

## **Pharming ontvangt Rare Impact Award als Industry Innovator voor de commercialisering van Joenja (leniolisib) tijdens komende Amerikaanse National Organization for Rare Disorders (NORD®) bijeenkomst**

***Joenja® (leniolisib), een 'first in class' therapie die reeds tien jaar na karakterisering van APDS op de markt werd gebracht***

**Leiden, 24 april 2024:** Pharming Group N.V. ("Pharming" of "de Onderneming") (EURONEXT Amsterdam: PHARM/Nasdaq: PHAR) is verheugd met de erkenning als Industry Innovator door de Amerikaanse National Organization for Rare Disorders (NORD®). Pharming ontvangt een Rare Impact Award op 8 juni 2024 tijdens de [jaarlijkse bijeenkomst van NORD®](#) in Universal City, Californië. De Rare Impact Awards eren individuen, groepen en ondernemingen die uitzonderlijke progressie boeken bij de verbetering van het leven van mensen die lijden aan een zeldzame aandoening.

Pharming zal de Award in ontvangst nemen voor de goedkeuring door de Amerikaanse Food and Drug Administration (FDA), alsmede voor de commercialisering van Joenja® (leniolisib), een orale, selectieve PI3Kδ-remmer. Joenja® is de eerste en enige behandeling goedgekeurd in de VS voor geactiveerd fosfoïnositide 3-kinase delta syndroom (APDS) bij volwassen en pediatrische patiënten van 12 jaar en ouder. Al zo'n twee weken na de goedkeuring van Joenja® op 24 maart 2023, maakte Pharming bekend dat de eerste zendingen bij patiënten in de VS waren afgeleverd.

***Peter Saltonstall, voorzitter en CEO van NORD, zegt hier:***

*"NORD is zeer verheugd Pharming te kunnen eren voor de goedkeuring van Joenja® ter behandeling van APDS, een zeldzame aangeboren afwijking van het immuunsysteem die voornamelijk wordt gekenmerkt door frequente infecties, lymfoproliferatie en auto-immuniteit en waarvoor geen gerichte therapie bestond tot de FDA Joenja® goedgekeurde voor zowel volwassenen als kinderen van 12 jaar en ouder. Namens de ongeveer 500 mensen in de VS met deze zeldzame aandoening is NORD bijzonder blij met deze innovatie van Pharming. Aangezien er voor 95% van zeldzame aandoeningen geen therapieën beschikbaar zijn, is de goedkeuring van Joenja® tegen APDS een NORD Industry Innovation Award meer dan waard. NORD feliciteert Pharming met deze prestatie."*

***Stephen Toor, Chief Commercial Officer van Pharming, gaf commentaar:***

*"We zijn vereerd dat we door NORD® worden erkend als onderneming die een verschil maakt voor mensen die leven met of zorgen voor iemand met een zeldzame aandoening. Slechts een aantal van de 7.000 zeldzame aandoeningen kent een door de FDA goedgekeurde behandeling. Pharming is er dan ook trots op een therapie tegen APDS te kunnen aanbieden. Dit is een belangrijke mijlpaal voor de wetenschappers die Joenja hebben ontwikkeld en voor de patiënten die we helpen. We kijken ernaar uit om deze prestatie later dit jaar samen met leden van de APDS-gemeenschap te vieren."*

Klik [hier](#) voor meer informatie over de Rare Impact Awards en om de volledige lijst van winnaars te bekijken.

### **Over National Organization for Rare Disorders (NORD®)**

Met een 40-jarige historie van het bevorderen van zorg, behandelingen en beleid, is de National Organization for Rare Disorders (NORD) de toonaangevende en langst bestaande belangenorganisatie voor de meer dan 25 miljoen Amerikaanse patiënten die leven met een zeldzame ziekte. NORD, een 501(c)(3) non-profit organisatie, zet zich in voor mensen met zeldzame ziekten en de organisaties die hen bedienen. NORD zet zich, samen met de meer dan 330 aangesloten patiëntenorganisaties, in voor het verbeteren van de gezondheid en het welzijn van mensen met zeldzame ziekten door het stimuleren van verbeteringen van zorg, onderzoek en beleid. Ga voor meer informatie naar <https://rarediseases.org/>.

