

De meeste biotechbedrijven beperken zich tot het ontwikkelen en registreren van één nieuw medicijn. De marktintroductie en de verkoop laten ze vaak over aan een andere partij. Daarmee laten ze volgens Sijmen de Vries een groot stuk van de waarde liggen. De topman van Pharming wil dat anders doen. **Daarom richt het bedrijf uit Leiden zich ook steeds meer op het verkrijgen van licenties op kandidaat-geneesmiddelen.**

De eerste stap in deze richting zette Pharming in 2016. Dat jaar kocht het de commerciële rechten op Ruconest terug van de Canadese farmaceut Valeant. Ruconest is een middel voor de behandeling van erfelijk angio-oedeem. Dit is een zeldzame aandoening waarbij zachte weefsels, bijvoorbeeld in het gezicht, plotseling opzwellen. Valeant had het product wel op de markt gebracht, maar was gestopt met investeren in het versterken van de marktpositie. Toen Pharming de rechten terug had, tuigde het een verkooporganisatie op, nam de verkoop weer zelf ter hand en kwam uit de rode cijfers. Pharming maakte vorig jaar 16 miljoen dollar nettowinst op bijna 199 miljoen dollar omzet.

Bestuursvoorzitter De Vries hoopt met leniolisib in 2023 een tweede geneesmiddel op de markt te brengen. Hiermee kan APDS worden behandeld, een zeer zeldzame ziekte van het immuunsysteem. Pharming had de rechten op leniolisib in 2019 overgenomen van farmaceut Novartis. Zowel de Amerikaanse toezichthouder FDA als de Europese EMA heeft toegezegd een versneld beoordelingstraject te volgen. Daarmee kan er in de Verenigde Staten al in maart 2023 en in Europa in juni goedkeuring zijn. Engeland komt daar dan snel achteraan.

De Vries kijkt in een interview vooruit op de laatste stappen naar registratie van het medicijn en schetst hoe hij de ontwikkeling van Pharming de komende jaren ziet.

1 U zei bij de laatste kwartaalcijfers dat Pharming aan de vooravond staat van een nieuwe transformatie. Wat bedoelt u daarmee?

“Vroeger was het al heel wat als we een geneesmiddel konden ontwikkelen en goedgekeurd krijgen. Alleen: dan realiseer je in onze branche maar ongeveer de helft van de totale waarde. De andere helft komt uit het commercialiseren, het op de markt brengen en verkopen. Na het terugkopen van de commercialisatierechten van Ruconest hebben we dat juist als nieuwe kerncompetentie ontwikkeld. We maakten zo een eerste transformatie naar een onderneming die winstgevend is en de commercialisatie kan doen. Nu gaan we met leniolisib voor het eerst zelf een product lanceren. Als dat lukt, bouwen we een bedrijf dat op twee producten steunt en in meerdere regio's actief is. Dat geeft ons een ander risicoprofiel. Dat is de tweede transformatie.”

2 Hoe zijn de vooruitzichten voor registratie van leniolisib?

“Het dossier is door Novartis gemaakt. Zij hebben in overleg met de FDA de klinische studies gedaan. De zogeheten klinische eindpunten die daarbij waren bepaald, hebben ze gehaald. Inmiddels hebben we ook van de EMA bericht ontvangen dat het dossier compleet is. Dat betekent niet dat ze het automatisch gaan goedkeuren. Er is altijd een mogelijkheid dat nog ergens een vraag opduikt die we niet hadden verwacht of waarvan we

nu denken dat die niet zal komen, maar ik verwacht dat niet.”

3 Wat gebeurt er als het desondanks toch niet lukt om een registratie te krijgen? “Dat lijkt me erg onwaarschijnlijk, maar zelfs als het gebeurt, is dat niet het einde van de wereld. Dan hebben we nog steeds onze mooie Ruconest-activiteiten die tweehonderd miljoen euro omzet per jaar opleveren.”

4 Ruconest groeit met een paar procent per jaar. Is dat het maximaal haalbare? “Wij verwachten inderdaad geen spectaculaire groei, maar we hebben er vertrouwen in dat Ruconest voor de voorzienbare toekomst een goede steunpilaar zal blijven voor ons bedrijf. Wij bedienen vooral de mensen die erg ziek worden van de angio-oedeem-aanvallen. We zijn laat in de markt gekomen. De mensen die zo ziek zijn dat ze nergens anders terecht konden, gingen het eerst naar Ruconest. Die zwaar aangedane patiëntenpopulatie is onze basis. Die staat nu wel wat onder druk doordat steeds meer mensen preventieve middelen in pilvorm gaan proberen. Die zijn heel gebruiksvriendelijk, maar beschermen patiënten tegelijk nog niet zo goed tegen aanvallen. Als mensen overstappen naar de pillen, lijkt het erop dat ze daardoor ook weer vaker Ruconest nodig hebben om doorbraakaanvallen op te vangen. Er zijn dus voornamelijk verschuivingen tussen de producten. Zo zien we per saldo uiteindelijk een heel licht stijgende omzet.”

5 U bent op overnamepad. Waar richt u zich op? “Wij willen een specialistische portefeuille opbouwen met alleen genees-

‘MET ALLEEN GENEESMIDDELEN ONTWIKKELEN EN LATEN GOEDKEUREN REALISEER JE IN DEZE BRANCHE MAAR DE HELFT VAN DE WAARDE’