

Diverse info over Pharming

Versie 28 december 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

Outlook over de jaren heen (met dank aan De Monitor)

<https://www.iex.nl/Forum/Upload/2021/13773559.png>

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

Persbericht Pharming over wijziging functie gebouw Panther

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	15 sep 2021	15 sep 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

PAIR-TAVI	2	feb 2022	jan 2024	jan 2024	https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT05145283
IMHA bij honden		nov 2019	dec 2021	dec 2021	https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC6937664/

- * Start : actual study start date
- * PCD : estimated primary completion date
- * SCD : estimated study 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) – Acuat - 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) – Acuat - 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.
- GNR-038 (AO GENERIUM) - <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04898309?term=Ruconest&draw=3&rank=20>
Een trial om de werking en veiligheid te bepalen van GNR-038 ten opzichte van Berinert in patiënten met HAE.