

Pharming Group erhält positive CHMP-Stellungnahme für Joenja® (Leniolisib) zur Behandlung von APDS bei erwachsenen und pädiatrischen Patienten ab 12 Jahren

- Im Falle einer Zulassung wäre Joenja® (Leniolisib) das erste in der Europäischen Union zugelassene Medikament zur Behandlung des Aktivierte Phosphoinositid-3-Kinase-Delta(PI3Kδ)-Syndrom (APDS), eines seltenen angeborenen Immundefekts.
- Die Entscheidung basiert auf klinischen Daten aus Studien der Phase II/III, in denen ein statistisch signifikanter Einfluss auf Indikatoren für Immundysregulation und den Immundefekt aufgezeigt wurde.
- Die endgültige Entscheidung der Europäischen Kommission wird im zweiten Quartal 2026 erwartet.

Leiden, Niederlande, 27. März 2026: Pharming Group N.V. („Pharming“ oder „das Unternehmen“) (EURONEXT Amsterdam: PHARM/Nasdaq: PHAR) gab heute bekannt, dass der Ausschuss für Humanarzneimittel (CHMP) der Europäischen Arzneimittel-Agentur (EMA) in einer positiven Stellungnahme die Erteilung der Genehmigung für das Inverkehrbringen von Joenja® (Leniolisib) zur Behandlung von APDS (Aktivierte Phosphoinositid-3-Kinase-Delta-Syndrom), eines seltenen angeborenen Immundefekts, bei erwachsenen und pädiatrischen Patientinnen und Patienten ab 12 Jahren unter besonderen Bedingungen empfahl.

Eine endgültige Entscheidung der Europäischen Kommission über die Genehmigung für das Inverkehrbringen von Joenja unter besonderen Bedingungen wird in etwa zwei Monaten erwartet. Im Falle einer Zulassung wäre Joenja das erste zugelassene Medikament zur Behandlung von APDS in der Europäischen Union. Die zentral erteilte Zulassung würde in allen 27 Mitgliedstaaten der Europäischen Union sowie in Norwegen, Island und Liechtenstein gelten.

Fabrice Chouraqui, Chief Executive Officer von Pharming, erklärte:

„Für Patienten, die mit APDS leben, besteht weiterhin ein erheblicher ungedeckter medizinischer Bedarf. Da Joenja auf die eigentliche Ursache der Erkrankung abzielt, könnte es einen entscheidenden Wendepunkt in der Behandlung von APDS in Europa darstellen. Die heutige positive Stellungnahme des CHMP unterstreicht zusammen mit der Zulassung in Japan zu Beginn der Woche die Aussagekraft der klinischen Daten und spiegelt das Engagement der Patientinnen und Patienten, ihren Familien und der Ärztinnen und Ärzte wider, die an den klinischen Studien teilgenommen haben. Wir sehen der endgültigen Entscheidung der Europäischen Kommission erwartungsvoll entgegen und freuen uns darauf, mit den zuständigen Behörden in ganz Europa zusammenzuarbeiten, um den Zugang der Patientinnen und Patienten zu dieser Therapie zu unterstützen.“

Die positive Stellungnahme des CHMP stützt sich auf die Ergebnisse einer multinationalen, dreifach

verblindeten, placebokontrollierten, randomisierten klinischen Studie der Phase II/III zur Untersuchung der Wirksamkeit und Sicherheit bei 31 Patientinnen und Patienten ab 12 Jahren mit diagnostiziertem APDS, in der ein statistisch signifikanter Einfluss auf die Immundysregulation und den Immundefekt nachgewiesen wurde. Im Rahmen des Antrags wurden zudem Daten aus einer langfristigen, unverblindeten klinischen Verlängerungsstudie vorgelegt, in der 37 Patientinnen und Patienten über einen Zeitraum von drei Jahren (Median) mit Leniolisib behandelt wurden.

Dr. med. Virgil Dalm, PhD, Leiter der Abteilung für Allergologie und klinische Immunologie der Klinik für Innere Medizin und leitender Forscher am Erasmus University Medical Center in Rotterdam, Niederlande, erklärte:

„Das klinische Programm für Leniolisib hat bei Patientinnen und Patienten mit APDS durchweg signifikante Verbesserungen bei den Markern für Immundysregulation und für den Immundefekt gezeigt. In Verbindung mit einem günstigen Sicherheitsprofil deuten diese Ergebnisse darauf hin, dass Joenja die klinischen Aussichten für Menschen, die mit diesem seltenen, komplexen und fortschreitenden angeborenen Immundefekt leben, entscheidend verbessern könnte. Als Arzt und Forscher in dem klinischen Programm weiß ich, wie wichtig es ist, über Behandlungsmöglichkeiten zu verfügen, die die eigentliche Ursache der Erkrankung angehen und das Potenzial haben, für die Patientinnen und Patienten und ihre Familien einen bedeutenden Unterschied zu bewirken. Ich bin stolz darauf, dass das Engagement der Forschenden und der an den Studien teilnehmenden Patientinnen und Patienten zu diesem Meilenstein beigetragen hat, und ich freue mich auf die Entscheidung der Europäischen Kommission und darauf, dass APDS-Patientinnen und Patienten in ganz Europa Zugang zu dieser neuartigen zielgerichteten Therapie erhalten.“

Joenja ist in den Vereinigten Staaten und im Vereinigten Königreich für Patientinnen und Patienten ab 12 Jahren mit APDS zugelassen und befindet sich dort im Handel.

