

Studies/trials waarbij Ruconest wordt ingezet of Pharming is betrokken

Svz. 12 augustus 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><br><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><br><br>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>  |
| 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><br><br><u>Verdieping trial</u><br><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><br><br>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><br><br><u>Contract Pharming met Novartis:</u><br><a href="https://www.lawinsider.com/contracts/lb5hGUyOgjH#milestone-payments">https://www.lawinsider.com/contracts/lb5hGUyOgjH#milestone-payments</a>   |

|  |             |  |             |             |   |
|--|-------------|--|-------------|-------------|---|
|  |             |  |             |             | Bij de presentatie van de cijfers H1 2022 gaf Pharming aan dat de NDA op 29 juli 2022 bij de FDA is ingediend met het verzoek om een versnelde beoordeling.   |
| 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>   |
| 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>   |
| 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>   |
| 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><br><br>Deze studie van het UMC startte in 2017. Afronding mag dus worden verondersteld hoewel het register nog 'ongoing' laat zien.   |
| 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><br><br><u>Omschrijving PE</u><br><a href="https://www.pharming.com/pipeline/pre-eclampsia">https://www.pharming.com/pipeline/pre-eclampsia</a><br><br>Pharming heeft bij de presentatie van de cijfers H1 2022 aangegeven dat de PE-studie wordt stopgezet. |
| Hemofilie A (rhFVIII, betreft samenwerking met SIPI) | pre-kl.     | nmb.                                     | nmb.        | nmb.        | <a href="https://adisinsight.springer.com/drugs/800043667">https://adisinsight.springer.com/drugs/800043667</a>   |
| 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>   |
| 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>   |

|                 |   |   |
|-----------------|---|---|
| Honden met IMHA | Tussen april en oktober 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> |
|-----------------|---|---|

- \* 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](#)