

Pharming Group presenteert tijdens de Clinical Immunology Society Annual Meeting 2025 in Philadelphia

Leiden, 25 april 2025: Pharming Group N.V. ("Pharming" of "de Onderneming") (Euronext Amsterdam: PHARM/Nasdaq: PHAR) kondigt de volgende presentaties aan door de Onderneming of samenwerkende onderzoekers op de 2025 Annual Meeting van de Clinical Immunology Society (CIS), die plaatsvindt tussen 1 en 4 mei 2025 in Philadelphia (VS). Deze presentaties omvatten Fase III klinische gegevens voor leniolisib voor pediatrische patiënten in de leeftijd van 4-11 jaar met het geactiveerde fosfoinositide 3-kinase delta (PI3K δ) syndroom (APDS) en inzichten in APDS en andere primaire immuundeficiënties (PID's) met immuun dysregulatie. De tijden van de presentaties zijn aangegeven in Eastern Time (ET) aan de Amerikaanse Oostkust.

Presentaties:

Titel: *Primaire en veiligheidsuitkomsten van een 12-weekse fase 3 open-label onderzoek met één arm naar de behandeling met de PI3K δ -remmer Leniolisib bij pediatrische patiënten in de leeftijd van 4-11 jaar met geactiveerd PI3K δ -syndroom (APDS)*

Presenterende auteur: Shanmuganathan Chandrakasan, MD, Division of Bone Marrow Transplant, Aflac Cancer and Blood Disorders Center, Children's Healthcare of Atlanta, Emory University School of Medicine, Atlanta, GA, USA

Soort sessie: Poster

Sessie Datum/Tijd: vrijdag 2 mei 2025, 13:30-14:30 uur (ET)

Abstract/Poster Nummer: 70

Titel: *De invloed van immuun dysregulatie op klinische resultaten bij Common Variable Immunodeficiency: Een systematisch literatuuroverzicht*

Presenterende auteur: Jocelyn R. Farmer, MD, PhD, Department of Medicine, UMass Chan Medical School, Worcester, MA, USA, en Clinical Immunodeficiency Program of Beth Israel Lahey Health, Division of Allergy and Immunology, Lahey Hospital & Medical Center, Burlington MA, USA.

Soort sessie: Mondelinge presentatie

Sessie Datum/Tijd: zaterdag 3 mei 2025, 13:30-14:30 uur (ET)

Abstract/Poster Nummer: 30

Titel: *Definiëren van een geactiveerd PI3K-delta syndroom-achtig endotype binnen bredere gemeenschappelijke variabele immuundeficiëntie*

Presenterende auteur: Jocelyn R. Farmer, MD, PhD, Department of Medicine, UMass Chan Medical School, Worcester, MA, USA, en Clinical Immunodeficiency Program of Beth Israel Lahey Health, Division of Allergy and Immunology, Lahey Hospital & Medical Center, Burlington MA, USA.

Soort sessie: Poster

Sessie Datum/Tijd: vrijdag 2 mei 2025, 13:30-14:30 uur (ET)

Abstract/Poster Nummer: 32

Titel: *Leniolisib, een PI3Kδ-remmer, verbetert lymfoproliferatieve ziekte in een muismodel van auto-immuun lymfoproliferatief syndroom (ALPS-FAS)*

Presenterende auteur: Kevin Thorneloe, PhD, Pharming Healthcare, Inc., Warren, NJ, VS

Soort sessie: Poster

Sessie Datum/Tijd: zaterdag 3 mei 2025, 13:30-14:30 uur (ET)

Abstract/Poster Nummer: 37

Titel: *Demografische en klinische kenmerken van mensen met geactiveerd fosfoinositide 3-kinase delta syndroom (APDS) in de APDS-Characterization and Clinical Outcomes Immunologic Registry (APDS-CHOIR)*

Presenterende auteur: Nicholas Hartog, MD, Cornwell Health Pediatric Allergy and Immunology, Grand Rapids, MI, VS

Soort sessie: Poster

Sessie Datum/Tijd: vrijdag 2 mei 2025, 13:30-14:30 uur (ET)

Abstract/Poster Nummer: 49

Titel: *Inzichten van patiënten vergroten begrip van APDS*

Presenterende auteur: Kristie Cline, MBA, Pharming Healthcare, Inc., Warren, NJ, VS

Soort sessie: Poster

Sessie Datum/Tijd: zaterdag 3 mei 2025, 13:30-14:30 uur (ET)

Abstract/Poster Nummer: 40

De effectiviteit en veiligheid van leniolisib voor pediatrische patiënten van 4-11 jaar met APDS is niet beoordeeld of goedgekeurd door een regelgevende instantie. Preklinische data in ALPS-FAS hebben mogelijk geen voorspellende waarde voor klinische uitkomsten.

Over leniolisib

Joenja® (leniolisib) is een orale kleine-molecule-fosfoinositide 3-kinase delta (PI3Kδ)-remmer die is goedgekeurd in de VS, het VK, Australië en Israël als de eerste en enige gerichte behandeling van het geactiveerde 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 (PIP3), dat fungeert als een belangrijke cellulaire boodschapper en een veelheid aan celfuncties reguleert, zoals proliferatie, differentiatie, cytokineproductie, celoverleving, angiogenese en metabolisme. De resultaten van een gerandomiseerde, placebo-gecontroleerde klinische studie in Fase III toonden een statistisch significante verbetering aan in de belangrijkste eindpunten, wat een gunstige invloed aantoont op de ontregeling van het immuunsysteem en de deficiëntie die bij deze patiënten wordt waargenomen.^{1,2} Tussentijdse open-label extensiestudie gegevens hebben de veiligheid en verdraagbaarheid van de toediening van leniolisib op lange termijn bevestigd. Leniolisib wordt momenteel door geneesmiddelautoriteiten geëvalueerd voor behandeling van APDS in de Europese Economische Ruimte, Canada en verscheidene andere landen, met plannen voor verdere goedkeuring in Japan. 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 immuun dysregulatie. De veiligheid en werkzaamheid van leniolisib is niet vastgesteld voor PID's met immuun dysregulatie buiten de APDS-aandoening.

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 portfolio van innovatieve geneesmiddelen, waaronder kleine moleculen en biologische geneesmiddelen. Pharming heeft haar hoofdkantoor in Leiden. Medewerkers over de hele wereld bedienen patiënten 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 uitspraken

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 Pharmings 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 Pharming's 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 2024 en het jaarverslag op Form 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 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 verplichting op zich om toekomstgerichte verklaringen publiekelijk bij te werken of te herzien als gevolg van nieuwe informatie, toekomstige gebeurtenissen of andere informatie.

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 Marktmisbruik Verordening

Referenties

1. Rao VK, et al Blood. 2023 Mar 2;141(9):971-983.
2. Rao VK, et al. J Allergy Clin Immunol 2024;153:265-74.

Neem voor meer informatie contact op met:

Pharming Group, Leiden

Michael Levitan, VP Inverteerdersrelaties & Communicatie

T: +1 (908) 705 1696

E: investor@pharming.com

FTI Consulting, Londen, Verenigd Koninkrijk

Simon Conway/Alex Shaw/Amy Byrne

T: +44 203 727 1000

LifeSpring Life Sciences Communicatie, Amsterdam

Leon Melens

T: +31 6 53 81 64 27

E: pharming@lifespring.nl

PR VS

Christina Skrivan

T: +1 (636) 352-7883

E: Christina.Skrivan@precisionaq.com