Informationen über APDS (Aktivierte Phosphoinositid-3-Kinase-Delta-Syndrom)

APDS ist ein seltener angeborener Immundefekt, der 2013 erstmals beschrieben wurde. APDS wird durch Varianten eines der beiden identifizierten Gene mit der Bezeichnung *PIK3CD* bzw. *PIK3R1* verursacht, die für die Entwicklung und Funktion der Immunzellen im Körper von entscheidender Bedeutung sind. Varianten dieser Gene führen zu einer Überaktivität des PI3K δ (Phosphoinositid-3-Kinase delta)-Signalwegs, wodurch Immunzellen nicht mehr richtig reifen und funktionieren können, was zu einer Immunschwäche und zur Dysregulation des Immunsystems führt^{1,2,3} APDS ist durch eine Vielzahl von Symptomen gekennzeichnet, darunter schwere, wiederkehrende Entzündungen der Nasennebenhöhlen und der Lunge, Lymphoproliferation, Autoimmunität und Enteropathie.^{4,5} Diese Symptome können mit einer Vielzahl von Krankheitsbildern assoziiert sein, zum Beispiel auch mit anderen primären Immundefekten, sodass Menschen mit APDS häufig falsch diagnostiziert werden und es bis zur korrekten Diagnose im Durchschnitt bis zu 7 Jahre dauert.⁶ Da

es sich bei APDS um eine fortschreitende Erkrankung handelt, kann diese Verzögerung im Laufe der Zeit zu einer Anhäufung von Schäden führen, wie etwa zu bleibenden Lungenschäden und Lymphomen.⁴⁻⁷ Eine definitive Diagnose kann durch Gentests gestellt werden. Weltweit sind etwa 1 bis 2 in einer Million Menschen von APDS betroffen.⁸

Informationen über Leniolisib

Leniolisib ist ein niedermolekularer Phosphoinositid-3-Kinase-delta(PI3K δ)-Hemmer zum Einnehmen, der in den USA, im Vereinigten Königreich sowie in Australien und Israel als erste und einzige zielgerichtete Therapie für APDS (Aktivierte Phosphoinositid-3-Kinase-Delta(PI3K δ)-Syndrom) bei erwachsenen und pädiatrischen Patientinnen und Patienten ab 12 Jahren zugelassen ist. Leniolisib hemmt die Bildung von Phosphatidylinositol-3-4-5-trisphosphat, eines wichtigen zellulären Botenstoffs, der eine Vielzahl von Zellfunktionen reguliert, darunter Zellproliferation, Zelldifferenzierung, Zytokinproduktion, Zellüberleben, Angiogenese und Zellstoffwechsel. Die Ergebnisse einer randomisierten, placebokontrollierten klinischen Phase-III-Studie zeigten eine statistisch signifikante Verbesserung bei den beiden primären Endpunkten, was auf einen positiven Einfluss auf die bei diesen Patientinnen und Patienten beobachtete Immundysregulation und -insuffizienz hindeutet. Daten aus einer offenen Folgestudie bestätigen zudem das Sicherheitsprofil und die Verträglichkeit der Langzeitanwendung von Leniolisib.^{9,10} Leniolisib befindet sich derzeit in Kanada und mehreren anderen Ländern im Zulassungsverfahren zur Behandlung von APDS. Darüber hinaus wird Leniolisib derzeit in zwei klinischen Phase-III-Studien bei Kindern mit APDS sowie in zwei klinischen Phase-II-Studien bei primären Immundefekten (PIDs) mit Immundysregulation untersucht. Die Sicherheit und Wirksamkeit von Leniolisib bei PIDs mit Immundysregulation über das APDS hinaus sind bisher nicht erwiesen.

Informationen über Pharming Group N.V.

Pharming Group N.V. (EURONEXT Amsterdam: PHARM/Nasdaq: PHAR) ist ein globales biopharmazeutisches Unternehmen, das sich zum Ziel gesetzt hat, das Leben von Patientinnen und Patienten mit seltenen, stark einschränkenden und lebensbedrohlichen Krankheiten zu verbessern. Pharming entwickelt und vermarktet ein Portfolio innovativer Medikamente, einschließlich kleiner Moleküle und biologischer Präparate. Pharming hat seinen Hauptsitz in Leiden, Niederlande; ein Großteil der Mitarbeitenden ist in den USA tätig.

