

Diverse info over Pharming

Versie 29 oktober 2021

Pharming

www.pharming.com

Filmpje HAE voor beginners

https://www.youtube.com/watch?app=desktop&v=9a1EE31Zkg4&feature=emb_title

Over Ruconest

<https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/ruconest>

Productkenmerken Ruconest

https://www.ema.europa.eu/en/documents/product-information/ruconest-epar-product-information_nl.pdf

Prijs Ruconest

https://www.farmacotherapeutischkompas.nl/bladeren/preparaatteksten/c/conestat_alfa

Een reis in de tijd

https://www.iex.nl/Forum/Topic/1345957/Pharming_Een-korte-chronologische-reis-in-de-tijd.aspx?page=2#13535041

Pharming Facts

https://www.iex.nl/Forum/Topic/1334048/Pharming_Pharming-Facts-II.aspx?page=10#13533531

Diverse sites met info en overzichten

<https://nl.marketscreener.com/koers/aandeel/PHARMING-GROUP-N-V-12738425/koersen/>

<https://www.trivano.com/aandeel/pharming.450.insiders>
<https://beurs.fd.nl/noteringen/96535/pharming/algemeen>

Jaarstukken 2020

<https://www.pharming.com/sites/default/files/imce/AGM%20documentation/AGM%202021/Annual%20report%202020%2006APR21%20SEM%202327.pdf>

Kwartaalcijfers in dollars t/m Q1 2021

<https://www.iex.nl/Forum/Upload/2021/13571235.jpg>

Cijfers H1 2021

<https://www.pharming.com/sites/default/files/imce/Press%20releases/Pharming%20Halfjaarbericht%202021%20def%201.pdf>

Analyst conferencecall Q2 2021

<https://seekingalpha.com/article/4447030-pharming-group-n-v-phguf-ceo-sijmen-de-vries-on-q2-2021-results-earnings-call-transcript>

Cijfers Q3 2021

<https://www.pharming.com/nl/node/242>

Slides Analyst Call Q3 2021

<https://www.pharming.com/sites/default/files/imce/Pharming%20Group%20Q3%202021%2028OCT21%20final.pdf>

Compact totaaloverzicht Pharming (met dank aan poster 'Winst gevend')

<https://www.iex.nl/Forum/Upload/2021/13772538.jpg>

Historisch koersoverzicht

https://www.iex.nl/Forum/Topic/1291122/Pharming_Historisch-koersoverzicht-van-Pharming.aspx?page=25#13564626

Historisch aandelenoverzicht

https://www.iex.nl/Forum/Topic/1290314/Pharming_Historisch-aandelen-overzicht-van-Pharming.aspx?page=2#13433986

Eigenaarschap aandelen

<https://www.morningstar.com/stocks/xams/pharm/ownership>

Beloningsbeleid

<https://usir.pharming.com/static-files/ee4b578b-66a9-4a07-8566-b5bc1da432e5>

Intellectuele eigendommen Pharming

<https://uspto.report/company/Pharming-Intellectual-Property-B-V>

Over Ruconest uit koemelk

<https://www.ad.nl/gouda/biotechbedrijf-gaat-nazaten-van-wereldberoemde-stier-herman-1990-2004-melken-voor-corona-medicijn~a0881451/>

Over het 'complementsysteem

<https://www.ncbi.nlm.nih.gov/books/NBK27100/>

<https://link.springer.com/article/10.1007/s10875-021-00972-1>

Overname commerciële rechten SOBI

<https://www.pharming.com/nl/node/172>

Over Pivot Park

[News – Join Pivot Park](#)

De presentatie van dr. M. Osthoff van 29 juni 2021

Geen link beschikbaar. Te omvangrijk om het document hier mee te nemen. Kan ik op verzoek beschikbaar stellen.

Kwartaalomzetten HAE-markt (met dank aan poster 'LL' voor het overzicht)

