

## Pharming publiceert resultaten van klinische studies naar de behandeling van COVID-19 met RUCONEST®

- *Pharmings eigen onderzoek in de VS voldeed aan het primaire eindpunt*
- *Met RUCONEST® behandelde patiënten hadden statistisch significant lagere scores in ernst van de ziekte ( $p=0,0056$ ) in vergelijking met patiënten behandeld met alleen standaard-medicatie*

**Leiden, 14 september 2021:** Pharming Group NV (“Pharming” of “de Onderneming”) (Euronext Amsterdam: PHARM/NASDAQ: PHAR) maakt de *topline* resultaten bekend van twee gerandomiseerde, open label, gecontroleerde, klinische pilot-onderzoeken met patiënten die in het ziekenhuis waren opgenomen met COVID-19 en die werden behandeld met RUCONEST® voor de preventie van een ernstige SARS-CoV-2-infectie. Het primaire eindpunt in beide onderzoeken was ‘de ernst van de ziekte op dag 7 van de 7-punts WHO-schaal’.

In het Amerikaanse onderzoek, uitgevoerd op initiatief van Pharming zelf, en waaraan op het moment van de tussentijdse analyse 32 patiënten deelnamen, hadden patiënten die werden behandeld met RUCONEST® én met standaardmedicatie, statistisch significant lagere WHO-scores voor wat betreft de ernst van de ziekte op dag 7 (gemiddeld 1,83, SD 0,65 ) in vergelijking met die patiënten die alleen standaardmedicatie kregen (gemiddeld 3,22, SD 1,86;  $p=0,0056$ ). Gegevens over secundaire eindpunten en biomarker-evaluaties kwamen overeen met de bevindingen van het primaire eindpunt.

In de studie op initiatief van een onderzoeker, uitgevoerd in Zwitserland, Brazilië en Mexico, onderdeel van het National Research Program “COVID-19” (NRP 78) van de Swiss National Science Foundation (SNSF), en waarbij 83 patiënten waren opgenomen op het moment van de interim-analyse, werd geen verschil in de primaire variabele waargenomen tussen de behandelgroepen. Echter, er was tussen de groepen een significant verschil in de ernst van de ziekte bij *baseline*, d.w.z. voorafgaand aan de behandeling. Meer specifiek; patiënten in de RUCONEST®-onderzoeksgroep hadden een statistisch significant ernstiger ziektebeeld dan de patiënten in de standaardbehandelingsgroep ( $p=0,0324$ ).

Hoewel de twee onderzoeken een vergelijkbare opzet hadden en beide patiëntengroepen met ernstige longontsteking in het ziekenhuis waren opgenomen met een COVID-19-infectie, werden verschillende doseringsschema's van RUCONEST® toegepast. In de door de onderzoeker geleide studie werd RUCONEST® gedurende drie dagen naast de standaardbehandeling gedoseerd, terwijl dit in het Amerikaanse onderzoek vier dagen betrof. Ook waren er verschillen in de patiëntpopulaties die in de studie werden opgenomen en in de standaardbehandelingen die werden toegediend.

Het primaire eindpunt in beide onderzoeken was ‘de ernst van de ziekte op de 7-punts WHO-schaal’ op dag 7. Dit eindpunt is door de WHO voorgesteld voor klinische studies bij patiënten met COVID-19, aangezien het de ernst van de ziekte in de loop van de tijd meet.

De onderzoeken werden uitgevoerd na een zogeheten *compassionate use* onderzoek in het voorjaar van 2020 dat bemoedigende resultaten opleverde bij patiënten die RUCONEST® toegediend hadden gekregen na ziekenhuisopname met aan COVID-19 gerelateerde ernstige longontsteking. De resultaten werden voor het eerst aangekondigd in april 2020 en vervolgens gepubliceerd in het medische tijdschrift [Frontiers in Immunology](#) in augustus 2020.

#### **Anurag Relan MD, Pharmings Chief Medical Officer zegt in reactie:**

*“Deze resultaten ondersteunen onze initiële hypothese over de noodzaak om het hyper-inflammatoire proces, de zogeheten cytokine-storm, bij patiënten met een ernstige COVID-19-infectie onder controle te houden. Helaas kunnen we niet veel conclusies trekken uit de Zwitserse studie, vanwege de onbalans tussen de RUCONEST®-arm en de controlegroep bij de start van de trial. We danken echter alle betrokken hoofdonderzoekers en hun medewerkers voor het uitvoeren van dit belangrijke onderzoek onder bijzonder uitdagende omstandigheden. We zullen de volledige resultaten van deze studies analyseren met het oog op het samenstellen van toekomstige klinische onderzoeken met RUCONEST® voor de behandeling van COVID-19, evenals voor andere ernstige aandoeningen.”*

RUCONEST® werd goed verdragen en in geen van beide onderzoeken werden ernstige bijwerkingen waargenomen.

