

BioConnection breidt uit

BioConnection heeft de wind in de zeilen en gaat op meerdere fronten uitbreiden. De meest uitdagende uitbreiding vindt nu al plaats. Dit jaar is een grote cleanroom geopend, te zien op bijgaande foto's, waar voor klanten procesontwikkeling kan plaats vinden. Hier is tevens geïnvesteerd in in state-of-the-art TFF apparatuur met vaten tot 600 liter.



Halverwege 2018 is verdere uitbreiding gereed waarbij BioConnection het veld van BSL-2 celtherapie, zoals CAR-T en dendritische therapieën, gaat betreden. Een veld dat zich snel ontwikkelt en waar CMO's moeite hebben om bij te blijven. Wat vandaag gebouwd is, is gisteren al weer verouderd. Tevens wordt kleinschalige hand- en automatisch aanvullen met vriesdrogen mogelijk als uitbreiding op de reeds bestaande grotere productielijn. Hier kunnen geavanceerde formuleringen zoals microsfieren en nanosuspensies worden ontwikkeld en onder GMP geproduceerd. Met deze uitbreidingen is men niet over een nacht ijs gegaan. In plaats van te gaan bouwen is eerst met een aantal klanten gesproken en de bouwvraag omgedraaid. Aan deze klanten is gevraagd wat zij zelf zouden willen bouwen als ze die kans kregen. Die wensen zijn vertaald in het huidige ontwerp. Een leerzame periode volgens CEO Alexander Willemse, die er toe moet leiden dat de nieuwe ruimtes aan vele klantwensen kunnen voldoen. En de flexibiliteit van ons gebouw biedt ons de mogelijkheid ons aan de klant aan te blijven passen.

Ten slotte is BioConnection druk doende de bestaande afvlijning uit te breiden om in de komende jaren de groei verder voort te zetten. De slogan 'Challenge us' van de website wordt de komende tijd meer dan ingevuld!

BIOCONNECTION
FILLING NEEDS IN BIOPHARMACEUTICAL DEVELOPMENT & MANUFACTURING



Sijmen de Vries, CEO Pharming Group '2017 is een topjaar voor Pharming'

Hereditair Angio-oedeem (HAE) is een zeldzame aandoening (1:10.000 – 1:50.000) die wordt veroorzaakt door een deficiëntie van het plasma-eiwit C1-esteraseremmer. Als gevolg van deze deficiëntie kunnen levensgevaarlijke, aanvalsgewijze zwellingen van weke delen optreden. De Pharming Group heeft recent de positieve data bekend gemaakt van een klinische studie van haar 'paradepaardje' RUCONEST® bij kinderen met HAE. CEO Sijmen de Vries van Pharming, is trots op de resultaten en op de sterke omzetstijging die het – al sinds 1999 beursgenoteerde – biotechbedrijf dit jaar liet zien. '2017 is een topjaar voor Pharming'

'Zwellingsaanvallen als gevolg van HAE zijn niet alleen ontierend (in het gelaat), invaliderend (extremiteten), pijnlijk (zwelling rondom de darmen), maar kunnen ook levensbedreigend zijn wanneer zwellingen van de bovenste luchtwegen optreden,' legt Sijmen de Vries uit. 'De zwellingen kunnen ook enkele dagen aanhouden. Er is geen remedie tegen HAE, maar er zijn wel enkele middelen op de markt die gebruikt worden bij acute toediening. Met onze enzyme replacement therapy, RUCONEST (recombinant menselijk C1-esterase remmer) bevinden we ons al jarenlang op deze markt. In 2010 kregen we toestemming om het middel in Europa op de markt te brengen en vier jaar later volgde ook goedkeuring in de Verenigde Staten. RUCONEST wordt momenteel het meest voorgeschreven in de VS. Recent hebben we een overeenkomst gesloten met Incepta Medicines Access voor het beschikbaar stellen van RUCONEST in alle landen waar het medicijn nog niet via de gewone kanalen verkrijgbaar is. De overeenkomst is in nauwe samenspraak met patiëntenvereniging HAEI gesloten.'

'Het bijzondere van RUCONEST is dat het, hoewel goedgekeurd voor acute behandeling van aanvallen, tot tenminste drie dagen na behandeling ook in 93% van de gevallen beschermt tegen nieuwe aanvallen. Deze informatie kwam uit een vorig jaar afgeronde dubbelblinde cross-over Fase II studie die de profylactische werking van RUCONEST onderzocht, welke resultaten recent in het gerenommeerde medische tijdschrift The Lancet gepubliceerd werden. Tezamen met, een eerder ook positief afgeronde open label profylaxe studie waren deze resultaten voldoende om toestemming te krijgen van de FDA om een SBLA in te dienen voor een uitbreiding van Amerikaanse registratie met de profylaxe indicatie. We verwachtten het SBLA ergens dit kwartaal bij de FDA in te reiken. Zijn op de markt voor acute behandeling al verschillende middelen beschikbaar, op de profylactische markt is 1 concurrent met een middel, uit bloedplasma gewonnen, dat, op basis van gepubliceerde resultaten, veel minder effectief lijkt te zijn en een recente concurrent met een middel uit grote hoeveelheden bloedplasma gewonnen, dat twee keer wekelijks, in hoge volumes, zeer pijnlijk, onderhuids moet worden gespoten. RUCONEST is dus het enige product dat mogelijk voor beide indicaties kan worden goedgekeurd' aldus de gepassioneerde CEO.

Positief

Naast de positieve studieresultaten is 2017 ook op het gebied van omzet en beurskoers een topjaar. 'Voor de derde keer



in 2017 noteerde Pharming positieve cijfers, in het derde kwartaal werd zelfs een omzetstijging naar € 25,9 miljoen euro behaald en een bedrijfsresultaat van € 8,5 miljoen.'

Waar het in het verleden op dit terrein wel eens minder goed ging met het biofarmaceutisch bedrijf uit Leiden, is het tij gekeerd sinds Pharming de Amerikaanse rechten op Ruconest heeft teruggekocht. 'Voorheen ging 70% van de verkoopinkomsten naar onze Amerikaanse partner Valeant,' aldus Sijmen de Vries die besluit met het mooie nieuws dat alle positieve resultaten tezamen het afgelopen jaar hebben geleid tot een verviervoudiging van de beurskoers.

Voor meer informatie: www.pharming.com

Studie resultaten

De open-label, enkel-armige klinische fase II studie die recent met positieve data werd afgesloten, is ontworpen in overleg met de European Medicines Agency (EMA) als onderdeel van een zogeheten Paediatric Investigation Plan (PIP) voor de evaluatie van de farmacokinetiek, de veiligheid en de effectiviteit van RUCONEST® bij een dosis van 50IU/kg in kinderen met HAE met een leeftijd tussen 2-13 jaar. Dit ter ondersteuning van het verkrijgen van een specifieke indicatie voor RUCONEST® voor de behandeling van kinderen met HAE-aanvallen. In de studie was RUCONEST® over het geheel genomen veilig en werd goed verdragen. Geen van de kinderen hoefde zich door een bijwerking uit de studie terug te trekken.

 **Pharming**