

Persbericht

www.pharming.com

Pharming maakt gunstige conclusie bekend van vergelijkende studie met verschillende therapieën tegen acute erfelijk angio-oedeem-aanvallen

Behandeling met recombinante therapie RUCONEST® en met van bloedplasma afgeleide C1-middelen vereisen aanzienlijk minder herbehandelingen dan icatibant (Firazyr®) voor het stoppen van aanvallen

Leiden, [7 december] 2018: Pharming Group N.V. ("Pharming" of "de Onderneming") (Euronext Amsterdam: PHARM) maakt de presentatie bekend van de resultaten van een door onderzoekers geïnitieerde vergelijkende studie van therapieën tegen acute aanvallen van erfelijk angio-oedeem ("HAE"). De studie onderzocht en vergeleek herdoseringen voor humane C1-esteraseremmer in recombinante vorm (Ruconest®) en uit plasma verkregen vormen (Berinert®, Cinryze®) met icatibant (Firazyr®) bij zeven patiënten met HAE-aanvallen. In totaal werden 69 aanvallen geregistreerd. Het onderzoek werd geleid door prof.dr. Marcus Magerl van de afdeling Dermatologie en Allergie van het Berlijnse Charité Universitätsmedizin Berlin. Het belangrijkste resultaat van de studie was dat behandeling met recombinante therapie RUCONEST® en met plasma-afgeleide C1-middelen significant minder herdosering vereist dan icatibant (Firazyr®) om HAE-aanvallen te stoppen.

Er vonden in totaal 69 aanvallen plaats bij alle zeven patiënten. In deze zogeheten 'real world'-studie konden de patiënten zelf het middel voor de behandeling van hun aanval kiezen. Om de aanval te stoppen moesten sommige patiënten na de eerste toediening zichzelf nog eens behandelen met een tweede dosis of daarna nog vaker. De keuze van het daaropvolgende middel voor herbehandeling werd ook door de patiënt bepaald. De meerderheid van de aanvallen werd geclassificeerd als mild (67%), 27% als matig en 6% als ernstig.

Patiënten behandelden aanvankelijk hun aanval met Berinert® (vijf aanvallen) of Cinryze® (17 aanvallen), beide plasma-afgeleide C1-esterase-remmers ("pdC1INH"), of Firazyr® (25 aanvallen) (icatibant, een bradykinine-remmer, "icatibant"), of Pharming's RUCONEST® (20 aanvallen), een recombinante humane C1-esteraseremmer ("rhC1INH").

Resultaten

In de studie toonde RUCONEST® 100% werkzaamheid met de eerste (juiste) dosering. In twee gevallen werd aanvullende therapie toegepast vanwege initiële onderdosering van de eerste behandeling. Cinryze® en Berinert® lieten ook goede resultaten zien.

Het belangrijkste verschil werd echter aangetoond bij dié patiënten die Firazyr® als hun initiële therapie hadden gekozen. Deze patiënten registreerden meer herdoseringen dan uit gecontroleerde klinische studies naar voren is gekomen.

Van de 25 aanvallen die met Firazyr® werden behandeld als eerstelijnsbehandeling, faalden er 11 (44%) bij de eerste dosis. In acht van die elf mislukte gevallen (72%) nam de patiënt een tweede dosis Firazyr®

om te proberen de aanval te stoppen. In de andere drie gevallen namen de patiënten een C1-esteraseremmer (twee Berinert® en een RUCONEST®).

Alle patiënten die een C1-esteraseremmer namen meldten dat de aanval was verdwenen, terwijl in nog eens vijf van de acht Firazyr®-behandelingen patiënten een derde medicatiedosis moesten nemen om de aanval te stoppen. Waar ofwel Ruconest® (twee) of Berinert® (één) werd gebruikt als derde behandeling, werd de aanval alsnog opgelost, terwijl één op de twee aanvallen die opnieuw werden behandeld met Firazyr® een vierde dosis Firazyr® nodig had om de aanval te kunnen beëindigen.

