

Studies/trials waarbij Ruconest wordt/werd ingezet of Pharming is betrokken

Svz. 01 – 05 - 2023

| 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 Om onderzoekstechnische redenen stopgezet. |
| Preventie infectie bij COVID-patiënten (VS) | 2 | 30 nov 2020 | 7 sep 2021 | 1 dec 2021 | https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04530136 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 | https://www.clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04705831 Deze trial van IMMUNOe Research Centers staat nog op CT met 'onbekende status'. De laatste update was op 12 januari 2021. Kan zeer waarschijnlijk op 'rood'. |
| Nierfalen (AKI) | 2 | 21 apr 2021 | dec 2022 | dec 2023 | https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04912141?cond=ruconest&draw=3&rank=17 <u>Verdieping trial</u> https://www.jacc.org/doi/pdf/10.1016/j.jcin.2019.11.021 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. In latere berichtgeving heeft Pharming gemeld dat ook dat niet gebeurt en de studie is afgebroken. |
| APDS (leniolisib) | 2/3 | 24 aug 2015 | 16 aug 2021 | 16 aug 2021 | https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02435173?term=Leniolisib&draw=2&rank=1 Contract Pharming met Novartis: |

| | | | | | |
|-------------------------------|------|--------------------|-------------|-------------|--|
| | | | | | https://www.lawinsider.com/contracts/lb5hGUyOgjH#milestone-payments De NDA bij de FDA heeft inmiddels geleid tot goedkeuring. Het medicijn is met de merknaam Joenja op de Amerikaanse markt beschikbaar. De EMA heeft het <i>accelerated assessment</i> omgezet naar een reguliere beoordeling. Pharming verwacht in H2 '23 de uitkomst van de beoordeling. |
| APDS 4-11 jaar (leniolisib) | 3 | 1 feb 2023 | 10 sep 2024 | 12 dec 2024 | https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT05438407 |
| APDS 1-6 jaar | 3 | 30 jun 2023 | 30 dec 2024 | 25 feb 2025 | Pediatric Patients Aged 1 to 6 Years With APDS - Full Text View - ClinicalTrials.gov |
| APDS – extension (leniolisib) | 2/3 | 8 sep 2016 | 21 jan 2027 | 21 jan 2027 | https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02859727?term=Leniolisib&draw=2&rank=2 Werving onder andere onder patiënten die deelnamen aan de APDS-studie die hierboven staat. |
| DGF | 1 | 21 jun 2019 | jan 2022 | jan 2022 | https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03791476?term=Ruconest&cond=Nephropathy&draw=2&rank=2 De status van deze studie staat inmiddels op 'Unknown'. Verantwoordelijke organisatie is de Universiteit van Wisconsin, Madison. |
| Profylactisch bij InH-AAE | Nvt. | Publicatie in 2022 | | | Profylactische behandeling bij InH-AAE Recombinant human C1 esterase inhibitor as prophylactic treatment in idiopathic non-histaminergic angioedema - PMC (nih.gov) |
| Pre-eclampsia | 1/2 | ? | ? | ? | https://www.clinicaltrialsregister.eu/ctr-search/trial/2018-002904-14/NL |

| | | | | | |
|--|--|-------------|-------------|-------------|---|
| | | | | | <p>Omschrijving PE https://www.pharming.com/pipeline/pre-eclampsia</p> <p>Pharming heeft bij de presentatie van de cijfers H1 2022 aangegeven dat de PE-studie wordt stopgezet. Dit is inmiddels bevestigd in het trialsregister.</p> |
| PAIR-TAVI | 2 | 16 mrt 2022 | mrt 2025 | mrt 2025 | <p>https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT05145283</p> |
| Werking en bijwerking plasma-C1Inh en rcC1Inh | obs. studie | jul 2011 | jun 2021 | dec 2021 | <p>https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT01397864?term=conestat+alfa&recrs=ab&draw=2&rank=4</p> <p>Bij CT is de status aangepast naar 'Unknown'. Verantwoordelijk voor de informatie is Pharming.</p> |
| Evaluatie veiligheid Ruconest | obs. studie | 16 jul 2018 | 16 jul 2021 | 16 aug 2021 | <p>https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03697187?term=conestat+alfa&recrs=ab&draw=2&rank=1</p> <p>Bij CT staat de status al enige tijd op 'Unknown'. Verantwoordelijk voor de informatie is Pharming.</p> |
| Hemofilie A (rhFVIII, betreft samenwerking met SIPI) | pre-kl. | nnb. | nnb. | nnb. | <p>https://adisinsight.springer.com/drugs/800043667</p> |
| Honden met IMHA | Beoogd: na onderzoek publicatie in 'Cornell Dog Watch' en 'The Bark'. Tevens presentatie tijdens een wetenschappelijk congres. | | | | <p>https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC6937664/</p> <p>Contact gehad met de onderzoeker. Hij meldt dat het onderzoek nu stilstaat. Mocht het doorgaan, dan zijn resultaten pas ergens de komende jaren te verwachten.</p> |

- * 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 (studie staat niet in CT)

- * Start : actual study start date
- * PCD : estimated primary completion date
- * SCD : estimated study completion date
- * CT.gov : [deadlines updates trials](#)