Weitere Informationen finden Sie unter www.pharming.com oder verbinden Sie sich mit uns auf [LinkedIn](#).

Zukunftsgerichtete Aussagen

Diese Pressemitteilung enthält möglicherweise „zukunftsgerichtete Aussagen“. Zukunftsgerichtete Aussagen sind Aussagen über zukünftige Erwartungen, die auf den aktuellen Erwartungen und Annahmen der Geschäftsführung basieren und bekannte und unbekannt Risiken und Unwägbarkeiten beinhalten, die dazu führen könnten, dass die tatsächlichen Ergebnisse, Leistungen oder Ereignisse wesentlich von den in diesen Aussagen ausgedrückten oder implizierten abweichen. Diese zukunftsgerichteten Aussagen sind durch die Verwendung von Begriffen und Ausdrücken wie „abzielen“, „anstreben“, „erwarten“, „glauben“, „könnten“, „schätzen“, „annehmen“, „Ziele“,

„Absicht“, „können“, „Meilensteine“, „Zielsetzung“, „Ausblick“, „planen“, „wahrscheinlich“, „projizieren“, „Risiken“, „Zeitplan“, „suchen“, „sollten“, „anzielen“, „werden“ und ähnliche Begriffe und Formulierungen gekennzeichnet. Beispiele für zukunftsgerichtete Aussagen können Aussagen in Bezug auf den Zeitpunkt und den Fortschritt der präklinischen Studien von Pharming und klinischen Studien seiner Produktkandidaten, Pharmings klinische und kommerzielle Aussichten sowie die Erwartungen von Pharming in Bezug auf seine prognostizierten Betriebskapitalanforderungen und Barmittel beinhalten, welche Aussagen einer Reihe von Risiken, Unsicherheiten und Annahmen unterliegen, einschließlich, jedoch nicht beschränkt auf den Umfang, den Fortschritt und die Erweiterung der klinischen Studien von Pharming und deren Auswirkungen für deren Kosten, sowie klinische, wissenschaftliche, regulatorische, kommerzielle, wettbewerbsorientierte und technische Entwicklungen. In Anbetracht dieser Risiken und Unwägbarkeiten sowie anderer Risiken und Unwägbarkeiten, die im Jahresbericht 2024 von Pharming und im Jahresbericht auf Formular 20-F für das am 31. Dezember 2024 zu Ende gegangene Jahr beschrieben sind, das bei der US-Börsenaufsicht (U.S. Securities and Exchange Commission) eingereicht wurden, könnten die in solchen zukunftsgerichteten Aussagen beschriebenen Ereignisse und Umstände nicht eintreten, und die tatsächlichen Ergebnisse von Pharming könnten erheblich und nachteilig von den erwarteten oder implizierten Ergebnissen abweichen. Alle zukunftsgerichteten Aussagen in dieser Pressemitteilung sind in ihrer Gesamtheit ausdrücklich durch die in diesem Abschnitt enthaltenen oder erwähnten Warnhinweise abgedeckt. Die Leser sollten sich nicht in unangemessener Weise auf zukunftsgerichtete Aussagen verlassen. Zukunftsgerichtete Aussagen beziehen sich ausschließlich auf das Datum dieser Pressemitteilung und basieren auf Informationen, die Pharming zum Datum dieser Pressemitteilung zur Verfügung stehen. Pharming übernimmt keinerlei Verpflichtung zur öffentlichen Aktualisierung oder Überarbeitung zukunftsgerichteter Aussagen aufgrund neuer Informationen, künftiger Ereignisse oder sonstiger Informationen.

Insiderinformationen

Diese Pressemitteilung bezieht sich auf die Offenlegung von Informationen, die als Insiderinformationen im Sinne von Artikel 7 Absatz 1 der Marktmissbrauchsverordnung der EU (EU Market Abuse Regulation) qualifiziert sind oder möglicherweise qualifiziert waren.

Referenzen

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. 2020 Dec;59(3):323-333.
7. Condliffe AM, Chandra A. Front Immunol. 2018;9:338.
8. Vanselow S, et al. Frontiers in Immunology. 2023;14:1208567.
9. Rao VK, et al Blood. 2023 Mar 2;141(9):971-983.
10. Rao VK, et al. J Allergy Clin Immunol 2024;153:265-74.

Für weitere Informationen kontaktieren Sie bitte:

Investor Relations

Michael Levitan, VP Investor Relations & Corporate Communications

T: +1 (908) 705 1696

E: investor@pharming.com

Global Media Relations

Saskia Mehring, Corporate Communications Manager

T: +31 6 28 32 60 41

E: media.relations@pharming.com