Eerste behandeling	Opgelost na eerste dosis	%	Niet opgelost (tweede behandeling nodig)	%	Niet opgelost (derde behandeling nodig)	%	Niet opgelost (vierde behandeling nodig)	%
Berinert® (6)	6	100,0	-	-			-	
Cinryze® (18)	17	94,4	1	11,1			-	
Firazyr® (25)	14	5,0	11	44,0	5 (of 8)	62,5	1 (of 2)	50,0
Ruconest®(20)	18	90,0	2*	10*			-	
Totaal	55		14		5		1	

* Ondergedoseerd: slechts één injectieampul toegediend en niet de voorgeschreven dosis van 50E/kg
Opmerking: de percentages tonen de mislukkingen per geneesmiddel, zodat bijvoorbeeld 5 van de 8 patiënten die hun aanvallen met een tweede dosis Firazyr® wilden oplossen, een derde behandeling nodig hadden.

Verdere gegevens over de redenen voor de selectie van geneesmiddelen en subjectieve observaties van de prestaties van de medicijnen bij elke aanval worden geanalyseerd en de volledige resultaten van het onderzoek zullen te zijner tijd door de onderzoekers worden gepubliceerd.

Dr Bruno Giannetti, Chief Operations Officer van Pharming, zegt:

"Dit was een door onafhankelijke onderzoekers goed geleide vergelijkende studie onder echte dagelijkse omstandigheden, die een duidelijke indicatie geeft ter bevestiging van meldingen van patiënten: adequate doses C1-esteraseremmer vormen een uitstekende therapie voor het minimaliseren en stoppen van een acute HAE-aanvallen. Het bevestigt ook dat opnieuw doseren met icatibant vaak nodig is om een aanval met succes te behandelen. In feite toont dit onderzoek faalpercentages voor behandeling met icatibant van 44% voor de eerste dosis en 62% voor de tweede dosis, waarbij één van de patiënten vier doses moest nemen om één aanval te stoppen."

– E I N D E P E R S B E R I C H T –

BELANGRIJKE INFORMATIE

Dit bericht is een vertaling van het originele Engelstalige persbericht. In geval van verschillen ten gevolge van vertaling of verschillen in interpretatie, geldt het originele Engelstalige persbericht als leidend.

Over erfelijk angio-oedeem

Erfelijk angio-oedeem (HAE) is een zeldzame genetische aandoening. Het wordt gekenmerkt door spontane en terugkerende perioden van zwelling (oedeemaanvallen) van de huid in verschillende delen van het lichaam, evenals in de luchtwegen en interne organen. Oedeem van de huid beïnvloedt meestal de ledematen, het gezicht en de geslachtsorganen. Patiënten die aan dit soort oedemen lijden, trekken zich vaak terug uit het sociale leven vanwege de vervorming, het ongemak en de pijn

die deze symptomen kunnen veroorzaken. Bijna alle HAE-patiënten lijden aan aanvallen van hevige buikpijn, misselijkheid, braken en diarree veroorzaakt door zwelling van de darmwand.

Oedeem van de keel, neus of tong kan bijzonder gevaarlijk zijn, omdat dit kan leiden tot obstructie van de luchtwegpassages en mogelijk levensbedreigend kan zijn. Hoewel er momenteel geen remedie voor HAE bekend is, is het mogelijk om de symptomen die gepaard gaan met oedeemaanvallen te behandelen. HAE treft ongeveer 1 op 10.000 tot 1 op 50.000 mensen. Wereldwijd denken experts dat veel patiënten nog steeds naar de juiste diagnose zoeken. Hoewel HAE (in principe) eenvoudig te diagnosticeren is, wordt het vaak pas laat of helemaal niet ontdekt.

De reden dat voor HAE vaak een onjuiste diagnose wordt gesteld, is omdat de symptomen vergelijkbaar zijn met die van veel andere vaak voorkomende aandoeningen zoals allergieën of blindedarmonsteking. Tegen de tijd dat de diagnose correct wordt gesteld, heeft de patiënt vaak een langdurige beproeving doorstaan.

Over Pharming Group N.V.

Pharming is een gespecialiseerde farmaceutische onderneming die innovatieve producten ontwikkelt voor de veilige, effectieve behandeling van zeldzame ziekten en onvervulde medische behoeften.

Pharmings leidende product, RUCONEST® (conestat alfa), is een recombinante menselijke C1-esteraseremmer die is goedgekeurd voor de behandeling van acute erfelijke angio-oedeem ("HAE") - aanvallen bij patiënten in Europa, de VS, Israël en Zuid-Korea. Het product is beschikbaar op naam-patiëntbasis in andere gebieden waar het nog geen handelsvergunning heeft verkregen.