<https://www.iex.nl/Forum/Upload/2021/13770629.jpg>

Studies/trials waarbij Ruconest wordt ingezet of Pharming is betrokken

Naam trial	Fase	Start*	PCD*	SCD*	Link
Preventie infectie bij COVID-patiënten (CH/Br/Mex)	2	6 aug 2020	juni 2021	juli 2021	https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04414631 https://data.snf.ch/covid-19/snsf/198403
Preventie infectie bij COVID-patiënten (VS)	2	30 nov 2020	15 aug 2021	30 nov 2021	https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04530136
Evaluatie verbetering neurologische symptomen na COVID	4	30 dec 2020	jan 2022	jan 2022	https://www.clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04705831
Nierfalen (AKI)	2	21 apr 2021	dec 2022	dec 2022	https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04912141?cond=ruconest&draw=3&rank=17 Verdieping trial: https://www.jacc.org/doi/pdf/10.1016/j.jcin.2019.11.021
APDS (leniolisib)	2/3	24 aug 2015	3 sep 2021	3 sep 2021	https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02435173?term=Leniolisib&draw=2&rank=1
APDS – extension (leniolisib)	2/3	8 sep 2016	1 sep 2026	1 sep 2026	https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02859727?term=Leniolisib&draw=2&rank=2
DGF	1	21 jun 2019	jan 2022	jan 2022	https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03791476?term=Ruconest&cond=Nephropathy&draw=2&rank=2
Pre-eclampsia	1/2	nmb.	nmb.	nmb.	https://www.clinicaltrialsregister.eu/ctr-search/trial/2018-002904-14/NL
Hemofilie A (rhFVIII)	pre-kl.	nmb.	nmb.	nmb.	https://adisinsight.springer.com/drugs/800043667
Evaluatie veiligheid	obs.**	16 jul 2018	16 jul 2021	16 aug 2021	https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03697187?term=conestat+alfa&recrs=ab&draw=2&rank=1
Werking en bijwerking rhC1Inh en pdC1Inh	obs.**	jul 2011	jun 2021	dec 2021	https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT01397864?term=conestat+alfa&recrs=ab&draw=2&rank=4

* Start : actual study start date
* PCD : estimated primary completion date
* SCD : estimatedstudy completion date
** obs : observational study

Overzicht markt waarin Pharming actief is (info verstrekt door De Monitor)

Acuut

- Ruconest (Pharming) – Humaan Recombinant C1-INH - Intraveneus (FDA & EMA)
- Firazyr (Takeda/Shire) – Bradykinin receptor antagonist - Subcutaan (FDA & EMA)
- Kalbitor (Takeda/Shire) – Kallikrein inhibitor - Subcutaan (FDA & EMA)
- Berinert (CSL) – C1-INH - Intraveneus (FDA & EMA)
- Cinryze (Takeda/Shire) – C1-INH - Intraveneus (EMA)

Profylaxe

- Cinryze (Takeda/Shire) – C1-INH - Intraveneus (FDA & EMA)
- Haegarda (CSL) – C1-INH - Subcutaan (FDA & EMA & Canada onlangs)
- Takhzyro/Lanadelumab (Takeda/Shire) - Kallikrein inhibitor - Subcutaan (FDA & EMA)
- Orladeyo (Biocryst) - Oral capsule (US, China, Japan, VK, EMA)

In ontwikkeling

- Ruconest (Pharming) C1-INH (US) – Profylaxe – www.pharming.com/pipeline
Huidige versie Ruconest niet geschikt voor andere toedieningsvorm, wachten op 'Ruconest-lite'
- PHVS416 (Pharvaris) – Acuut - pharvaris.com/science/#hae
 - Orale toediening, klein molecuul en daardoor snel werkzaam (15-30min).
 - Gebaseerd op het al jaren bewezen Icatibant
 - Versneld traject, afgeleide van de profylaxe toediening
 - Phase II gestart, eerste patiënt behandeld feb 2021, resultaten 2022
 - Studie uitgebreid naar de US
- PHVS416 (Pharvaris) – Profylaxe - pharvaris.com/science/#hae
 - Orale toediening, klein molecuul en daardoor snel werkzaam (15-30min).
 - Gebaseerd op het al jaren bewezen Icatibant
 - 1 a 2 maal daags toedienen

