

# Na succesvolle Ruconest® en Joenja®: zoektocht naar nieuwe aanvullende kandidaat-geneesmiddelen in volle gang

Het zijn de twee hoekstenen van Pharming Group: Ruconest® en Joenja®. De verkopen van Ruconest® stegen in het derde kwartaal van 2023 aanzienlijk. Joenja® werd in maart van dit jaar goedgekeurd door de FDA en de eerste VS-inkomsten worden gegeneerd. Nu Pharming heeft bewezen haar twee leading products goed te kunnen commercialiseren, is ook de strategie gewijzigd van een "technology platform-based" bedrijf gericht op één markt (VS) met één product (Ruconest®), naar een platform specifiek gericht op de ontwikkeling en commercialisering van medicijnen tegen zeldzame aandoeningen,' aldus CEO Sijmen de Vries. 'De zoektocht naar nieuwe aanvullende kandidaat geneesmiddelen is in volle gang.'

## Ruconest®: gevestigd

Maar eerst terug naar het verleden en Ruconest® (generieke werkzame stofnaam conestat alfa) dat voor Pharming een belangrijke en stabiele factor blijft. 'Ruconest® werd in 2014 toegelaten voor bestrijding van aanvallen van erfelijk angio-oedeem, en voorziet volgens De Vries inmiddels duidelijk in een behoefte. 'Met name voor patiënten met ernstige aanvallen van acute en gevaarlijke zwellingen blijft het een goed middel. Maar ook voor patiënten die de nieuwe profylactische middelen nemen (al dan niet in tabletvorm), en toch nog regelmatig doorbraakaanvallen krijgen. 'Ruconest® genereert het noodzakelijke geld voor verdere investeringen en heeft z'n plaats op de Amerikaanse markt voor langere tijd gevestigd. Vandaar dat we nog steeds groeiende opbrengsten van het product in de VS zien.'

## Joenja®: vergunning(saanvraag)

Joenja® (generieke werkzame stofnaam leniolisib) is de eerste en enige behandeling van APDS, geactiveerd fosfoinositide 3-kinase delta (PI3Kδ) syndroom, een zeldzame en progressieve primaire aandoening aan het immuunsysteem. Joenja® is goedgekeurd in de VS door de FDA. Inmiddels heeft Joenja® de eerste inkomsten gegeneerd: US\$10,3 miljoen vanaf de introductie in april en US\$6,5 miljoen in het derde kwartaal, wat tevens bijdroeg aan de stijging van de totale kwartaalomzet. Vele malen belangrijker is het echter volgens De Vries dat er nu eindelijk een

medicijn op de markt is voor APDS, een uiterst zeldzame ziekte die naar schatting voorkomt bij slechts 1,5 op de 1 miljoen mensen (ca 1.500 patiënten wereldwijd). Maar het leed is er niet minder om. 'Patiënten hebben van jongs af aan te maken met veelvuldig ziekenhuisbezoek en ernstige klachten, zoals voortdurende infecties van en schade aan de longen en andere organen, vergrote organen, een sterk verhoogde kans op lymfklierkanker, auto-immuun-klachten en ontwikkelingsachterstanden. De aandoening kan met een genetische test worden vastgesteld.'

## CHMP advies 1e kwartaal 2024

Na de FDA-goedkeuring vervolgt Pharming haar pad met een EMA-vergunningsaanvraag van leniolisib voor volwassen en pediatrische patiënten van 12 jaar en ouder met APDS. Begin november 2023 maakte Pharming bekend dat het een tweede lijst met vragen had ontvangen van het Comité voor Geneesmiddelen voor menselijk gebruik (CHMP) van het Europees Geneesmiddelenbureau (EMA). Op basis van het tijdschema dat is opgenomen in die lijst met vragen, en rekening houdend met de beslissing van de CHMP om de geplande Ad-Hoc Expert Group (AEG)-vergadering te verplaatsen naar eind november, verwacht Pharming nu dat de CHMP haar advies over de leniolisib-aanvraag voor toelating in de Europese Economische Ruimte in het eerste kwartaal van 2024 zal uitbrengen.

Pharming is overigens nu van plan om ook een vergunningaanvraag in te dienen voor de UK. 'Onder de IRP International Recognition Procedure (IRP) zal Pharming in het eerste kwartaal van 2024 een vergunningaanvraag indienen voor leniolisib op basis van de goedkeuring van de Amerikaanse FDA.'

Daarnaast verlopen de procedures rond de ingediende registratieverzoeken voor leniolisib in Australië, Canada en Israël volgens verwachting, evenals de Japanse klinische studie voor patiënten van 12 jaar en ouder. 'We blijven voortgang boeken met onze pediatrische klinische studies, met het merendeel van de patiënten in behandeling in de studie voor 4 tot 11-jarigen en de start van de rekrutering in de tweede pediatrische studie



voor de leeftijd van 1 tot 6 jaar,' aldus de CEO van Pharming.

## De toekomst

'Doel is om elke paar jaar voor een nieuw medicijn tegen een zeldzame aandoening de ontwikkeling te voltooien en te gaan verkopen. Deze producten kunnen dan zowel uit eigen ontwikkelingsprogramma's komen of in licentie genomen zijn, dan wel aangekocht van andere biotech- of farmaceuten,' vervolgt De Vries over de toekomstplannen.

'De zoektocht naar dergelijke aanvullende kandidaat-geneesmiddelen is al een tijd aan de gang en kost tijd. Je moet daar veel geduld bij hebben en kandidaten zorgvuldig bestuderen. Daarna kan het snel gaan. Leniolisib hebben we na iets meer dan drie jaar goedgekeurd gekregen en geïntroduceerd in onze belangrijkste markten.'

## Resultaten 3e kwartaal 2023

- De derde kwartaalomzet 2023 steeg met 23% tot US\$66,7 miljoen, vergeleken met het 3e kwartaal van 2022, door de RUCONEST®-verkopen en de commerciële lancering van Joenja® in de VS
- De verkopen van RUCONEST® stegen in het derde kwartaal van 2023 met 11% tot US\$60,2 miljoen, vergeleken met het derde kwartaal 2022, en met 18% vergeleken met het tweede kwartaal van 2023
- Joenja® (leniolisib) aanhoudend krachtige groei in het derde kwartaal in de VS; 63 patiënten op betaalde therapie en US\$6,5 miljoen aan verkopen