RUCONEST® wordt gedistribueerd door Pharming in Oostenrijk, Frankrijk, Duitsland, Luxemburg, Nederland, het Verenigd Koninkrijk en de Verenigde Staten van Amerika. Pharming houdt commercialisatierechten in Algerije, Andorra, Bahrein, België, Ierland, Jordanië, Koeweit, Libanon, Marokko, Oman, Portugal, Qatar, Syrië, Spanje, Zwitserland, Tunesië, de Verenigde Arabische Emiraten en Jemen. In sommige van deze landen wordt de distributie uitgevoerd in samenwerking met het HAEi Global Access Program (GAP).

RUCONEST® wordt gedistribueerd door de Zweedse Orphan Biovitrum AB (publ) (SS: SOBI) in de andere EU-landen, en in Azerbeidzjan, Wit-Rusland, Georgië, IJsland, Kazachstan, Liechtenstein, Noorwegen, Rusland, Servië en Oekraïne.

RUCONEST® wordt gedistribueerd in Cytobiotech in Argentinië, Colombia, Costa Rica, de Dominicaanse Republiek, Panama en Venezuela, in Zuid-Korea door HyupJin Corporation en in Israël door Kamada.

RUCONEST® wordt ook onderzocht voor goedkeuring voor de behandeling van HAE bij jonge kinderen (2-13 jaar oud) en geëvalueerd voor verschillende aanvullende vervolginidicaties.

Het technologieplatform van Pharming bevat een uniek, GMP-compatibel, gevalideerd proces voor de productie van pure recombinante menselijke eiwitten waarvan bewezen is dat ze industriële hoeveelheden van hoogwaardige recombinante menselijke eiwitten kunnen produceren op een meer economische en minder immunogenetische manier in vergelijking met de huidige cellijnmethoden.

Leads voor enzymvervangingstherapie ("ERT") voor de ziekten van Pompe en Fabry worden momenteel geoptimaliseerd, waarbij aanvullende programma's zonder ERT ook in een vroeg stadium worden verkend.

Pharming heeft een langetermijnpartnerschap met het China State Institute of Pharmaceutical Industry ("CSIPI"), een bedrijf van Sinopharm, voor gezamenlijke wereldwijde ontwikkeling van nieuwe

producten, te beginnen met recombinante menselijke factor VIII voor de behandeling van hemofilie A. Preklinische ontwikkeling en productie vindt plaats naar wereldwijde standaarden op CSPII en wordt gefinancierd door CSPII. Klinische ontwikkeling zal worden gedeeld tussen de partners waarbij elke partner de kosten voor hun territoria onder het partnerschap neemt.

Aanvullende informatie is beschikbaar op de Pharming-website: www.pharming.com

Toekomstgerichte verklaringen

Dit persbericht van Pharming Group NV en haar dochterondernemingen ("Pharming", de "Onderneming" of de "Groep") kan toekomstgerichte verklaringen bevatten, waaronder maar niet beperkt tot die met betrekking tot Pharming's financiële projecties, marktverwachtingen, ontwikkelingen, partnerschappen, plannen, strategieën en kapitaaluitgaven.

De Onderneming waarschuwt dat dergelijke vooruitblikkende verklaringen bepaalde risico's en onzekerheden kunnen inhouden en dat de werkelijke resultaten kunnen verschillen. Risico's en onzekerheden omvatten, zonder beperking, het effect van concurrerende, politieke en economische factoren, juridische claims, het vermogen van het bedrijf om intellectueel eigendom te beschermen, schommelingen in wisselkoersen en rentetarieven, wijzigingen in belastingwetten of -tarieven, wijzigingen in wetgeving of boekhoudpraktijken en het vermogen om nieuwe producten, markten of technologieën te identificeren, ontwikkelen en met succes te commercialiseren.

Dientengevolge kunnen de werkelijke prestaties, positie en financiële resultaten en verklaringen van de Onderneming wezenlijk verschillen van de plannen, doelstellingen en verwachtingen die zijn uiteengezet in dergelijke toekomstgerichte verklaringen. De Onderneming neemt geen verplichting op zich om toekomstgerichte verklaringen of informatie bij te werken, die moeten worden genomen vanaf de respectieve uitgiftedata, tenzij vereist door wet- of regelgeving.

Voor vragen van de media:

Pharming Group N.V.

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

Dr Bruno Giannetti: T: +31 71 524 7170

LifeSpring Life Sciences Communication, Amsterdam

Leon Melens, Tel: +31 6 53 81 64 27

FTI Consulting, London, VK

Julia Phillips/ Victoria Foster Mitchell, T: +44 203 727 1136