

Pharming start 2024 uitstekend en ligt op koers voor verdere omzetsstijgingen

Pharming heeft in het eerste kwartaal van 2024 een omzetsstijging van 31% behaald, wat neerkomt op €55,6 miljoen. Ruconest®, een middel tegen erfelijke angio-oedeem, zag een groei van 8% naar US\$46 miljoen en evenals vorig jaar, blijft er een gestage groei van artsen in de VS die Ruconest® voorschrijven en patiënten die met Ruconest® behandeld worden. Joenja® (leniolisib), een nieuw medicijn tegen APDS, realiseerde een omzetsstijging van 21% in het eerste kwartaal, naar US\$9,6 miljoen. "Met deze cijfers ligt Pharming op koers om de recordomzetdoelstelling van US\$280 miljoen tot US\$295 miljoen voor 2024 te halen," zegt CEO Sijmen de Vries.

Financieel overzicht

| Bedragen in miljoenen US dollars, behalve die per aandeel | Q1 2024 | Q1 2023 |
|---|--------------|---------------|
| Geconsolideerde winst na verwerking | | |
| Omzet - Ruconest® | 46,0 | 42,5 |
| Omzet - Joenja® | 9,6 | 8,0 |
| Totale omzet | 55,6 | 50,5 |
| Kosten van verkoop | (9,4) | (9,7) |
| Bedrijfsresultaat | 47,2 | 40,8 |
| Overige inkomsten | 11,9 | 0,6 |
| Onderzoek en ontwikkeling | (18,1) | (19,4) |
| Algemeen en administratief | (15,1) | (16,1) |
| Afschrijving en verkoop | (8,0) | (7,7) |
| Bedrijfsresultaat (verlies) | (8,0) | (13,7) |
| Overige financiële baten | 1,8 | 0,3 |
| Overige financiële lasten | (1,4) | (2,8) |
| Aandeel in resultaat van geassocieerde bedrijven volgens de vermogensmutatiemethode | (0,3) | (0,1) |
| Winst (verlies) vóór belastingen | (7,9) | (16,7) |
| Belastingen (voort) | 0,7 | 0,5 |
| Winst (verlies) over de periode | (7,2) | (12,2) |
| Per aandeel | | |
| Resultaat per aandeel (USD) | 0,019 | 0,019 |
| Veranderende resultaat per aandeel (USD) | 0,002 | 0,019 |

Joenja®

Joenja® krijgt langzaam meer tractie in de VS door het vinden van nieuwe patiënten via specifieke genetische testen. Ondanks de hoge kosten voor marktintroducties en lanceringen, wat leidde tot een verlies van US\$12 miljoen, is Pharming vastberaden om een vooraanstaande speler te worden in zeldzame aandoeningen.

De groei van Joenja® ging in het eerste kwartaal verder, met aanvankelijk 83 patiënten en €10 miljoen aan verkopen. In de landen waarin Pharming van plan is te gaan commercialiseren, wordt het aantal APDS-patiënten momenteel geschat op 2.000. Sinds de lancering in april vorig jaar heeft Joenja® over de eerste 12 maanden in de markt, €28 miljoen aan omzet gehaald. "De uitdaging blijft om nieuwe patiënten te vinden via genetische en familietesten en het verder uitdiepen van de volledige omvang van mutaties die APDS veroorzaken", vult De Vries aan.

Pharming gaat, gedurende dit jaar, via zogeheten individuele en combinatorische VUS-testen alle genetische varianten bevestigen die APDS veroorzaken. Hierdoor kunnen extra APDS-patiënten worden gediagnosticeerd onder de, alleen al in de VS, meer dan 1.100 patiënten die allen het APDS ziektebeeld vertonen en met onbesliste (VUS) resultaten uit genetische tests werden geconfronteerd.

Aangezien APDS een recent ontdekte ziekte is en dus nog niet volledig in kaart is gebracht, zullen deze testen alle mutaties in kaart gaan brengen die APDS veroorzaken en is de verwachting dat dit in 2025 zal leiden tot een nieuwe golf van bevestigde APDS patiënten die dan voor Joenja® therapie in aanmerking kunnen komen.

Vanaf 2026 komen dan mogelijk, na goedkeuring voor kinderen onder de 12 jaar, de pediatrische patiënten erbij, na afronding van studies en toestemming in verschillende markten.

Goedkeuring in Israël

Pharming heeft goedkeuringstrajecten lopen voor leniolisib in Europa, het Verenigd Koninkrijk, Canada, Australië en recentelijk Israël. Deze goedkeuring ondersteunt de wetenschap achter leniolisib en levert extra patiënten op. In Europa is het wachten op de CHMP; alle vragen zijn volgens De Vries inmiddels beantwoord.

Access programma's buiten de VS

Buiten de VS gebruiken momenteel 138 mensen leniolisib via verschillende Access Programs, waaronder Named Patient-programma's. Deze patiënten worden individueel beoordeeld door een arts en krijgen leniolisib vergoed na goedkeuring van de toezichthouder. Buiten de VS werd €1,1 miljoen omgezet in het eerste kwartaal. Andere patiënten zitten in early-access programs en klinische trials. De open label extensie-studie van fase 3 loopt nog steeds buiten de VS. Zodra leniolisib in deze landen wordt goedgekeurd, zal de vergoeding volgen. Dit betreft patiënten uit Turkije, Azië en sommige Europese landen.

Additionele indicaties met leniolisib

Binnenkort start een proof-of-concept-studie met leniolisib voor genetische primaire immundeficiënties (PID) met immuunregulatie, gekoppeld aan PI3Kδ-siginaaloverdracht in lymfocyten. De Vries legt uit: "Deze aandoeningen hebben vergelijkbare klinische symptomen en onvervulde medische behoeften als APDS. PID-aandoeningen zoals ALPS FAS, CTLA4 haplo-insufficiëntie en PTEN-deficiëntie komen voor bij ongeveer vijf op de miljoen mensen, wat een ongeveer drie maal groter marktperspectief biedt dan leniolisib voor APDS. Dit zal wederom een belangrijk kantelpunt kunnen worden voor Pharming over een paar jaar."

Pharming werkt ook aan een derde indicatie met leniolisib en zal binnenkort een ontwikkelingsprogramma voorleggen aan de autoriteiten. 'Zodra er een reactie is, zal Pharming hierover communiceren.'

NORD Rare Impact Award voor Joenja

Pharming kreeg erkenning als Industry Innovator door de Amerikaanse National Organization for Rare Disorders (NORD®) tijdens de Rare Impact Awards op 8 juni 2024. Deze prestigieuze Award eert een organisatie die een uitzonderlijke vooruitgang geboekt heeft om het leven van mensen met zeldzame ziekten te verbeteren. De prijs werd toegekend voor de goedkeuring en commercialisering van Joenja door de Amerikaanse FDA. "Deze prijs versterkt de reputatie van Pharming in de weesgeneesmiddelensector in de VS verder," zegt De Vries met trots.

Converteerbare obligatielening - oorlogskasje

In april verving Pharming de oude converteerbare obligatielening van €125 miljoen door een nieuwe wederom vijfjarige obligatielening van €100 miljoen, tegen een laag rentetarief van 4,5%. Deze herfinanciering biedt Pharming de financiële ruimte om een nieuw medicijn in licentie te nemen.