

Studies/trials waarbij Ruconest wordt ingezet of Pharming is betrokken

Svz. 28 november 2022

Naam trial	Fase	Start*	PCD*	SCD*	Link*
Preventie infectie bij COVID-patiënten (CH/Br/Mex)	2	6 aug 2020	15 sep 2021	15 sep 2021	<a href="https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04414631">https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04414631</a> <a href="https://data.snf.ch/covid-19/snsf/198403">https://data.snf.ch/covid-19/snsf/198403</a>
Preventie infectie bij COVID-patiënten (VS)	2	30 nov 2020	7 sep 2021	1 dec 2021	<a href="https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04530136">https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04530136</a>  Op CT staat deze als afgerond. Uit bericht van Pharming weten we dat de studie is stopgezet voordat de doelen bereikt waren.
Evaluatie verbetering neurologische symptomen na COVID	4	30 dec 2020	jan 2022	jan 2022	<a href="https://www.clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04705831">https://www.clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04705831</a>  Deze trial van IMMUNOe Research Centers staat nog op recruiting. De laatste update was op 12 januari 2021. Het lijkt onwaarschijnlijk dat deze trial nog volledig afgerond wordt.
Nierfalen (AKI)	2	21 apr 2021	dec 2022	dec 2023	<a href="https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04912141?cond=ruconest&amp;draw=3&amp;rank=17">https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04912141?cond=ruconest&amp;draw=3&amp;rank=17</a>  <u>Verdieping trial</u> <a href="https://www.jacc.org/doi/pdf/10.1016/j.jcin.2019.11.021">https://www.jacc.org/doi/pdf/10.1016/j.jcin.2019.11.021</a>  Pharming heeft bij de presentatie van de cijfers H1 2022 aangegeven dat niet meer ingezet wordt op deze indicatie en gezocht wordt naar een mogelijkheid om deze trial buiten de deur te zetten. Om die reden gaat het bedrijf voorlopig door met de huidige fase 2b.
APDS (leniolisib)	2/3	24 aug 2015	16 aug 2021	16 aug 2021	<a href="https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02435173?term=Leniolisib&amp;draw=2&amp;rank=1">https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02435173?term=Leniolisib&amp;draw=2&amp;rank=1</a>  <u>Contract Pharming met Novartis:</u> <a href="https://www.lawinsider.com/contracts/lb5hGUyOgjH#milestone-payments">https://www.lawinsider.com/contracts/lb5hGUyOgjH#milestone-payments</a>

					De NDA en MAA zijn ingediend. De FDA en EMA hebben een 'priority review' resp. 'accelerated assessment' toegekend.
APDS 4-11 jaar (leniolisib)	3	31 aug 2022	10 jun 2024	12 sep 2024	<a href="https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT05438407">https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT05438407</a>  Hoewel de beoogde startdatum reeds is gepasseerd, is nog niet vernomen of de eerste patiënt al is geworven.
APDS – extension (leniolisib)	2/3	8 sep 2016	21 jan 2027	21 jan 2027	<a href="https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02859727?term=Leniolisib&amp;draw=2&amp;rank=2">https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02859727?term=Leniolisib&amp;draw=2&amp;rank=2</a>  Werving onder andere onder patiënten die deelnamen aan de APDS-studie die hierboven staat.
DGF	1	21 jun 2019	jan 2022	jan 2022	<a href="https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03791476?term=Ruconest&amp;cond=Nephropathy&amp;draw=2&amp;rank=2">https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03791476?term=Ruconest&amp;cond=Nephropathy&amp;draw=2&amp;rank=2</a>  De status van deze studie staat inmiddels op 'Unknown'. Verantwoordelijke organisatie is de Universiteit van Wisconsin, Madison.
Voorkomen aanvallen AE	2	Verwachte duur van de trial is twee jaar			<a href="https://www.clinicaltrialsregister.eu/ctr-search/trial/2016-005083-34/NL">https://www.clinicaltrialsregister.eu/ctr-search/trial/2016-005083-34/NL</a>  Deze studie van het UMC startte in 2017. Afronding mag dus worden verondersteld hoewel het register nog 'ongoing' laat zien. Toch op groen gezet.
Pre-eclampsia	1/2	?	?	?	<a href="https://www.clinicaltrialsregister.eu/ctr-search/trial/2018-002904-14/NL">https://www.clinicaltrialsregister.eu/ctr-search/trial/2018-002904-14/NL</a>  <u>Omschrijving PE</u> <a href="https://www.pharming.com/pipeline/pre-eclampsia">https://www.pharming.com/pipeline/pre-eclampsia</a>  Pharming heeft bij de presentatie van de cijfers H1 2022 aangegeven dat de PE-studie wordt stopgezet. Dit is inmiddels bevestigd in het trialsregister.
Hemofilie A (rhFVIII, betreft	pre-kl.	nnb.	nnb.	nnb.	<a href="https://adisinsight.springer.com/drugs/800043667">https://adisinsight.springer.com/drugs/800043667</a>

samenwerking met SIPI)					
PAIR-TAVI	2	16 mrt 2022	jan 2024	jan 2024	<a href="https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT05145283">https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT05145283</a>
Werking en bijwerking plasma-C1Inh en rcC1Inh	obs. studie	jul 2011	jun 2021	dec 2021	<a href="https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT01397864?term=conestat+alfa&amp;recrs=ab&amp;draw=2&amp;rank=4">https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT01397864?term=conestat+alfa&amp;recrs=ab&amp;draw=2&amp;rank=4</a>  Bij CT is de status aangepast naar 'Unknown'. Verantwoordelijk voor de informatie is Pharming.
Evaluatie veiligheid Ruconest	obs. studie	16 jul 2018	16 jul 2021	16 aug 2021	<a href="https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03697187?term=conestat+alfa&amp;recrs=ab&amp;draw=2&amp;rank=1">https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03697187?term=conestat+alfa&amp;recrs=ab&amp;draw=2&amp;rank=1</a>  Bij CT staat de status al enige tijd op 'Unknown'. Verantwoordelijk voor de informatie is Pharming.
Honden met IMHA	Beoogd: tussen april 2022 en oktober 2022 publicatie in 'Cornell Dog Watch' en 'The Bark'. Tevens presentatie tijdens een wetenschappelijk congres.				<a href="https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC6937664/">https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC6937664/</a>  Contact gehad met de onderzoeker. Hij meldt dat het onderzoek fors vertraagd is en resultaten pas ergens de komende jaren te verwachten zijn.

- \* rood : afgebroken studie
- \* geel : aan het werven c.q. studie loopt
- \* blauw : nog niet aan het werven
- \* bruin : actief, niet aan het werven
- \* groen : afgeronde studie
- \* grijs : status bij CT onbekend
- \* wit : status onbekend
- \* Start : actual study start date
- \* PCD : estimated primary completion date
- \* SCD : estimated study completion date
- \* CT.gov : [deadlines updates trials](#)