### **Over het geactiveerde fosfoinositide 3-kinase $\delta$ syndroom (APDS)**

APDS is een zeldzame primaire immunodeficiëntie 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 afweercellen in het lichaam. Varianten van deze genen leiden tot hyperactiviteit van de PI3K $\delta$  (phosphoïnositide 3-kinase delta) *pathway*, waardoor afweercellen niet goed rijpen en functioneren, wat leidt tot immunodeficiëntie en ontregeling.<sup>1,2,3</sup> APDS wordt gekenmerkt door een verscheidenheid aan symptomen, waaronder ernstige, terugkerende sinopulmonale infecties, lymfoproliferatie, auto-immuniteit en enteropathie.<sup>4,5</sup> Omdat deze symptomen geassocieerd kunnen worden met een verscheidenheid aan aandoeningen, waaronder andere primaire immunodeficiënties, is gerapporteerd dat mensen met APDS vaak een verkeerde diagnose krijgen en een mediaan diagnostisch oponthoud van 7 jaar hebben.<sup>6</sup> Omdat APDS een progressieve ziekte is, kan dit oponthoud in de loop van de tijd leiden tot een opeenstapeling van schade, waaronder blijvende longschade en lymfoom.<sup>4-7</sup> Een definitieve diagnose kan worden gesteld door middel van genetisch onderzoek. APDS treft wereldwijd ongeveer 1 tot 2 mensen per miljoen.

### **Over leniolisib**

Leniolisib is een orale kleine molecule fosfoïnositide 3-kinase delta (PI3K $\delta$ ) remmer die is goedgekeurd in de VS als de eerste en enige gerichte behandeling van het geactiveerde fosfoïnositide 3-kinase delta (PI3K $\delta$ ) 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 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 bijkomende eindpunten; ze toonden een statistisch significante impact op immuun-disregulatie en normalisatie van het immunofenotype bij deze patiënten, en tussentijdse open-label extensie studiedata ondersteunden de veiligheid en verdraagbaarheid van langdurige toediening van leniolisib.<sup>8,9</sup> Leniolisib wordt momenteel

onderworpen aan een goedkeuringsstudie in Europa, Canada en Australië, en er werd een goedkeuringsaanvraag ingediend in het Verenigd Koninkrijk met plannen voor goedkeuringsaanvragen in Japan. Leniolisib wordt ook geëvalueerd in twee Fase III klinische studies bij kinderen met APDS.

### Over Pharming Group

Pharming Group N.V. (EURONEXT Amsterdam: PHARM/Nasdaq: PHAR) is een wereldwijd biofarmaceutisch bedrijf dat 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 genterapieën die zich in een vroeg tot laat ontwikkelingsstadium bevinden. Pharming heeft haar hoofdkantoor in Leiden en heeft medewerkers 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 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 Pharming's preklinische studies en klinische proeven van haar productkandidaten, 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, commerciële, concurrerende en technische ontwikkelingen. In het licht van deze risico's en onzekerheden, en andere risico's en onzekerheden die worden beschreven in Pharmings jaarverslag 2023 en het jaarverslag op Form 20-F voor het jaar eindigend op 31 december 2023, 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 de werkelijke resultaten van Pharming zouden wezenlijk en nadelig kunnen verschillen van de verwachte of geïmpliceerde resultaten. 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.*

## 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 Bloed. 2023 Mar 2;141(9):971-983.
9. Rao VK, et al. Journal of Allergy and Clinical Immunology (2023), doi: <https://doi.org/10.1016/j.jaci.2023.09.032>.

## Voor meer openbare informatie kunt u contact opnemen met:

*Pharming Group, Leiden, Nederland*

Michael Levitan, VP Investor Relations & Corporate Communications

T: +1 (908) 705 1696

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

*LifeSpring Life Sciences Communication, Amsterdam*

Leon Melens

T: +31 6 53 81 64 27

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

*FTI Consulting, Londen, Verenigd Koninkrijk*

Victoria Foster Mitchell/Alex Shaw/Amy Byrne

T: +44 203 727 1000

PR VS

Christina Renfroe

E: [Christina.Renfroe@precisionvh.com](mailto:Christina.Renfroe@precisionvh.com)

T: +1 (636) 352-7883