

Vlag gaat uit bij Pharming om middel tegen zeldzame ziekte

Martijn de Meulder

Leiden ■ De Leidse biotechnoloog Pharming denkt beet te hebben met een mogelijk medicijn tegen de zeldzame ziekte APDS. Het aandeel van Pharming schoot omhoog.

Pharming maakte woensdagochtend bekend dat het de belangrijke tweede en derde fase van de klinische studie van haar nieuwste medicijn leniolisib heeft afgerond. Dat is een belangrijk moment in de ontwikkeling van een geneesmiddel, want het betekent dat het goed werkt en heel dicht bij ingebruikname is.

„Dit is echt een hele grote stap voorwaarts, historisch zou ik het willen noemen”, zegt Pharming-directeur Sijmen de Vries. „Hiermee hebben we een tweede poot onder het bedrijf geplaatst, je kunt niet onderschatten hoe belangrijk dit voor ons is. Nu we deze studies met succes hebben afgerond kunnen we de registratieprocedure starten. We verwachten dat leniolisib dan vanaf begin volgend jaar in de Verenigde Staten op de markt komt, in Europa en Japan een kwartaal later.”

Vlag uit

Het nieuwe medicijn van Pharming is bedoeld voor de behandeling van auto-immuunziekte APDS - een zeer zeldzame aandoening aan het afweersysteem die onder andere voor problemen aan de luchtwegen kan zorgen. Slechts enkele honderden mensen in de wereld hebben het en er was tot nu toe geen geneesmiddel voor.

Het nieuwe medicijn is gebaseerd op een door de Zwitserse farmacoloog Novartis ontdekt molecuul dat



Sijmen de Vries: „Ik zou het historisch willen noemen.” FOTO HIELCO KUIPERS

in 2019 door Pharming in licentie werd genomen. De fase II/III studie - waaraan enkele tientallen patiënten deelnamen - toonde niet alleen aan dat het medicijn echt werkt, maar ook dat het middel vermoedelijk geen ernstige bijwerkingen heeft.

Koers snel omhoog na succesvolle studieresultaten

De vlag kan dus uit aan de Leidse Vondellaan, want deze resultaten zorgen ervoor dat het bedrijf nu bij de Amerikaanse FDA en het Europees Geneesmiddelenbureau EMA goedkeuring kan aanvragen om leniolisib uit te brengen. De Vries: „Daarmee starten we in het tweede kwartaal. Misschien dat er vanuit deze autoriteiten nog wat vragen

komen waardoor het proces langer kan duren, maar we gaan er nu echt wel vanuit dat het middel wordt goedgekeurd.” Dat er zo weinig patiënten zijn om te behandelen is volgens de Pharming-baas geen probleem: „Dit is een zogenaamd duur medicijn.” Hoeveel een behandeling per patiënt gaat kosten wil hij nu niet kwijt, maar dergelijke behandelingen voor zeldzame ziektes kunnen al snel in de tonnen lopen.

Koers

Pharming heeft al een medicijn op de markt dat Ruconest heet, voor de behandeling van acute aanvallen van erfelijk angio-oedeem, ook een zeldzame ziekte. „Ik vind het belangrijk om te benadrukken dat dit een bevestiging is van wat we weten en kunnen op ontwikkelgebied”, zegt de Vries. „Door deze resultaten met leniolisib zijn we niet alleen meer afhankelijk van Ruconest alleen. En dit is zeker niet de laatste keer is dat we dit doen. Ik zie kansen om nog meer poten onder het bedrijf te zetten. We zijn een van de weinige biotechbedrijven in Europa die zelf hun middelen commercialiseren. We kunnen dit, dat weten we nu, dus dat gaan we verder uitbaten.”

Beleggers reageerden woensdagochtend opgetogen over het nieuws en zetten Pharming bijna 9 procent hoger. Omdat APDS een zeldzame ziekte is, krijgt het middel waar Pharming de rechten op heeft de status van een weesgeneesmiddel. Dat betekent dat het biotechnologiebedrijf het medicijn waarschijnlijk voor een hogere prijs kan verkopen. Het bedrijf wil tussen april en juni toestemming vragen bij toezichthouders om het geneesmiddel te mogen verkopen.