

Pharming rondt rekrutering van patiënten in klinische studie met leniolisib voor kinderen af

De multinationale Fase III studie evalueert leniolisib-tabletten bij kinderen van 4 tot 11 jaar met APDS, een zeldzame primaire aandoening aan het immuunsysteem

Leiden, 8 april 2024: Pharming Group N.V. ("Pharming" of "de Onderneming") (EURONEXT Amsterdam: PHARM/Nasdaq: PHAR) maakt bekend dat de laatste patiënt is gerekruteerd in haar Fase III klinische studie ([NCT05438407](#)) waarin het kandidaat-geneesmiddel leniolisib, een orale, selectieve fosfoinositide 3-kinase delta (PI3K δ) remmer, wordt geëvalueerd bij kinderen in de leeftijd van 4 tot 11 jaar gediagnostiseerd met geactiveerd fosfoinositide 3-kinase delta syndroom (APDS).

Leniolisib, in de VS op de markt gebracht onder de merknaam Joenja®, kreeg in maart 2023 goedkeuring van de Amerikaanse Food and Drug Administration (FDA) voor de behandeling van APDS bij volwassen en pediatrie patiënten van 12 jaar en ouder. Pharming is voornemens om de gegevens van deze studie met 4-11-jarigen op te nemen in wereldwijde goedkeuringsaanvragen van leniolisib voor pediatrie patiënten met APDS, te beginnen in 2025.

Anurag Relan, MD, MPH, Chief Medical Officer van Pharming, gaf commentaar:

"Dit is de eerste klinische studie voor jongere pediatrie patiënten met APDS, die een tot nu toe nog onvervulde medische behoefte hebben aan een behandeling die de ziekte kan modificeren. Ik ben verheugd met de voortgang die we boeken in ons klinische Fase III-programma waarin we leniolisib onderzoeken bij kinderen met APDS. Door op jongere leeftijd in te grijpen, kunnen we mogelijk helpen voorkomen dat deze patiënten complicaties aan hun immuunsysteem ontwikkelen die waarschijnlijk hun hele leven zullen voortduren."

Aan de studie namen 21 kinderen met APDS in de leeftijd van 4 tot 11 jaar deel op locaties in de Verenigde Staten, Europa en Japan. De enkelarmige, open-label klinische studie evalueert de veiligheid, verdraagbaarheid en werkzaamheid van leniolisib. De primaire eindpunten van de studie zijn: een vermindering van de index lymfeklier grootte, en een verhoogd aandeel van naïeve B-cellen op het totaal aantal B-cellen ten opzichte van de uitgangswaarde na 12 weken. Secundaire eindpunten zijn een beoordeling van het vermogen van leniolisib om de gezondheids-gerelateerde levenskwaliteit te wijzigen op basis van metingen van fysiek, sociaal, emotioneel en school functioneren aan de hand van een gevalideerde patiënten-vragenlijst. Deze eindpunten komen overeen met die welke gebruikt werden bij de evaluatie van de klinische resultaten in eerdere leniolisib Fase II/III APDS-studies voor patiënten van 12 jaar en ouder.

De eerste patiënt werd gedoseerd in november 2023 in een afzonderlijke fase III klinische studie met kinderen van 1 tot 6 jaar met APDS naar een nieuwe pediatrie formulering van leniolisib. In

aanmerking komende patiënten die werden gerekruteerd in één van de pediatrie studies zullen leniolisib nog een jaar blijven ontvangen na de eerste behandelingsperiode van 12 weken via een open-label extensiestudie.

Over het geactiveerde fosfoinositide 3-kinase δ syndroom (APDS)

APDS is een zeldzame primaire aandoening aan het immuunsysteem die voor het eerst werd omschreven 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 immuuncellen in het lichaam. Varianten van deze genen leiden tot hyperactiviteit van de PI3K δ (phosphoinositide 3-kinase delta) *pathway*, waardoor immuuncellen niet goed rijpen en functioneren, wat leidt tot immunodeficiëntie en ontregeling.^{1,2,3} APDS wordt gekenmerkt door verschillende symptomen, waaronder ernstige, terugkerende sinopulmonale infecties, lymfoproliferatie, auto-immuniteit en enteropathie.^{4,5} Omdat deze symptomen geassocieerd kunnen worden met verschillende aandoeningen, waaronder andere primaire immunodeficiënties, is bekend dat mensen met APDS vaak een onjuiste diagnose krijgen en dat de diagnostische vertraging gemiddeld zeven jaar bedraagt.⁶ Omdat APDS een progressieve ziekte is, kan deze vertraging in de loop van de tijd leiden tot een opeenstapeling van schade, waaronder blijvende longschade en lymfeklierkanker.⁴⁻⁷ Een definitieve diagnose kan worden gesteld door middel van genetische testen. APDS treft wereldwijd ongeveer 1 tot 2 per miljoen personen.

Over leniolisib

Leniolisib is een orale kleine molecule fosfoinositide 3-kinase delta (PI3K δ)-remmer die in de VS is goedgekeurd als de eerste en enige gerichte behandeling van het geactiveerde fosfoinositide 3-kinase delta (PI3K δ)-syndroom (APDS) bij volwassen en pediatrie 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 immuundisregulatie en normalisatie van het immunofenotype bij deze patiënten, en tussentijdse open-label uitbreidingsgegevens ondersteunden de veiligheid en verdraagbaarheid van leniolisib toediening op lange termijn.^{8,9} Leniolisib wordt momenteel door regelgevende instanties geëvalueerd in de Europese Economische Ruimte, Canada, Australië en Israël en er werd een goedkeuringsaanvraag ingediend in het Verenigd Koninkrijk. Daarnaast zijn er plannen voor het aanvragen van goedkeuring in Japan. Leniolisib wordt tevens geëvalueerd in twee Fase III klinische studies bij kinderen met APDS.

Over Pharming Group N.V.

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 gentherapieën 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 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 kandidaat-producten, 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 op de toekomstgerichte verklaringen in dit persbericht worden uitdrukkelijk in hun geheel gekwalificeerd door de waarschuwende verklaringen die in dit gedeelte zijn opgenomen of waarnaar in dit gedeelte wordt verwezen. 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.

Voorwetenschap

Dit persbericht heeft betrekking op de openbaarmaking van informatie die gekwalificeerd kan worden of gekwalificeerd zou kunnen zijn als voorwetenschap in de zin van artikel 7(1) van de EU Marktmissbruik Verordening.

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. J Allergy Clin Immunol 2024;153:265-74.R.

Voor meer informatie kunt u contact opnemen met:

Pharming Group, Leiden, Nederland

Michael Levitan, VP investor Relations & Corporate Communication

T: +1 (908) 705 1696

LifeSpring Life Sciences Communication, Amsterdam Leon Melens

T: +31 6 53 81 64 27

E: 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

T: +1 (636) 352-7883