- Phase II start in 2021, resultaten 2022
- FDA Acceptance IND App april 2021
- PHVS719 (Pharvaris) – Profylaxe - pharvaris.com/science/#hae
 - Orale toediening, klein molecuul en daardoor snel werkzaam (15-30min).
 - Gebaseerd op het al jaren bewezen Icatibant
 - extended release form. PHA121 voor profylaxe gebruik
 - Phase I start in 2021, resultaten 2022
- KVD900 (Kalvista) – Acut - www.kalvista.com/products-pipeline/ka...
 - Orale toediening, kallikrein inhibitor.
 - Eerste Phase II data gepubliceerd
 - Today's data show that KVD900 halts HAE attack progression and also provides rapid relief by shortening the time to symptom resolution
- KVD824 (Kalvista) – Profylaxe - www.kalvista.com/products-pipeline
 - Filed the IND for a Phase 2 clinical trial of KVD824
 - Tweemaal daags orale toediening voor profylaxe
- Oral Factor XIIa inhibitor (Kalvista) – Profylaxe - www.kalvista.com/products-pipeline
Preclinical study 2021
- IONIS-PKK-LRx (Ionis) – Profylaxe - ionispharma.com/ionis-innovation/pipe...
 - Phase II
 - The study demonstrated a mean reduction of 97% in the number of monthly HAE attacks in weeks five to 17.
 - In weeks five to 17, 92% of patients treated with IONIS-PKK-LRx were attack-free
- QLS-215 (Catabasis) - www.catabasis.com/our-science/qls-215...
NDA mid-2022, Phase I trial end 2022, Phase 1b/2 results end 2023
 - Monoclonal antibody inhibitor of plasma kallikrein for HAE
 - Dosing once every three months or longer and sustained inhibitory blood levels
 - QLS-215 has the potential to be the most patient-friendly chronic treatment option
- BCX7353 (Biocryst) – Acut - www.biocryst.com/our-program/
Orale liquid toediening. Fase III te starten
- ATN-249 (Attune) – Profylaxe - attunepharma.com/assets/Attune-Phase-...
Orale toediening, kallikrein inhibitor. Phase I
- ATN-XXX (backup) (Attune) - nog onbekend?
- CSL312 (CSL Behring) - Profylaxe - Recombinant monoclonal antibody - www.clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03...
Subcutane toediening om de 2 a 3 weken
In Phase 2 - Resultaten okt 2021
- ALN-F12 (Alnylam) – Profylaxe - www.ncbi.nlm.nih.gov/pubmed/30463937
Subcutane toediening

- ARC-F12 (Arrowhead Pharmaceuticals) – Profylaxe - ir.arrowheadpharma.com/static-files/9...
Subcutane toediening
- Verseon (Verseon) – Profylaxe - www.verseon.com/hae.html
Orale toediening - Klein molecuul plasma kallikrein inhibitor

Gentherapieën

- CRISPR/Cas9 NTLA-2002 (Intellia Therapeutics) – Gentherapie - angioedemanews.com/2020/02/13/intelli...
- Eenmalige toediening
- Juni 2021: Clinical Trial Application (CTA) to the New Zealand Medicines and Medical Devices Safety Authority for NTLA-2002 to initiate a first-in-human study
- Eerste patiënt verwacht eind 2021
- Meer autoriteiten aanvragen om studie uit te breiden naar meerdere landen
- Aims to reduce plasma kallikrein activity to prevent excess bradykinin production leading to HAE attacks after a single course of treatment
- ADV-053 (Adverum) – Gentherapie - investors.adverum.com/news-releases/n... / angioedemanews.com/2018/08/30/adverum...
Eenmalige toediening - FDA Orphan Drug Status
- BMN-331 (Biomarin) – Gentherapie - haei.org/biomarin-expects-ind-enablin...
- Eenmalige toediening - IND-enabling studies in juli 2020 gestart
- IND for BMN 331 was recently cleared by FDA and is active.
- RGX-314 (Regenxbio) – Gentherapie - ir.regenxbio.com/news-releases/news-r...
Eenmalige toediening - samenwerking met Neurimmune bouwt voort op veelbelovende resultaten met ons klinische RGX-314-programma
A gene therapy product candidate utilizing NAV Vectors designed to deliver a gene encoding a therapeutic antibody targeting and binding to plasma kallikrein
- (aanvulling door poster 'Sharen') OTL-105 (Orchard Therapeutics) – Gentherapie - OTL-105
OTL-105 is een HSC-gentherapie in ontwikkeling, ontworpen om het gehalte C1-esteraseremmer (C1-INH) in het bloed van HAE-patiënten te verhogen ter voorkoming van erfelijke angio-oedeemaanvallen. OTL-105 voegt een of meer functionele kopieën van het SERPING1-gen, ex vivo (buiten het lichaam) in de eigen hematopoëtische stamcellen van de patiënten in, welke vervolgens in de patiënt worden teruggeplaatst voor mogelijk blijvende C1-INH-productie. In preklinische onderzoeken heeft OTL-105 tot op heden hoge niveaus van SERPING1-genexpressie aangetoond via lentivirale gemedieerde transductie in meerdere cellijnen en primaire menselijke CD34+ HSC's. Bovendien produceerde het programma functioneel C1-INH- eiwit, gemeten met een klinisch gevalideerde test.