonden de klinische doeltreffendheid van Joenja® aan voor de co-primaire eindpunten; ze toonden een statistisch significante impact op immuun-disregulatie en normalisatie van het immunofenotype bij deze patiënten, en tussentijdse open label uitbreidingsgegevens bevestigden de veiligheid en verdraagbaarheid van langdurige toediening van Joenja®.<sup>8</sup> Leniolisib wordt momenteel beoordeeld door het Europees Geneesmiddelenbureau, met plannen voor verdere goedkeuring in het VK, Canada, Australië en Japan. Leniolisib wordt ook geëvalueerd in een Fase III klinische studie bij kinderen van 4 tot 11 jaar met APDS, met een verdere studie gepland bij kinderen van 1 tot 6 jaar met APDS. Voor informatie over Joenja®, bezoek: [Joenja.com](http://Joenja.com)

### Over Pharming Group N.V.

Pharming Group N.V. (EURONEXT Amsterdam: PHARM/Nasdaq: PHAR) is een wereldwijde biofarmaceutische onderneming die zich toelegt op het transformeren van het leven van patiënten met zeldzame, slopende en levensbedreigende ziekten. Pharming commercialiseert en ontwikkelt een innovatieve portefeuille van eiwitvervangende therapieën en precisiegeneesmiddelen, waaronder kleine moleculen, biologische geneesmiddelen en gentherapieën die zich in een vroeg tot laat stadium van ontwikkeling bevinden. Pharming is gevestigd in Leiden en heeft werknemers 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](http://www.pharming.com) en vind ons op [LinkedIn](#).

### Toekomstgerichte verklaringen

*Dit persbericht kan toekomstgerichte verklaringen bevatten. Toekomstgerichte verklaringen zijn verklaringen over toekomstige verwachtingen die gebaseerd zijn op de huidige verwachtingen en veronderstellingen van het management en die bekende en onbekende risico's en onzekerheden inhouden waardoor de werkelijke resultaten, prestaties of gebeurtenissen wezenlijk kunnen verschillen van die welke in deze verklaringen worden uitgedrukt of geïmpliceerd. Deze toekomstgerichte verklaringen zijn herkenbaar aan het gebruik van termen en uitdrukkingen als "streven", "ambitie", "anticiperen", "geloven", "kunnen", "schatten", "verwachten", "doelen", "voornemen", "kunnen", "mijlpalen", "doelstellingen", "vooruitzichten", "plan", "waarschijnlijk", "project", "risico's", "schema", "streven", "zouden", "doel", "zullen" en soortgelijke termen en zinnen. Voorbeelden van toekomstgerichte verklaringen zijn verklaringen met betrekking tot de timing en voortgang van Pharming's preklinische studies en klinische proeven van haar productkandidaten, Pharming's klinische en commerciële vooruitzichten, en Pharming's verwachtingen met betrekking tot haar verwachte behoefte aan werkkapitaal en kasmiddelen, welke verklaringen onderhevig zijn aan een aantal risico's, onzekerheden en veronderstellingen, waaronder, maar niet beperkt tot de omvang, voortgang en uitbreiding van Pharming's 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 Pharming's Jaarverslag 2021 en het Jaarverslag op Form 20-F voor het jaar eindigend op 31 december 2021, ingediend bij de Amerikaanse Securities and Exchange Commission, is het mogelijk dat de gebeurtenissen en omstandigheden besproken in dergelijke toekomstgerichte verklaringen zich niet voordoen, en Pharming's werkelijke resultaten zouden wezenlijk en nadelig kunnen verschillen van die voorzien of geïmpliceerd daardoor. Alle toekomstgerichte verklaringen in dit persbericht worden uitdrukkelijk in hun geheel gekwalificeerd door de waarschuwende verklaringen die in dit gedeelte zijn opgenomen of waarnaar wordt verwezen. Lezers moeten niet overmatig vertrouwen op toekomstgerichte verklaringen. Alle*

*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.*

### **Inside Informatie**

*Dit persbericht heeft betrekking op de openbaarmaking van informatie die kwalificeert of kan hebben gekwalificeerd als voorwetenschap in de zin van artikel 7, lid 1, van de EU-marktmisbruikverordening.*

### **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;Mei 21.
7. Condliffe AM, Chandra A. Front Immunol. 2018;9:338.
8. RAO VK, et al Bloed. 2023 Mar 2;141(9):971-983.

### **Voor verdere publieke informatie, neem contact op met:**

*Pharming Group, Leiden*

*Michael Levitan, VP Investor Relations & Corporate Communications*

*T: +1 (908) 705 1696*

*Heather Robertson, Investor Relations & Corporate Communications Manager*

*E: investor@pharming.com*

*FTI Consulting, Londen, UK*

*Victoria Foster Mitchell/Alex Shaw/Amy Byrne*

*T: +44 203 727 1000*

*LifeSpring Life Sciences Communication, Amsterdam*

*Leon Melens*

*T: +31 6 53 81 64 27*

*E: pharming@lifespring.nl*

*US PR*

*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*