Beide onderzoeken zijn nu afgerond en de resultaten zullen worden gepubliceerd in peer-reviewed medische tijdschriften.

#### **Over Pharming Group N.V.**

Pharming Group N.V. is een wereldwijd actief biofarmaceutisch bedrijf in de commerciële fase dat innovatieve eiwitvervangende therapieën en precisiegeneesmiddelen ontwikkelt voor de behandeling van zeldzame ziekten en onvervulde medische behoeften.

Ons belangrijkste compound betreft onze recombinante humane C1-esteraseremmer, of rhC1INH. C1INH is een natuurlijk voorkomend eiwit dat de complement- en contactcascade reguleert om zwelling in aangetaste weefsels te beheersen.

Ons hoofdproduct, RUCONEST® is de eerste en enige plasmavrije rhC1INH-eiwitvervangings therapie. Het is goedgekeurd voor de behandeling van acuut erfelijk angio-oedeem of HAE-aanvallen. We commercialiseren RUCONEST® in de Verenigde Staten, de Europese Unie en het Verenigd Koninkrijk via onze eigen verkoop- en marketingorganisatie, en de rest van de wereld via ons distributienetwerk.

We ontwikkelen ook rhC1INH voor nieuwe indicaties, waaronder pre-eclampsie, acuut nierfalen en we onderzoeken ook de klinische werkzaamheid van rhC1INH in COVID-19. Daarnaast onderzoeken we ons orale precisiegeneesmiddel, leniolisib (een fosfoinositide 3-kinase-delta of PI3K-delta-remmer), voor

de behandeling van geactiveerd PI3K-deltasyndroom, of APDS, in een fase 2/3 registratiestudie in de VS en Europa.

Bovendien maken we gebruik van onze transgene productietechnologie voor de ontwikkeling van de volgende generatie eiwitvervangende therapieën, met name voor de ziekte van Pompe, welk programma zich momenteel in de preklinische fase bevindt.

Ga voor meer informatie naar [www.pharming.com](http://www.pharming.com)

### **Toekomstgerichte verklaringen**

*Dit persbericht bevat toekomstgerichte verklaringen, onder meer met betrekking tot de timing en voortgang van de preklinische onderzoeken en klinische onderzoeken van Pharming met haar productkandidaten, de klinische en commerciële vooruitzichten van Pharming, het vermogen van Pharming om de uitdagingen van de COVID-19-pandemie voor het gedrag te overwinnen van haar activiteiten, en Pharmings verwachtingen met betrekking tot haar verwachte werkkapitaalvereisten en kasmiddelen, welke verklaringen onderhevig zijn aan een aantal risico's, onzekerheden en veronderstellingen, inclusief, maar niet beperkt tot de reikwijdte, voortgang en uitbreiding van Pharmings klinische onderzoeken en gevolgen 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 het jaarverslag 2020 van Pharming, is het mogelijk dat de gebeurtenissen en omstandigheden die in dergelijke toekomstgerichte verklaringen worden besproken, zich niet voordoen en werkelijke resultaten kunnen wezenlijk en nadelig verschillen van de resultaten die daardoor worden verwacht of geïmpliceerd. Alle toekomstgerichte verklaringen gelden alleen op de datum van dit persbericht en zijn gebaseerd op informatie waarover Pharming beschikt op de datum van dit persbericht.*

### **Voorwetenschap**

*Dit persbericht heeft betrekking op de openbaarmaking van informatie die kwalificeert, of mogelijk gekwalificeerd heeft, als voorwetenschap in de zin van artikel 7 (1) van de Europese Verordening Marktmisbruik.*

### **Neem voor meer informatie contact op met:**

#### **Pharming Group, Leiden**

Sijmen de Vries, CEO: T: +31 71 524 7400

Susanne Embleton, Investor Relations Manager

T: +31 71 524 7400

E: [investor@pharming.com](mailto:investor@pharming.com)

**FTI Consulting, London, VK**

Victoria Foster Mitchell/Alex Shaw

T: +44 203 727 1000

**LifeSpring Life Sciences Communication, Amsterdam**

Leon Melens

T: +31 6 53 81 64 27

E: [pharming@lifespring.nl](mailto:pharming@lifespring.nl)